

Lauri Pelkonen

OTK, varatuomari ja valtiotieteen lisensiaatti
Johtaja, Lääkkeiden hintalautakunta, sosiaali- ja terveysministeriö

Harvinaislääkkeet ja Kela-korvattavuus

Lääkkeiden hintalautakunta (Hila) päättää harvinaislääkkeiden Kela-korvattavuudesta. Päätöksenteossa noudatetaan samoja periaatteita kuin muiden lääkkeiden kohdalla. Kustannusvaikuttavuusarviointia vaikeuttaa käytettävissä olevan tutkimustiedon rajallisuus. Ehdotettu uusi ehdollinen korvattavuus voi tarjota uusia mahdollisuuksia arviointityöhön.

Harvinaislääke on harvinaissairauden hoitoon tarkoitettu lääke, jolle Euroopan lääkevirasto (EMA) on myöntänyt harvinaislääkestatuksen. Harvinaissairauksiksi katsotaan henkeä uhkaavat tai krooniset sairaudet, joita sairastaa enintään viisi ihmistä 10 000 ihmistä kohti. Erilaisia harvinaisia sairauksia arvioidaan olevan noin 8 000 ja uusia löydetään koko ajan.

Suomessa lääkkeitä rahoitetaan kahden eri rahoituskanavan kautta. Tämä koskee myös harvinaislääkkeitä. Julkisen terveydenhuollon lääkehoidon rahoitus on kuntien vastuulla, ja avohuollon reseptilääkkeiden kustannuksia korvataan lääkekorvausjärjestelmästä.

Kela-korvattavuus mahdollistaa harvinaislääkkeiden käytön

Lääkekorvausten tarkoituksena on mahdollistaa lääkettä tarvitseville tarpeellisten lääkkeiden hankkiminen kohtuullisin kustannuksin. Kela-korvattavilla lääkkeillä on kolme korvaustasoa: peruskorvaus (40 %), alempi (65 %) ja ylempi (100 %)

erityiskorvaus. Korvaustasot perustuvat sairauden vaikeusasteeseen ja lääkeshoidon välttämättömyyteen. Paljon lääkkeitä käyttäville tärkeä osa korvausjärjestelmää on suurilta kustannuksilta suojaava niin sanottu lääkekatto (610,37 €).

Kela-korvattavuus edellyttää, että Hila on hyväksynyt hakemuksesta lääkkeelle korvattavuuden ja korvauksen perusteena käytettävän tukkuhinnan. Hakijana toimii lähtökohdaisesti lääkeyritys. Potilas voi olla hakijana erityislupavalmisteen korvattavuusasiassa. Fimea voi erityisistä sairaanhoidollisista syistä antaa yksittäistapauksissa luvan luovuttaa kulutukseen sellaisen lääkevalmisteen, jolla ei ole Suomessa myyntilupaa (erityislupa).

Hilan tehtävänä on päättää, mitkä lääkkeet ovat Kela-korvattavia ja millä hinnalla, mihin korvausluokkaan ne kuuluvat ja missä laajuudessa ne ovat korvattavia. Päätöksenteko perustuu hakemusmenettelyyn. Korvattavuudesta päätettäessä Hila arvioi valmisteen hoidollista arvoa. Korvattavuus voidaan hyväksyä enintään lääkkeen

myyntiluvassa määritellyn käyttöaiheen laajuudessa.

Lääkkeelle ehdotetun tukkuhinnan kohtuullisuutta arvioidaan Hilan otettava huomioon muun muassa, mitä muut saman sairauden hoitoon käytettävät lääkkeet maksavat, mitä lääke maksaa muissa ETA-maissa ja mitkä ovat lääkkeen käytöstä aiheutuvat tai muiden hoitovaihtoehtojen kustannukset suhteessa saavutettiin hyötyihin.

Suomessa harvinaislääkkeiden korvattavuus on kohtuullisella tasolla

Arvioidessa harvinaislääkkeiden korvattavuuden edellytyksiä ja tukkuhinnan kohtuullisuutta noudatetaan vastaavia periaatteita kuin muidenkin lääkkeiden osalta. Suomessa harvinaislääkkeiden korvattavuustilanne oli kohtuullinen 17.10.2016. Myyntiluvallisia harvinaislääkkeitä oli noin 90 ja näistä 60 oli saatavana Suomessa. Korvausjärjestelmään oli hyväksytty 25 harvinaislääkettä, joista noin puolet (13) oli erityiskorvattavia, ja neljän valmisteen hakemus oli hylätty.

Käsiteltävänä oli 10 korvattavuushakemusta.

