

Keskustelualoite

Harvinaissairaudet  
monikanavaisen  
lääkekorvausjärjestelmän  
puristuksessa

Elokuu 2021

Työryhmä:  
Lukkarinen, Virtanen,  
Tuppurainen, Laine,  
Kiviniemi ja Turpeinen

## Keskustelualoite

# Harvinaissairaudet monikanavaisen lääkekorvausjärjestelmän puristuksessa

### Työryhmä:

Heikki Lukkarinen<sup>1</sup>, Oskari Virtanen<sup>2</sup>, Kaisa Tuppurainen<sup>3</sup>, Juha Laine<sup>4</sup>,  
Vesa Kiviniemi<sup>5</sup> ja Miia Turpeinen<sup>6</sup>

<sup>1</sup>Toimialuejohtaja, Lasten ja nuorten klinikka,  
Turun yliopistollinen keskussairaala - Dosentti,  
Turun yliopisto

<sup>2</sup> Nordic Medical Lead, Rare Conditions,  
Roche Oy

<sup>3</sup> Health Economics and Outcomes Research Manager,  
Roche Oy

<sup>4</sup>Real World Data Lead & Health Economics Advisor,  
Roche Oy – Työelämäprofessori, Turun yliopisto

<sup>5</sup> Arviointipäällikkö,  
Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea

<sup>6</sup> Tutkimus- ja arviointiyliopistollinen lääkäri,  
Oulun yliopistollinen sairaala – Professori,  
Oulun yliopisto

Työryhmän jäsenille ei ole maksettu palkkiota osallistumisesta.

# SISÄLLYS

01 Johdanto .....	4
02 Lääkehoidon nykyjärjestelmä.....	5
2.1 Lääkkeiden monikanavarahoitus .....	5
2.2 Lääkkeen arviointi ja käyttöönotto .....	6
2.3 Nykyjärjestelmän haasteet .....	7
03 Harvinaissairaudet.....	10
3.1 Harvinaissairaudet.....	10
3.2 Harvinaissairaudet nykyjärjestelmässä .....	10
3.3 Harvinaislääkkeet monikanavajärjestelmässä.....	11
04 Vaikuttavuusperusteisuus uusien hoitojen käyttöönoton tukena .....	14
4.1 Miten vaikuttavuutta arvioidaan? .....	15
4.2 Vaikuttavuustiedon koostaminen – esimerkkinä harvinaissairaudet.....	16
4.3 Vaikuttavuusperusteinen rahoitusmalli.....	18
05 Lopuksi: Toimenpide-ehdotuksia .....	21

# 01 JOHDANTO

Lääkehoito on kokonaisvaltaisen terveydenhuollon keskeinen kulmakivi. Jotta suomalainen potilas saa parasta mahdollista hoitoa, on edellytysten sopivimman lääkehoidon saamiseksi oltava kunnossa. Jokaisella sairastuneella tulisi olla yhdenvertainen oikeus oikea-aikaiseen ja yksilöllisesti sopivimpaan lääkehoitoon iästä, asuinpaikasta ja sosioekonomisesta asemasta riippumatta.

Sosiaali- ja terveydenhuollon kokonaisuudistuksen keskeinen tavoite on palveluiden laadun, vaikuttavuuden sekä potilaiden yhdenvertaisuuden takaaminen. Tämä on tärkeä lupaus jokaiselle kansalaiselle. Käsillä olevan keskustelualoitteen myötä haluamme nostaa esiin keinoja, joilla voidaan edistää potilaiden lääkehoidon yhdenvertaisuutta.

Yhdenvertaisuus ja tasa-arvo ovat nousseet esiin erityisesti uusien kalliiden harvinaissairauksien lääkehoitojen kohdalla. Harvinaisten sairauksien lääkehoitoja ei ole pienen esiintyvyyden vuoksi mahdollista tutkia laajoissa satunnaistetuissa kontrolloiduissa kliinisissä tutkimuksissa. Rajallisen tutkimusnäytön vuoksi lääkehoitojen hoidolliseen arvoon liittyy huomattavaa epävarmuutta lääkkeen saadessa myyntiluvan. Kuitenkin juuri harvinaissairauksien potilaat voivat hyötyä jopa merkittävästi sopivan lääkehoidon saamisesta ja potilaiden elämänlaatu saattaa mullistua. Näiden uusien lääkehoitojen kohdalla ovat nousseet esiin seuraavat keskeiset kysymykset:

Miten harvinaissairauksien lääkehoidon tutkimusnäyttöön liittyvä epävarmuus tulisi huomioida kansallisissa käyttöönottopäätöksissä? Miten lääkehoidolla saavutettava vaikuttavuutta voidaan seurata kliinisissä hoitokäytännössä? Entä miten lääkehoidolla saavutettava arkivaikuttavuus voidaan sitoa näiden lääkkeiden hinnoitteluratkaisuihin?

Lääkehoidon arviointi- ja hankintaprosessien kehittäminen on tärkeää, jotta uudet lääkehoidot ja terveysteknologiat saadaan niitä tarvitsevien potilaiden käyttöön taloudellisesti kestävällä tavalla. Arvioimalla vaikuttavuutta entistä systemaattisemmin, voidaan yhteiskunnan terveydenhuoltoon suuntaamia varoja kohdentaa tehokkaammin. Samalla voidaan ottaa käyttöön uusia monipuolisia tapoja rahoittaa hoitoja erilaisin vaikuttavuusperusteisin rahoitusmallein. Tällöin epävarmuutta, joka liittyy lääkehoitojen budjettivaikutuksiin, kliiniseen näyttöön tai hoidon vaikuttavuuteen voidaan hallita paremmin.

Tätä keskustelualoitetta ovat olleet työstämässä Heikki Lukkarinen, Oskari Virtanen, Vesa Kiviniemi, Miia Turpeinen, Kaisa Tuppurainen ja Juha Laine. Lääketeollisuuden näkökulmaa työryhmässä on edustanut lääkeyhtiö Roche. Haluamme osallistua keskusteluun, jota muun muassa Lääketeollisuus ry, yliopistosairaanhoitopiirit sekä Palveluvalikoimaneuvosto (Palko) ovat viime aikoina käynnistäneet lääkerahoituksen kehittämistarpeista. Avaukseen sisältyviä Janne Martikaisen ja Paulus Torkin viimeaikaisia raportteja lääkkeiden vaikuttavuusperusteisistä rahoitusmalleista olisi hyvä lukea tämän kirjoituksen rinnalla.<sup>1</sup>

<sup>1</sup> Lääketeollisuus ry (08.02.2021): "Hyvään hoitoon pääsy kuuluu kaikille".

<https://www.laaketeollisuus.fi/uutishuone/kannanotot/laaketeollisuus-ry-hyvaan-hoitoon-paasy-kuuluu-kaikille.html>

## 02 LÄÄKEHOIDON NYKYJÄRJESTELMÄ

Lääkehoitojen nykyinen arviointi- ja käyttöönottojärjestelmä on monitahoinen eikä se vastaa harvinaissairauksien lääkehoidon erityispiirteisiin. Seuraavassa käymme läpi lyhyesti muutamia keskeisiä ominaisuuksia nykyjärjestelmässämme sekä niiden haasteita.

### 2.1 Lääkkeiden monikanavarahoitus

Yksittäinen lääke tekee pitkän matkan, ennen kuin se saavuttaa suomalaisen potilaan. Lääkekehityksen jälkeen lääkeyhtiö hakee valmisteelleen myyntilupaa EU-markkinoille Euroopan Lääkevirasto EMA:sta. Myyntilupa on lähtölaulus lääkkeen kansalliselle arvioinnille ja rahoituspäätöksille.

Suomessa on käytössä niin kutsuttu **kaksikanavainen lääkerahoitusjärjestelmä**. Lääkehoitoa rahoitetaan Suomessa pääasiallisesti joko julkisen terveydenhuollon tai sairausvakuutuksen kautta. Lääkkeen rahoituskanava määräytyy sen annostelumudon perusteella.

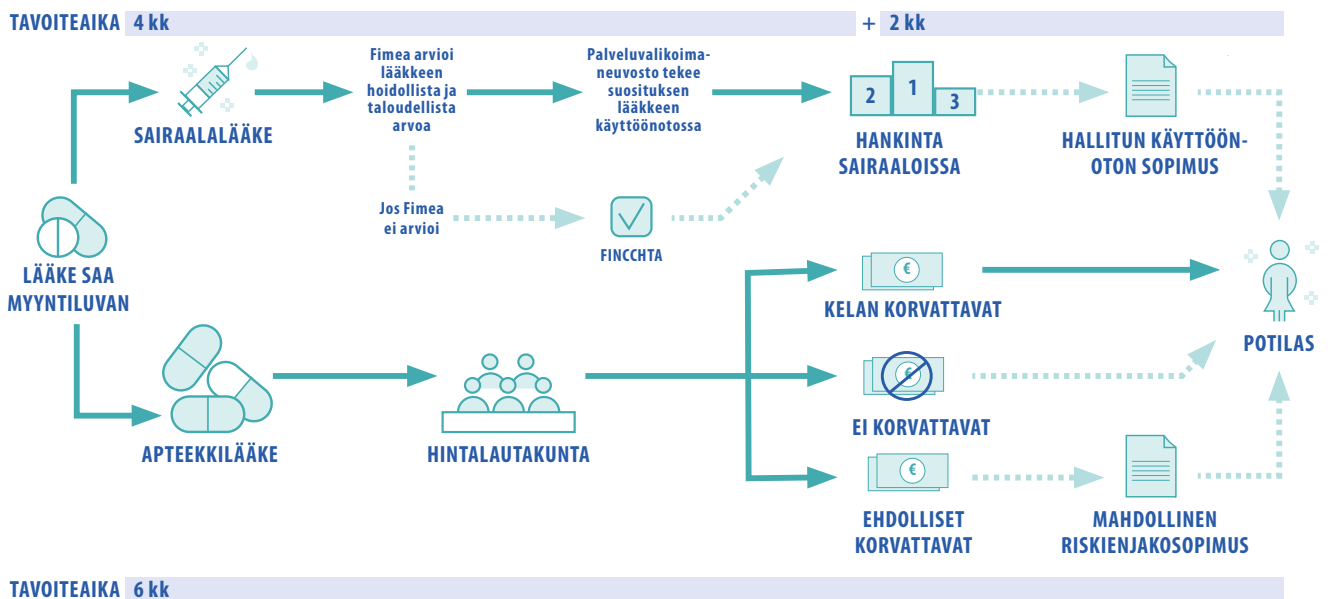
Potilaan itse annosteltavaksi tarkoitettujen reseptilääkkeiden, kuten avohoidon tabletti- tai itsepidettävien injektioilääkkeiden, kustannuksia korvataan potilaalle sairausvakuutuslaissa määritellyn Kela-korvauksen muodossa. Potilas ostaa itse lääkkeen apteekista ja voi saada kustannuksista korvauksen edellyttäen, että Lääkkeiden hintalautakunta (Hila) on vahvistanut sille korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan. Lääkekorvausjärjestelmän tarkoituksena on varmistaa, että potilaat saavat sairauden hoitoon tarvittavat avohoidon lääkkeet kohtuullisin kustannuksin.

