

Sairaalalääkkeiden arviointitoiminnan kehittäminen

Työryhmän raportti

Julkaisun Lääkehoidon ohjaus ja rahoitus: Kehittämisen
suuntaviivat Liite 2

Sisältö

1	Selvitystyön toteutus	5
1.1	Työskentely ja jäsenet.....	5
1.2	Tehtävän määrittely ja rajaukset	6
2	Aiemmat selvitykset ja linjaukset.....	7
2.1	Professori Ruskoahon raportti 2018.....	7
2.2	Kansallisen terveydenhuollon palveluvalikoiman määrittäminen 2020.....	8
2.3	Lääkealan tiekartta 2020.....	9
2.4	Monikanavarahoituksen purkamisen virkamiesselvitys 2021	11
2.5	Monikanavarahoituksen purkamisen parlamentaarinen työryhmä 2021	11
2.6	Monikanavarahoituksen purkamisen tiekartta 2022	12
3	Määritelmiä.....	13
3.1	Sairaaläläkkeen määritelmä	13
3.2	Arvioinnin tarkoituksesta ja käytöstä	13
4	Terveydenhuollon menetelmien arvioinnin nykytila.....	15
4.1	Sairaaläläkkeet.....	15
4.1.1	Sairaaläläkkeiden arviointia koskeva lainsäädäntö	15
4.1.2	Fimean arviointiraportti	15
4.1.3	Palkon suositus	17
4.1.4	Kansallinen hintaneuvottelu.....	19
4.1.5	Sairaaläläkkeiden arvioinnin kokonaiskesto	20
4.1.6	Muut arvioinnit	20
4.2	Avohoidon lääkkeet.....	21
4.2.1	Kelan rooli Hilan käsittelyprosessissa ja päätösten toimeenpanossa	22
4.3	Terveydenhuollon laitteet	23
5	Nykytilan arviointia.....	24
6	EU:n HTA-asetus	26
6.1	Soveltaminen laajenee portaittain	26

6.2	Koordinointiryhmä	26
6.3	Yhteinen kliininen arviointi.....	27
6.4	Arvioinnin toteutus.....	27
6.5	Arviointiraportti ja jäsenmaat.....	28
6.6	Yhteiset tieteelliset kuulemiset	29
6.7	Kehitteillä olevien terveysteknologioiden kartoittaminen (Horizon scanning).....	29
6.8	Muuta HTA-asetuksesta.....	29

7 Avo- ja sairaalalääkkeiden arviointitoiminnan lähentämisen näkökulmia.....30

7.1	Hakemusperusteinen vai viranomaisaloitteinen arviointi.....	30
7.2	Budjettirahoitus vai käsittelymaksuperusteinen rahoitus.....	31
7.3	Hoidollisen arvon arvioinnin perusteet	32
7.4	Arvioinnin sitovuus ja pakollisuus.....	32
7.5	Arviointi lääkkeen elinkaaren eri vaiheissa.....	33
7.6	Harvinaislääkkeet.....	34
7.7	Lääkkeen off label -käyttö ja erityislupavalmisteet	35
7.8	Lääkeyhdistelmien arviointi.....	36
7.9	Lääkkeen ja laitteen yhdistelmän arviointi.....	37
7.10	Arvioinnin ja hankinnan yhteensovittaminen	37
7.11	Työryhmän johtopäätökset arvioinnin lähentämisen näkökulmista	38

8 Työryhmän johtopäätökset.....39

8.1	Tavoitetila.....	39
8.2	Arviointijärjestelmän organisointivaihtoehtoja	39
8.3	Kansallisen arviointiprosessin sovittaminen HTA-asetuksen prosessiin	41
8.3.1	Yhteinen tieteellinen kuuleminen (Joint Scientific Consultation) (artiklat 16–21).....	42
8.3.2	Kehitteillä olevien terveysteknologioiden kartoittaminen (Horizon scanning) (artikla 22)	43
8.3.3	Vuosittainen työohjelma (artikla 6)	43
8.3.4	Yhteisen kliinisen arvioinnin käynnistäminen (artikla 8).....	44
8.3.5	Yhteisen kliinisen arvioinnin toteuttaminen (artiklat 9–11).....	44
8.3.6	Yhteisen kliinisen arvioinnin saattaminen päätökseen (artikla 12)	46
8.3.7	Jäsenmaiden oikeudet ja velvoitteet (artikla 13).....	46