Korvattavien harvinaislääkkeiden kokonaiskustannukset olivat vuonna 2015 yli 41 miljoonaa euroa, ja korvauksen saajia oli vajaa 2 000. Korvauksen saajien määrä lääkeainetta kohden vaihteli yhdestä potilaasta noin 550 potilaaseen ja lääkehoidon potilaskohtainen vuosikustannus noin 500 eurosta 220 000 euroon. Keskimääräinen vuosikustannus potilasta kohden oli 20 600 euroa.

Kelan harvinaissairauksia hoitaville lääkäreille tekemän kyselytutkimuksen (2015) mukaan suurin osa harvinaissairauksien hoidossa käytettävistä lääkkeistä oli Kela-korvattavia ja harvinaislääkestatuksen saaneista lääkkeistä yhtä lukuun ottamatta kaikki olivat korvattavia. Selvityksen mukaan korvausjärjestelmän näkökulmasta ongelmallisina näyttäytyivät tilanteet, joissa korvattavaa lääkettä käytetään muussa tarkoituksessa kuin hyväksytyssä käyttöaiheessa (off label -käyttö).

Ehdollisella korvattavuudella hallitaan uuden lääkkeen käyttöönottoon liittyvää epävarmuutta

Markkinoille tulee jatkuvasti uusia lääkkeitä sairauksiin, joihin ei ole ollut lääkehoitoa. Näille valmisteille on yhä useammin tyypillistä niiden korkea hinta, pieni käyttäjäryhmä ja rajallinen tieto lääkkeen hyödyistä suhteessa kustannuksiin. Käytettävissä olevien rajallisten resurssien järkevä ja oikeudenmukainen kohdentaminen edellyttää näyttöön perustuvan päätöksenteon kehittämistä. Tämä on haastavaa harvinaislääkkeiden kohdalla, sillä niistä on olemassa vähän tutkimusnäyttöä muun muassa sen vuoksi, että harvinaislääkkeillä tehtäviin kliinisiin tutkimuksiin saadaan mukaan vain vähän potilaita.

Kaikkialla etsitään kuumeisesti sitä viisasten kiveä, jonka avulla ratkaistaisiin mahdottomalta tuntuva yhtälö turvata kestävä rahoitus ja saada uudet, kalliit innovaatiot niitä tarvitsevien käyttöön. Euroopassa on

käytössä erilaisia harvinaislääkkeiden rahoitusmalleja. Eri maiden lääkekorvausjärjestelmien erityispiirteistä johtuen ratkaisut ovat aina kansallisia.

Suomessa askel kohden uudenlaista maailmaa on otettu, kun hallitus esitti uudenlaisen riskinjakomallin sisällyttämistä lääkekorvausjärjestelmään (ns. ehdollinen korvattavuus). Tavoitteena on parantaa uusien innovatiivisten lääkkeiden saatavuutta niitä tarvitseville ja toisaalta parantaa viranomaisen mahdollisuutta hallita uuden lääkkeen käyttöönottoon liittyvää epävarmuutta.

Edellytyksenä ehdolliselle korvattavuudelle olisi erityinen hoidollinen tarve uudelle hoitovaihtoehdolle (unmet medical need). Uusi toimintamalli ei ratkaise edessä olevaa haastetta, mutta on askel oikeaan suuntaan. ●

Keskimääräinen vuosikustannus potilasta kohden oli 20 600 euroa.



©iStock/nicoalay

KIRJALLISUUTTA

- Hallituksen esitys eduskunnalle laiksi sairausvakuutuslain muuttamisesta ja väliaikaisesta muuttamisesta sekä laeiksi lääkelain 57 b ja 102 §:n ja terveydenhuollon ammattihenkilöistä annetun lain 22 ja 23 §:n muuttamisesta (HE 184/2016).
- Harvinaisten sairauksien kansallinen ohjelma 2014–2017. Sosiaali- ja terveystieteiden tutkimuskeskuksen raportteja ja muistioita 2014: 5. Ohjausryhmän raportti.
- Kalliokoski A, Pelkonen L. Lääkekorvausjärjestelmä ohjaa lääkkeen määräämistä ja lääkekorvausmenoja. *Sic!* 2016; 6: 12–5.
- Orphanet. The portal for rare diseases and orphan drugs. www.orpha.net
- Saastamoinen LK, ym. Lääkkeiden ja ravintovalmisteiden käyttö harvinaisten sairauksien hoidossa. Kysely harvinaissairaita hoitaville lääkäreille. Kela Työpapereita 76/2015.

