


*Lauri Pelkonen, Piia Rannanheimo, Veli-Jukka Anttila, Jorma Komulainen, Hanna Koskinen, Jaana Leipälä, Taina Mäntyranta, Ulla Närhi, Tuomas Oravilahti, Taneli Puumalainen, Nadia Tamminen, Heidi Tahvanainen ja Miia Turpeinen*


## **Miten lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi tulisi järjestää Suomen sosiaali- ja terveydenhuollossa**

---


## KUVAILULEHTI

Julkaisija	Päivämäärä
Sosiaali- ja terveysministeriö	4.10.2017
Tekijät	Toimeksiantaja
Lauri Pelkonen, Piia Rannanheimo, Veli-Jukka Anttila, Jorma Komulainen, Hanna Koskinen, Jaana Leipälä, Taina Mäntyranta, Ulla Närhi, Tuomas Oravilahti, Taneli Puumalainen, Nadia Tamminen, Heidi Tahvanainen ja Miia Turpeinen.	Sosiaali- ja terveysministeriö
Muiston nimi	HARE-numero ja toimeksiantamispäivä
Miten lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi tulisi järjestää Suomen sosiaali- ja terveydenhuollossa?	STM102:00/2015
Tiivistelmä	
<p>■ Lääkehoitojen arvioinnilla tarkoitetaan hoidon hyötyjen, haittojen, talousvaikutusten ja muiden lääkkeen käyttöön liittyvien näkökohtien järjestelmällistä arviointia. Sen pääasiallinen tarkoitus on informoida lääkkeiden käyttöön liittyvää päätöksentekoa.</p> <p>Sosiaali- ja terveydenhuollon uudistus tulee vahvistamaan kansallista ohjausta. Lisäksi lääkealalla on tapahtunut muutoksia, jotka tulee huomioida lääkehoitojen arvioinnin järjestämisessä.</p> <p>Selvitys on laadittu osana rationaalisen lääkehoidon toimeenpano -ohjelmaa. Asiantuntijaryhmä on pohtinut, miten lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi järjestetään ja miten edistetään potilaiden yhdenvertaista kohtuuhintaisten, vaikuttavien, turvallisten ja innovatiivisten lääkehoitojen saatavuutta. Samalla tulisi turvata terveydenhuoltojärjestelmän taloudellista kestävyyttä. Tässä selvityksessä on</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>(1) koottu lääkehoitojen arvioinnin järjestämisessä huomioitavat asiat,</li> <li>(2) kuvattu lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnin nykytila Suomessa,</li> <li>(3) tunnistettu nykyjärjestelmän keskeisimmät kehittämiskohteet,</li> <li>(4) ehdotettu kansallisia tavoitteita lääkehoitojen arvioinnille,</li> <li>(4) ehdotettu kansallista mallia lääkehoitojen arviointiin,</li> <li>(5) arvioitu lääkehoitojen arvioinnin edellyttävät resurssit ja rahoitustarve,</li> <li>(6) määritetty, mitä lääkehoitojen arviointiin liittyviä asioita tulee vielä selvittää.</li> </ol> <p>Tässä selvityksessä käsitellään lääkkeitä, jotka on tarkoitettu käytettäväksi pääasiallisesti julkisen terveydenhuollon sairaaloissa, lääkkeiden pääasiallinen ostaja Suomessa on sairaala tai lääkkeiden käyttö tai käyttökuntoon saattaminen edellyttävät yleensä sairaalamaisia olosuhteita. Ehdotus arvioinnin järjestämisestä koskee myös yleisvaarallisten ja ilmoitettavien tartuntatautien lääkehoitoja.</p> <p>Lääkehoitojen arvioinnin tulee entistä paremmin tukea päätöksentekoa, hankintamenettelyjä ja lääkkeen hinnan määräytymistä. Arvioitujen lääkkeiden kulutuksesta, vaikutuksista, käytön kohdentumisesta, hoitoprosessista ja kustannuksista tulee koota säännönmukaisesti lisänäyttöä terveydenhuollon tietovarannoista. Lisäksi yhteistyötä kliinisten asiantuntijoiden kanssa tulee lisätä.</p>	
Asiasanat	
HTA, lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi, lääkehoitojen arviointi	
Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2017:31 ISSN-L 2242-0037 ISSN 2242-0037 (verkkopainos) ISBN 978-952-00-3881-3 URN:ISBN:978-952-00-3881-3 <a href="http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-3881-3">http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-3881-3</a>	Muut tiedot <a href="http://www.stm.fi">www.stm.fi</a> Kokonaissivumäärä 30 Kieli Suomi
	

## PRESENTATIONSBLAD

Utgivare	Datum
Social- och hälsovårdsministeriet	4.10.2017
Författare	Uppdragsgivare
Lauri Pelkonen, Piia Rannanheimo, Veli-Jukka Anttila, Jorma Komulainen, Hanna Koskinen, Jaana Leipälä, Taina Mäntyranta, Ulla Närhi, Tuomas Oravilahti, Taneli Puumalainen, Nadia Tamminen, Heidi Tahvanainen och Miia Turpeinen.	Social- och hälsovårdsministeriet
Rapportens titel	Projektnummer och datum för tillsättandet av organet
På vilket sätt bör bedömningen av läkemedlens terapeutiska och ekonomiska värde ordnas inom social- och hälsovården i Finland?	SHM102:00/2015
Referat	
<p>■ Med bedömning av läkemedelsbehandling avses systematisk bedömning av behandlingens fördelar, nackdelar, ekonomiska effekter och andra aspekter som anknyter till användningen av läkemedel. Det primära syftet med bedömningen är att ta fram information för sådant beslutsfattande som gäller användningen av läkemedel.</p> <p>Social- och hälsovårdsreformen kommer att stärka den nationella styrningen och förändringar har skett inom läkemedelsbranschen. Utarbetandet av denna utredning ingår i genomförandeprogrammet för rationell läkemedelsbehandling. En expertgrupp har begrundat hur bedömningen av läkemedels terapeutiska och ekonomiska värde bör ordnas och hur patienters lika tillgång till skäligt prissatta, effektiva, säkra och innovativa läkemedelsbehandlingar kan främjas. Samtidigt är det viktigt att hälso- och sjukvårdssystemets ekonomiska hållbarhet säkerställs. Utredningen innehåller</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>(1) en sammanfattning av de saker som ska beaktas av bedömningen av läkemedelsbehandling</li> <li>(2) en beskrivning av nuläget för bedömningen av läkemedlens terapeutiska och ekonomiska värde i Finland</li> <li>(3) en redogörelse för de viktigaste fokusområdena för utveckling av det nuvarande systemet</li> <li>(4) förslag till nationella mål för bedömningen av läkemedelsbehandlingar</li> <li>(4) ett förslag till en nationell modell för bedömning av läkemedelsbehandlingar</li> <li>(5) en bedömning av resurser och finansiering som behövs för bedömningen</li> <li>(6) en uppräknig av vilka ytterligare frågor som bör utredas i anknytning till bedömningen</li> </ol> <p>I denna utredning behandlas läkemedel som huvudsakligen är avsedda att användas på sjukhus inom den offentliga hälso- och sjukvården, köps av sjukhus eller användningen eller iordningställande av läkemedlen kräver i allmänhet sjukhusförhållanden. Förslaget gäller också bedömning av läkemedelsbehandlingar av allmänfarliga och anmälningspliktiga smittsamma sjukdomar. Bedömningen av läkemedelsbehandlingar bör bättre stödja beslutsfattandet, upphandlingsprocesserna och fastställandet av läkemedelspriserna. Bevis på konsumtionen, effekterna, inriktningen, behandlingsprocessen och kostnaderna i fråga om de bedömda läkemedlen bör hämtas regelbundet ur hälso- och sjukvårdens datalager. Dessutom bör samarbetet med kliniska experter ökas.</p>	
Nyckelord	
HTA, bedömning av läkemedlens terapeutiska och ekonomiska värde, bedömning av läkemedelsbehandling	
Social- och hälsovårdsministeriets rapporter och promemorior 2017:31	Övriga uppgifter <a href="http://www.stm.fi/svenska">www.stm.fi/svenska</a>
ISSN-L 2242-0037 ISSN 2242-0037 (online) ISBN 978-952-00-3881-3 URN:ISBN:978-952-00-3881-3 <a href="http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-3881-3">http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-3881-3</a>	Sidoantal 30
	Språk Svenska
	 SOCIAL- OCH HÄLSOVÅRDSMINISTERIET

## DOCUMENTATION PAGE

Publisher	Date
Ministry of Social Affairs and Health, Finland	4 <sup>th</sup> Oct 2017
Authors	Commissioned by
Lauri Pelkonen, Piia Rannanheimo, Veli-Jukka Anttila, Jorma Komulainen, Hanna Koskinen, Jaana Leipälä, Taina Mäntyranta, Ulla Närhi, Tuomas Oravilahti, Taneli Puu-malainen, Nadia Tamminen, Heidi Tahva-nainen and Miia Turpeinen.	Ministry of Social Affairs and Health
	Date of appointing the organ
	STM102:00/2015
Title of report	
How should the assessment of the therapeutic and economic value of medicines be organised in Finland's health and social services	
Summary	
<p>■ The assessment of pharmacotherapies means the systematic assessment of relative effective-ness, economic effects and other relevant aspects of using medicines. The primary purpose is to inform those who make decisions regarding the use of medicines. The health and social services reform will strengthen national steering. Also the pharmaceutical sector is also undergoing changes.</p> <p>This report is part of the Government's rational pharmacotherapy implementation programme. Experts have discussed how to organize the assessment of pharmacotherapies and how to promote patients' equal access to affordable, effective, safe and innovative pharmacotherapies. At the same time, the economic sustainability of the healthcare system must be guaranteed.</p> <p>This report (1) includes the issues that must be taken into account in the assessment of pharma-cotherapies, (2) contains a description on how pharmacotherapies are currently assessed in Finland, (3) identifies key areas of development in the current system, (4) proposes national targets for the assessment of pharmacotherapies,</p> <p>(4) proposes a national model for the assessment of pharmacotherapies,</p> <p>(5) provides an estimate on the resources needed</p> <p>(6) establishes what other relevant matters remain to be determined.</p> <p>This report deals with medicines that are intended for use primarily in hospitals providing pub-lic healthcare services, medicines that are mainly purchased by hospitals in Finland or medicines that require preparation or administration in hospital-like conditions. The proposal also applies to pharmacotherapies used to treat generally hazardous and notifiable infectious diseases.</p> <p>The assessment of pharmacotherapies must support decision-making, procurement procedures and the determination of a medicine's price. Evidence on the consumption, effects, use, costs and treatment processes of the medicines assessed must be retrieved regularly from healthcare data resources. Additionally, there must be more cooperation with clinical experts.</p>	
Key words	
Health technology assessment, assessment of the therapeutic and economic value of medicines, assessment of pharmacotherapies, Rational Pharmacotherapy Action Plan.	
Reports and Memorandums of the Ministry of Social Affairs and Health 2017:31	Other information
	www.stm.fi
ISSN-L 2242-0037	Number of pages
ISSN 2242-0037 (online)	30
ISBN 978-952-00-3881-3	Language
URN:ISBN:978-952-00-3881-3	English
http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-3881-3	
 <p>MINISTRY OF SOCIAL AFFAIRS AND HEALTH Finland</p>	

# SISÄLLYS

Työryhmä .....	6
Johdanto .....	7
1 Selvityksen tavoite .....	8
2 Suunnittelussa huomioitavat asiat .....	9
2.1 Aiemmin tehdyt selvitykset .....	9
2.2 Käynnissä olevat selvitykset .....	10
2.3 Kansainvälinen kehitys .....	11
3 Lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnin nykytila .....	13
4 Nykyjärjestelmän keskeisimmät kehittämiskohteet .....	19
5 Ehdotus lääkehoitojen arviointitoiminnan tavoitteista .....	22
6 Ryhmän ehdotus järjestämisvastuuseen kuuluvien lääkehoitojen arvioinnin järjestämisestä .....	23
6.1 Lääkehoitojen kansallinen arviointi .....	24
6.1.1 Aiheiden ennakointi ja valinta .....	25
6.1.2 Arviointi .....	26
6.1.3 Lisänäytön ja seurantatiedon kerääminen .....	26
6.2 Pohdintaa lääkehoitojen arvioinnin ja kansallisen päätöksenteon suhteesta .....	27
7 Lääkehoitojen arvioinnin edellyttämät voimavarat .....	28
8 Selvitettävät asiat .....	29
Lähteet .....	30
Liitteet .....	31
Liite 2. Hallitun käyttöönoton sopimukset .....	32

## TYÖRYHMÄ

Pelkonen Lauri Rannanheimo Piia	Lääkkeiden hintalautakunta Fimea	(puheenjohtaja) (sihteeri)
Anttila Veli-Jukka Komulainen Jorma Koskinen Hanna Leipälä Jaana Mäntyranta Taina Närhi Ulla Oravilahti Tuomas Puumalainen Taneli Tahvanainen Heidi Tamminen Nadia Turpeinen Miia	HUS Duodecim Kela Palveluvalikoimaneuvosto Palveluvalikoimaneuvosto STM Fimea THL STM Lääketeollisuus ry OYS	(- 31.12.2016 ) (1.1.2017 -)

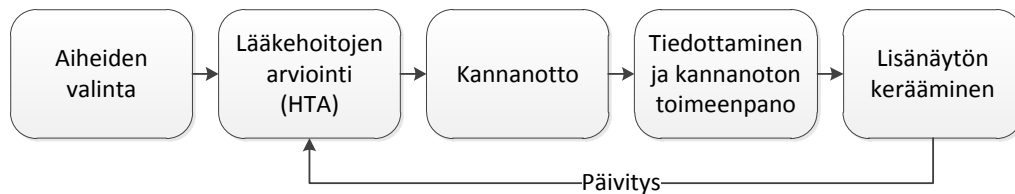
# JOHDANTO

Lääkkeiden järkevä käyttö terveyden hoidossa – rationaalinen lääkehoito – on osa pääministeri Juha Sipilän hallitusohjelman rakennepoliittista sosiaali- ja terveydenhuollon uudistusta. Hallitus toteuttaa rationaalisen lääkehoidon toimeenpano-ohjelman, jonka tarkoituksena on parantaa potilaan kokonaisvaltaisen hoidon toteutumista, parantaa palveluiden käyttäjien toimintakykyä sekä luoda edellytykset kustannusvaikuttavalle lääkehoidolle niin potilaan kuin yhteiskunnan näkökulmasta. Toimeenpano-ohjelman keskeiset tavoitteet liittyvät lääkehoitojen vaikuttavuuteen, turvallisuuteen, laatuun ja taloudellisuuteen. Näiden lisäksi toimeenpano-ohjelman tarkoitus on edistää hallitusohjelman tavoitteita terveys- ja hyvinvointierojen kaventamisesta ja kustannusten hallinnasta. Yksi toimeenpano-ohjelman tehtävistä on selvittää, miten lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi tulisi järjestää.

