

Pia Annunen
LT

Ylilääkäri, EMAn lastenlääkekomitean varajäsen, Fimea

Jos määrät lapselle lääkettä off label, kerro siitä

Lapsille määrätystä lääkkeistä noin joka toinen on määrätty lääkkeen valmisteyhteenvedosta poikkeavalla tavalla eli off label. Mitä pienemmästä lapsesta on kyse, sitä vähemmän tutkittuja lääkkeitä heille on tarjolla. Off label -käytössä lääkkeen tehosta ja turvallisuudesta ei kuitenkaan ole tarjolla viranomaisen vahvistamaa tietoa. Mitä voimme siis tehdä?

Off label -käytöllä tarkoitetaan lääkkeen määräämistä muuhun kuin valmisteyhteenvedossa mainittuun käyttötarkoitukseen. Käyttötarkoituksella tarkoitetaan lääkkeen valmisteyhteenvedossa mainittua käyttöaihetta, annosta, annostelutapaa ja kohderyhmää.

Lääkkeen myyntiluvan mukainen käyttö, eli valmisteyhteenvedon mukainen käyttö (on label), perustuu lääketieteelliseen näyttöön lääkkeen hyöty-haittasuhteesta, jota lääkeviranomaiset ja lääkeyritykset myös seuraavat aktiivisesti. Valmisteyhteenvedon mukaiseen käyttöön ei liity epäselviä vastuukysymyksiä.

Lääkkeen myyntilupaa ja sen mukaista valmisteyhteenvedoa päivitetään koko lääkkeen elinkaaren ajan. Lääkevalvontaviranomaiset arvioivat uusien kliinisten lääketutkimusten ja haittavaikutusraporttien tiedot, ja arvioinnissa vahvistettu tieto lääkkeen vaikutusprofiilista päivitetään valmisteyhteenvedoon. Uusin valmisteyhteenvedo on löydettävissä Fimean verkkosivuilta osoitteessa www.fimea.fi.



©iStock/Halfpoint

Hoitavan lääkärin juridinen velvollisuus on kertoa lapselle ja/tai tämän huoltajalle, jos lasta hoidetaan off label -lääkityksellä.

Kun lääkettä ei käytetä valmisteen yhteenvedon mukaisesti, kyseisen käytön perusteena ei ole aina kliinistä tutkimusnäyttöä, eikä lääkeviranomainen ole arvioinut sen hyötyjen ja haittojen suhdetta. Tällöin lääkettä määräävän lääkärin tulee itse tarkoin pohtia lääkehoidon hyöty-haittasuhde. Turvallisuusnäkökulmasta off label-käyttö on pääsääntöisesti lääkkeen myyntiluvan mukaista käyttöä huonompi vaihtoehto.

Off label -käyttö lasten lääkinnässä

Noin puolet lasten lääkkeistä määrätään off label, koska muuta vaihtoehtoa ei ole tarjolla. Off label -lääkkeitä käytetään eniten vastasyntyneillä, monisairailta sairaalahoitossa olevilla lapsilla. Heillä yli 90 % lääkkeistä määrätään off label, kun taas aikuisilla vain noin 1 % lääkkeistä määrätään off label. Useat tutkimukset viittaavat siihen, että off label -käytössä lääkkeen haittavaikutuksia esiintyy lapsilla kolme kertaa useammin kuin aikuisilla.

Lasten kliinisiä lääketutkimuksia on aina tehty paljon vähemmän kuin aikuisten. Pitkään on myös ajateltu, ettei lapsia voi altistaa tutkimuksille, ja asenneilmapiiri muuttuu hitaasti. Toisaalta on edelleenkin erittäin tärkeää miettiä jokaisen lapsilla tehtävän tutkimuksen kohdalla, onko tutkimus varmasti tarpeen, voitaisiinko tietoa saada pienemmällä

potilasmäärällä ja miten tutkimuspotilas altistetaan mahdollisimman pienelle riskille ja rasitukselle. Lasten lääketutkimusten asiantuntemusta tarvitaan siksi niin lääkeyrityksissä, lääkevirastoissa, tutkimuskeskuksissa kuin eettisissä toimikunnissakin.

Miksi potilaalle pitää kertoa, jos häntä hoidetaan off label -lääkehoidolla?

Hoitavan lääkärin juridinen velvollisuus on kertoa lapselle ja/tai tämän huoltajalle, jos lasta hoidetaan off label -lääkityksellä. Lasten ja vanhempien on tarpeen tietää siihen liittyvistä riskeistä, jotta he pystyvät seuraamaan tilannetta ja tunnistamaan mahdollisia haittoja nopeasti. Avoin keskustelu off label -käytöstä muokkaa myös maaperää lasten kliinisten tutkimusten toteuttamiselle.

Eduskunnan oikeusasiamies on todennut ratkaisussaan, että lääkäri ei voi määrätä lääkettä muuhun kuin sen hyväksytyyn käyttötarkoitukseen ilman, että asiasta kerrotaan potilaalle. Lääkärin pitää myös selvittää potilaalle ne hoidolliset syyt, joiden vuoksi hän on päätyvässä lääkkeen off label -käyttöön. Lapsen off label-lääkityksen hyötyjä ja haittoja on seurattava erityisen huolellisesti ja lääkitys on myös lopetettava herkästi, jos toivottua vastetta ei saavuteta tai lääkityksestä aiheutuu lapselle merkittäviä haittavaikutuksia. ●

KIITÄMME

Valviraan saamistamme arvokkaista kommentista käsikirjoitukseen!

KIRJALLISUUTTA

- Balan S, ym. Awareness, knowledge and views of off-label prescribing in children: a systematic review. *Br J Clin Pharmacol* 2015; 80:1269–80.
- Balan S, ym. Two decades of off-label prescribing in children: a literature review. *World J Pediatr* 2018. Julkaistu verkossa 14.9.2018. www.springer.com
- Elzagallaai AA, ym. Adverse drug reactions in children: The double-edged sword of therapeutics. *Clin Pharmacol Ther* 2017; 101:725–35.
- Eduskunnan oikeusasiamiehen ratkaisu. 17.12.2012 Dnro 1918/4/11
- Lindell-Osuagwu L, ym. Off-label and unlicensed drug prescribing in three pediatric wards in Finland and review of the international literature. *J Clin Pharm and Ther* 2009; 34: 277–87.
- Mahalgaes J, ym. Use of off-label and unlicensed drugs in hospitalised paediatric patients: a systematic review. *Eur J Clin Pharmacol* 2015; 71:1–13.
- Moulis F, ym. Off-label and unlicensed drug use in children population. *Therapie* 2018; 73:135–49.