Lääkkeissä, joiden annostelu edellyttää terveydenhuollon ammattilaisen toimia kuten suonensisäistä infuusiota, kustannuksista vastaavat sairaanhoitopiirejä rahoittavat kunnat. **Sairaalalääkkeiden** hinnat määrittyvät pitkälti hintakilpailutuksen- ja tarjousten myötä, ja voivat näin ollen vaihdella alueellisesti. Uusien sairaalalääkkeiden kansallisen hintaneuvottelun ja sairaanhoitopiirien yhteishankinnan mahdollistamiseksi Suomeen ollaan suunniteltu kansallista lääkeneuvottelukuntaa. Kyseessä on viiden yliopistosairaalan hankintarenkaan muodostama yhteisneuvottelu, jota HUS Apteekki tulisi koordinoimaan. Lisäksi suunnitteilla on perustaa sairaanhoitopiirien yhteinen kansallinen lääkeneuvottelukunta, joka käsittelee neuvottelutuloksen.<sup>2</sup>

Kahden pääasiallisen rahoituskanavan lisäksi lääkkeitä voidaan rahoittaa myös kolmen muun pienemmän kanavan kautta: **tartuntatautilakiin perustuen** (kunnat maksajina), **omakustanteisesti** (1. lääkehoidon saaja itse maksajana, 2. yksityinen sairausvakuutus maksajana tai 3. Kelan toimeentulotuen maksamana) tai **erityislupaan perustuen**, kun kyseessä on lääke, jolla ei ole Suomessa myyntilupaa (Kela, lääkehoidon saaja itse tai lääkeyhtiö maksajana).

<sup>2</sup>Oulun yliopistollinen sairaala (8.9.2020): ”Yhteistyö uusien sairaalalääkkeiden hankinnassa tiivistyy”.  
<https://www.sttinfo.fi/tiedote/yhteistyö-uusien-sairaalalääkkeiden-hankinnassa-tiivistyy?publisherId=69817636&releaseld=69888325>

## Näin uusi hoitomuoto päättyy potilaalle Suomessa



Kuva 1: Näin uusi lääkehoito päättyy potilaalle Suomessa.

## 2.2 Lääkkeen arviointi ja käyttöönotto

Jako Kelan korvaamiin avohoidon lääkkeisiin sekä sairaalalääkkeisiin (jotka ovat viime kädessä kuntien kustantamia), jakaa rahoitusvastuun mutta myös uusien lääkkeiden arvioinnin ja käyttöönoton päätökset useammalle eri taholle. Jokainen näistä tahoista tekee arviointia lääkkeen hoidollisesta ja taloudellisesta arvosta.

Avohoidon lääkkeiden pääsystä korvausjärjestelmään päättää **Lääkkeiden hintalautakunta Hila**. Sairasvakuutuskorvausten tarkoituksena on mahdollistaa tarpeellinen lääkehoito sitä tarvitseville kohtuullisin kustannuksin. Hila arvioi uusien lääkkeiden hoidollisen arvon ja taloudellisuuden sekä vahvistaa korvausperusteena olevan kohtuullisen tukkuhinnan. Päätöksenteko perustuu lääkeyritysten tekemiin hakemuksiin, jotka sisältävät muun muassa tiedot lääkkeellä tehtyjen kliinisten tutkimusten tuloksista, hintatietoja muista maista ja lääkkeelle Suomeen ehdotetun hinnan. Uusia lääkeaineita koskeviin hakemuksiin liitetään terveystaloudellinen selvitys.<sup>3</sup>

Sairaalalääkkeiden arvioinnissa toimijoita on useita. **Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea** tuottaa Suomessa myyntiluvan saaneiden lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointeja itsenäisesti, ja koordinoi arviointia koskevaa yhteistyötä. Myyntiluvan haltijan rooli on toimittaa arviointeihin Fimean pyytämiä lisätietoja erityisesti taloudellisista vaikutuksista ja tarvittaessa tarkempia tietoja tutkimustuloksista.

<sup>3</sup>Duodecim (2020) (136(2):200-5): "Lääkkeiden ehdollinen korvattavuus ja järkevä lääkehoito).  
<https://www.duodecimlehti.fi/duo15350>

Tällä hetkellä myös Pohjois-Pohjanmaan sairaanhoitopiirin vastuulla on terveydenhuollon menetelmien arvioinnin kansallinen koordinointi, mitä varten on perustettu kansallinen koordinaatioyksikkö **FinCCHTA**. Prosessiin voi myös kuulua kansainvälistä arviointiyhteistyötä pohjoismaisessa **FiNoSe**-verkostossa ja eurooppalaisessa **EUnetHTA**-verkostossa.

Palveluvalikoimaneuvosto Palko puolestaan antaa suosituksia muiden terveydenhuollon menetelmien ohella Fimean arvioimista sairaalalääkkeistä ja siitä, kuuluvatko nämä julkisesti rahoitettuun palveluvalikoimaan. Sairaanhoitopiirit tai erityisvastuualueet päättävät lopulta kukin tahollaan uuden lääkkeen käyttöönotosta, jolloin käytännöt voivat edellä mainituista mekanismeista huolimatta vaihdella alueittain.

## 2.3 Nykyjärjestelmän haasteet

Lääkehoitojen arvioinnin nykyjärjestelmään kohdistuu muutospaineita. Lääkkeen annostelumuotoon pohjautuvat rahoitus- ja arviointiperiaatteet istuvat huonosti nykyaikaiseen lääkehoitoon.

Sosiaali- ja terveysministeriössä on valmisteltu lääkeasioiden tiekarttaa, jossa on arvioitu toimintaympäristön muutoksia. Kartoituksen mukaan lääkehoidon tarve kasvaa tulevaisuudessa tautikirjon muutoksien myötä. Myös lääkehoidon kysyntä kasvaa väestön ikääntyessä ja palvelurakenteen muuttuessa. Samalla myös lääkehoidon tarjonta lisääntyy globaalien lääkemarkkinoiden ja uusien innovaatioiden myötä.<sup>4</sup> Jotta näihin ulkoisiin muutospaineisiin voidaan vastata, lääkehoidon arviointi- ja hankintaprosesseja sekä rahoitusta olisi uudistettava joustavampaan suuntaan. Tätä valmistelutyötä onkin jo aloitettu STM:ssä perustamalla marraskuussa 2020 neljä työryhmää selvittämään monikanavarahoituksen purkamista. Selvityksessä työryhmät eivät ole esittäneet ratkaisuehdotuksia, vaan selvityksiä eri toteuttamisvaihtoehdoista.<sup>5</sup>

### Alla on eritelty kolme keskeistä nykyjärjestelmän haastetta.

#### 1. Eri kanavien arviointiperusteet ovat epäyhtenäiset

Yksi keskeinen monikanavajärjestelmän ongelma on sairaala- ja avohoidon lääkkeiden erilaiset arviointi- ja päätöksentekokriteerit. Tämä tarkoittaa, että samaan sairauteen käytettäviä lääkkeitä arvioidaan eri tavoin riippuen annostelureitistä, esim. sairaalassa annettavaa infuusiota arvioidaan eri tavoin kuin suun kautta annosteltavaa lääkettä.

Epäyhtenäisen arvioinnin taustasyynä on, että kahden kanavan toimintaperiaatteet pohjaavat eri lainsäädäntöön. Näin ollen veloitteet, joita arvioinnilla täytetään, ovat erilaisia. Avopuolen lääkehoito

<sup>4</sup>STM (5.4.2019): "Lääkeasioiden kokonaisuus ja tiekartta".

[https://stm.fi/documents/1271139/1423351/P%C3%A4ivitetty\\_L%C3%A4%C3%A4keasioiden+kokonaisuus+ja+tiekartta.pdf/704815b3-aa8f-ba04-cebc-0b2cdc1472f8/P%C3%A4ivitetty\\_L%C3%A4%C3%A4keasioiden+kokonaisuus+ja+tiekartta.pdf](https://stm.fi/documents/1271139/1423351/P%C3%A4ivitetty_L%C3%A4%C3%A4keasioiden+kokonaisuus+ja+tiekartta.pdf/704815b3-aa8f-ba04-cebc-0b2cdc1472f8/P%C3%A4ivitetty_L%C3%A4%C3%A4keasioiden+kokonaisuus+ja+tiekartta.pdf)

<sup>5</sup>STM (7.6.2021): "Monikanavarahoituksen purkamisen valmistelun virkamiesselvitys".