Lääkkeiden hoidollinen ja taloudellinen arvo on perusta niiden järkevälle käytölle. Lääkehoitojen arvioinnin tarkoitus on tiivistää ja arvioida tutkimusnäyttöä lääkehoidon hyödyistä, haitoista, kustannuksista ja kustannusvaikuttavuudesta muihin hoitovaihtoehtoihin verrattuna. Tarpeen mukaan arvioinnissa huomioidaan myös sosiaalisia, eettisiä ja juridisia näkökohtia. Tutkimusnäytön kokoamisessa ja arvioinnissa hyödynnetään terveysteknologian arvioinnin lähestymistapoja (HTA, health technology assessment).

HTA:lla tarkoitetaan terveysteknologian ominaisuuksien ja vaikutusten järjestelmällistä arviointia. Arvioinnin kohteena ovat sekä teknologian suorat ja tavoitellut vaikutukset että sen epäsuorat ja tahattomat vaikutukset. HTA:n pääasiallinen tarkoitus on informoida terveysteknologioiden käyttöön liittyvää päätöksentekoa. HTA:ta tehdään monitieteisissä ryhmissä käyttäen täsmällisiä analyyttisiä lähestymistapoja ja hyödyntäen erilaisia menetelmiä. (INAHTA 2017)

Lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnin eri vaiheet on kuvattu alla (**kuvio 1**). Arviointitieto on näyttöön perustuvan päätöksenteon (kannanottojen) lähtökohta. Arviointitiedon ensisijaisia käyttäjiä ovat kansallisen, alueellisen ja paikallisen tason linjauksia tekevät tahot. Yksilötason päätöksiä ohjaavat ensisijaisesti kansalliset hoitosuositukset.



**Kuvio 1.** Lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnin vaiheet. HTA: terveysteknologian (tai terveydenhuollon menetelmien) arviointi.

# 1 SELVITYKSEN TAVOITE

Tämän selvityksen tavoitteena on

1. Koota lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnin suunnittelussa huomioitavat asiat
2. Kuvata lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnin nykytila Suomessa
3. Tunnistaa nykyjärjestelmän keskeisimmät kehittämiskohteet
4. Ehdottaa kansallisia tavoitteita lääkehoitojen arvioinnille
5. Ehdottaa kansallista mallia lääkehoitojen arvioinnille
6. Arvioida lääkehoitojen arvioinnin edellyttämät resurssit ja rahoitustarve
7. Määrittää, mitä lääkehoitojen arviointiin liittyviä asioita tulee vielä selvittää

Selvityksessä keskitytään ensisijaisesti lääkehoitojen arvioinnin järjestämiseen eli lääkkeiden hoidollisten ja taloudellisten vaikutusten järjestelmälliseen arviointiin (HTA). Lääkehoitojen arvioinnin tuotoksia ovat arviointiraportit, joiden tarkoitus on tukea lääkkeiden käyttöön liittyvää näyttöön perustuvaa päätöksentekoa.

Ehdotus arvioinnin järjestämisestä (tavoitteet 4–6) koskee järjestämisvastuuseen kuuluvien lääkkeiden arviointia. Tässä selvityksessä järjestämisvastuuseen kuuluvalla lääkkeellä tarkoitetaan sellaista lääkettä, joka on tarkoitettu käytettäväksi pääasiallisesti julkisen terveydenhuollon sairaaloissa, lääkkeen pääasiallinen ostaja Suomessa on sairaala tai lääkkeen käyttö tai käyttökuntoon saattaminen edellyttää yleensä sairaalamaisia olosuhteita. Määritelmä käsittää myös yleisvaarallisten ja ilmoitettavien tartuntatautiin lääkehoidot. Selvitys ei ota kantaa avoterveydenhuollon lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisten vaikutusten arviointiin, joihin sovelletaan sairausvakuutus lain määräyksiä lääkkeiden korvattavuudesta ja joiden kuulumisesta korvausjärjestelmään päättää Lääkkeiden hintalautakunta, Hila.

Avohoidon reseptilääkkeet arvioidaan osana tukkuhinta- ja korvauskäsittelyä Lääkkeiden hintalautakunnassa (Hila). Korvattavuus- ja tukkuhintahakemuksesta, sen käsittelystä ja korvattavuutta koskevasta päätöksenteosta säädetään sairausvakuutuslaissa. Koska järjestämisvastuuseen kuuluvien lääkehoitojen käyttöönotto-, käyttö-, tai priorisointipäätöksille ei ole laissa samalla tavalla määritelty arviointiperusteita, tämä selvitys painottuu näiden lääkehoitojen arviointiin. Selvityksen piiriin kuuluvat kaikki valmisteet, joille edellytetään myyntilupaa lääkkeenä riippumatta siitä liittykö niihin esimerkiksi jokin laite (esim. inhalaattorit ja insuliinipumput).

Ehdotuksessa lääkehoitojen arvioinnin järjestämisestä ei käsitellä:

- sairausvakuutuksen korvaamia tai yksityisesti rahoitettuja lääkkeitä
- kansalliseen rokotusohjelmaan harkittavia rokotteita
- velvoitevarastointia
- lääkkeiden poikkeuskäytön (off label -käytön) arviointia
- lääkinnällisten laitteiden (joille ei vaadita myyntilupaa lääkkeenä) arviointia



## 2 SUUNNITTELUSSA HUOMIOITAVAT ASIAT

Työryhmän tehtävänä on ollut selvittää, miten lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi tulisi järjestää Suomessa tulevaisuudessa. Ryhmän yhteinen näkemys on, että lääkehoitojen arvioinnin hyödyt jäävät rajallisiksi ellei sillä ole selkeää liityntää päätöksentekoon. Tässä selvityksessä ei kuitenkaan oteta kantaa siihen, miten lääkehoitojen arviointi tulisi kytkeä osaksi päätöksentekoa uusissa sosiaali- ja terveydenhuollon palvelurakenteissa. Tällaiseen tarkasteluun ei ole ollut mahdollisuutta, koska selvitystä kirjoitettaessa hallituksen esitys sosiaali- ja terveydenhuollon järjestämislaista ja maakuntalaista on vielä eduskunnan käsiteltävänä (HE 115/2017). Lisäksi sosiaali- ja terveydenhuollon uudistukseen liittyvä valinnanvapauslain valmistelu on vielä kesken ja kaikki yksityiskohdat eivät ole sen vuoksi tarkentuneet. Myös selvitystyö monikanava-rahoituksen yksinkertaistamisesta lääkkeiden osalta on kesken, samoin selvitys lääkehuollon toteuttamisesta ja lääkehankinnoista uusissa sosiaali- ja terveydenhuollon rakenteissa. Edellä mainituilla hankkeilla ei ole kuitenkaan suoraan vaikutusta siihen, miten lääkehoitojen arviointi tulisi järjestää jatkossa.

Lähiaikoina on valmistumassa myös selvitys vaihtoehtoista muiden terveydenhuollon menetelmien kuin lääkehoitojen arvioinnin järjestämisestä Suomessa (Lampe ja Saalasti-Koskinen 2017). Näillä arviointitoimintaa koskevilla selvityshankkeilla on selkeä yhteys ja jatkovalmistelussa nämä selvitykset tulee sovittaa yhteen.

Muita arviointitoimintaan liittyviä vireillä olevia asioita ovat:

- lääkeinnovaatiotoiminnan edistäminen (terveysalan kasvustrategia)
- digitalisaatio
- sote-tietovarantojen hyötykäyttö
- valtakunnallisten palvelukeskusten valmistelu
- valvontaviranomaisten toimintaa koskevan selvitysmiestyön (Osmo Soininvaara) jatkovalmistelu

### 2.1 AIEMMIN TEHDYT SELVITYKSET

Suomessa muiden terveysteknologioiden kuin lääkehoitojen arviointia on tehnyt Terveyden ja hyvinvoinnin laitokseen (THL) sijoitettu Finohta, jonka toiminta päättyi vuoden 2016 lopussa. Muiden terveysteknologioiden arvioinnin järjestämisestä on pohdittu kahdessa eri selvityksessä (Puolijoki ja Rissanen 2016, Lampe ja Saalasti-Koskinen 2017). Toista selvityksistä (Lampe ja Saalasti-Koskinen 2017) ei tätä kirjoitettaessa ole vielä julkaistu.

Lääkehoitoja koskeva arviointitoiminta on pääosin rajattu näiden kahden selvityksen ulkopuolelle. Lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnin järjestämisestä on selvitetty viimeksi vuonna 2007 (STM 2007).

#### **Lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi**

Sosiaali- ja terveysministeriö pyysi vuonna 2007 Lääkehoidon kehittämiskeskusta (ROHTO) laatimaan muistion systemaattisesta lääkearviointien järjestämisestä Suomessa (STM 2007). Vuonna 2007 lääkkeiden arviointityötä tehtiin useassa eri organisaatiossa ja kansallinen koordinaatio puuttui.

Selvityksen keskeisiä ehdotuksia ja havaintoja olivat:

- Maassamme tarvitaan vuosittain yhteensä noin 20 arviointia avo- tai laitoshoidon lääkkeistä. Niiden toteuttamiseen tarvitaan yhteensä 11 henkilötyövuotta.
- Tarvetta on sekä laajoille ja perusteellisille arvioinneille että suppeille, hyvin nopealla aikataululla tehdyille arvioinneille.
- Arvioinnin kohteiden valinnalle on laadittava selkeä prosessi, jota ohjaavat Hilan ja sairaanhoitopiirien tarpeet, sekä havaittu tarve ohjata klinisiä käytäntöjä. Aiheiden valinnassa on pyrittävä ennakoimaan tulevaa vuoden tai parin aikajänteellä.
- On tarpeen muodostaa avo- ja laitoshoidon lääkkeille yhteinen arviointipohja. Se sisältää tiiviin ja lyhyen (1–2 liuskaa) kannanoton lääkeaineen tai lääkevalmisteen hoidollisesta ja taloudellisesta lisäarvosta suhteessa muihin lääkkeisiin ja/tai hoitoihin. Kannanoton taustana on eri osista olemassa olevan ja kootun tiedon sisältävä katsaus. Näiden laatimisessa on syytä hyödyntää käytössä olevia kotimaisia ja ulkomaisia malleja.
- Muistiossa ehdotettiin kolmea vaihtoehtoista kansallista toimintamallia arviointitoiminnan järjestämiselle. Nämä olivat yhden yksikön malli, verkostomalli ja pohjoismaiseen yhteistyöhön perustuva malli.
- Ensisijainen rahoitusvaihtoehto on rahoittaa toiminta julkisin varoin valtion budjetista, mikä takaisi parhaiten riippumattomuuden. Yksi pohdittava mahdollisuus on toiminnan osittainen rahoitus Hilan käsittelymaksuista.
- Kannanotot ja katsaukset ovat julkisia lukuun ottamatta mahdollisia salassa pidettäviä osia.

Selvityksen jälkeen, vuonna 2009 perustettiin Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus (Fimea). Yksi Fimean tehtävistä on tuottaa ja koota lääkehoitojen hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointeja ja koordinoita tätä koskevaa yhteistyötä (Laki Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskuksesta 593/2009).

### **Selvitys terveydenhuollon menetelmien arvioinnin tarpeesta ja tulevaisuudesta**

STM:n tilaama selvitys (Puolijoki ja Rissanen 2016) sisältää arvion Fimean toiminnasta ja ehdotuksia terveydenhuollon menetelmien arviointitoiminnan suuntaamisesta tulevaisuuden tarpeita vastaavaksi. Selvitys julkaistiin toukokuussa 2016.

Selvityshenkilöt ehdottivat siirtymistä ns. hybridimalliin, jossa menetelmien arviointitoiminta järjestetään yhtäältä kansallisen yksikön toimesta ja toisaalta alueellisella tasolla, esimerkiksi viidellä suunnitellulla yhteistyöalueella. Selvityksessä todetaan, että nykymuotoinen raja lääkehoitojen ja toimenpiteiden välillä tulee väistämättä hämärtyämään. Yhteisten toimintamallien rakentaminen lääkehoitojen ja muiden hoitojen arvioinnin osalta olisikin siksi tarpeellista.

## **2.2 KÄYNNISSÄ OLEVAT SELVITYKSET**

STM:n toimeksiannosta professori Heikki Ruskoaho selvittää suomalaisen lääkekorvausjärjestelmän kehittämistä nykyjärjestelmän pohjalta. Selvitykseen kuuluu myös arvio lääkekorvausjärjestelmän kehittämistarpeista muuttuvassa toimintaympäristössä ottaen huomioon uudistuvat myyntilupamenettelyt sekä uusien ja kalliiden lääkkeiden (ml. harvinaislääkkeet) saaminen niitä tarvitsevien käyttöön. Selvityksen odotetaan valmistuvan 31.5.2018 mennessä.