8.3.8	Yhteisten kliinisten arviointien päivittäminen (artikla 14)	47
8.3.9	Työryhmän arvio HTA-asetuksen vaikutuksista	48
8.4	Kansalliset arviointiprosessit	49
8.4.1	Yhteisen kliinisen arvioinnin jälkeinen kansallinen arviointi ja päätöksenteko	49
8.4.2	Kansallisen arvioinnin käynnistäminen	50
8.4.3	Kansallisen arvioinnin toteuttaminen	51
8.4.4	Kansallinen arviointi ja hinnan huomioiminen/hintaneuvottelut	51
8.4.5	Kansallinen päätöksenteko.....	52
8.4.6	Täytäntöönpano / käyttöönotto	53
8.4.7	Kansalliset päivitykset	53
8.5	Nykyiset arviointiprosessit uusien prosessien rinnalla	54
8.6	Keskeiset HTA-asetuksen vaikutukset ja siitä johtuvat muutos- ja kehittämistarpeet.....	55

1 Selvitystyön toteutus

1.1 Työskentely ja jäsenet

Lääkeasioiden tiekartan poikkihallinnollisen koordinaatioryhmän alainen lääkehoidon ohjaus- ja rahoitusjaos perusti syksyllä 2021 työryhmän selvittämään sairaalalääkkeiden arviointitoiminnan kehittämistä. Työryhmän kokoonpano oli seuraava:

- Reima Palonen (pj) STM/Palko
- Reeta Talka (jäsen 30.11.2022 saakka), Kati Sarnola (jäsen 1.12.2022 alkaen) /Katarina Klintrup (varajäsen), Kela
- Vesa Kiviniemi (jäsen), Fimea
- Sirkku Pikkujämsä (jäsen) /Merituuli Mähkä (varajäsen), STM/APO
- Jaana Martikainen (jäsen) /Kristiina Kaste (varajäsen), STM/Hila
- Anna-Kaisa Parkkila (jäsen), FinCCHTA
- Petra Kokko (jäsen 31.12.2022 saakka), THL
- Aleks Westerholm (sihteeri), STM/TUTO.

Miia Turpeinen FinCCHTA:sta osallistui yhteen kokoukseen asiantuntijana. Työryhmä kokoontui 12 kertaa 8.12.2021 ja 8.2.2023 välisenä aikana. Työryhmä sopi ensimmäisessä kokouksessaan, että sekä jäsenet että varajäsenet saavat osallistua työryhmän työskentelyyn yhdenvertaisesti.

Työryhmän kokousten lisäksi EU:n HTA-asetuksen toimeenpanoa käsiteltiin kahdessa ylimääräisessä pienryhmän kokouksessa, joihin osallistui asiantuntijoita STM:stä, Fimeasta ja FinCCHTA:sta.

1.2 Tehtävän määrittely ja rajaukset

Työryhmän tehtävänä oli kuvata sairaalalääkkeiden arviointitoiminnan kehittämistarpeet sekä ehdottaa, kuinka toimintaa voitaisiin kehittää. Keskeisenä syynä työryhmän perustamiseen oli EU:n HTA-asetuksen (Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EU) 2021/2282 terveysteknologian arvioinnista ja direktiivin 2011/24/EU muuttamisesta) säätäminen (ks. tarkemmin kohta 6). Työryhmä totesi ensimmäisessä kokouksessaan, että sen tulee työssään ottaa huomioon lääkealan kehittämistä koskevat linjaukset, kuten lääkealan tiekartta ja monikanavarahoituksen purkamista koskeva parlamentaarisen työryhmän mietintö, sekä selvityksissä esitetyt näkemykset (ks. kohta 2). Lisäksi työryhmä on todennut, että termi ”arviointitoiminta” sisältää tässä yhteydessä sekä arvioinnin että sen tulosten perusteella tapahtuvan päätöksenteon.

Koska lääkehoitojen ohjauksen ja rahoituksen kehittämisen yhdeksi tavoitteeksi on asetettu avo- ja sairaalalääkkeitä koskevien periaatteiden ja menettelyjen lähentäminen, työryhmä totesi, ettei se voi työssään keskittyä ainoastaan sairaalalääkkeisiin. Lääkehoidon ohjaus- ja rahoitusjaos linjasi maaliskuun 2022 sote-ministerityöryhmän mukaisesti, että avo- ja sairaalalääkkeiden rahoittajatahon muuttuessa on pääosin samaksi vuodesta 2026 alkaen (hyvinvointialue) (ks. tarkemmin kohta 2.6), tavoitteena on, että lääkkeen käyttöympäristöstä riippumatta, tulisi lääkkeitä käyttää samojen periaatteiden mukaisesti.