<https://www.lausuntopalvelu.fi/FI/Proposal/DownloadProposalAttachment?attachmentId=16010>

perustuu sairaskorvauslakiin.<sup>6</sup> Sairaalälääkkeiden arvioinnin taustalla taas ovat terveydenhuoltolaki,<sup>7</sup> erikoissairaanhoidolaki<sup>8</sup> sekä hankintalaki.<sup>9</sup> Lainsäädännöllinen pohja antaa sairaaloille enemmän vapautta lääkehoidon arvioinnissa, kun taas Hintalautakuntaa ohjaa selkeämpi velvoite ottaa myös lääkevalmisteen budjettivaikutukset huomioon. Lisäksi eri päätösten ja suositusten sitovuus vaihtelee. **Tämä lainsäädännöllinen ero on tällä hetkellä merkittävin riskitekijä potilasryhmien eriarvoistumiselle.** Edellä mainittu ongelma kärjistyy entisestään tilanteissa, missä kyseessä on yhdistelmähoito, jossa annostelureitistä johtuen toinen lääkkeistä annostellaan avohoidossa ja toinen sairaalassa. Nykyjärjestelmässä juridiset taustasyöt voivat estää tällaisen hoidon käytön riippumatta sen hoidollisesta tai taloudellisesta arvosta.

## 2. Hajanainen järjestelmä hidastaa lääkkeen käyttöönottoa

Toinen monikanavajärjestelmän haasteista on sen hajanaisuus. Tämä näkyy erityisesti sairaalälääkkeiden hankintajärjestelmässä. Monen toimijan kokonaisuus on sirpaleinen, eikä millään yksittäisellä taholla ole mandaattia koordinoita koko prosessia (ks. kuva 2). Hajautuneen ja kaksikanavaisen järjestelmän taakkana ovat myös turhat päällekkäisyydet ja rajallisen arviointiosaamisen hajaantuminen eri organisaatioihin. Hajaantunut hankinta, arviointi ja sitovien päätösten puute heikentävät mahdollisuuksia hyötyä keskittämisen eduista ja kansainvälisestä yhteistyöstä ja voivat asettaa niin maksajat kuin potilaat alueellisesti eriarvoiseen asemaan.

Seurauksena on osin vaikeasti ennakoitavissa oleva prosessi, joka saattaa johtaa viiveisiin uusien lääkkeiden käyttöönotossa. Vaikka toistaiseksi useissa tautiryhmissä Suomessa on kyetty tuomaan uusia lääkkeitä käyttöön muiden länsimaiden tahdissa tai jopa ensimmäisten maiden joukossa, käyttöönottoviivettäkin on todettu muun muassa uusien syöpälääkkeiden kohdalla.<sup>10,11</sup> Tulevaisuus näyttäytyy tämän osalta paljon synkempänä. Uusia lääkevalmisteita tai indikaatioita vanhoille lääkkeille tulee kuukausittain ja kansalliset arviointiresurssit eivät nykytasollaan tule riittämään tähän tarpeeseen. Myös myyntiluvan haltijan näkökulmasta tilanne aiheuttaa haasteita uusien valmisteiden oikea-aikaiselle markkinoille tuomiselle ja toisaalta Suomen pienen markkinan houkuttelevuudelle.

---

<sup>6</sup> Sairaskorvauslaki: [www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/2004/20041224](http://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/2004/20041224)

<sup>7</sup> Terveydenhuoltolaki: [www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/2010/20101326](http://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/2010/20101326)

<sup>8</sup> Erikoissairaanhoidolaki: [www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/1989/19891062](http://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/1989/19891062)

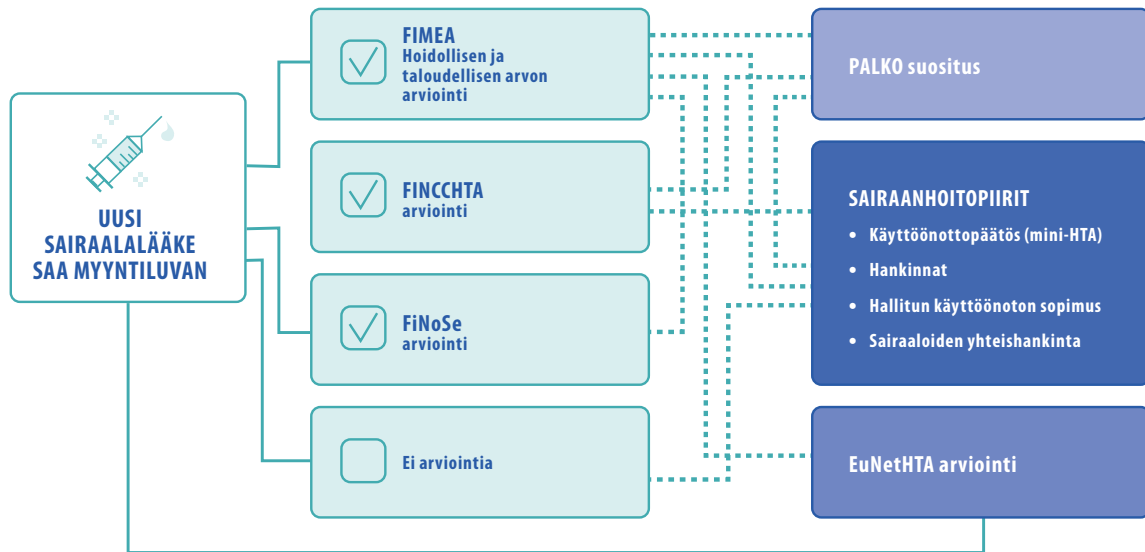
<sup>9</sup> Laki julkisista hankinnoista: <https://www.finlex.fi/fi/laki/alkup/2016/20161397>

<sup>10</sup> Martikainen, Janne (11.2.2021): "Selvitys uusien lääkehoitojen vaikuttavuusperusteisistä rahoitusmalleista". [https://www.laake-teollisuus.fi/media/julkaisut/esitteita-ja-raportteja/uef\\_selvitys-innovatiivisista-rahoitusmalleista-final\\_updated.pdf](https://www.laake-teollisuus.fi/media/julkaisut/esitteita-ja-raportteja/uef_selvitys-innovatiivisista-rahoitusmalleista-final_updated.pdf)

<sup>11</sup> Laine, Juha (21.12.2020): "Suun kautta annosteltavien syöpälääkkeiden saatavuus on pysynyt ennallaan ehdollisen korvattavuuden neljäntenä voimassaolovuotena". <https://www.medi uutiset.fi/kumppanisaltoa/roche/suun-kautta-annosteltavien-syopalaakkeiden-saatavuus-on-pysynyt-ennallaan-ehdollisen-korvattavuuden-neljantena-voimassaolovuotena/a0bdebad-e10c-4a92-a383-07488524c9d0>



## Sairaalalääkkeiden arviointi ja käyttöönotto



Kuva 2: Sairaalalääkkeiden arviointi ja käyttöönotto.

### 3. Budjetinhallinnan haasteet johtavat osaoptimointiin

Kolmas monikanavajärjestelmän haasteista liittyy budjetinhallintaan. Kaksi rahoituskanavaa mahdollistaa **osaoptimoinnin** sairaala- ja avohoidon lääkkeiden välillä. Tämä tarkoittaa kustannusvastuun siirtämistä toiselle maksajataholle ottamatta huomioon yksilön ja yhteiskunnan kokonaiskustannusten kannalta optimaalisinta lopputulosta. Käytännössä ohjausvaikutus voi näyttäytyä esimerkiksi silloin, kun hoitavalla lääkärillä on kannuste päätöksillään siirtää kustannusvastuu sairaalan budjetista sairausvakuutuksen ja Kelan kannettavaksi.

Osoptimointi on kaksikanavajärjestelmään sisäänrakennettu riski. Asetelma mahdollistaa taloudellisen laskelmoinnin ja voi synnyttää potilaiden välistä eriarvoisuutta, vaikka hoitopäätöksen tulisi perustua kunkin potilaan yksilölliseen lääketieteelliseen tarpeeseen.

## 03 HARVINAISSAIRAUDET

Harvinaissairaat ovat monikanavaisen rahoitusjärjestelmän väliinpuotoajia. Keskeinen huomiomme on, että lääkehoidon nykyjärjestelmä ei tunnista harvinaislääkkeiden erityispiirteitä. Tästä seuraa koko ajan haittaa yksittäiselle potilaalle ja kasvavia kustannuksia yhteiskunnalle.

### 3.1 Harvinaissairaudet

Euroopassa harvinaissairaudeksi määritellään tauti, jonka esiintyvyys on vähemmän kuin 5/10000 ihmistä. Harvinaiset sairaudet ovat vakavuudeltaan ja ilmenemismuodoiltaan hyvin erilaisia ja niitä esiintyy kaikissa ikäryhmissä. Ne voivat olla eteneviä sairauksia, erilaisia oireyhtymiä tai vammoja, joiden vaikutus arkeen on merkittävä. Noin 80 % harvinaissairauksista on geneettisiä.