STM:n tilaamassa selvityksessä farmasian tohtori Kirsti Torniainen tekee selvitystä nykyisen julkisen lääkehuollon toiminnasta uusissa sote-rakenteissa. Selvityksessä kuvataan sairaala-apteekkien toimintaa ja lääkkeiden hankintaprosesseja nykyisin ja arvioidaan muutostarpeita lausuntokierroksella olevien sote-uudistusta koskevien hallituksen esitysten perusteella. Selvitykseen sisältyy kuvausta mahdollisista ongelmista, ratkaisuehdotuksia ja arviointia niiden vaikutuksista. Selvitys valmistuu kevään 2017 aikana.

Lisäksi Euroopan komissio selvittää keinoja, joilla parannettaisiin eurooppalaista yhteistyötä terveysteknologian arvioinnissa ja tehostettaisiin arviointien hyödyntämistä. Tammikuussa 2017 päättyi julkinen konsultaatio ehdotuksista HTA-yhteistyön parantamiseksi. Komission on tarkoitus julkaista selvityksen tulokset vuoden 2017 toisen vuosineljänneksen aikana. Konsultaatio täydentyy kolmella selvityksellä, jotka käsittelevät HTA-toiminnan nykytilaa Euroopassa.

## 2.3 KANSAINVÄLINEN KEHITYS

Lääkealan toimintaympäristössä on tapahtunut useita muutoksia, jotka tulee huomioida arviointitoiminnan järjestämisessä.

Euroopan komission tavoitteena on edistää innovatiivista tuotekehitystä mukaan lukien lääkekehitys. Euroopan lääkevirasto on pyrkinyt nopeuttamaan lääkekehitystä lisäämällä neuvontaa ja ottamalla käyttöön erilaisia myyntilupamenettelyjä<sup>1</sup>. Tämä tarkoittaa, että osa uusista lääkkeistä tulee markkinoille yhä aikaisemmassa vaiheessa. Sen takia myös osa lääkkeiden käyttöönottoon liittyvästä päätöksenteosta perustuu yhä rajallisempaan näyttöön, ja lääkkeen hoidollisiin ja taloudellisiin vaikutuksiin sekä arvoon voi liittyä merkittävä epävarmuutta. Uusien lääkkeiden käyttöönotto edellyttää sekä myyntilupaa (hyväksyttävä laatu, teho ja turvallisuus) että yleensä päätöstä lääkkeen korvattavuudesta tai käytöstä (hoidollinen ja taloudellinen arvo). Huolena on, ettei uusia lääkkeitä saada potilaiden käyttöön, jos

- myyntilupaprosessia varten tuotettu tutkimusnäyttö (esim. yksihaaraiset hoitotutkimukset ja korvikemuuttujien käyttö) ei vastaa lääkkeen korvattavuudesta tai käyttöönotosta linjaavien tahojen tiedontarpeita;
- uuden lääkkeen hinta on huomattavan suuri huolimatta siitä, että sen hoidolliseen arvoon liittyy merkittävä epävarmuutta, tai
- hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi viivästyy tai perustuu puutteelliseen tietoon.

Jotta hoidollisesti arvokkaita lääkkeitä saataisiin käyttöön sellaisella hinnalla johon yhteiskunnalla on varaa, on eri maissa otettu käyttöön niin sanottuja hallitun käyttöönoton -sopimuksia<sup>2</sup> (MEA, managed entry agreement) (Ferrario ja Kanavos 2015). Sopimuksissa lääkkeen käytön tai korvattavuuden ehdoksi asetetaan esimerkiksi merkittävä hinnanalennus ja/tai lisänäytön kerääminen. Hallitun käyttöönoton sopimusten hyödyntäminen on yleistynyt kansainvälisesti, mutta niiden hyödyntäminen Suomessa on toistaiseksi ollut vähäistä. Lääkkeiden hintalautakunta on vuoden 2017 alussa ottanut käyttöön mahdollisuuden ehdolliseen korvattavuuteen ja hallitun käyttöönoton sopimusten käyttöön. Myös joissakin sairaanhoitopiireissä on kokeiltu innovatiivisia hankintoja, joissa on samoja elementtejä kuin hallitun käyttöönoton sopimuksissa. Näiden sopimusten seurauksena uusien lääkkeiden todelliset hinnat eivät välttämättä ole samalla tavalla tiedossa ja kansainvälisesti vertailtavissa kuin aiemmin.

<sup>1</sup> Esim. nopeutettu arviointi (myyntilupaprosessin lyhentäminen), ehdollinen myyntilupa (aikais-tettu myyntilupa alustavien tutkimusten perustella), PRIME (kehityksen nopeuttaminen) ja Adaptive pathways (vaiheittainen myyntiluvan täydentäminen ja käytön laajentaminen)

<sup>2</sup> Sopimuksista on käytetty lukuisia nimityksiä kuten hallitun käyttöönoton sopimukset tai riskin-jakomallit (managed entry agreements, risk-sharing agreements, patient access schemes).

Syksyllä 2016 on alkanut kolmas Euroopan komission ja jäsenmaiden yhteistoimintahanke (EUnetHTA Joint Action 3), jonka tavoite on määritellä ja toimeenpanna kestävä tieteellisteknisen HTA-yhteistyön mekanismi Euroopassa. Vuosien 2016–2019 aikana on tarkoitus tuottaa yhteistyössä 16–29 lääkearviointia. Myös muita Eurooppalaisia yhteistyöhankkeita on meneillään. Esimerkiksi Belgia, Alankomaat, Luxemburg ja Itävalta pilotoivat yhteistyötä sekä arvioinneissa että hankinnoissa (BeNeLuxA –collaboration, WHO 2016). Yhteistyöllä pyritään turvaamaan innovatiivisten (harvinais-) lääkkeiden saatavuutta kohtuullisella hinnalla. Suuremmilla hankintamäärillä pyritään neuvottelemaan parempia hintoja arvioiduille lääkkeille.

Myös Fimea yhdessä Norjan lääkeviranomaisen (Statens legemiddelverk) ja Ruotsin TLV:n (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket) kanssa on valmistellut yhteistyötä sairaalalääkkeiden arvioinnissa. Yhteistyötä varten ei ole tarkoitus rakentaa erillistä prosessia, vaan yhteistyötä tehdään mukana olevien organisaatioiden nykyisten arviointiprosessien puitteissa. Pohjoismainen yhteistyö täydentää EUnetHTA-arviointiyhteistyötä ja on toteutettavissa siitä riippumatta. Esimerkiksi yhteistyö sairaalalääkkeiden taloudellisessa arvioinnissa on helpommin toteutettavissa pohjoismaisena yhteistyönä kuin Euroopan laajuisena hankkeena. Pohjoismaisessa yhteistyössä voidaan kuitenkin hyödyntää Euroopan tasolla koottua ja arvioitua näyttöä lääkkeiden vaikutuksista.

Tanska on tehnyt ehdotuksen Pohjoismaisen yhteistyön virallistamisesta lääkealalla. Ehdotus sisältää myös lääkehoitojen arvioinnin näkökulmasta tärkeitä teemoja, kuten uudet kalliit lääkkeet ja lääkkeiden markkinoille tulon kartoittaminen (Horizon scanning -toiminta). Yhteistyön valmistelu tapahtuu Pohjoismaisen ministerineuvoston toimesta myöhemmässä vaiheessa.

Myyntilupa- ja HTA-viranomaisten yhteistyö Euroopan unionin alueella on tiivistymässä. Euroopan lääkevirasto ja EUnetHTA-verkosto julkaisivat keväällä 2016 kuvauksen nelivuotisen yhteistyöohjelmansa tuloksista (EMA ja EUnetHTA 2016). Yhteistyöohjelmassa kehitettiin

- yhteistä tieteellistä neuvontaa,
- myyntilupa-arvioinnin tuottamien raporttien sisältöä ja käyttöaiheen määrittelyä,
- myyntiluvan jälkeistä tiedon keräämistä ja
- myyntilupaprosessissa kertyvän tiedon hyödyntämistä HTA-arvioinneissa.

Lisäksi Euroopan Parlamentti (2017) hyväksyi 2. maaliskuuta 2017 päätöslauselman vaihtoehtoisista lääkkeiden saatavuuden parantamiseksi. Päätöslauselmassa kehoitetaan kansallisiin ja EU:n laajuisiin toimiin, joilla taattaisiin potilaiden oikeus kohtuuhintaisiin, tehokkaisiin, turvallisiin ja innovatiivisiin hoitoihin sekä varmistettaisiin julkisten terveydenhuoltojärjestelmien kestävyys. Jäsenvaltioiden tulisi tiivistää yhteistyötä terveysteknologioiden arvioinnissa ja laatia yhteisiä perusteita hinta- ja korvattavuuspäätösten ohjaamiselle. Jäsenmaitten välistä yhteistyötä hinnoittelussa helpotettaisiin mahdollistamalla tietojen vaihto jäsenmaiden välillä. EUnetHTA:n kaltaista EU:n laajuista arviointia esitetään pakolliseksi uusille lääkkeille. Päätöslauselmassa esitetään lisäksi vuoropuhelun lisäämistä lääkkeiden myyntilupa- ja HTA-viranomaisten sekä muiden sidosryhmien välillä käsitteiden määrittelemiseksi samalla tavalla lääkkeen koko elinkaaren aikana. Kansainvälistä yhteistyötä lääkehankinnoissa tuetaan ja hankintadirektiivin kokonaisedullisuutta koskevien kohtien soveltamista tarkastellaan sairaaloiden lääkehankintojen näkökulmasta.

### 3 LÄÄKKEIDEN HOIDOLLISEN JA TALOUDELLISEN ARVON ARVIOINNIN NYKYTILA

Lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnin näkökulmasta voidaan tällä hetkellä erottaa neljä lääkeryhmää, jotka arvioidaan tai joiden käytöstä päätetään eri tavalla Suomessa (**taulukko 1**). Nämä ryhmät ovat avohoidon reseptilääkkeet, sairaalassa käytettävä lääkkeet, yleisvaarallisten ja ilmoitettavien tartuntatautiin lääkehoito ja kansalliseen rokotusohjelmaan kuuluvat rokotteet.

Lisäksi lääkkeiden käyttöä ohjaavat Käypä hoito -suositukset. Suomalaisen Lääkäriseuran Duodecimin yhdessä erikoislääkäriyhdistysten kanssa laatimat ja ylläpitämät Käypä hoito -suositukset ovat merkittävä käytännön kliinisen tason päätöksentekoa ohjaava väline maassamme. Vaikka hoitosuosituksissa ei tehdä varsinaisia HTA-arviointeja, niitä hyödynnetään suosituksia laadittaessa. Hoitosuositukset sisältävät myös avoimesti perusteltuja kannanottoja sellaisiin lääkehoitoihin ja niiden käyttöaiheisiin, joista HTA-arviointeja ei ole tehty.

Taulukko 1. Lääkkeiden arvon arvioinnin nykytila Suomessa.

Lääkeryhmä	HTA-tiedon tuottaja	HTA-tiedon hyödyntäjä / kannanottojen tekijä
<b>Avohoidon reseptilääkkeet</b>	Lääketeollisuus (Fimea) (EUnetHTA)	Hila Kela
<b>Sairaalalääkkeet*</b>	Fimea, lääketeollisuus (EUnetHTA) (Sairaanhoitopiirit, arviointiyli-lääkärit)	Palko Sairaanhoitopiirit
<b>Yleisvaarallisten ja ilmoitettavien tartuntatautiin lääkehoito</b>	(Fimea) (EUnetHTA)	Sosiaali- ja terveysministeriön (STM) työryhmät
<b>Kansalliseen rokotusohjelmaan kuuluvat rokotteet</b>	THL	STM, Valtiovarainministeriö, Eduskunta

\*Tässä yhteydessä sairaalalääkkeellä tarkoitetaan sellaisia valmisteita, jotka kuuluvat järjestämisvastuuseen. Lääkkeet on tarkoitettu käytettäväksi pääasiallisesti julkisen terveydenhuollon sairaaloissa, lääkkeen pääasiallinen ostaja Suomessa on sairaala tai käyttö tai käyttökuntoon saattaminen edellyttää yleensä sairaalamaisia olosuhteita.

Arviointitoiminnan henkilöstöresurssit on hajautettu eri organisaatioihin. Myös eri lääkeryhmien arvioinnissa käytetyt lähestymistavat ja prosessit eroavat toisistaan (**taulukko 2**). Lisäksi lääkehoitojen arvioinnin ja muiden terveysteknologioiden arvioinnin välillä on ollut selkeä rajanveto. Muiden terveysteknologioiden kuin lääkkeiden arvioinnista on vastannut THL:n Finohta loppuvuoteen 2016 saakka.

Taulukko 2. Eri lääkeyhmien hoidollisen ja taloudellisen arvioinnin prosessit.