Työryhmä rajasi työnsä ulkopuolelle varsinaiset arviointiperiaatteet. Sen sijaan tarkasteltiin edellytyksiä, joiden puitteissa tavoite mahdollisimman yhtenäisistä periaatteista voisi toteutua. Myös sairaalalääkkeiden hankintamenettely rajattiin tarkastelun ulkopuolelle, mutta arvioinnin ja hankinnan yhteensovittaminen sisällytettiin käsiteltäviin aiheisiin. Lisäksi työryhmän työn ulkopuolelle rajattiin tartuntatautilain nojalla annettavat lääkkeet ja rokotteet.

Työryhmän toimeksianto koski ainoastaan lääkkeitä. HTA-asetuksen nojalla voidaan arvioida myös terveydenhuollon laitteita. Tämän vuoksi työryhmä on lääkkeiden arvioinnin kehittämistä selvittäessään pitänyt silmällä myös mahdollisuutta arvioida laitteita mahdollisimman yhdenmukaisesti lääkearviointien kanssa.

2 Aiemmat selvitykset ja linjaukset

2.1 Professori Ruskoahon raportti 2018

Professori Heikki Ruskoaho selvitti sosiaali- ja terveysministeriön pyynnöstä lääkekorvausjärjestelmän kehittämistä . Ruskoahon keskeiset ehdotukset olivat:

1. Yhtenäinen kansallinen lääkkeiden hoidollisen arvon arviointi ja kustannusvaikuttavuusarviointi tulisi tehdä kattavasti kansallisella tasolla kaikille lääkkeille lääkemuodosta (per os, iv) riippumatta. Erityinen peruste tälle on potilaiden yhdenvertainen mahdollisuus vaikuttavaan, turvalliseen, kohtuuhintaiseen ja innovatiiviseen lääkehoitoon.
2. Sekä avohuollon reseptilääkkeiden, että sairaalalääkkeiden hoidollisen arvon arviointitoiminta ja päätöksenteko olisi tarkoituksenmukaista yhdistää yhteen yksikköön (lautakuntaan). Lautakunnan luonteva sijoituspaikka olisi lääkevirastoksi muutettava Fimea.
3. Kelan tehtävänä on edelleen tehdä päätökset korvausoikeuksien edellytyksistä ja asiakkaiden korvausoikeuksista lautakunnan päätösten perusteella. Sekä lääkekorvausjärjestelmää että Kelan toimeenpanojärjestelmää olisi kehitettävä huomioimaan nykyistä paremmin hyvän hoitokäytännön mukainen lääkehoito, erityiset hoidolliset perusteet ja yksilöllisen lääkehoidon tarpeet potilaiden eriarvoisuuden vähentämiseksi.
4. Ehdollisen korvattavuuden malli tulisi vakinaistaa ja ottaa käyttöön erityisen kalliiden ja innovatiivisten lääkkeiden hallittuna käyttöönottona myös sairaaloissa. Ehdollisen korvattavuuden malli tarjoaisi mahdollisuuden myös harvinaissairauksien lääkkeiden korvattavuuden kansalliseen arviointityöhön, käyttöönottoon ja hankitaan sekä yhdenvertaisuuden varmistamiseen alueiden välillä.
5. Eräiden vaikeiden ja pitkäaikaissairauksien sairauksien siirtoa alemmasta (65 %) ylempään erityiskorvausluokkaan (100 %) tulisi harkita, koska ne muihin ylemmän erityiskorvausluokan sairauksiin verrattuna siihen luokkaan kuuluisivat. Ehdotan myös, että korvattavuuden edellytyksiä tulisi ajantasaistaa muuttuvan lääkehoidon ja hyvän hoitokäytännön mukaisiksi ja että Kelan asiantuntijalääkärit seuraisivat nykyisten sairauksien luokittelun ajantasaisuutta lääkehoidon kehittyessä.
6. Rahoituksen osalta valtion osuus lääkekorvausten rahoituksesta Sosiaali- ja terveystalouden uudistuksen yhteydessä olisi hyvä siirtää maksuvastuulliselle maakunnalle yleiskatteellisena. Tällöin maakunnille muodostuisi kannuste hallita lääkekustannuksia ja ohjata lääkkeen määräämistä (edulliset valmisteet, viitehintajärjestelmään kuuluvat

valmisteet ja biosimilaarit) alueillaan kustannusvaikuttavasti, ja samalla myös lääkkeen määräjien kustannustietoisuus lisääntyisi.