Harvinaissairauksia tunnetaan maailmassa arviolta 6000 - 8000. Määrä lisääntyy jatkuvasti, kun diagnostiikan kehittyminen auttaa tunnistamaan uusia sairauksia ja erottamaan jo tunnetuista uusia alamuotoja. Harvinaisia sairauksia sairastavia tai harvinaisiin vammaryhmiin kuuluvia arvioidaan yleisesti olevan 6-8 % väestöstä. Suomessa jokin harvinaissairaus tai vamma on noin 300 000 ihmisellä ja Euroopan tasolla noin 30 miljoonalla ihmisellä.<sup>12</sup> Harvinaissairaudet ovat yhdessä suurin potilasryhmä erikoissairaanhoidossamme.

### 3.2 Harvinaissairauksien lääkehoito

Harvinaissairauksien diagnosointi ja hoito on Suomessa keskitetty erikoissairaanhoidon yksiköihin, useimmiten yliopisto- tai keskussairaaloihin. Kaikissa Suomen viidessä yliopistosairaalassa toimii lisäksi erillinen harvinaissairauksien yksikkö, jonka tehtävänä on edistää harvinaissairauksien diagnostiikkaa, hoitoa ja asiantuntijapalvelujen saatavuutta.<sup>13</sup>

Harvinaissairauksien hoito perustuu monissa tapauksissa oireiden hoitamiseen ja elinolosuhteiden mukauttamiseen potilaan tarpeisiin. Lääketieteellisen tutkimuksen edistyessä yhä useampiin harvinaissairauksiin kehitetään myös kohdennettuja lääkehoitoja.<sup>14</sup> Harvinaislääkkeet antavat toivoa potilaille, joita ei aiemmin ole pystytty hoitamaan.

Kannustaakseen harvinaissairauksien hoitojen kehittämistä, Euroopan lääkevirasto EMA myöntää hakemuksesta **harvinaislääkestatuksia**. Edellytys harvinaislääkestatuksen saamiselle on, että lääkkeellä hoidettavaksi tarkoitettua sairautta on enintään viidellä 10 000:sta EU:n kansalaisesta, sairaus on hengenvaarallinen tai kroonisesti invalidisoiva, eikä siihen ole hyvää hoitoa. Harvinaislääkestatuksen saaneille lääkkeille on tarjolla neuvontaa sekä helpotuksia myyntilupa- ja muista lääkevalvonnan maksuista. Myyntiluvan saannin jälkeen taataan kymmenen vuotta kestävä patenttisuoja.<sup>15</sup>

<sup>12</sup> Harvinaiset-verkosto: "Harvinaissairaudet" <https://harvinaiset.fi/>

<sup>13</sup> Harvinaiset-verkosto: "Harvinaissairauksien hoito" <https://harvinaiset.fi/>

<sup>14</sup> Terveyskylä: "Lääkehoito harvinaissairauksissa" <https://www.terveyskyla.fi/harvinaissairaudet/tietoa/harvinais-%C3%A4%C3%A4kkeet/%C3%A4%C3%A4kehoito-harvinaissairauksissa>

<sup>15</sup> Fimea: "Harvinaislääkkeet". <https://www.fimea.fi/myyntiluvat/myyntilupahakemus/harvinaislaakkeet>

### 3.3 Harvinaislääkkeet monikanavajärjestelmässä

Harvinaislääkkeille on tyypillistä, että valmisteilla on pieni käyttäjäryhmä, niiden käyttökokemus on rajallista ja yksikköhinta on korkea. Ilman erillisiä kannustimia uusien lääkkeiden tutkimus ja tuotekehitys saattaisikin keskittyä tauteihin, joissa on suurempi potilaspotentiaali. Taloudelliset kannusteet yhdessä tieteellisten innovaatioiden ja harvinaissairauksien syiden ymmärryksen kanssa (mm. geeni-terapioiden kehitys) ovatkin ohjanneet lääkekehitystä melko voimakkaasti harvinaislääkkeisiin, mikä on ansiokkaasti lisännyt mahdollisuuksia hoitaa harvinaisia sairauksia. Paikoin kannusteet ovat kuitenkin johtaneet myös uusien, lähes samanarvoisten hoitojen tai hoitolinjojen kehitykseen olemassa olevien hoitojen rinnalle, jolloin lisäpanostus suhteessa hoidon (lisä)kustannuksiin ei ole suoraan johtanut hoidollisen arvon merkittävään parantumiseen.

Harvinaislääkkeen myyntilupaan tähtäävissä tutkimuksissa törmätään pienten populaatioiden tutkimisen ongelmiin. Monissa harvinaissairauksissa potilaiden määrä on niin pieni, että laajoja kliinisiä lääketutkimuksia on lähes mahdoton toteuttaa tai toteutukseen menisi vuosikausia. Harvinaislääkkeelle voidaan myöntää niin sanottu **ehdollinen myyntilupa**. Tällöin lääke katsotaan erittäin tarpeelliseksi lääketieteellisin perustein (unmet medical need), mutta tutkimustietoa ei ole riittävästi tavallisen myyntiluvan myöntämiseksi. Ehdollinen myyntilupa päivitetään kerran vuodessa, jolloin arvioidaan kaikki uusi kertynyt teho- ja turvallisuustieto luvan ylläpitämiseksi.<sup>16</sup>

Kun harvinaislääke on saanut ehdollisen myyntiluvan EU:ssa, se arvioidaan muiden lääkevalmisteiden tavoin suomalaisessa arviointi- ja rahoitusjärjestelmässä ennen kuin se päätyy potilaalle. **Harvinaislääkkeillä ei ole erityisasemaa Suomen lääkeshoidon arviointijärjestelmässä.** Tämä tarkoittaa, että niiden arviointi- ja rahoituskäytännöt määräytyvät muiden lääkkeiden tavoin annostelumudon perusteella (ks. luku 2.1).

#### 1. Avohoidon harvinaislääke

Avohoidon harvinaislääke voidaan ottaa käyttöön, mikäli Hila hyväksyy valmisteelle korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan **Ehdollisen korvattavuuden** käyttöönotto ja siihen liittyvä sopimusneuvottelu ovat mahdollistanut harvinaislääkkeisiin erityispiirteensä liittyvän tutkimusnäytön ja budjetti-vaikutuksen epävarmuuden hallinnan ja helpottanut näiden lääkkeiden markkinoille tuloa.

Suomessa on vuoden 2017 alusta lähtien ollut mahdollista hyväksyä lääkevalmisteita ehdollisesti korvattaviksi. Ehdolliseen korvattavuuteen liittyy Hilan ja myyntiluvan haltijan välinen luottamuksellinen sopimus, jonka tuloksena ehdollisesti korvattavan lääkkeen julkinen hinta ei välttämättä ole sen yhteiskunnalle sopimuksen perusteella koitua lopullinen kustannus. Suomessa tähän saakka tehdyt sopimukset ovat olleet taloudellisia, ja niissä on sovittu palautusmaksusta Kelalle.<sup>17</sup> Taloudellisessa sopimuksessa ei useinkaan huomioida lääkkeen hoitotuloksia, minkä vuoksi menetelmän vaikutus koko järjestelmän toimivuuteen jää rajalliseksi.

<sup>16</sup> Fimea: "Harvinaislääkkeet". <https://www.fimea.fi/myyntiluvat/myyntilupahakemus/harvinaislääkkeet>

<sup>17</sup> Duodecim (2020) (136(2):200-5): "Lääkkeiden ehdollinen korvattavuus ja järkevä lääkehoito.

<https://www.duodecimlehti.fi/duo15350>

EU:n sisällä jäsenvaltioilla on käytössä erilaisia mekanismeja harvinaislääkkeiden hinnoittelumiseksi ja korvattavuuden määrittämiseksi. Mekanismeihin kuuluvat muun muassa rajattu ja ehdollinen korvattavuus sekä korvamerkityt terapia-aluekohtaiset budjetit, kustannuskatot ja kustannustenjakot. EU rohkaisi jäsenvaltioita tekemään tiiviimpää yhteistyötä harvinaislääkkeiden korvaustapojen kehittämiseksi jo vuonna 2009.<sup>18</sup> Suomessa kehitys on ollut melko hidasta ja erityisesti lainsäädännön ongelmat ovat rajoittaneet innovatiivisempien mallien käyttöönottoa.

## 2. Sairaalahoidon harvinaislääke

Sairaalahoidon arviointi- ja hankintaprosessit ovat kehittyneet Suomessa viime vuosina. Niissä tapauksissa, joissa Fimea toteuttaa lääkkeen hoidollisen ja taloudellisen arvioinnin, laatii Palko suosituksen lääkkeen kuulumisesta terveydenhuollon palveluvalikoimaan. Silloin kun Palkon uutta sairaalalääkettä koskeva suositus on ehdollinen alemmalle lääkkeen hinnalle, toteutetaan em. suunnitelman mukaisesti kansallinen hintaneuvottelu yliopistosairaaloitten yhteisneuvotteluprosessin mukaisesti.<sup>19</sup> Tämä uusi menettely on vasta perustettu, eikä sitä ole käytännössä vielä juurikaan toteutettu.

Sairaaloitten hankintarenkaat hankkivat lääkevalmisteen valikoimiinsa hankintalakia noudattaen. Sairaalarjoitusten hintojen osalta noudatetaan niin sanottua asiaosaisjulkisuutta. Sairaalahoidon osalta myyntiluvan haltijat voivat antaa huomattaviakin alennuksia verrattuna tukkuhintaan.

Mikäli uuden yhteisneuvottelumenetelmän tai sairaalahankinnassa kilpailutuksella valitun lääkkeen osalta päädytään sopimukseen, on tällaisille sopimuksille monia vaihtoehtoja. Kansainvälisesti vertaillen hankintamalleja on monia ja ne voidaan jakaa karkeasti kahteen luokkaan: taloudelliset sopimukset ja vaikuttavuusperusteiset sopimukset (outcome-based agreements). Kaikkien sopimusmenettelyiden tavoitteena on jakaa ja hallita lääkkeiden kustannuksiin ja vaikuttavuuteen liittyvää epävarmuutta tavalla, joka tyydyttää kaikkia sopimusosapuolia. (ks. kuva 3). Luvussa 4.3 käsitellään tarkemmin vaikuttavuusperusteisia malleja.