	<b>Avohoidon reseptilääkkeet</b>	<b>Sairaalalääkkeet</b>	<b>Kansallinen rokotusohjelma</b>
<b>Aiheiden valinta</b>			
<b>Mitä lääkkeitä arvioidaan</b>	Uudet vaikuttavat aineet ja merkittävä käyttöaiheen laajentuminen (terveystalousselvitys vaatimuksena)	Sairaalalääkkeet* (tavoite arvioida uudet vaikuttavat aineet ja merkittävät käyttöaiheen laajennukset)	Rokotusohjelmaan ehdolla olevat rokotteet
<b>Arviointiaiheiden tunnistaminen</b>	Arviointi käynnistyy myyntiluvan haltijan hakemuksesta	Fimea tunnistaa Euroopan lääkeviraston ihmislääkekomitea (CHMP) kannanotoista	Arvioidaan kaikki Suomen olosuhteissa relevantit uudet rokotteet
<b>Arviointiaiheiden priorisointi ja valinta</b>	Kaikki hakemukset arvioidaan	Fimea	THL ja Kansallinen rokotusasiantuntijaryhmä (KRAR)
<b>Näytön kokoaminen ja kriittinen arviointi; HTA</b>			
<b>Kuka kokoaa näytön / kirjoittaa arviointiraportin</b>	Myyntiluvan haltija	Fimea (Fimea voi hyödyntää arvioinnissa EUnetHTA:n tuottamaa raporttia)	THL
<b>Onko muilla sidosryhmillä mahdollisuus toimittaa aineistoa arviointiin</b>	Ei	Kyllä (myyntiluvan haltija)	Kyllä
<b>Missä arvioinnin menetelmä ja raportointivaatimukset on kuvattu</b>	Ohje terveystalousselvityksen laatimiseksi ja Sosiaali- ja terveysministeriön asetus lääkkeiden hintalautakunnalle tehtävästä hakemuksesta ja hintailmoituksesta (201/2009 ja 360/2011)	<a href="#">Sairaalalääkkeiden arviointiprosessi</a>	<a href="#">HTA-opas</a> soveltuvin osin
<b>Kuka arvioi näytön</b>	Hila, Kela	Fimea, (EUnetHTA)	STM, VM
<b>Onko arviointiraportti julkinen</b>	Asianosaisjulkinen	Kyllä	Kyllä
<b>Onko sidosryhmillä mahdollisuus kommentoida arviointiraporttia</b>	Ei	Kyllä	Ei

	Avohoidon reseptilääkkeet	Sairaalalääkkeet	Kansallinen rokotusohjelma
<b>Päätös/suositus; korvattavuus tai käyttöönotto</b>			
<b>Kuka tekee päätöksen tai suosituksen</b>	Hila	Palko** (suositus): keväästä 2017 alkaen kaikki Fimean arvioimat sairaalalääkkeet	STM
		Sairaanhoitopiirit (päätös)	
<b>Mitä kriteerejä päätöksessä käytetään</b>	Sairausvakuutuslain 6 luvussa on määritelty korvattavuudelle ja kohtuulliselle tukkuhinnalle asetetut edellytykset	Sairaanhoitopiirit: ei määritelty. Palko: Terveystieteiden lain 7a ja 78 a § määritelty mitä tulee ottaa huomioon suosituksia annettaessa	Kansallinen rokotusasiantuntijaryhmä määrittänyt yleiset <a href="#">kriteerit</a> rokotusohjelman laajentamiselle
<b>Huomioidaanko potilasnäkökulma</b>	Kyllä	Kyllä osana eettisiä näkökulmia	Ei
<b>Liittyykö arviointiin lisänäytön kerääminen?</b>	Hallitun käyttöönoton sopimuksiin voi liittyä	Ei	Rokotusohjelman vaikuttavuutta seurataan jatkuvasti ja muutoksia voidaan tehdä esimerkiksi epidemiologisen tilanteen muuttuessa
<b>Päivitetäänkö arviointeja</b>	Hintalautakunnan päätökset ovat aina määräaikaista ja korvattavuuden edellytykset arvioidaan aina uudelleen	Ei rutiinisti	Kyllä

\*Tässä yhteydessä sairaalalääkkeellä tarkoitetaan sellaisia valmisteita, jotka kuuluvat järjestämisvastuuseen. Lääkkeet on tarkoitettu käytettäväksi pääasiassa julkisen terveydenhuollon sairaaloissa, lääkkeen pääasiallinen ostaja Suomessa on sairaala tai käyttö tai käyttökuntoon saattaminen edellyttää yleensä sairaalamaisia olosuhteita. Uudella lääkkeellä tarkoitetaan juuri myyntiluvan saanutta lääkettä tai lääkettä, jolle on myönnetty merkittävä käyttöaiheen laajennus. \*\*vuoden 2017 aikana Palko siirtyi osaksi STM:n ohjausyksikköä.

**CHMP:** Euroopan lääkeviraston ihmislääkekomitea; **Hila:** lääkkeiden hintalautakunta; **Palko:** Terveystieteiden palveluvalikoimaneuvosto

## Avohoidon reseptilääkkeet

Lääkkeiden hintalautakunta päättää lääkekorvausjärjestelmän piiriin kuuluvat lääkevalmisteet, kliiniset ravintovalmisteet ja perusvoiteet sekä niiden korvattavuuden ja tukkuhinnat. Lääkkeen Kela-korvattavuuden käsittely perustuu myyntiluvan haltijan tekemään hakemukseen. Korvattavuus- ja tukkuhintahakemuksesta, sen käsittelystä ja korvattavuutta koskevasta päätöksenteosta säädetään sairausvakuutuslaissa. Sairausvakuutuslailla on myös implementoitu ns. transparenssidirektiivin (89/105/ETY) lääkkeiden hinnoittelumenettelyjen avoimuutta koskevat vaatimukset.

Korvattavuus- ja tukkuhintahakemuksessa hakijan on esitettävä perusteltu ehdotus lääkevalmisteen korvattavuudesta ja tukkuhinnasta. Hakemukseen on liitettävä selvitys mm. lääkkeen hoidollisesta arvosta, hoitokustannuksista, korvattavuudella saavutettavista hyödyistä suhteessa muihin hoitovaihtoehtoihin, arvio lääkkeen myynnistä ja lääkettä käyttävien potilaiden määrästä, selvitys lääkkeen taloudellisuudesta ja lääkkeen hinnoista ja korvausperusteista muissa Euroopan talousalueen maissa. Lisäksi hakemukseen liitetään terveystalousselvitys, jos kyseessä on uusi vaikuttava lääkeaine tai kyse on korvattavuuden merkittävästä laajentamisesta. Terveystalousselvitys kokoa yhteen hoidollisen arvon ja terveysvaikutusten lisäksi kustannukset sosiaali- ja terveyshuollolle.

Päätettäessä valmisteen korvattavuudesta hintalautakunnan on otettava huomioon valmisteen hoidollinen arvo. Tukkuhinnan kohtuullisuutta arvioitaessa otetaan huomioon mm. muiden saman sairauden hoidossa käytettävien lääkehoitojen kustannukset, lääkkeen hinta muissa Euroopan talousalueen maissa ja lääkkeen käytöstä aiheutuvat kustannukset suhteessa saavutettaviin terveyshyötyihin. Hintalautakunta voi hyväksyä korvattavuuden enintään valmisteelle hyväksytyyn käyttöaiheeseen laajuusena. Hintalautakunnan korvattavuuspäätös on voimassa määräajan, enintään viisi vuotta. Vuoden 2017 alusta lukien korvattavuus voidaan hyväksyä ehdollisena (hallitun käytönnoton sopimus).

Hintalautakunta muodostuu seitsemänjäsenisestä lautakunnasta. Lautakunnan tukena toimii seitsemänjäseninen asiantuntijaryhmä, jossa on edustettuna lääketieteen eri alojen asiantuntemus, sairausvakuutus, farmakologia ja terveystaloustiede. Hakemusten käsittelystä ja valmistelusta vastaa sihteeristö, jossa on mm. 12 esittelijää (proviisori tai farmaseutti), lääkäri, terveystaloustieteilijä ja lakimies.

Ennen päätöstään hintalautakunta pyytää lausunnon Kelalta. Mikäli hakemus sisältää terveystaloudellisen selvityksen, toimii lausunnon antajana Kelan tutkimusryhmä. Lausunnonaan Kela ottaa kantaa sekä hakemusvalmisteen korvattavuuteen että haetun tukkuhinnan/-hintojen kohtuullisuuteen. Lausuntojen laatimiseen osallistuu osa-aikaisesti neljä terveystaloustieteilijää ja kolme proviisorina. He konsultoivat tarvittaessa Kelan muita asiantuntijoita, kuten asiantuntijalääkäreitä. Lausuntoihin käytettävä työaika vaihtelee hakemuksittain, mutta terveystaloudellisen selvityksen sisältävässä hakemuksessa se on molempien proviisorin ja terveystaloustieteilijän työpanos huomioiden keskimäärin noin kaksi viikkoa.

## Sairaalalääkkeet

Uuden lääkkeen tullessa markkinoille sairaanhoitopiirit tai erityisvastuualueet ovat kukin tahoiltaan päättäneet, onko lääkkeen käyttöönotto järkevää. Erityisvastuualueiden lääkearviointiryhmien toimintaa on kuvattu **liitteessä 1**. Käytännöt eri alueilla ovat olleet vaihtelevia.

Fimea on vuodesta 2015 tuottanut arviointiraportteja uusien sairaalalääkkeiden hoidollisista ja taloudellista vaikutuksista. Fimean tavoitteena on ollut lisätä lääkkeen käyttöönottopäätöksissä tarvittavaa tietoa, vähentää sairaaloiden päällekkäistä työtä uuden lääkkeen käyttöönoton yhteydessä sekä edistää alueellista yhdenvertaisuutta hoitojen saatavuudessa.

Fimean tavoite on arvioida kaikki uudet sairaalalääkkeet ja merkittävät käyttöaiheiden laajennukset. Fimean arviointiprosessi ei perustu myyntiluvan haltijan hakemukseen vaan Fimea valitsee sairaalalääkkeiden arviointiin soveltuvat aiheet Euroopan lääkeviraston ihmislääkekomitean (CHMP) positiivisista myyntilupalausunnoista. Aloitteen arvioinnin käynnistämiseksi voi tehdä myös muu taho, kuten sairaala tai myyntiluvan haltija. Arvioinnin käynnistämisestä päättää Fimea



huomioiden kulloinkin arviointiin käytettävissä olevat voimavarat. Fimean HTA-tiimissä on viisi henkilöä (arviointipäällikkö, kolme lääketaloustieteilijää ja tutkijalääkäri).

Läakeyritys voi toimittaa Fimean arviointia varten aineistoa, esimerkiksi budjettivaikutusanalyysin. Lääketeollisuuden Suomessa toimivat tytäryhtiöt käyttävät sekä korvattavuushakemuksissa että Fimealle tuotetussa tiedossa pääkonttoreiden toimittamia terveystaloustalouksmalleja ja tutkimustietoja. Tiedot koostetaan joko Suomen tytäryhtiössä, konsulttitoimistossa tai muulla tavoin Suomen vaatimusten mukaisiksi.

Palveluvalikoimaneuvosto (Palko) on linjannut, että kevästä 2017 lähtien se laatii suosituksen kaikkien Fimean arvioimien sairaalalääkkeiden kuulumisesta palveluvalikoimaan tai rajaamisesta pois palveluvalikoimasta.

Lääkkeen hinta määräytyy sairaaloiden lääkehankintamenettelyissä. Näillä menettelyillä ei ole yhteyttä arviointitoimintaan. Se tarkoittaa esimerkiksi sitä, että tieto lääkkeen todellisesta hinnasta ei ole käytössä arvioinneissa vaan tämä joudutaan ottamaan huomioon arvioinneissa muulla tavalla (esim. herkkyys- tai skenaarioanalyysissä). Vastaavasti arviointitietoa ei ole systemaattisesti hyödynnetty sairaalalääkkeiden hintaneuvotteluissa.

## **Yleisvaarallisten ja ilmoitettavien tartuntatautiin lääkehoito**

Tartuntataudit luokitellaan tartuntatautilaissa (1227/2016) yleisvaarallisiin, ilmoitettaviin ja muihin. Yleisvaarallisten tartuntatautiin tutkimus, hoito ja hoitoon määrätty lääkkeet ovat sosiaali- ja terveydenhuollon asiakasmaksulain perusteella potilaalle maksuttomia, samoin maksuttomia ovat HIV-infektion, tippurin ja sukupuoliteitse tarttuvan klamydian tutkimus ja hoito sekä ilmoitettavan tartuntatautiin hoitoon määrätty lääkkeet. Potilaan kotikunta maksaa edellä mainitut tutkimukset ja hoidot. Lääkelain perusteella tartuntatautiin hoitoon tarkoitettuja lääkkeitä voidaan antaa potilaalle maksutta sairaala-apteekista tai lääkekeskuksesta. Tartuntatautiin hoitoon tarkoitettujen lääkkeiden hankinta ja arviointi tapahtuu samoin perustein kuin muiden terveydenhuollon laitoksissa käytettyjen lääkkeiden.

Valtakunnallinen tartuntatautiin asiantuntijaelin on valtioneuvoston nimittämä tartuntatautiin neuvottelukunta. Sen lisäksi Suomessa on tartuntatautiin hoitoon useita nimettyjä asiantuntijaryhmiä. WHO edellyttää että polion ja tuhkarokon hoitoon on nimetty kansallinen asiantuntijaryhmä, näiden lisäksi mm. tuberkuloosin hoitoon on Filhan alaisuudessa valtakunnallinen asiantuntijaryhmä ja THL:n alaisuudessa toimii kansallinen HIV-hepatiittiasiantuntijaryhmä.

## **Kansalliseen rokotusohjelmaan kuuluvat rokotteet**

Terveyden ja hyvinvoinnin laitos (THL) toimii rokotusten asiantuntijalaitoksena ja se arvioi rokotusohjelman kehittämistarpeita jatkuvasti. Kun uutta rokotetta harkitaan Suomessa kansalliseen rokotusohjelmaan, rokote ja rokotusohjelma arvioidaan Kansallisen rokotusasiintuntijaryhmän määrittämien kriteerien mukaan. Kansallisen rokotusohjelman osalta arviointityö tehdään rokotekohtaisissa asiantuntijatyöryhmissä THL:ssä. Arviointityöhön on käytössä noin neljä henkilötyövuotta.