7. Lääkekorvausjärjestelmän kehittämisen ohella lääkkeenmääräämisen ohjaamista tulee kehittää valtakunnallisesti ja alueellisesti kustannusvaikuttavaan suuntaan. Parhaiden hoitokäytäntöjen mukaisen lääkkehoidon toteutumista tulee voida seurata indikaattorien avulla. Lääkkeiden määräämiskäytäntöihin vaikuttamiseksi palautejärjestelmää tulee kehittää.

2.2 Kansallisen terveydenhuollon palveluvalikoiman määrittäminen 2020

Professori Minna Kaila ja apulaisprofessori Mirva Lohiniva-Kerkelä selvittivät STM:n toimeksiannosta kansallinen terveydenhuollon palveluvalikoiman määrittämisen periaatteita, rakennetta ja kehittämismahdollisuuksia. Selvityksessä todetaan, että terveydenhuollon palveluvalikoiman menetelmien tulee olla kustannusvaikuttavia, turvallisia ja vastata yhdenvertaisesti väestön lääketieteellisesti perusteltuihin tarpeisiin. Terveydenhuollossa käytetään lukuisia menetelmiä, joiden arviointi ja käyttöönotto vaihtelevat. Palveluvalikoiman sääntelyjärjestelmä on monitahoinen ja tulkinnanvarainen. Valikoimaan vaikuttavia suosituksia antaa moni taho, ja suositusten perusteet tai laatimisen kriteerit ovat epäyhteneväisiä. Päätöksiä tehdään kaikilla tasoilla: valtionhallinnossa, kunnissa, sairaanhoitopiireissä ja hoitolaitoksissa. Niitä tekee myös yksittäinen lääkäri, hammaslääkäri ja muu ammattilainen.

Kailan ja Lohiniva-Kerkelän pääehdotukset olivat:

1. Järjestelmän pohjana olevat arvot tulee määritellä kansallisesti.
2. Palveluvalikoimaan kuulumisen yleiset periaatteet, valikoitumisen kriteerit ja prosessit tulee määritellä täsmällisemmin lainsäädännössä.
3. Palveluvalikoimaneuvoston itsenäistä asemaa kansallisten suositusten antajana tulee selkeyttää ja vahventaa. Suositusten suhde muihin palveluvalikoimaa määrittäviin suosituksiin tulee selkiyttää.
4. Suositusten laadinnan rakennetta voidaan kokeilla ja arvioiden kehittää verkostomaiseksi. Palko arvioi ja antaa kansalliset palveluvalikoimasuosituksset.

2.3 Lääkealan tiekartta 2020

Virkamiesmuistiossa Näkökulmia lääkehoitoon ja lääkkeiden jakeluun liittyvistä muutostarpeista (ns. Lääkealan tiekartta) ehdotettiin seuraavia linjauksia jatkovalmisteluun kehittämiskokonaisuuksien ja tarvittavien erillisselvitysten pohjaksi:

1. Maakunnille rahoitusvastuuta avoterveydenhuollon lääkehoidosta. Maakuntien osittainen rahoitusvastuu avoterveydenhuollon lääkehoidosta kannustaisi maakuntia ottamaan huomioon palveluja järjestettäessä sekä lääkehoidon kustannukset, että oman toiminnan vaikutukset julkiselle taloudelle aiheutuviin kokonaiskustannuksiin. Riski osaoptimointiin sairaala- ja avohoidon lääkkeiden välillä sekä lääkehoidon ja lääkkeettömän hoidon välillä vähenisi, kun kustannuksia ei olisi mahdollista siirtää toiselle rahoittajalle. Lisäksi rahoitusvastuu kannustaisi seuraamaan ja kehittämään lääkehoitoprosesseja, ohjaamaan lääkkeen määräämistä kansallisten linjausten mukaisesti ja seuraamaan ja arvioimaan lääkehuollon palveluita (saavutettavuus, riittävyys, asiakaspalaute).
2. Kansallisen ohjauksen vahvistaminen
 - Lähtökohdat
 - Tavoitteena järkevä lääkkeiden käyttö ja kustannusten hallinta
 - Kansallista ja alueellista ohjausta- sekä rahoitusjärjestelmää tulee kehittää kokonaisuutena, mikä muodostaa perustan järkevälle lääkkeiden käytölle
 - Valtakunnallinen lääkekorvausjärjestelmä säilytetään ja Kela toimii kansallisena lääkekorvausjärjestelmän toimeenpanijana
 - Kaikkien menetelmien arviointitoimintaa tulisi kehittää. Lääkkeiden arviointitoimintaa sekä sen laatua ja osaamista kehitetään resursseja ja yhteistyötä vahvistamalla
 - Sairaala- ja avoterveydenhuollon lääkkeiden arviointitoimintaa yhteensovitetaan
 - Uusien lääkkeiden käyttöönottoon liittyvien epävarmuuksien hallinta edellyttää innovatiivisia toimintamalleja (hallitun käyttöönoton mallit)
 - Kansallista lääkekorvausjärjestelmää ja sen ohjausvaikutuksia tulisi tarkastella osana sote-järjestelmän ohjauksen kokonaisuutta
3. Alueellisen ohjauksen muodostuminen
 - Lähtökohdat
 - Tavoitteena järkevä lääkkeiden käyttö ja kustannusten hallinta
 - Kansallista ja alueellista ohjausta- sekä rahoitusjärjestelmää tulee kehittää kokonaisuutena, mikä muodostaa perustan järkevälle lääkkeiden käytölle
 - Valtakunnallinen lääkekorvausjärjestelmä säilytetään ja Kela toimii kansallisena lääkekorvausjärjestelmän toimeenpanijana

- Alueellisen ohjauksen muodostuminen ei tarkoita kaksiportaista arviointitoimintaa lääkkeiden käyttöönololle
 - Maakunnan tehtävästä seurata ja ohjata lääkehoidon vaikuttavuutta, turvallisuutta, laatua, yhdenvertaisuutta ja taloudellisuutta alueellaan olisi säädettävä tarkemmin
 - Maakunnan ohjaustehtävä lääkehoidossa tulee yhteen sovittaa kansalliseen ohjaustoimintaan
 - Kansallinen tuki alueellisen ohjauksen muodostumisessa tulee varmistaa
4. Tiedonhallinnan ja digitaalisten työkalujen kehittäminen
- Lähtökohdat
 - Lääkehoidon tietotuotanto perustuu kertakirjaamisen periaatteen
 - Tiedon harmonisointi mahdollistaa tiedon poiminnan ja yhdistämisen hyödyntäen eri tietovarantoja esim. tiedolla johtamisen, päätöksenteon, ohjauksen ja valvonnan tarkoituksiin
 - Turvataan lääkehoidon kansallisen ja alueellisen tason ohjaustarpeisiin riittävä tietopohja ja edistetään tiedon harmonisointia
 - Lääkehoidon kustannustiedon saaminen edellyttää järjestelmien kehitystä.
 - Toistaiseksi tarvitaan erillistä tiedonkeruuta. Kansallista tiedon yhteen toimivuutta ja raportointia tulisi uudistaa siten, että erilliskeruista voidaan luopua
 - Varmistetaan toimivat digitaaliset rationaalista lääkehoitoa tukevat työkalut eri käyttötarkoituksiin (ohjaus, järjestäminen, tuottaminen, ammattihenkilö, kansalainen)
5. Kustannusvaikuttavan lääkehoidon edistäminen useilla toimenpiteillä.
- Lähtökohdat
 - Apteekkitoimintaa on tarkasteltava osana terveydenhuoltoa
 - Lääkkeiden saatavuus on turvattava
 - Lääkkeiden vähittäisjakelun laatuvaatimuksia on vahvistettava
 - Lääkkeiden käyttäjän aseman turvaaminen edellyttää hintasääntelyä, mikä antaa jatkossakin raamit kilpailulle
 - Haetaan rahoitukseen tasapainoa lääkkeen elinkaaren nykyistä tehokkaammasta hyödyntämisestä
 - Kehitetään sairaalalääkkeiden hankintamenettelyä
 - Uudistetaan apteekkitaloutta, mikä edellyttää lääkkeen vähittäishinnan muodostumisen ja vähittäisjakelun tarkastelua eli apteekkijärjestelmän arviointia kokonaisuutena. Kehittämistarpeet tunnistetaan lääkkeiden käyttäjien sekä yhteiskunnan näkökulmasta ja muutosten vaikutuksia arvioidaan kattavasti ennen linjausten ja keinojen määrittämistä