---

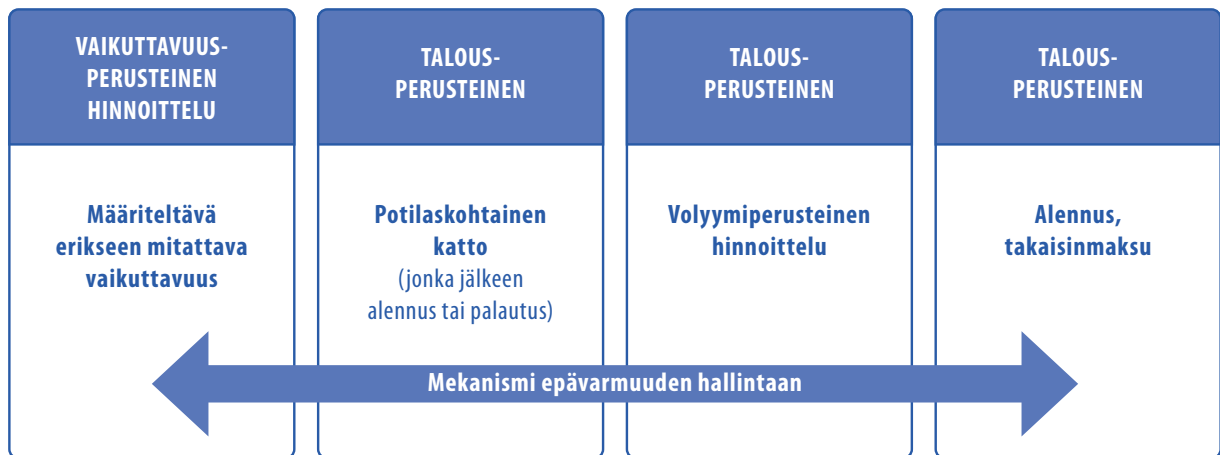
<sup>18</sup> EU Council Recommendation on an action in the field of rare diseases (8.6.2009):

<https://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2009:151:0007:0010:EN:PDF>

<sup>19</sup> OYS (8.9.2020): "Yhteistyö uusien sairaalalääkkeiden hankinnassa tiivistyy".

[www.sttinfo.fi/tiedote/yhteisty-uusien-sairaalalaakkeiden-hankinnassa-tiivistyy?publisherId=69817636&releaseld=69888325harvinaisl%C3%A4%C3%A4kkeet/1%C3%A4%kehoito-harvinaissairauksissa](http://www.sttinfo.fi/tiedote/yhteisty-uusien-sairaalalaakkeiden-hankinnassa-tiivistyy?publisherId=69817636&releaseld=69888325harvinaisl%C3%A4%C3%A4kkeet/1%C3%A4%kehoito-harvinaissairauksissa)

## Epävarmuuden hallintaa erilaisin sopimusmallein



Kuva 3: Epävarmuuden hallintaa erilaisin sopimusmallein.

Taloudelliset sopimukset ovat yleisempiä ja perustuvat hintaneuvotteluun hankkijan ja lääkkeen myyntiluvan haltijan välillä. Vaikuttavuusperusteisissa sopimuksissa lääkkeestä maksettava hinta ja hoidon aiheuttama kustannus sidotaan lääkevalmisteen vaikuttavuuteen. Seuraavassa luvussa tarkastellaan yksityiskohtaisemmin vaikuttavuusperusteisen lääkehankinnan mahdollisuuksia.

## 04 VAIKUTTAVUUSPERUSTEISUUS UUSIEN HOITOJEN KÄYTTÖNOTON TUKENA

Terveydenhoidon viime vuosien kansainvälinen trendi on ollut **arvoperusteinen terveydenhoito** (Value-Based Healthcare). Käsitteellä viitataan tasavertaiseen, kestävään ja läpinäkyvään resurssien käyttöön terveyden edistämiseksi. Arvoperusteinen terveydenhoito kiinnostaa kaikkialla, koska terveydenhuollon budjetteihin kohdistuu kova paine. Väestön ikärakenne muuttuu, markkinoille tulee uusia terveysteknologioita ja potilaiden odotukset kasvavat. Yhteiskunnan rajallisten varojen käyttöä terveyden edistämiseksi on voitava seurata entistä tarkemmin.

Tällaisessa toimintaympäristössä korostuu tarve **tiedolla johtamiseen**. Tämä tarkoittaa, että päätöksenteko perustetaan ajantasaiseen ja laadukkaaseen tietoon. Ydinajatuksena on, että kerätyn tiedon perusteella pystytään ennakoimaan erilaisten toimien vaikutuksia ja kohdentaa resursseja sinne, missä niistä saadaan suurin hyöty. Tämä edellyttää tietoa ja ymmärrystä terveystoimien kustannuksista ja vaikuttavuudesta erilaisissa palveluketjuissa ja asiakasryhmissä. Tiedolla johtaminen on myös meneillään olevan sote-uudistuksen kantava periaate.<sup>20</sup>

Tiedolla johtamisen ytimessä ovat vaikuttavuuden ja kustannusvaikuttavuuden (arvon) ja tuottavuuden arviointi. **Vaikuttavuuden** arvioinnissa pyritään arvioimaan toimenpiteellä saatava terveyshyötyä esimerkiksi elämänlaadun tai elinajan näkökulmasta. Mittarina toimii se päämäärä, joka terveydenhuollon interventiolla halutaan saavuttaa. **Kustannusvaikuttavuudessa** taas arvioidaan lisäkustannusten suhdetta saavutettuun lisähyötyyn. Kustannusvaikuttavuus ei tarkoita välttämättä säästämistä vaan on terveyshyötyjen maksimointia olemassa olevilla rajallisilla resursseilla.<sup>21</sup>

Jotta lääkehoitoa voitaisiin arvioida vaikuttavuuden ja kustannusvaikuttavuuden näkökulmasta, olisi lisättävä hoidon **jatkuvaa käytönaikaista arviointia** sekä **potilasryhmäkohtaista seurantaa**. Arkivaikuttavuuden systemaattisempi seuranta varmistaisi, että oikeat hoidot kohdentuvat oikeille potilaille ja että hoitojen kohdentaminen perustuu entistä enemmän potilaan saamaan hyötyyn.<sup>22</sup>

Seuraavassa on luotu katsaus vaikuttavuuden arvioinnin periaatteisiin harvinaissairauksien lääkehoidon näkökulmasta. Harvinaissairauksien hoidon, mukaan lukien lääkehoidon, kohdalla systemaattinen vaikuttavuuden arviointi voi luoda merkittävää lisäarvoa. Koska harvinaislääkkeistä on tosielämän käyttötietoa rajallisesti, on jatkuva kliiniseen hoitoon liittyvä tiedonkeruu välttämätöntä. Potilaiden raportoimat tosielämän käyttökokemukset kerryttävät arvokasta tietoa hoidosta niin myyntiluvan haltijalle kuin hoidon maksajallekin. Pääsyä tällaiseen tietoon voidaan hyödyntää myös lääkkeiden hintaneuvotteluissa **vaikuttavuusperusteisten rahoitusmallien** avulla.

<sup>20</sup> Sote-uudistus: "Tiedolla johtaminen". <https://soteuudistus.fi/tiedolla-johtaminen>

<sup>21</sup> Future Care Finland: "Tiedolla johtaminen sosiaali- ja terveydenhuollossa". <https://futurecarefinland.fi/>

<sup>22</sup> Torkki, Paulus (2020,9): Lääkkeet – kannattava investointi työ- ja toimintakyvylle.

<https://www.laaketeollisuus.fi/media/julkaisut/esitteita-ja-raportteja/torkki-hy-keskustelualoite-laakerahoitus-2020-12-23-final.pdf>

## 4.1 Miten vaikuttavuutta arvioidaan?

Jotta minkä tahansa lääkehoidon vaikuttavuutta voidaan arvioida, on oltava välineitä tiedon systemaattiseen rakenteeseen keräämiseen. Perinteisesti uusien lääkevalmisteiden tehoa ja turvallisuutta on arvioitu satunnaistetuissa kontrolloiduissa tutkimuksissa (randomized controlled trial, RCT) myyntiluvan saamiseksi. Uusien lääkevalmisteiden hoidollista arvoa ja tarvittaessa kustannusvaikuttavuutta arvioidaan pääasiassa kliinisten tutkimusten pohjalta mallinnetuilla terveystaloustieteellisillä analyysillä.<sup>23</sup> Suomessa tällaista arviointia tekevät avohoidon osalta Hila ja Kela, ja sairaanhoidon osalta Fimea ja Palko (ks. kuva 1).

Terveystaloustieteessä ja taloudellisessa arvioinnissa terveyshyötyä arvioidaan useimmiten laatu-painotettujen elinvuosien avulla (QALY, Quality Adjusted Life Year). Se yhdistää terveyteen liittyvän elämänlaadun ja elinajanodotteen. Käytännössä elinaikaa painotetaan potilaan itseraportoimalla elämänlaadulla (utiliteetilla), joka on useimmiten välillä 0-1 (1=ei terveysongelmia, 0=kuollut). Yksi vuosi täydellisessä terveydentilassa tuottaa yhden QALY:n. Vastaavasti, jos utiliteetti on sairauden vuoksi 0,5, syntyy vuoden aikana 0,5 QALY:a jne.

