

Ilona Autti-Rämö

Lastenneurologian dosentti, pääsihteeri
Palveluvalikoimaneuvosto
STM

Miia Turpeinen

LT, kliinisen farmakologian ja lääkehoidon erikoislääkäri
Professori, arviointiyliääkäri
Oulun yliopistollinen sairaala ja Oulun yliopisto

Vaikuttavaa lääkehoitoa – mutta ei hinnalla millä hyvänsä

Uusilla yksilöllistetyillä läkehoidoilla on saatu hallintaan monen potilaan sairaus – onpa saatu jopa toivoa paranemisesta. Hoitoja yhdistää suuri lääketieteellinen tarve mutta myös korkea hinta. Usein myös myyntilupa on myönnetty nopeutetusti ja vain alustavalla näytöllä lääkkeen tehosta ja turvallisuudesta.

Viime vuodet ovat tuoneet markkinoille erilaisia yksilöllistettyjä lääkehoitoja: perinnöllisten yhden geenivirheen aiheuttamien sairauksien lääkkeitä, tiettyyn mutaatioon kohdennettuja syöpälääkkeitä ja potilaan omista soluista yksilöllisesti valmistettuja kehittyneitä terapioida. Uusien, kalliiden sairaalalääkkeiden käyttöönottoa arvioitaessa kyseessä on lähes poikkeuksetta yksilön kannalta vakava terveysongelma, mutta tieto hoidon vaikuttavuudesta on useimmiten puutteellista.

Näyttö tämänkaltaisten lääkkeiden hyödyistä perustuu usein yksihaaraisiin tutkimusasetelmiin tai kohdelähdistä lääkekehitystä lukuun ottamatta asetelmiin, joiden perusteella on vaikea arvioida, kenelle lääke pitäisi kohdentaa, jotta odotettu vaikuttavuus olisi saavutettavissa. Samoin tieto siitä, onko saavutettavissa oleva terveydentilan muutos potilaille merkityksellinen, on usein puutteellista

tai aineiston pienen koon tai tutkimusasetelman vuoksi vaikeasti arvioitavissa. Epäselvää on myös, mikä olisi läkehoidon optimaalinen kesto, annos ja se, onko saavutettu hoitovaikutus pysyvä vai tilapäinen. Usein käyttöönotto näyttäytyykin kliinisen lääketutkimuksen jatkumisena yhteiskunnan varoin.

Yksilöllistetyssä lääketieteessä on huomioitava myös yksilön muu terveydentila ja hänen toiveensa odotettavissa olevista hyödyistä. Lääketutkimusten päätemuuttujina korostuvat usein korvikemuuttajat, jotka eivät aina myöhemmässä arvioinnissa näytä ennustavan elinaikahyötyä. Yksilölle merkityksellisempää voi olla elämänlaatu ja toimintakyky, joita uusi lääkehoito voi haittavaikutusten ja hoitoon sitoutumisen muodossa merkittävästi heikentää. Uuden lääkehoidon aloitus edellyttää aina potilaan kanssa yhdessä tehtyä päätöstä siitä, mikä on hänelle tärkeintä ja mitä tie-





don epävarmuus juuri hänen kohdallaan merkitsee.

Uudet lääkkeet tulevat vain harvoin jonkin toisen lääkehoidon tilalle, ne ovat sananmukaisesti uusia hoitovaihtoehtoja. Niistä aiheutuvat kustannukset ovat siten useimmiten lisäkustannuksia. Monien solu- ja geeniterapioiden terveyshyötyä tuottavan potentiaalın on arvioitu olevan suurta, mutta myös hoidon kustannukset ovat ennennäkemättömiä: useiden kehitteillä olevien valmisteiden ennakoidaan maksavan potilaskohtaisesti useita miljoonia euroja. Ratkaisuksi budjettipaineeseen ja tiedon epävarmuuteen on ehdotettu esimerkiksi osamaksua ja erilaisia hallitun käyttöönoton sopimuksia, niin sanottuja riskinjakosopimuksia.

Kansallinen arviointi päätöksenteon ja hankintamenettelyn tukena

Uusia menettelytapoja harkittaessa lisäarvoa saadaan, jos uusien lääkehoitojen arviointi suoritetaan kansallisesti ja johdonmukaisella tavalla, ja laadittuja suosituksia hyödynnetään sairaaloiden päätöksenteossa ja hankintamenettelyissä. Palko aloitti toimintansa vuonna 2014 ja Fin-

CCHTA (Kansallinen HTA-koordinaatioyksikkö) vuonna 2018. Työnjako sairaalalääkkeiden arvioinnissa on selkeytynyt, ja Palko laatii suosituksen kaikista Fimean arvioimista lääkeshoidoista. Suosituksessa huomioidaan tutkimustieto hoidon vaikuttavuudesta, haitoista ja tulosten luotettavuus sekä eettiset ja taloudelliset näkökulmat.

Palkon tähän saakka arvioimat lääkevalmisteet on lähes poikkeuksetta tarkoitettu pienille kohderyhmille, ja ne ovat poikkeuksellisen kalliita. On esimerkiksi arvioitu, että akuuttiin lymfoblastiseen leukemiaan sairastuneista 4–8 potilasta tarvitsisi vuosittain tisagenlekleuseelia, jolloin lääkeshoidon budjettivaikutus olisi 1–2 miljoonaa euroa. Vastavasti ei-pienisoluisen keuhkosityövän toisen tai myöhemmän linjan immuno-onkologiseen hoitoon soveltuvia henkilöitä olisi vuositasolla arviolta 60 ja heidän hoitonsa budjettivaikutus olisi 7 miljoonaa euroa. Uusiin lääkkeisiin kohdistetun rahan voi käyttää vain kerran, ja jos tämä lisäys ei sisälly terveydenhuollon budjettiin, tarkoittaa käyttöönotto vaihtoehtokustannuksena jonkin toisen terveydenhuollossa tapahtuvan toiminnon rajoittamista.

Hoidon kokonaisuus ratkaisee vaikuttavuuden

Yksilöllistetty lääkehoito mahdollistaa hoidon kohdentamisen siitä todennäköisimmin hyötyville potilaille, jolloin käytettävissä olevilla resursseilla voidaan tuottaa maksimaalinen terveyshyöty. Lääke on kuitenkin vain yksi osa potilaan hoidon kokonaisuutta. Esimerkiksi syöpäpotilaan hoitopolku sisältää paitsi lääkeshoidon myös psykososiaalisen tuen ja kuntoutuksen.

Hoidon todellinen arvo määrittyy aina yksilön elämässä, ei tutkimuksissa. Jotkut uudet lääkkeet vaativat erityistä osaamista diagnostiikassa tai hoidon toteutuksessa. Kaikkien lääkkeiden vaikuttavuus edellyttää hoitoon sitoutumista. On tärkeää, että uusien lääkehoitojen käyttöönoton jälkeen kerätään systemaattisesti tietoa niin hoitoa saavien potilaiden kuin hoidettavan taudin erityispiirteistä, hoitoprosessista sekä hoidon hyödyistä ja haitoista. Vain näin voidaan varmistua uusien lääkkeiden todellisesta vaikuttavuudesta. ●