Työryhmän loppuraportissaan antama suositus sisältää perustellun kannanoton siitä tulisiko rokote ottaa kansalliseen rokotusohjelmaan. Käsiteltyään asiantuntijatyöryhmän suosituksen kansallinen rokotusasiintuntijaryhmä muodostaa oman suosituksensa. THL:n suositus perustuu näihin käsittelyihin. Rokotteen ottamisesta kansalliseen rokotusohjelmaan päättää Sosiaali- ja terveysministeriö kuultuaan Tartuntatautiin neuvottelukuntaa. Rokotusohjelman rahoituksesta päättää eduskunta.

Rokotusten ja rokotusohjelmien arviointityötä hyödynnetään myös rokotteiden hankinnassa. THL:n asiantuntijat tekevät ehdotuksen hankinnan ehdoista, jotka kansallinen rokotusasiintuntijaryhmä käsittelee ja antaa niistä oman lausuntonsa. THL:n suositus hankinnasta ja sen ehdoista

perustuu näihin käsittelyihin. STM:n rokotehankintatyöryhmä käsittelee ehdotuksen ja antaa lausuntonsa. STM päättää hankinnan ehdot ja toteutustavan sekä kilpailuttaa hankinnan ja tekee hankintapäätöksen. THL tekee hankintasopimuksen kilpailun voittaneen rokotteen tarjoajan kanssa.

Rokotteita, jotka eivät kuulu kansalliseen rokotusohjelmaan, ei arvioida järjestelmällisesti.

## 4 NYKYJÄRJESTELMÄN KESKEISIMMÄT KEHITTÄMISKOHEET

- Lääkehuollon rooli uudistuvissa palvelurakenteissa tulee arvioitavaksi osana sosiaali- ja terveydenhuollon palvelurakenne- ja rahoitusuudistusta. Tällä hetkellä eri lääkeryhmiä arvioidaan eri menetelmin, arviointien sisällöin ja päätöksenteon kriteerein. Vastaavasti lääkehoitoja ja muita terveysteknologioita (esim. laitteet ja toimenpiteet) arvioidaan osittain erilaisin lähestymistavoin. Myös arviointitoiminnan henkilöstöresurssit on hajautettu eri organisaatioihin ja eri lääkeryhmien käyttöön liittyvästä päätöksenteosta vastaavat eri tahot. Tämän seurauksena voi olla osioptimointi eli se, että yksittäinen päätöksentekijä tekee omalle toiminnalleen kannattavimman ratkaisun ja jättää huomioimatta tästä aiheutuvat seuraukset ja kustannukset muille toimijoille.
- Tukku- ja myyntitilastojen perusteella tiedetään, että uusia julkisessa terveydenhuollossa käytettäviä lääkkeitä otetaan käyttöön eri tavalla eri puolilla Suomea. Vaikka tukku- ja myyntitiedot eivät ole tarvevakioituja, niiden perusteella on herännyt huoli siitä, toteutuvatko tasa-arvo ja oikeudenmukaisuustavoitteet lääkehoitojen saatavuudessa. Toisin sanoen, onko samalla tavalla sairailta yhdenvertainen mahdollisuus esimerkiksi uusiin lääkehoitoihin eri puolilla Suomea.
- Järjestämisvastuuseen kuuluvien lääkkeiden käyttöönotto-, käyttö-, tai priorisointipäätöksille ei ole laissa määritelty arviointiperusteita. Sen takia yksittäisten päätösten perusteet eivät ole kaikilta osin tiedossa. Päätöksentekoa ohjaa myös eduskunnan oikeusasiamiehen käsitys (921/2004) siitä, että mikään muu priorisointi ei ole yksittäisissä hoitoratkaisuissa lainmukaista kuin sairauteen, hoidon tarpeeseen ja hoidon vaikuttavuuteen kohdistuva. Terveydenhuollon palvelujen saatavuuden perusteena tulee olla potilaan terveyden-tilan edellyttämä, lääketieteellisesti perusteltu hoidon tarve.
- Kansallisia linjauksia kaivataan kuitenkin erityisesti harvinaislääkkeistä sekä lääkkeitä, joiden potilaskohtaiset kustannukset tai budjettivaikutus on huomattava. Näin halutaan varmistaa, että näiden lääkkeiden käyttö on myös taloudellisesti kestävällä pohjalla.
- Vaikka yliopistosairaalat ovat hyödyntäneet Fimean tuottamia arviointiraportteja päätöksenteossaan, arviointitoiminnalla ei ole ollut muodollista kytkentää mihinkään päätöksentekomekanismiin. Palko tulee kevästä 2017 lähtien antamaan suosituksia siitä, kuuluvatko uudet sairaalalääkkeet suomalaiseen terveydenhuollon palveluvalikoimaan. Palkon suosituksissa hyödynnetään Fimean tuottamia arviointiraportteja. Yliopistosairaalat ovat toivoneet kansallisten suositusten tukea erityisesti tilanteissa, joissa uuden lääkkeen käytön taloudelliset vaikutukset ovat merkittävät.
- Fimean tuottamien arviointiraporttien sisältö on määritelty vastaamaan sairaanhoitopiiri- ja yliopistosairaaloiden tarpeita. Raportissa arvioidaan esimerkiksi lääkehoidon kustannuksia ja budjettivaikutuksia, mutta ei kustannusvaikuttavuutta. Tulevaisuudessa Fimea on valmis muokkaamaan, soveltuvin osin, arviointiraporttien sisältöä päätöksenteon tai suositustyön tarpeiden mukaan.

- Fimea ei ole järjestelmällisesti tuottanut arviointiraportteja ilmoitettavien tai yleisvaarallisten tartuntatautien lääkehoidoista. Myöskään sairaanhoitopiireissä arviointitoiminta ei ole ollut järjestelmällistä, koska hoidot maksaa potilaan kotikunta. Jatkossa ilmoitettavien ja yleisvaarallisten tartuntatautien lääkehoitojen arviointi tulisi järjestää samoin periaattein kuin muidenkinjärjestämismvastuuseen kuuluvien lääkehoitojen.
- Muiden ennaltaehkäisevien rokotteiden kuin kansalliseen rokotusohjelmaan kuuluvien rokotteiden arviointi ei ole ollut järjestelmällistä. Lisäksi arviointia hankaloittaa se, että rokotteiden valmisteyhteenvedon mukainen indikaatio on yleensä varsin laaja, mutta taloudellisen arvioinnin pohjaksi soveltuvaa tutkimusnäyttöä erityisryhmien tautitaakasta ja rokottamisen vaikutuksista Suomessa on usein niukasti. Monien rokotteiden kohdalla arviointiin vaikuttaa myös muun väestön rokotuskattavuuden myötä syntyvä laumasuoja ja sairastumisen riskin pienentyminen. Osa nykyisistä riskiryhmien rokotussuosituksista perustuu osoitetun kustannusvaikuttavuuden sijaan kansainvälisiin suosituksiin, suomalaiseen lainsäädäntöön esimerkiksi työnantajan velvoitteista ja hoitavan lääkärin potilaskoh- taiseen kliiniseen arvioon.
- Sosiaali- ja terveydenhuollon rakenneuudistus ja yksikanavarahoitus mahdollistavat jat- kossa sen, että osa kansallisen rokotusohjelman ulkopuolella tapahtuvasta maakuntien järjestämästä riskiryhmien rokottamisesta voidaan toteuttaa kansallisen rokotusohjelman hankintamekanismia hyödyntäen. Arviointityö voidaan toteuttaa THL:n, kansallisen ro- kotusasiantuntijaryhmän ja maakuntien infektioautiasiantuntijoiden yhteistyönä.
- Kansallisen rokotusohjelman rokotteita lukuun ottamatta järjestämismvastuuseen kuuluvien lääkkeiden arviointia ja käyttöön liittyvää päätöksentekoa ei ole kytketty hankintamenet- telyihin.
- Arviointitoiminta ei kata sellaisten lääkkeiden arviointia, joille ei vielä ole myönnetty myyntilupaa. Sairaaloissa uusia lääkkeitä voidaan kuitenkin käyttää jo ennen myyntilu- van myöntämistä. Tällöin lääkettä tulisi käyttää osana kliinistä lääketutkimusta, mutta tässä tarkoituksessa lääkkeitä käytetään sairaaloissa laajemminkin (ns. compassionate use). Niin sanottu compassionate use -käyttö näyttää heikentävän sairaaloiden mahdolli- suuksia uusien lääkkeiden hallittuun käyttöönottoon ja kustannusten hallintaan.
- Tällä hetkellä julkisessa terveydenhuollossa arviointityö on keskittynyt uusien lääkkeiden arviointiin. Niin sanottuja käytöstä poistamisarviointeja ei tehdä systemaattisesti, eikä käytössä ole kriteerejä joilla käytössä olevia lääkkeitä valitaan uudelleen arviointiin. Duodecim on vastikään julkaissut mallin ”Vältä viisaasti” -suositukseksi, joka todennä- köisesti palvelisi hyvin tarvetta poistaa käytöstä vanhentuneita tai muuten vaikuttamat- tomaksi osoitettuja lääkehoitoja. Vältä viisaasti suosituksia on nyt julkaistu kymmenkun- ta ja kehittämistyö jatkuu.
- Myös yhteistyön lisääminen kliinisten asiantuntijoiden kanssa on tärkeää. On tarpeen varmistaa, että kansallinen osaaminen hyödynnetään arviointitoiminnassa mahdollisim- man tehokkaasti. Lisäksi yhteistyö kliinisten asiantuntijoiden kanssa sekä lääkehoitojen arvioinnin että kannanoton yhteydessä todennäköisesti edistää arviointiin perustuvien suositusten implementointia käytäntöön. Toisaalta tulee varmistua siitä, että lääkehoito- jen arviointien tekijät ovat riippumattomia ja kliinisten asiantuntijoiden sidonnaisuuksien ilmoittamisessa käytetään yhtenäisiä lähestymistapoja.

- Lisäksi on tarpeen kehittää arviointitoiminnan ennakoitavuutta. Esimerkiksi lääkeyritysten tulisi voida ennakoida, mitä arvioidaan jos kaikkia uusia lääkehoitoja ei voida arvioida. Myös arviointien aikataulun tulisi olla ennakoitavissa.
- Kun useampia uusi lääkeaine saa myyntiluvan samaan käyttöaiheeseen lyhyen aikavälin kuluessa, voi olla tarpeen arvioida kaikkien näiden lääkkeiden hoidollinen ja taloudellinen arvo yhtä aikaa. Tällöinkin on tarpeen varmistaa, että tuotettu arviointiraportti vastaa päätöksen tai suosituksen tekijän tarpeita. Lisäksi arvioinnin aikataulu tulisi olla kaikkien arvioinnin kohteena olevien lääkehoitojen osalta tarkoituksenmukainen.

## 5 EHDOTUS LÄÄKEHOITOJEN ARVIOINTITOIMINNAN TAVOITTEISTA

Kansallinen riippumaton lääkehoitojen arviointi (HTA) tukee päätöksentekoa ja hankintamenetelyjä (esim. hinnan määräytyminen ja hallitun käyttöönoton sopimukset). Täydentävää näyttöä arvioitujen lääkkeiden kulutuksesta, vaikutuksista, käytön kohdentumisesta, hoitoprosessista ja kustannuksista kootaan säännönmukaisesti terveydenhuollon tietovarannoista.

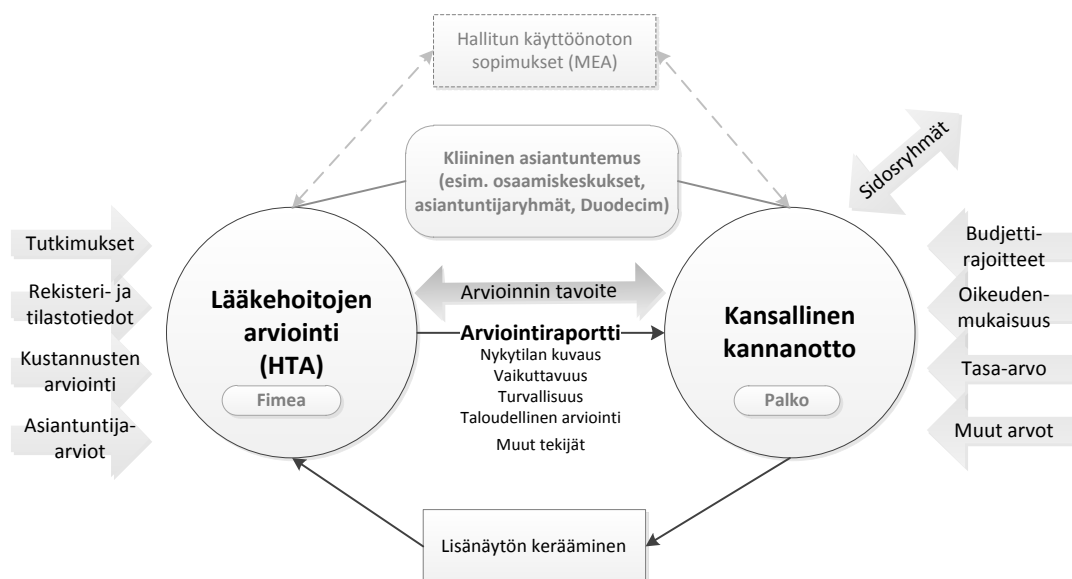
Arviointitoiminnan tavoitteena on

- edistää yhdenvertaisuutta lääkkeiden saatavuudessa (yhdenvertainen käyttömahdollisuus yhtäläisessä tarpeessa oleville);
- turvata vaikuttavien ja turvallisten lääkkeiden saatavuutta kustannuksilla, johon suomalaisilla potilailla ja yhteiskunnalla on varaa, ja
- luoda edellytykset kustannusvaikuttavalle ja taloudellisesti kestäväälle lääkkeiden käytölle.