QALY on tärkeä käsite, koska sen avulla eri sairauksien aiheuttamaa utiliteettimenetystä ja toisaalta eri hoitojen vaikuttavuutta voidaan arvioida yhteismitallisesti. Usein kuitenkin pelkkä vaikuttavuuden arviointi ei riitä vaan samanaikaisesti tarvitaan tietoa myös voimavarojen käytöstä ja siitä aiheutuvista kustannuksista. Kun vaikuttavuus eli terveyshyödyt ja kustannukset otetaan yhtäaikaista huomioon, puhutaan kustannusvaikuttavuusarvioinnista. Kustannusvaikuttavuuden arvioinnin tavoitteena on verrata erilaisia hoitovaihtoehtoja ja tuottaa arvio siitä, että kuinka paljon yhden lisä-QALY:n tuottaminen maksaa. QALY:en käyttö mahdollistaa sen, että eri sairauksien hoitojen kustannusvaikuttavuutta arvioidaan yhteismitallisesti, jolloin myös esimerkiksi resurssien kohdentamiseen liittyviä päätöksiä voidaan tehdä yli erilaisten sairausryhmien.

QALY-käsitteeseen ja kustannusvaikuttavuuden arviointiin liittyy kuitenkin paljon teoreettisia ja käytännöllisiä haasteita, eikä niiden käyttö ainoana päätöksentekokriteerinä ole ongelmatonta.<sup>24</sup> Harvinaissairauksien kohdalla QALY:a on pidetty haasteellisena mittarina, koska sen avulla on vaikea kuvata elämänlaadun hyötyjä pysyvästi toimintarajoitteisilla potilailla.<sup>25</sup> Näistä syistä syvällisempi tarkastelu käsitteen käytöstä on rajattu tämän keskusteluavauksen ulkopuolelle.

Vaikka lääkkeen hoidollista arvoa arvioidaan monen eri tahon toimesta ennen käyttöönottoa, ei arki-vaikuttavuutta seurata systemaattisesti käytön aikana. Tiedossa kuitenkin on, että tarkkaan hallituissa tutkimusasetelmissä saatu näyttö ei välttämättä takaa vaikuttavuutta terveydenhuollon arjessa.<sup>26</sup> Seuraavassa tarkastellaan tarkemmin tosielämän vaikuttavuustiedon keräämisen mahdollisuuksia.

<sup>23</sup> Torkki, Paulus (2020, 9): Lääkkeet – kannattava investointi työ- ja toimintakyvylle.

<https://www.laaketeollisuus.fi/media/julkaisut/esitteita-ja-raportteja/torkki-hy-keskustelualoite-laakerahoitus-2020-12-23-final.pdf>

<sup>24</sup> Laine, Juha. Kustannusvaikuttavuus ei yksin riitä priorisoinnin perustaksi. Lääketieteellinen aikakauskirja Duodecim 20: 130; 2094-8.

<sup>25</sup> National Council on Disability (6.11.2019): Quality-Adjusted Life Years and the Devaluation of Life with Disability.

[https://ncd.gov/sites/default/files/NCD\\_Quality\\_Adjusted\\_Life\\_Report\\_508.pdf](https://ncd.gov/sites/default/files/NCD_Quality_Adjusted_Life_Report_508.pdf)

<sup>26</sup> Torkki, Paulus (2020, 9): Lääkkeet – kannattava investointi työ- ja toimintakyvylle.

<https://www.laaketeollisuus.fi/media/julkaisut/esitteita-ja-raportteja/torkki-hy-keskustelualoite-laakerahoitus-2020-12-23-final.pdf>

## 4.2 Vaikuttavuustiedon koostaminen – esimerkkinä harvinaissairaudet

Seuraavassa on kuvailtu ylätasolla, miten vaikuttavuustietoa ja tosielämän käyttötietoa voidaan koostaa läpi harvinaissairauden lääkehoidon. Samoja askelmerkkejä voidaan soveltaa myös muihin tautiryhmiin.

- (1) **Vaikuttavan hoitotuloksen määrittäminen**
- (2) **Potilastiedon kerääminen ja kirjaaminen**
- (3) **Hoidon vaikuttavuuden seuraaminen**

### 1. Vaikuttavan hoitotuloksen määrittäminen

Ensimmäinen askel vaikuttavuustiedon keräämiselle on asettaa mittarit, joiden perusteella hoitotulosta arvioidaan. Lähtökohdaksi voidaan ottaa esimerkiksi elämänlaatu, elinaika tai jopa potilaan kokemus siitä, että hoito on vaikuttavaa. Lisäksi voidaan huomioida tautikohtaisia mittareita. On myös mahdollista päätyä tilanteeseen, jossa potilas kokee hyötynsä hoidosta, mutta vaikuttavuutta ei pystytä osoittamaan yleisillä vaikutusmittareilla (utiliteettimittarilla) eikä hoito ole kustannusvaikuttavaa. On myös mahdollista, että eri mittarit antavat erilaisen kuvan vaikuttavuudesta ja olisi tärkeää, että mittareista pyrittäisiin mahdollisuuksien mukaan käyttämään kansainvälisesti sovittuja mittareita, kuten esimerkiksi ICHOM-mittareita.

Koska harvinaissairaudet ovat hyvin moninainen tautiryhmä, myös vaikuttavan hoitotuloksen mittarit ovat moninaiset. Harvinaissairauksien kohdalla vaikuttava hoitotulos voi esimerkiksi liittyä toimintakyvyn kohentumiseen tai ylläpitämiseen, elämänlaadun paranemiseen, potilaan itsenäisyyden kasvamiseen, avustajatarpeen vähentymiseen, perheen arjen sujuvoitumiseen tai omaishoitajan vastuun helpottumiseen. Vaikuttavan hoitotuloksen määrittäminen edellyttää kuitenkin jonkin tavoitetason määrittämistä mitattavassa ominaisuudessa verrattuna tilanteeseen, jossa hoitoa ei anneta tai annetaan vaihtoehtoinen hoito. Tämän määrittäminen ei ole aina yksiselitteistä.

### 2. Potilastiedon kerääminen ja kirjaaminen

Jotta potilastietoa lääkehoidon vaikuttavuudesta voidaan koostaa, ovat systemaattiset tavat kerätä ja kirjata tietoa luotettavasti erityisen tärkeitä. Monesta eri lähteestä koostettu jäsen telemätön tieto ei tarjoa riittävää pohjaa luotettavalle arvioinnille.

Potilastiedon analysoinnissa voidaan hyödyntää olemassa olevia välineitä. Sosiaali- ja terveystietojen toissijaisesta käytöstä on säädetty erillinen laki (ns. **toisiolaki**, 552/2019), jonka tavoitteena on mahdollistaa potilastietojen tehokas ja tietoturvallinen käsittely. Sosiaali- ja terveystietojen toisiokäyttö tarkoittaa, että asiakas- ja rekisteritietoja käytetään muussa, kuin siinä ensisijaisessa käyttötarkoituksessa, jonka vuoksi ne on alun perin tallennettu.<sup>27</sup> Uusi THL:n yhteydessä toimiva viranomainen Findata myöntää pääsyn potilastietoon toisiolain mukaisessa käyttötarkoituksessa.

<sup>27</sup> Laki Sosiaali- ja terveystietojen toissijaisesta käytöstä. <https://www.finlex.fi/fi/laki/alkup/2019/20190552>



Suomessa potilaan raportoimaa tietoa ei vielä kerätä systemaattisesti, mutta tällaisia mittareita ollaan lisäämässä olemassa oleviin potilaan hoidon seurantajärjestelmiin. Potilaan perustiedot tallennetaan **sähköisiin potilastietojärjestelmiin**, jotka ovat valtakunnallisiin Kanta-palveluihin kuuluvia tietojärjestelmäpalveluja. Se mahdollistaa keskitetyn sähköisten potilastietojen keräämisen ja tietojen pitkällisen säilyttämisen. Järjestelmään kirjattu tieto ei ole välttämättä valmiiksi sellaisessa systemaattisessa ja rakenteisessa muodossa, että sitä voitaisiin suoraan hyödyntää vaikuttavuuden arviointiin. Hoitavien tahojen tekemissä kirjauksissa siirryttäneen kuitenkin tulevaisuudessa entistä enemmän vaikuttavuuden huomioimiseen.

Käytössä on myös **tautikohtaisia laaturekistereitä**. Laaturekisterit on tarkoitettu hoidon vaikuttavuuden ja laadun seurantaan, hoitoketjujen tehostamiseen sekä kliinisen tiedon analytiikkaan. Laaturekisterit ovat kytköksissä sähköiseen potilastietojärjestelmään ja niillä seurataan hoitavan tahon määrittelemiä muuttujia. Lisäksi Terveyden ja Hyvinvoinnin laitos THL kehittää mallia terveydenhuollon kansallisista laaturekistereistä.<sup>28</sup>

Harvinaissairauksien kohdalla laaturekistereitä on Suomessa viety hitaasti eteenpäin. Merkittävin syy hitaudelle on ollut lainsäädännöllisen tulkinnan haasteet sekä sekalainen tietojärjestelmäviidakko. Eri rekisterinpitäjien tietojen yhdistäminen (jonne yhden harvinaissairaahan hoitotiedot syntyvät) ei ole ollut mahdollista tietosuojasyistä ilman tutkimuslupaa. Keskitettyä tautiryhmäkohtaisesti jaoteltua harvinaistautirekisteriä ei Suomessa ole ollut olemassa. Yksittäisiä alueellisia harvinaistautikohtaisia hankkeita on kuitenkin käynnissä, kuten spinaalisen lihasatrofian (SMA) datainfrastruktuurin kehittäminen.