2.4 Monikanavarahoituksen purkamisen virkamiesselvitys 2021

Monikanavarahoituksen purkamista käsitelleen virkamiesselvityksen mukaan lääkekorvausten rahoituksen vaihtoehtoja arvioitaessa tulisi ottaa huomioon, että eräitä nykyiseen lääkekorvausjärjestelmään sisältyviä kokonaisuuksia tulisi jatkossakin säädellä ja toteuttaa yhdenmukaisesti kansallisella tasolla mallista riippumatta. Tällaisia asioita olisivat:

- korvausjärjestelmän rakenne mukaan lukien lääkkeiden käyttäjiltä lääkkeitä perittävät omavastuuosuudet
- lääkkeiden korvattavuuden ja hintasääntelyn periaatteet
- lääkkeiden hinnoitteluperiaatteet
- korvausjärjestelmän toimeenpano
- lääkkeiden suorakorvausmenettely
- lääkkeiden jakelu
- kansalliset tietojärjestelmät (mukaan lukien tietovarannot)

Lääkehoitojen rahoitusjärjestelmää uudistettaessa tulisi samanaikaisesti kehittää myös alueellista ja kansallista ohjausjärjestelmää ja siten edistää lääkkeiden järkevää käyttöä. Lääkehoito on kiinteä osa terveydenhuollon hoitokokonaisuutta ja hoitovaihtoehdon valintaa eivät saa ohjata rahoitusjärjestelmät. Nykyjärjestelmän haasteena on, että se luo kannusteita siirtää hoidosta aiheutuvia kustannuksia toisen rahoittajan maksettavaksi ja voi siten vaikuttaa hoitovaihtoehdon valintaan. Nykyisin lääkkeiden järkevää käyttöä edistävä kansallinen ja alueellinen ohjaus on vähäistä ja avohoidossa lääkkeiden määräämistä ohjaa pääasiassa lääkekorvausjärjestelmä. Lisäksi laitos- ja avohoidon lääkkeiden erilaiset sääntelyjärjestelmät voivat johtaa rajapintaongelmiin ja siihen, että lääkkeiden käyttäjät eivät ole yhdenvertaisessa asemassa eri alueilla. Lääkehoitojen arviointitoimintaa ja lääkkeiden sisällyttämistä julkiseen palvelualikoimaan tai kansalliseen lääkekorvausjärjestelmään tulee kehittää niin, että lääkettä tarvitseville turvataan tehokkaat, turvalliset ja kustannusvaikuttavat lääkehoidot.

2.5 Monikanavarahoituksen purkamisen parlamentaarinen työryhmä 2021

Monikanavarahoituksen purkamisen parlamentaarisen työryhmän loppuraportissa todettiin, että lääkekorvausjärjestelmää kehitetään sosiaali- ja terveysministeriön julkaiseman lääkealan tiekartan (2019:5) suuntaviivojen mukaisesti usean hallituskauden

ajan. Lääkealan tiekartassa on ehdotettu, että valtakunnallinen lääkekorvausjärjestelmä säilytettäisiin avohuollon lääkkeissä ja julkisissa sekä yksityisissä terveyspalveluissa tehdyt lääkemääräykset olisivat korvattavia samoin periaattein. Tässä yhteydessä on tarpeen jatkoselvittää valtion rahoitusosuuden muutosta sekä muita lääkekorvausjärjestelmän uudistamistarpeita, kuten avo- ja laitoshoidon rajapintatilanteita.

2.6 Monikanavarahoituksen purkamisen tiekartta 2022

Sote-ministeriryhmä linjasi, että lääkekorvausten osalta rahoitusvastuuta siirretään hyvinvointialueille vuonna 2026 ja toimeenpanon kokonaisuudesta vastaisi edelleen Kela. Tämä tarkoittaisi, että valtion 67 prosentin osuus siirretään osaksi hyvinvointialueiden yleiskatteellista rahoitusta ja Kela laskuttaisi hyvinvointialueita. Palkansaajien vakuutusmaksujen 33 prosentin rahoitusosuus jäisi ennalleen. Lääkehoitojen järjestämisvastuisiin ei tulisi muutoksia, eikä muutos vaikuttaisi lääkkeiden korvattavuuteen.