Näiden tavoitteiden saavuttaminen riippuu ensisijaisesti siitä, miten lääkkeiden käyttöön ja korvattavuuteen liittyvä päätöksenteko järjestetään ja miten lääkkeen arvo huomioidaan erilaisissa hankinta- tai korvattavuusmenettelyissä.

## 6 RYHMÄN EHDOTUS JÄRJESTÄMISVASTUUSEEN KUULUVIEN LÄÄKEHOITOJEN ARVIOINNIN JÄRJESTÄMISESTÄ

Arviointitoimintaa tulee uudistaa niin, että arviointi, kannanotot, lisänäytön kerääminen ja tarpeen mukaan tehtävät hallitun käyttöönoton sopimukset muodostavat toimivan kokonaisuuden (**kuvio 2**).



Kuvio 2. Ehdotus järjestämisvastuuseen kuuluvien lääkehoitojen arviointitoiminnan järjestämisestä (Muokattu lähteestä Teutsch ja Berger 2005). HTA: terveysteknologian (tai terveydenhuollon menetelmien) arviointi; MEA: hallitun käyttöönoton sopimus (managed entry agreement).

Työryhmän näkemyksen mukaan lääkehoitoja koskevien arviointiraporttien tuottamisesta tulee vastata yksi kansallinen arviointiyksikkö. Lain mukaan Fimean yhtenä tehtävänä on tuottaa ja koota lääkehoitojen hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointeja ja koordinoita tätä koskevaa yhteistyötä (Laki lääkealan turvallisuus ja kehittämiskeskuksesta (593/2009, 2§)). Lisäksi Fimean arviointitoiminta on vakiintunut ja se tuottaa järjestelmällisesti arviointiraportteja uusista sairaalalääkkeistä. Tämän perusteella Fimea on luonteva kotipesä kansalliselle arviointiyksikölle, jonka tehtävä on järjestämisvastuuseen kuuluvien lääkehoitojen arviointi. Fimealla tulee olla päävastuu arviointiraporttien tuottamisesta. Lisäksi Fimean tulee tehdä tiivistä yhteistyötä arviointiyliilääkäreiden, kliinisten asiantuntijoiden (esim. osaamiskeskukset ja asiantuntijaryhmät) sekä Käypä hoidon kanssa. Näin varmistetaan kliininen erityisasiantuntemus arvioinneissa sekä alueellisten arviointitarpeiden ja -kysymysten tunnistaminen.

Ryhmän näkemyksen mukaan arviointitoiminta tulisi kytkeä paremmin osaksi päätöksentekoa. Vain näin voidaan edistää yhdenvertaisuutta lääkkeiden saatavuudessa ja turvata taloudellisesti kestäväällä pohjalla olevaa lääkkeiden käyttöä.

Niin sanotut hallitun käyttöönoton sopimukset yleistyvät todennäköisesti myös Suomessa. Sopimuksilla pyritään esimerkiksi neuvottelemaan lääkevalmisteen hintaa tai hoidon kustannuksia kohtuullisemmalle tasolle tai sopimaan lisänäytön keräämisestä. Sopimusten ensisijainen tavoite on mahdollistaa hoidollisesti arvokkaiden lääkkeiden käyttöönotto sellaisella hinnalla, johon yhteiskunnalla on varaa, tai hallita hoidolliseen tai taloudelliseen arvoon liittyvää epävarmuutta

keräämällä lisänäyttöä. Sopimusmenettelyihin liittyvät yksityiskohdat on pohdittava ja valmisteltava huolella sen jälkeen kun lääkehankintoihin ja lääkehuollon rahoitukseen liittyvät järjestelyt uusissa sosiaali- ja terveydenhuollon rakenteissa ovat tiedossa. Hallitun käyttöönoton sopimuksia on kuvattu yksityiskohtaisemmin **liitteessä 2**.

Osa uusista lääkkeistä tulee markkinoille yhä aikaisemmassa vaiheessa. Se tarkoittaa, että kannanotot perustuvat yhä rajallisempaan näyttöön ja lääkkeen hoidollisiin vaikutuksiin, turvallisuuteen ja arvoon voi liittyä merkittävää epävarmuutta. Lisäksi arvioinnit perustuvat tyypillisesti satunnaistettujen kliinisten kokeiden tuloksiin, joiden sovellettavuus terveydenhuollossa voi olla rajallinen. Näistä syistä on tärkeää, että arvioitujen lääkkeiden kulutuksesta, vaikutuksista, käytön kohdentumisesta, hoitoprosesseista ja kustannuksista kerätään lisänäyttöä hyödyntäen sote-tietovarantoja. Tietovarannoilla tarkoitetaan muun muassa terveydenhuollon rekistereitä, potilasjärjestelmiä, tietoaltaita sekä Kanta-palveluihin ja biopankkeihin kertyvää reaali maailman dataa (real world data).

## 6.1 LÄÄKEHOITOJEN KANSALLINEN ARVIOINTI

Lääkehoitojen arviointitoiminta on tarkoituksenmukaista järjestää kansallisesti ja keskittää se yhteen yksikköön. Kun arvioinneista vastaa yksi yksikkö, varmistetaan että arvioinneissa käytetään mahdollisimman yhtenäisiä menettelytapoja ja kannanotot perustuvat järjestelmällisesti koottuun tutkimusnäyttöön.

Olisi perusteltua, että lääkehoitojen ja muiden terveydenhuollon menetelmien arviointi järjestetään maassamme yhtenäisellä tavalla. Muiden terveysteknologioiden kuin lääkehoitojen arviointi on ehdotettu järjestettävän ”hybridimallilla”. Mallissa pienehkö keskitetty yksikkö koordinoisi noin viiden alueyksikön toimintaa (Rissanen ja Puolijoki 2016). On kuitenkin todettu, että ”hybridimalliin” liittyy Suomen kokoisessa maassa perusteltuja ja vakavia riskejä liittyen erityisesti osaamisen pirstaloitumiseen, koordinaation haasteisiin ja toiminnan yleiseen tehokkuuteen kansallisesta näkökulmasta (Lampe ja Saalasti-Koskinen 2017). Myös lääkehoitojen arvioinnin osalta rajalliset arviointiresurssit on syytä käyttää arviointiraporttien tuottamiseen, ei arviointien koordinoimiseen. Lisäksi kansallisella arviointiyksiköllä on paremmat mahdollisuudet toimia aktiivisesti sekä pohjoismaisessa että eurooppalaisessa arviointiyhteistyössä.

On todennäköistä, että nykytuotoinen raja lääkehoitojen, lääkinnällisten laitteiden ja muiden terveysteknologioiden välillä tulee jossain määrin hämärtyämään. Muun muassa sen takia on pohdittu tarvetta rakentaa yhteinen toimintamalli lääkehoitojen ja muiden hoitojen arviointiin. Lääkehoitojen ja muiden hoitomenetelmien arviointi on todennäköisesti tarkoituksenmukaista toteuttaa samankaltaisin periaattein. Taustalla oleva regulaatio, tutkimustieto ja arvioinnin kannalta merkittävät osa-alueet voivat kuitenkin olla hyvin erilaisia lääkkeiden ja muiden hoitojen välillä. Tämän vuoksi kaikilta osin yhtenäinen arviointimenettely ei ole välttämättä mahdollinen tai tavoiteltavakaan asia. On kuitenkin tarkoituksenmukaista pohtia lääkehoitojen ja muiden terveysteknologioiden arviointitoiminnan järjestäminen kokonaisuutena ja tehdä päätökset yhtä aikaa.

Lääkehoitojen arvioinnin sijoittuminen Fimeaan tuo merkittäviä synergiaetuja, kun koko lääkkeen elinkaari ja sen aikana kertyvä tieto on saman organisaation tehtäväkentässä.<sup>3</sup> Lisäksi arviointi- ja myyntilupatoiminnan sijoittuminen samaan virastoon voi olla tulevaisuudessa merkittävä kilpailuetu Suomelle johtuen muun muassa seuraavista Eurooppalaisista kehityssuunnista:

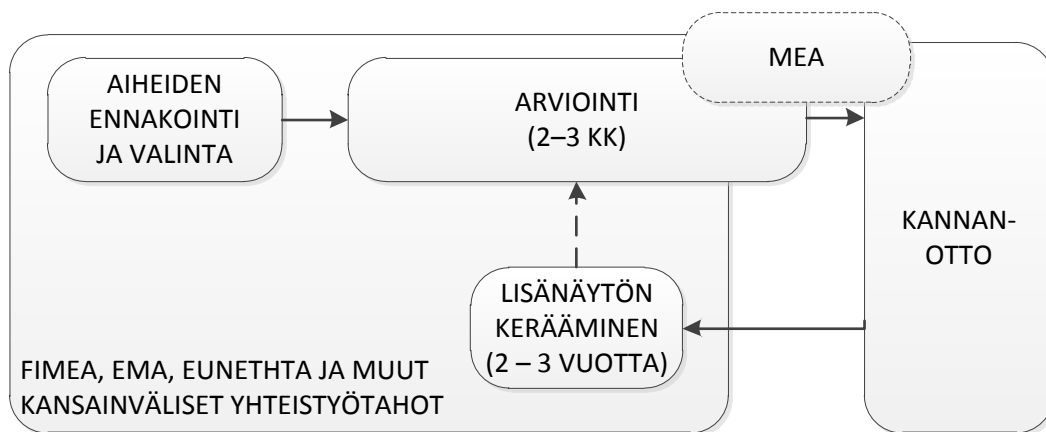
- myyntilupaviranomaisten ja HTA-toimijoiden yhteistyö syvenee ja tarpeita sovitetaan yhteen enenevässä määrin;

<sup>3</sup> Ks. esim. European Medicines Agency: Cooperation between regulators and HTA bodies creates synergies. 14/04/2016. Linkki: [www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/news\\_and\\_events/news/2016/04/news\\_detail\\_002510.jsp&mid=WC0b01ac058004d5c1](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/news_and_events/news/2016/04/news_detail_002510.jsp&mid=WC0b01ac058004d5c1)



- eurooppalainen arviointiyhteistyö kytkeytyy pitkälti Euroopan lääkeviraston työhön ja hyödyntää sieltä tulevaa tietoa;
- myyntilupaviranomaisten ja HTA-toimijoiden yhteinen tieteellinen neuvonta yleistyy ja
- myyntiluvan jälkeinen tiedon kerääminen lääkkeen elinkaaren aikana lisääntyy.

Toistaiseksi ei ole yksityiskohtaisesti määritelty, miten soite-uudistus ja monikanavarahoitus tulee muuttamaan lääkehuollon järjestämistä uudistuvissa palvelurakenteissa. Sen takia HTA-ryhmän ehdotus arviointitoiminnan järjestämisestä (**kuvio 3**) on riippumaton siitä, mikä taho tulevaisuudessa tekee päätöksiä ja minkälaisin prosessein. Ehdotettu lääkehoitojen arviointi ei koske THL:n jatkossakin arvioimaa kansallista rokotusohjelmaa.



Kuvio 3. Arviointiprosessi järjestämisvastuuseen kuuluvien lääkehoitojen arviointiin. Arvioinnista vastaa Fimea. Kannanottoja tekevä taho on Palko. MEA: hallitun käyttöönoton sopimukset (managed entry agreement)

### 6.1.1 Aiheiden ennakointi ja valinta

Fimea vastaa aiheiden ennakoinnista. Ennakointi perustuu Euroopan lääkeviraston tietoihin käynnissä olevista myyntilupa-arvioinneista. Yhteistyö Euroopan lääkeviraston, pohjoismaisten yhteistyötahojen, eurooppalaisen HTA-yhteistyöverkoston (EUnetHTA) ja kansallisten myyntilupaviranomaisten kanssa mahdollistaa sellaisten tietojen hyödyntämisen aiheiden ennakoinnissa, joita ei ole julkisesti saatavilla. Lisäksi Fimea tarjoaa lääkeyrityksille mahdollisuuden esitellä myyntilupaprosessissa olevia valmisteita ja ehdottaa arviointiaiheita. Myös muut tahot, kuten arviointiyliiläkärit, Palko, osaamiskeskukset ja hoitosuositusryhmät, voivat ehdottaa arvioinnin aiheita.

Fimea hyödyntää kliinisten asiantuntijoiden (esim. osaamiskeskukset, asiantuntijaryhmät, Fimean omat erikoislääkärit) näkemystä yksittäisten arviointien tarpeellisuudesta. Fimea valitsee arvioitavat aiheet kliinisten asiantuntijoiden kommenttien perusteella huomioiden Fimean käytössä olevat arviointiresurssit. Mikäli arviointiaiheita joudutaan laittamaan tärkeysjärjestykseen, huomioidaan seuraavia tekijöitä:

- kliinisten käytäntöjen vaihtelu
- terveysongelman yleisyys ja vakavuus
- lääkehoidon haitat
- lääkehoidon taloudelliset vaikutukset
- eettiset kysymykset (arvokeskustelu tarpeen, erityisesti haavoittuvat potilasryhmät, yhdenvertaisuuskysymykset, menetelmän voimakas markkinointi)

Tekijät vastaavat kriteereitä, joita Palko käyttää aihe-ehdotusten tärkeyden arvioinnissa.

## 6.1.2 Arviointi

Fimea vastaa arvioinnin toteuttamisesta ja raportoinnista. Lääkehoitojen arvioinnissa näyttö lääkkeen terveys- ja talousvaikutuksista kootaan, syntetisoidaan ja arvioidaan kriittisesti. Arvioinnin tuloksena kirjoitetaan arviointiraportti. Arvioinnin toteutuksessa ja raportoinnissa noudatetaan soveltuvin osin eurooppalaisen terveydenhuollon menetelmien arviointiverkoston (EUnetHTA) menetelmäsuosituksia ja raportointimallia. Näin varmistetaan, että arviointiraportteja voidaan tuottaa ja hyödyntää mahdollisimman tehokkaasti kansainvälisenä yhteistyönä. Kansainvälisen yhteistyön näkökulmasta arviointiraportit voi olla tarkoituksenmukaista kirjoittaa englanniksi.