Suomessa on useita hankkeita mm. tekoälyn valjastamiseksi ja **tietoaltaiden** kokoamiseksi, joihin voidaan keskittää suuria määriä jäsenneiltyä ja jäsennelemätöntä tietoa. Tällaisia hankkeita on käynnistetty monissa yliopistosairaaloissa ja ne ovat osa Suomen kehittyvää terveysdatan ekosysteemiä. Näiden hyödynnettävyys on kuitenkin rajallista, koska tautiryhmäkohtaisia vaikuttavuusmittareita ei ole systemaattisesti määrittely tai esim. elämänlaatumittareiden kerääminen ja hyödyntäminen on ollut satunnaista. Tietoaltaiden tiedoista voitaisiin kuitenkin mahdollisuuksien mukaan muodostaa merkittävä pohja tautiryhmäkohtaisten rekisterien historialliselle tiedolle, johon uusien lääkkeiden hoitotuloksia voitaisiin vertailla.

Usein tiedon keräämisestä ja hallinnoinnista vastaa kolmas taho, jolla on tarvittava tietotekninen osaaminen turvalliseen datankäsittelyyn. Potilastiedon keräämiseen liittyy erityisesti myös kysymys **potilaan tietosuojasta**. Tietosuoja on äärimmäisen tärkeä periaate, jonka tulee ohjata kaikkea tiedonkeruuta. Harvinaissairauksien kohdalla tietosuoja on erityisen kriittinen, koska potilasryhmät ovat pieniä ja yksittäiset potilaat ovat näin ollen helpommin yksilöitävissä aineistoista.

---

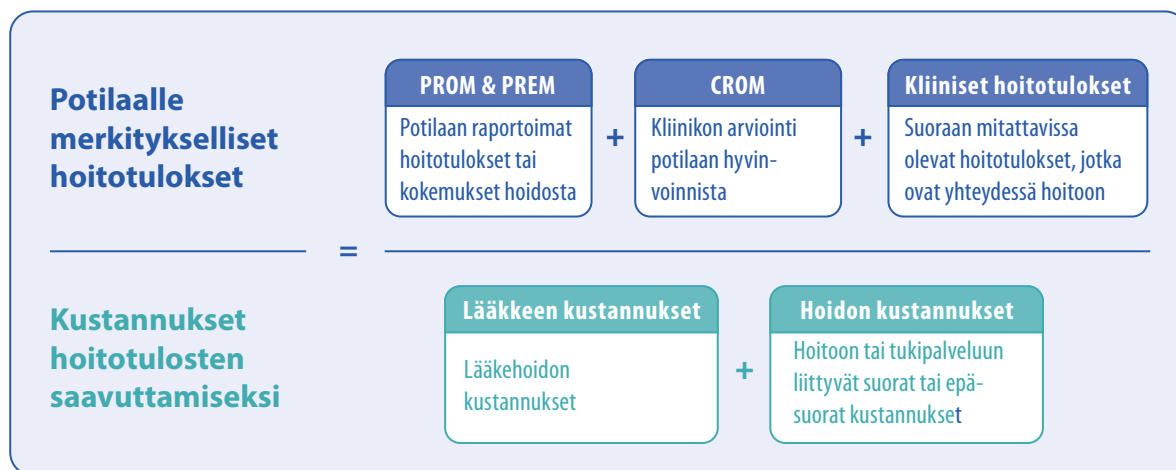
<sup>28</sup> <https://stm.fi/-/kymmenta-kansallista-terveydenhuollon-laaturekisteria-ehdotetaan-thl-n-rekisterinpidolliselle-vastuulle-asetusluonnos-lausuntokierroksella>

### 3. Hoidon vaikuttavuuden seuraaminen

Vaikuttavuutta voidaan mitata sekä suoraan potilaalta kysyen että rekisteritietoja hyödyntäen. Jälkimmäinen on tähän asti ollut vallitseva trendi Suomessa. Tosielämän tietoon perustuva (Real World Evidence, RWE) tutkimus hyödyntää rekistereihin, biopankkeihin ja tietoaltaisiin jatkuvasti kerääntävää terveystietoa (Real World Data, RWD). Tämän terveystiedon käyttämiseen ei tarvita erillistä lupaa potilailta, vaan sitä voidaan hyödyntää toisilain mukaisella tavalla.

Kansainvälisesti suoraan potilaan terveyttä ja asiakaskokemusta mittaavat työkalut ovat herättäneet laajaa kiinnostusta. Potilaan raportoimaa muutosta hänen terveydentilassaan voidaan mitata niin sanotuilla PRO-mittareilla (Patient Reported Outcome Measures). Lisäksi käytössä voi olla potilaan kokemusta raportoiva mittari (Patient-Reported Experience Measures, PREM) tai klinikon raportoima mittari (Clinician-Reported Outcome Measures, CROM).<sup>29</sup> Kuvassa 4 esitetään tapa, jolla arvoperusteisessa terveydenhuollossa lasketaan potilasarvo.

#### Vaikuttavuustiedon keräämisen välineitä



Kuva 4: Vaikuttavuustiedon keräämisen välineitä.

### 4.3 Vaikuttavuusperusteinen rahoitusmalli

Yksi sovellutus lääkehoidon arkivaikuttavuustiedolle on sen hyödyntäminen lääkkeen ostajan ja myyjän välisissä hintaneuvotteluissa. Tällöin ajatuksena on, että lääkkeen hinta on sidottu seurannan kautta saatuun tietoon hoidon vaikuttavuudesta.

Toistaiseksi käytössä olevat rahoitusmallit perustuvat pääasiallisesti muista lähteistä, kuin suoraan potilailta kerättyyn vaikuttavuustietoon (PROM/PREM). Tosielämän dataa (RWD) ja rekistereitä vaikuttavuustiedon lähteinä hyödyntäviä hankintakokeiluja on tehty Suomessakin. Esimerkiksi Siun Sote hankkii pneumokokki-rokotteita riskinjakosopimuksen avulla riskiryhmille ennaltaehkäistäkseen hoidon tarvetta. Ostajan lopullinen hinta määräytyy sen mukaan, saavutetaanko sopimusjakson aikana tietyt asetetut terveyshyödyt.<sup>30</sup>

<sup>29</sup> Nordic Healthcare Group (6.9.2019): "Vaikuttavuuden mittaaminen tekee tuloaan erityissairaanhoidon".

<https://nhg.fi/blog/vaikuttavuuden-mittaaminen-tekee-tuloaan-erikoissairaanhoidon/>

<sup>30</sup> Siun Sote (16.8.2018): "Siun sote panostaa ennaltaehkäisyyn ja rokottaa kuntalaisiaan pneumokokkitauteja vastaan syksyllä 2018". <https://www.siunsote.fi/-/siun-sote-panostaa-ennaltaehkaisyyn-ja-rokottaa-kuntalaisiaan-pneumokokkitauteja-vastaan>

Vaikuttavuusperusteisia rahoitusmalleja on useita. Mallit tarjoavat riskinjakoratkaisuja, kun epävarmuutta liittyy esimerkiksi lääkehoidon kliinisiin vaikutuksiin, taloudellisiin vaikutuksiin (esimerkiksi hoidon aiheuttamat lisä- tai kokonaiskustannukset) tai kustannusvaikuttavuuteen. Vaikuttavuusperusteista rahoitusmallilla voidaan myös esimerkiksi jakaa kustannustaakkaa ajallisesti, jos uuden hoidon käyttöönottoon liittyy korkea etupainotteinen budjettivaikutus.

Taulukossa 1 on listattu esimerkkejä vaikuttavuusperusteisista sopimusmalleista. Lisää vastaavia esimerkkejä esitellään myös Martikaisen katsauksessa.<sup>31</sup>

Esimerkkejä malleista	Kuvaus
Cost capping	Tuotteelle on sovittu enimmäiskustannus (esimerkiksi sidottu budjettiin tai ostojen volyymin), jonka ylityttyä myyjä subventoi sen kustannuksia.
Pay-for-performance (VBHC elementti)	Tuotteelle on sovittu vaikuttavuuden mittarit, joiden perusteella maksetaan vain silloin, kun hoito toimii (jos potilas ei esimerkiksi hyödy hoidosta kahden kuukauden sisällä, hyvitetään kustannukset).
Outcome-based model (VBHC elementti)	Tuotteelle on sovittu vaikuttavuuden mittarit, joiden perusteella hinta määräytyy.
Indication-based pricing (VBHC elementti)	Saman lääkevalmisteen eri käyttöaiheille sovitaan toisistaan eriävät hinnat niiden tuoman hyödyn mukaisesti (esimerkiksi toisessa käyttöaiheessa huomioidaan elinaikahyöty ja toisessa ei).
Combination pricing	Vähintään kahdelle eri tuotteelle on sovittu yksi yhteinen hinta. Yhdistelmä voi myös sisältää lääkinnällisen laitteen, testin tai palvelun.
"Netflix" service bundle	Yksi tai useampi tuote palvelutetaan tilausmuotoiseksi (myyjän tuotevalikoima on esimerkiksi ostajan käytössä rajattomasti sovitun vuosimaksun mukaisesti).
Cost sharing	Ostaja ja myyjä jakavat lääkehoidosta syntyvät kustannukset jollain mekanismilla (esimerkiksi neljä ensimmäistä hoitoannosta huomattavalla alennuksella).
Volume-based pricing	Hinta sidotaan kokonaisvolyymiin (esimerkiksi 20 ostetun hoidon jälkeen alennusprosentti kasvaa, 30 hoidon jälkeen uudelleen).
Flat percentage discount	Suora nettohintainen alennusprosentti.

Taulukko 1: Esimerkkejä innovatiivisista rahoitusmalleista.