Fimea toteuttaa arvioinnit riippumattomasti ja siten, että

- arviointiraportin sisältö vastaa päätöksen tai suosituksen tekijän tarpeita;
- arvioinnin tulos on käytettävissä mahdollisimman pian myyntiluvan myöntämisen jälkeen;
- arvioinnissa hyödynnetään kliinistä asiantuntemusta ja tehdään yhteistyötä eri strategia- ja asiantuntijaryhmien sekä osaamiskeskusten kanssa;
- lääketeollisuudella on mahdollisuus toimittaa arviointiin aineistoa;
- sidosryhmillä (mukaan lukien potilasjärjestöt) on mahdollisuus kommentoida arvioinnin tuloksia ja
- raportti, siihen liittyvät kommentit sekä arvioijien ja kliinisten asiantuntijoiden sidonnaisuudet ovat julkisia.

Arviointi jakaantuu neljään vaiheeseen, jotka ovat: arvioinnin käynnistäminen, tietopyynnöt, arviointiraportin kirjoittaminen sekä arviointiraportin julkaisu ja kommentointi. Arvioinnin päätyttyä Fimea toimittaa Palko:lle:

- arviointiraportin ja siihen tulleet kommentit;
- lausunnon mahdollisesta hallitun käyttöönotton sopimuksesta (**kts. liite 2**) ja
- yhteenvedon päätöksentekijän käsittelyä varten.

## 6.1.3 Lisänäytön ja seurantatiedon kerääminen

Tällä hetkellä sairaaloissa tapahtuvasta lääkkeiden käytöstä ei ole saatavilla potilaskohtaisia tietoja rakenteisessa muodossa, joista voitaisiin ilman merkittävää lisätyötä (esimerkiksi potilasasiakirjojen tarkastelua) muodostaa analysoitavissa oleva aineisto. Sairaaloiden lääkekulutusta seurataan tukkumyyntitiedoista, eikä näiden tietojen perusteella voida arvioida lääkkeiden käytön kohdentumista ja tarkoituksenmukaisuutta. Lisäksi sairaaloissa käytettävien lääkkeiden todellisia hintoja ei ole mahdollista selvittää tukkumyyntirekisterin perusteella. Korvattujen reseptilääkkeiden käyttäjät voidaan tunnistaa Kelan reseptirekisteristä ja erityiskorvausrekisteristä, mutta esimerkiksi hoidon käyttöaiheen mukaisesta kohdentumisesta on yhä saatavilla varsin rajallisesti tietoa. Vastaavasti korvattujen reseptilääkkeiden hoitotuloksista ei kerätä tietoa. Kelan rekisteritiedot ja sairaaloiden hallussa olevat tiedot lääkityksestä tulisi voida yhdistää lääkehoidon kokonaiskuvan saamiseksi. Tämä ei ole tällä hetkellä mahdollista.

Työryhmä ehdottaa, että uusista käyttöön otettavista lääkkeistä kootaan rutiinisti ja raportoidaan standardimuotoisesti erikseen määritellyt seurantatiedot. Seurantatietoja tarvitaan esimerkiksi hoidon kohdentumisesta, hoidon toteutumisesta, keskeisesti hoitoon ja hoidon valintaan liittyvistä

laboratoriotuloksista ja hoidon vasteesta. Lisäksi lisänäytön ja seurantatiedon keräämistarpeita voi olla muitakin.

Seurantatietoa voidaan hyödyntää moneen tarkoitukseen, kuten:

- päätösten tai suositusten toimeenpanon monitorointi,
- ehdollisiin korvauspäätöksiin mahdollisesti liittyvien tiedontuottamisvelvoitteiden täyttyminen,
- lääkehoitojen vaikutusten ja kustannusten seuranta,
- alueellisen vertailutiedon tuottaminen,
- käytössä olevien hoitojen kulutuksen ja käytötavan selvittäminen,
- mukautuvien käyttöönotto- ja ehdollisten myyntilupamenettelyjen (adaptive pathways ja conditional licensing) tiedontuottamisvelvoitteiden täyttäminen ja
- lääkeyritysten tutkimustiedon täydentäminen ja mahdollisuudet tehdä lääkealan tutkimusta Suomessa.

Jatkoselvitystä tarvitaan siitä, miten tarvittavan lisänäytön tuottamista ja hyödyntämistä voidaan edistää.

## 6.2 POHDINTAA LÄÄKEHOITOJEN ARVIOINNIN JA KANSALLISEN PÄÄTÖKSENTEON SUHTEESTA

Arviointitieto on tarkoitettu ensisijaisesti kansallisen päätöksenteon tueksi ja sen tulee vastata päätöksenteon tarpeita. Sen takia arviointiraporttien sisällön kehittäminen on perustelua aloittaa kehittämällä päätöksentekoa, joka liittyy uusien lääkkeiden käyttöönottoon. Tämä koskee Palkon päätöksentekoa suosituksista ja Palkon suositusten sitovuutta tai sitoutumista suosituksiin sekä hankinta- ja käyttöönottopäätöksiä sairaanhoitopiireissä, jatkossa maakunnissa Näin arviointitoiminta voidaan järjestää siten, että se mahdollisimman tehokkaasti tuottaa päätöksentekoa tukevaa tietoa.

Lääkkeiden käyttöön ja käyttöönottoon liittyvien päätösten ja suositusten tekeminen on tarkoituksenmukaista järjestää kansallisesti. Erityisenä perusteena tälle on yhdenvertainen mahdollisuus hoitoon.

## 7 LÄÄKEHOITOJEN ARVIOINNIN EDELLYTTÄMÄT VOIMAVARAT

Alla on esitetty arvio voimavaroista, joita tarvittaisiin järjestämisvastuuseen kuuluvien uusien lääkkeiden ja merkittävien käyttöaiheen laajennusten arviointiin.

- Vuosien 2012–2015 aikana Euroopan komissio myönsi myyntiluvan 150 uudelle vaikuttavalle aineelle. Näistä Suomessa on kaupan on 100 lääkeainetta (**taulukko 3**).
- Suurempi osa lääkkeiden myyntiluvista myönnetään käyttöaiheen laajennuksille kuin uusille vaikuttaville aineille. Esimerkiksi vuonna 2015 Euroopan lääkevirasto suositteli myyntiluvan myöntämistä 93 lääkkeelle, joista 39 (42 %) koski uutta vaikuttavaa ainetta. Kaikki käyttöaiheen laajennukset eivät kuitenkaan ole hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnin näkökulmasta merkittäviä.

Taulukko 3. EU:n keskitetyn menettelyn kautta myyntiluvan saaneet uudet vaikuttavat aineet, jotka ovat kaupan Suomessa.

	2012	2013	2014	2015
<b>Uusi vaikuttava-aine (n)</b>	22	28	24	26
<b>Lääkemuoto (n)</b>				
Tabletti/kapseli	11	18	14	11
Geeli	1			
Infuusio	4	3	4	5
Inhalaatio	1	1	2	
Injektio	5	5	3	10
Nenäsumute		1		
Oraalisuspensio			1	
<b>Harvinaislääke</b>				
Kyllä, n	5	4	7	9
<b>Tartuntatautiin hoitoon tarkoitettu lääke*</b>				
Kyllä, n	0	1	7	2

\* hepattiitti C, HIV, tuberkuloosi

Myyntilupatietojen perusteella Suomeen tulee kaupan noin 10–15 lääketta, jotka kuuluvat järjestämisvastuuseen ja jotka on tarkoitettu käytettäväksi pääasiallisesti julkisen terveydenhuollon sairaaloissa, lääkkeen pääasiallinen ostaja Suomessa on sairaala tai lääkkeen käyttö tai käyttökuntoon saattaminen edellyttää yleensä sairaalamaisia olosuhteita. Lisäksi on odotettavissa noin 5–10 merkittävää käyttöaiheen laajennusta. Näiden tietojen perusteella maassamme tarvitaan vuodessa 15–25 arviointia järjestämisvastuun piiriin kuuluvista lääkehoidoista.

Nykyresurssien (viisi henkilötyövuotta) Fimea pystyy tuottamaan enintään kymmenen arviointia vuodessa.

Mikäli Fimea tuottaa 15–25 arviointia vuodessa, siihen tarvittaisiin 10–12 henkilötyövuoden resurssi. HTA-toiminnan kokonaisrahoitustarve on siis 1,0–1,2 miljoonaa euroa. Tällöin yhden arvioinnin kokonaiskustannus olisi keskimäärin 50 000–60 000 €. Eurooppalaisessa selvityksessä yhden arviointiraportin tuottamisen kustannukseksi on arvioitu 30 000–100 000 € (ten Have ym. 2013).

Arviointitoiminnassa tarvitaan kokemusta tutkimusnäytön kriittisestä arvioinnista, tutkimusmenetelmistä ja mallintamisesta sekä taloudellisesta arvioinnista. Keskeisiä osaamisalueita ovat lääketalous- ja terveystaloustiede, epidemiologia sekä tilastollisten menetelmien tuntemus. Arviointitiimissä täytyy olla myös kliinistä osaamista.

## 8 SELVITETTÄVÄT ASIAT

Työryhmä näkemyksen mukaan tässä selvityksessä tehdyt ehdotukset (luku 5) on syytä arvioida uudelleen siinä vaiheessa, kun sosiaali- ja terveydenhuollon uudistukseen, monikanavarahoitukseen, lääkehuollon toteuttamiseen ja lääkehankintoihin liittyvät yksityiskohdat ovat tarkentuneet. Lisäksi työryhmä ehdottaa selvitettäväksi seuraavat asiat:

- Olisiko käytöstä poistamiseen tähtäävät arvioinnit tarkoituksenmukaista tehdä hoitosuosituksen yhteydessä? Käypä hoito -suositukset ovat merkittävä käytännön kliinisen tason päätöksentekoa ohjaava väline maassamme. Niiden merkitys hoitokäytäntöjen ohjaamisessa, jo pidempään käytössä olevien lääkkeiden osalta, on todennäköisesti suurempi kuin viranomaissuosituksen. Tämän takia suositukset vanhentuneiden hoitojen, mukaan lukien lääkehoidot, pois jättämisestä voisi olla perusteltua toteuttaa hoitosuosituksen avulla.
- Olisiko tarkoituksenmukaista, että Fimea antaa lausunnon hallitun käyttöönoton sopimusten sisällöstä ja toteutettavuudesta sekä seuraa sopimusten toteutumisesta. Lausunnot voisivat koskea arvioinnissa olevia tai jo arvioituja lääkehoitoja. Tämä siksi, että taloudellisen arvioinnin tulokset riippuvat pitkälti lääkkeen hinnasta ja hintatieto on oltava käytössä taloudellisessa arvioinnissa. Sopimukseen voi liittyä myös muita elementtejä (esim. potilasmäärät, hoidon vaikutukset, lisänäyttö), jotka määrittävät lääkkeen hoidollista ja taloudellista arvoa ja joita yleensä käsitellään lääkehoidon arvioinnissa. Sopimukset liittyvät myös lääkkeiden hankintamenettelyihin. Hallitun käyttöönoton sopimuksia on kuvattu yksityiskohtaisemmin **liitteessä 2**.

## LÄHTEET

- EMA and EUnetHTA: Cooperation between regulators and HTA bodies creates synergies. European Medicines Agency 14.4.2016:  
[http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Press\\_release/2016/04/WC500204827.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Press_release/2016/04/WC500204827.pdf)
- Euroopan Parlamentti. Options for improving access to medicines. European Parliament resolution 2016/2057(INI): <http://www.europarl.europa.eu/sides/getDoc.do?pubRef=-//EP//NONSGML+TA+P8-TA-2017-0061+0+DOC+PDF+V0//EN>
- Ferrario A, Kanavos P. Dealing with uncertainty and high prices of new medicines: a comparative analysis of the use of managed entry agreements in Belgium, England, the Netherlands and Sweden. Soc Sci Med. 2015;124:39-47.
- INAHTA (International Network of Agencies for Health Technology Assessment). HTA Glossary [siteerattu 24.3.2017]. <http://htaglossary.net/>
- Lampe K, Saalasti-Koskinen U. Näytön arviointi ja käyttö uusissa SOTE-rakenteissa. Vaihtoehtoja terveydenhuollon menetelmien arvioinnin järjestämisestä Suomessa. Sosiaali- ja terveystieteiden ministeriön raportteja ja muistioita 12/2017:12 (painossa).
- Puolijoki H, Rissanen P. Selvitys terveydenhuollon menetelmien arviointityön tarpeesta ja tulevaisuudesta Terveyden ja hyvinvoinninlaitoksessa. 10.5.2016:  
[www.thl.fi/documents/10531/2671150/Selvitys+terveydenhuollon+menetelmien+arviointity%C3%B6n+tarpeesta+ja+tulevaisuudesta+Terveyden+ja+hyvinvoinnin+laitoksessa/a1052a0d-44d9-4a10-885a-bfea2b680350](http://www.thl.fi/documents/10531/2671150/Selvitys+terveydenhuollon+menetelmien+arviointity%C3%B6n+tarpeesta+ja+tulevaisuudesta+Terveyden+ja+hyvinvoinnin+laitoksessa/a1052a0d-44d9-4a10-885a-bfea2b680350)
- Sosiaali- ja terveystieteiden ministeriö. Lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi. Sosiaali- ja terveystieteiden ministeriön selvityksiä 2007:68.
- ten Have, Oortwijn W, Broos P, Nelissen E. European Cooperation on Health Technology Assessment. Economic and governance analysis of the establishment of a permanent secretariat. ECORYS 2013.  
[http://ec.europa.eu/health/sites/health/files/technology\\_assessment/docs/study\\_ecorys\\_european\\_cooperation\\_hta\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/health/sites/health/files/technology_assessment/docs/study_ecorys_european_cooperation_hta_en.pdf).
- Teutsch SM, Berger ML. Evidence synthesis and evidence-based decision making: related but distinct processes. Med Decis Making. 2005;25:487-9.
- World Health Organization (WHO). Challenges and opportunities in improving access to medicines through efficient public procurement in the WHO European Region. WHO Regional Office for Europe 2016. [www.euro.who.int/en/health-topics/Health-systems/health-technologies-and-medicines/publications/2016/challenges-and-opportunities-in-improving-access-to-medicines-through-efficient-public-procurement-in-the-who-european-region-2016](http://www.euro.who.int/en/health-topics/Health-systems/health-technologies-and-medicines/publications/2016/challenges-and-opportunities-in-improving-access-to-medicines-through-efficient-public-procurement-in-the-who-european-region-2016)

# LIITTEET

Liite 1. Yhteenvedo erityisvastuualueiden lääkearviointitoiminnasta (uudet kalliit sairaalalääkkeet). Koottu lääkeryhmien haastattelujen pohjalta, Ulla Härkönen / Fimea 2015.

	<b>HUS</b>	<b>KYS</b>	<b>TAYS</b>	<b>TYKS</b>	<b>OYS</b>
<b>Ryhmän kokoonpano</b>	Kliininen lääkearvointiryhmä, jossa 10 jäsentä	Kalliiden uusien lääkkeiden arviointi on osa lääkevalio-kunnan toimintaa: HaYL + 7 erikoisalalan edustajat.	Lääketyöryhmä, jossa 15 jäsentä. Ryhmän kokoonpano on julkinen.	Kalliiden uusien lääkkeiden arviointi on osa LNK:n toimintaa (JYL:n ohje)	ARYL + arviointiryhmä
<b>Kustannus, jonka ylityksessä arviointi tehdään</b>	Hoidon kustannukset >50 000 eur/v. Aihevalintaan voi vaikuttaa myös esim. turvallisuusnäkökulmat	Budjettirajaa ei ole vaan kaikille uusille lääkevalmisteille tehdään esitys käyttöönotosta	Budjettirajaa ei ole vaan kaikille uusille lääkevalmisteille tehdään esitys käyttöönotosta	>50 000 eur/hoitajakso	budjettivaikutus >35 000 eur/v verrattuna entiseen menetelmään
<b>Arviointitoiminta</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Ehdotuksen tekijä (kliiniko/TAJ/JYL) täyttää mini-HTA-lomakkeen</li> <li>sihteeri katsoo esitetytyn lomakkeen, käy läpi keskeiset julkaisut</li> <li>Kokouksessa aiheen esittely + keskustelua, tehdään suositus</li> <li>JYL tekee suosituksen pohjalta päätöksen</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Uuden lääkkeen hankintaehdotus tulee klinikalta, ehdotuksen tekijä täyttää kirjallisen perustelulomakkeen</li> <li>Tietoa päätöksenteon tueksi tieteellisistä julkaisuista ja tietokannoista (esim. NICE, Micromedex)</li> <li>Huom. klinikoiden ylilääkäreillä on valtuudet tehdä yksittäistä tai korkeintaan muutamaa potilasta koskevat potilaskohtaiset päätökset uuden lääkkeen käytöstä. Mikäli näyttää, että lääkkeen tarve on runsaampaa, harkitaan sen ottamista peruslääkevalikoimaan.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Käytössä mini-HTA-lomake</li> <li>Ennen lääketyöryhmän käsittelyä lääkkeen käyttöönotolle on oltava VAJ:n ja TAJ:n hyväksyntä. Varsinaisen käyttöönotto-päätöksen tekee lääketyöryhmä. Mikäli päätöksellä on kiire, ryhmän pj tai JYL voi yksin tehdä alustavan käyttöönottopäätöksen.</li> <li>Päätös koskee vain sitä toimialaa, joka tehnyt aihe-ehdotuksen (ei koko sairaalaa tai erä-alueita)</li> <li>Onkologian alalla tavoitteena, että suositukset (ei päätökset) olisivat yhteneväisiä koko erä-alueen sisällä</li> <li>Päätös voi olla ehdollinen, esim. lupa käyttää lääkettä vain x-määrälle potilaita</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Aihe-ehdotus klinikolta</li> <li>Taustamateriaalina EMA:n paperit + kliiniset julkaisut</li> <li>Voidaan hyödyntää kliinisen farmakologian konsultaatiopalvelua</li> <li>Keskustellaan esityksen tehneen klinikon kanssa esim. hoidon kohdentamisesta, potilasmäärästä jne.</li> <li>Arvioinnin pääpaino kliinisessä vaikuttavuudessa ja turvallisuudessa (talousnäkökulma sivuroolissa)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Ehdotuksen tekijä täyttää mini-HTA-lomakkeen, joka toimitetaan VAJ:lle tai TAJ:lle, edelleen ARYL:lle</li> <li>Käsitellään 1-2kk kuluessa ARYL:n tai arviointiryhmän toimesta</li> <li>ARYL laatii päätösesityksen, jonka pohjalta kunkin shp:n JYL tekee oman päätöksensä</li> <li>Menettely ei koske lääkkeitä, joista on olemassa Fimean HTA-arviointi, EUnetHTA:n arviointi tai HILA:n päätös</li> </ul>
<b>Seuranta</b>	2 v:n kuluttua kirjallinen seurantaraportti. Lisäksi yksittäisissä päätöksissä voidaan edellyttää potilaskohtaista hoidon vaikuttavuuden seuranta esim. 3kk hoidon aloituksesta.	Sairaala-apteekki seuraa arvioinnin kohteena olleiden lääkkeiden kulutusta.	Sairaala-apteekki seuraa arvioinnin kohteena olleiden lääkkeiden kulutusta.	Sairaala-apteekki seuraa arvioinnin kohteena olleiden lääkkeiden kulutusta kuukausittain, ja tilanteesta informoidaan keskeisiä erikoisalajoja (esim. onkologia).	12 kk:n kuluttua ARYL:lle raportti, josta käy ilmi hoidettujen potilaiden määrä, alustavat hoitotulokset ja toteutuneet kustannukset. Seuranta tehdään myös sairaala-apteekin kulutustilastojen perusteella.

ARYL: arviointiylilääkäri; HaYL: hallintoylilääkäri; JYL: johtajaylilääkäri; LNK: lääkeneuvottelukunta; TAJ: toimialan johtaja; VAJ: vastuualuejohtaja

## LIITE 2. HALLITUN KÄYTTÖÖNOTON SOPIMUKSET

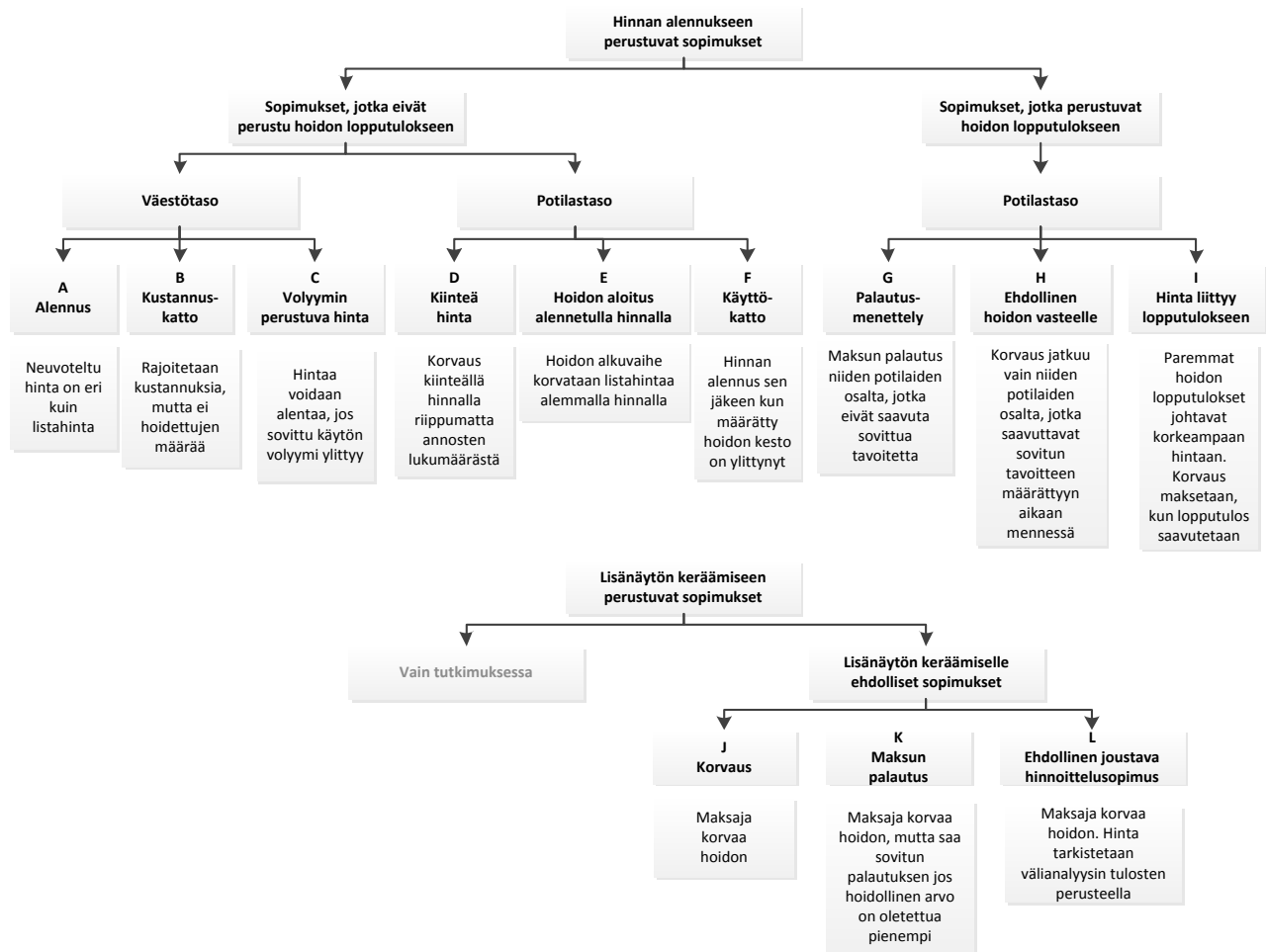
Tilanteissa, joissa lääkkeen hoidolliseen tai taloudelliseen arvoon liittyy merkittävää epävarmuutta tai lääkkeen kustannukset ovat kohtuuttomat hoidolla saavutettuun hyötyyn verrattuna, voi olla tarkoituksenmukaista sopia lääkkeen käyttöön otosta erillisellä sopimuksella. Yksittäisiä sopimuksia on jo tehty sairaanhoitopiirien ja lääkeyritysten välillä. Sopimuksista ei kuitenkaan Suomessa vielä ole merkittävää kokemusta, ja niiden käyttöön voi liittyä riskejä ja lainsäädännöllisiä rajoitteita.

Hallitun käyttöön oton sopimukset voidaan jakaa esimerkiksi lisänäytön keräämiseen perustuviin tai taloudellisiin sopimuksiin (**kuvio**). Lisänäytön keräämiseen liittyvät sopimukset ja taloudelliset sopimukset eivät ole toisiaan poissulkevia. Samassa sopimuksessa voi olla kummankin sopimustyyppin piirteitä. Hallitun käyttöön oton sopimuksissa yhdistyvät kannanotot, hintaneuvottelut, arviointitoiminta ja lisänäytön kerääminen. Kansainväliset esimerkit osoittavat, että hallitun käyttöön oton sopimukset ovat tehokas tapa lääkehuollon kustannusten kasvun hillitsemiseksi.

Sekä arvioinnissa että kannanotoissa käytettyjä lähestymistapoja on tarpeen muokata, mikäli näiden sopimusten tekeminen yleistyy myös Suomessa. Sopimukset vaikuttavat esimerkiksi taloudellisen arvioinnin toteuttamiseen. Lisäksi tulisi pohtia, miten mahdollinen sopimukseen liittyvä lisänäytön kerääminen järjestetään mahdollisimman tehokkaasti ja tarkoituksenmukaisesti.

Alkuvaiheessa sopimukset voisivat olla yksinkertaisia taloudellisia sopimuksia. Tarvittaessa sopimukseen voidaan liittää lisänäytön keräämisvelvoite, mutta alkuvaiheessa hinnoittelua ei kannata kytkeä kerättyyn lisänäyttöön. Alkuvaiheen sopimukset kannattaisi keskittää kuvion 4 a, b ja c -haaran mukaisiin sopimuksiin. Lisänäytön keräämisen myötä syntyneiden kokemusten ja infrastruktuurin kehittymisen myötä voi olla hyödyllistä ottaa sopimusvalikoimaan myös kuvion 4 d, e ja f -haaran mukaiset sopimukset. Mikäli näistä saadut kokemukset ovat eri osapuolten näkökulmasta onnistuneita ja tiedon keräämisen infrastruktuuri aidosti mahdollistaa sen, voidaan harkita kuvion 4 g, h ja i -haaran mukaisia sopimuksia. Tällöinkin tulee huomioida, että tällaisten sopimusten hallinnointi ja toteutumisen seuranta voi lisätä hallinnollista taakkaa ja vaatia huomattavasti resursseja myös hoitohenkilökunnalta.





Kuvio. Hallitun käyttöön oton sopimukset.

Muokattu lähteestä: Grimm S, Strong M, Brennan A, Wailoo A. Framework for analysing risk in health technology assessments and its application to managed entry agreements. Report by the decision unit (University of Sheffield).

<http://www.nicedsu.org.uk/DSU%20Managed%20Access%20report%20FINAL.pdf>