<sup>31</sup> Martikainen, Janne (11.2.2021): "Selvitys uusien lääkehoitojen vaikuttavuusperusteisista rahoitusmalleista". [https://www.laaketeollisuus.fi/media/julkaisut/esitteita-ja-raportteja/uef\\_selvitys-innovatiivisista-rahoitusmalleista-final\\_updated.pdf](https://www.laaketeollisuus.fi/media/julkaisut/esitteita-ja-raportteja/uef_selvitys-innovatiivisista-rahoitusmalleista-final_updated.pdf)

Yllä esiteltyjen rahoitusmallien perusmekanismina on, että koostettua (aggregoitua) vaikuttavuusdataa jaetaan maksajatahojen ja lääkeyrityksen kesken, huomioiden potilaiden tietosuojan antamat reunaehdot. Hintataso määräytyy sen mukaan, millainen mekanismi lopullisen hinnan määrittelyyn on valittu. Näin ollen sairaala voi esimerkiksi saada hyvityksen, jos lääkeshoidon ei todeta olleen tarpeeksi vaikuttava.

Harvinaissairauksien kohdalla kalliin ja toimimattoman lääkeshoidon riski yhteiskunnalle pienenee innovatiivisen rahoitusmallin avulla huomattavasti. Samalla potilaan asema paranee merkittävästi, koska uusia innovatiivisia hoitomuotoja uskalletaan ottaa käyttöön ilman että maksajatahon taloudelliset riskit suoraan estävät hoidon käyttöönoton.

## 05 LOPUKSI: TOIMENPIDE-EHDOTUKSIA

Miten harvinaissairauksia sairastava potilas voi tulevaisuudessa saada sopivimman mahdollisen lääkehoidon oikea-aikaisesti ja yhdenvertaisesti, siten että yhteiskunnalla on siihen varaa, myös jatkossa? Keskeinen ehdotuksemme on, että monikanavaisuuden ongelmat tulee ratkaista harvinaissairauksien osalta. Harvinaislääkkeiden erityispiirteitä ei pystytä huomioimaan vain lisäämällä poikkeuksia monimutkaiseen nykyjärjestelmään. Toisena keskeisenä ajatuksena esitämme, että nykyistä harvinaislääkkeiden arviointi- ja hankintajärjestelmää vietäisiin kohti vaikuttavuusperusteisuutta, jotta yhteiskunnan resurssit kohdentuisivat oikeudenmukaisemmin. Meneillään oleva sosiaali- ja terveydenhuollon palvelujen ja rakenteiden uudistus on oikea ajankohta tämän suuntaisille muutoksille.

### Ratkaisu 1: Harvinaislääkkeille yhtenäinen arviointi- ja rahoitusjärjestelmä

Harvinaislääkkeiden erityispiirteet voitaisiin huomioida, jos kaikki valmisteet annostelumuodosta riippumatta arvioidaisiin samassa kanavassa. Harvinaislääkkeiden arviointi ja hankinta tulisi myös valtakunnallisesti keskittää. Näin lääkkeen arviointipolkua ei määrittäisi lääkkeen annostelumuoto vaan valmisteen muut erityispiirteet. Käytännössä tämä tarkoittaisi harvinaislääkkeille omaa budjetointia, jotta harvinaissairauksien hoitojen välinen sisäisen priorisointi olisi mahdollista. **Oleellista on, että rahoitus on yhteisvastuullisesti keskitetty eikä alueellisesti jyvitetty, koska harvinaistautien esiintyvyys vaihtelee alueilla paljon.** Alueellinen budjetointi johtaisi jälleen potilaiden eriarvoiseen kohteluun.

### Ratkaisu 2: Vaikuttavuustiedon keräämisestä velvoite

Suomessa on hyvät edellytykset entistä tehokkaammalle vaikuttavuustiedon hyödyntämiselle. Meillä sähköisen tiedonhallinnan kulttuuri on arkipäivää ja olemme edelläkävijöitä terveysdatan digitalisaatiossa. Lisäksi Suomessa on huipputason tutkimusosaamista, IT-alan asiantuntijoita sekä monia jo käynnissä olevia merkittäviä tietohankkeita, kuten tietoaaltaiden ja kansallisen laaturekisterin koostaminen.

Kun tiedonhallinnan edellytykset ovat kunnossa, on myös tiedolla johtaminen entistä luontevampi toimintaperiaate suomalaiselle terveydenhuollolle. Objektivistista vaikuttavuustietoa päätöksenteon tueksi tulisi kerätä jatkuvan arvioinnin kautta ja potilasryhmäkohtaisesti. Näin budjetinhallinnasta tulee läpinäkyvämpää ja varoja voidaan kohdentaa sinne, missä niillä saadaan eniten vaikuttavuutta.

Juuri harvinaissairautta sairastava potilas hyötyy kokonaisvaltaisesta lähestymistavasta terveyden hoitamiseen. Hoidon onnistumiseen vaikuttavat lääkehoidon lisäksi myös muun terveydenhuollon toimet, kuten fysioterapia ja muut avustavat palvelut, joita harvinaissairaajat usein tarvitsevat. Moni potilas tarvitsee myös omaishoitajaa tai henkilökohtaista avustajaa, joiden osallisuus hoidon onnistumiseen voi olla tärkeää. Harvinaissairauksien kohdalla hoidon vaikuttavuus on enemmän kuin pelkän lääkkeen vaikuttavuus.

Vaikuttavuustiedon keräämisestä voitaisi tehdä portaittain velvoittavaa. Erytyisesti jos lääkkeiden kustannusvastuu keskitetään, velvoittavuuden aiheuttamat investoinnit eivät ole kohtuuton vaatimus nykytietojärjestelmäkehityksessä. Jos rekistereihin kerätyn vaikuttavuustiedon on osoitettu olevan myös kokonaistaloudellisesti säästävä toimenpide, tulisi palveluvalikoimaamme kuuluvien hoitojen osalta olla valmiudet seurata hoidon vaikutuksia systemaattisesti. Tähän on olemassa jo tahtotila, mutta **tiedon toissijaisen käytön tulkinnat hidastavat kansallisten rekisterien syntymistä**.<sup>32,33</sup> Rekisterien tekniset ratkaisut voivat olla tulevaisuudessakin moninaisia, mutta tietosisällöt tulee olla kansallisesti ohjattuja.

### Ratkaisu 3: Enemmän innovatiivisia rahoitusmekanismeja käyttöön

Vaikuttavuusperusteisia hankintoja ei lääkkeiden osalta ole Suomessa juurikaan toteutettu. Vaikuttavuustiedon kerääminen ja jakaminen osapuolten kesken on ollut työlästä ja lainsäädännöllisesti epäselvää, jonka vuoksi nykyresursein mallien käyttöönotto ei ole edistynyt. Koska uusiin ja kalliisiin lääkehoitoihin liittyy usein hoidollista epävarmuutta, voitaisi vaikuttavuusperusteisella hankinnalla helpottaa sitä, että investoinnit kohdistuvat vain tehokkaihin hoitoihin. Sopimusrakenteiden monimutkaisuuden vuoksi tämä ei ole välttämättä paras ratkaisu kaikkien harvinaislääkkeiden osalta, mutta tulisi olla osa kansallista lääkehankinnan työkalupakkia.

Vaikuttavuusperusteisella hankinnalla tässä tarkoitamme sitä, että jos sairauden luonnollinen kulku on keskimäärin tiedossa ja objektiiviset mittarit on yhdessä sovittu, voidaan asettaa hoidolle potilas-kohtaisia tavoitteita. Tavoitteet ovat tauti- ja taudin vaihe riippuvaisia ja lääkehoidon hinta määräytyy sen perusteella, miten hoitotavoitteet saavutetaan. Sopimusteknisesti mittareiden tulisi olla mahdollisimman yksinkertaistettuja ja arkivaikuttavia. Esimerkkinä mittarit voisivat olla esim. yleiseen toimintakykyyn tai avuntarpeeseen sidottuja.

Vaikuttavuuteen sidottu hinta alentaisi uusien lääkehoitojen käyttöönottokynnystä, mutta toisaalta helpottaisi myös tehottomien hoitojen lopettamista, mikä on tyypillistä useammankin harvinaistaudin hoidolle nykyjärjestelmässämme.

Vaikuttavuustietoon pohjautuva hankintamalli vaatii pilotointia ja todennäköisimmin uudenlaista resursointia terveystaloustieteelliseen osaamiseen hankintayksiköissä. Samaa uudistumista tarvitaan myös myyntiluvan haltijoilta, jotta mallit juurtuisivat käyttöön yhteistä hyvää tavoittelevan kestävä kehityksen mukaisesti.

<sup>32</sup> Rekisteritutkimus ajautuu umpikujaan – Toisiolailla on jo nyt vakavia seurauksia harvinaissairauksien kliiniseen tutkimukseen. <https://www.medi uutiset.fi/debatti/rekisteritutkimus-ajautuu-umpikujaan-toisiolailla-on-jo-nyt-vakavia-seurauksia-harvinaissairauksien-kliiniseen-tutkimukseen/02732619-1a5a-4592-b0ff-956f82c21c47>

<sup>33</sup> Yliopistosairaalat huolestuivat toisiolaista – ”Voi lamauttaa harvinaissairauksien hoidon kehittämisen” <https://www.medi uutiset.fi/uutiset/yliopistosairaalat-huolestuivat-toisiolaista-voi-lamauttaa-harvinaissairauksien-hoidon-kehittamisen/bccf9ca6-a520-4b86-a296-400476fe5c85>



A large, abstract teal graphic that starts as a horizontal bar at the top, curves downwards on the right side, and then curves back up to form a large, irregular shape on the right side of the page. The background is white.

Harvinaissairaudet  
monikanavaisen  
lääkekorvausjärjestelmän  
puristuksessa