3 Määritelmiä

3.1 Sairaalalääkkeen määritelmä

Sairaalalääkkeelle ei ole olemassa täsmällistä, yksiselitteistä määritelmää. Tyypillisesti sairaalalääkkeenä pidetään lääkettä, jonka annostelu tai käyttökuntoon saattaminen edellyttää sairaalamaisia olosuhteita (joko poliklinikalla tai osastolla). Suomessa näitä lääkkeitä käytetään pääasiassa julkisen terveydenhuollon sairaaloissa, jolloin ne sisältyvät potilaan maksamaan asiakasmaksuun. Tällöin sairaalaa ylläpitävä taho huolehtii niiden hankinnasta.

Terveydenhuoltolain 68 § säätelee, mitkä lääkkeet kuuluvat hoitavan yksikön vastuulle. Edellä todetusta seuraa, että jako avo- ja sairaalalääkkeisiin on sidoksissa myös rahoitusjärjestelmään ja siten kansallinen. Esimerkiksi HTA-asetuksessa tällaista jakoa ei ole.

On huomattava, että edellä oleva määritelmä ei kata kaikkia hoitolaitoksissa käytettäviä lääkkeitä, vaan niissä käytetään myös lääkkeitä, jotka avohoidossa hankittaisiin apteekista (lääkkeen käyttö ei edellytä sairaalamaisia olosuhteita) ja joista suurin osa avohoidossa on sairausvakuutuslain nojalla korvattavia. Toisaalta oikeus sairausvakuutuskorvaukseen voidaan hakea myös sairaalamaisia olosuhteita edellyttävälle lääkkeelle yksityisessä hoitolaitoksessa tapahtuvaa käyttöä varten.

Viime kädessä se, luokitellaanko lääke sairaala- vai avohoitolääkkeeksi, tulee ratkaista tapauskohtaisesti. Lääkkeen käyttöohje ja siten sen luokittelu voi myös muuttua, kun sen käytöstä ja turvallisuudesta saadaan kokemuksia.

3.2 Arvioinnin tarkoituksesta ja käytöstä

Terveydenhuollon menetelmien arvioinneissa tiivistetään ja arvioidaan tutkimusnäyttöä menetelmän, kuten lääkkeen hyödyistä, haitoista, kustannuksista ja kustannusvaikeudesta muihin hoitovaihtoehtoihin verrattuna. Tutkimusnäytön kokoamisessa ja arvioinnissa hyödynnetään terveysteknologian arvioinnin lähestymistapoja (HTA, health technology assessment). Toiminnan pääasiallinen tarkoitus on informoida menetelmän käyttöönottoa koskevaa päätöksentekoa. Useimmiten eri maissa arviointi (assessment) ja päätöksenteko tai vastaava (appraisal) on riippumattomuuden takaa-miseksi eriytetty toisistaan. Arvioinnin ja päätöksen tekevät tahot ovat erillisiä, mutta

voivat kuitenkin olla samassa organisaatiossa. Erottamisella tavoitellaan päätöksenteon riippumattomuutta.

Terveydenhuollon menetelmien arvioinnin sisältö voidaan jakaa kliiniseen arviointiin ja muuhun (HTA-asetuksessa nimetty ei-kliiniseksi osaksi) arviointiin. Kliiniseen osaan kuuluu tyypillisesti vaikuttavuuden ja turvallisuuden arviointi suhteessa valittuun vertailumenetelmään. Muuhun arviointiin puolestaan kuuluu taloudellinen, oikeudellinen, organisatorinen, eettinen ja sosiaalinen arviointi.

4 Terveydenhuollon menetelmien arvioinnin nykytila

4.1 Sairaalalääkkeet

4.1.1 Sairaalalääkkeiden arviointia koskeva lainsäädäntö

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskuksesta annetun lain (593/2009) 2 §:n 1 momentin 12 kohdan mukaan keskuksen tehtävänä on tuottaa ja koota lääkehoitojen hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointia ja koordinoita tätä koskevaa yhteistyötä.

Terveydenhuoltolain (1326/2009) 78 a §:n mukaan sosiaali- ja terveysministeriön yhteydessä toimii terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, jonka tehtävänä on seurata ja arvioida terveydenhuollon palveluvalikoimaa sekä antaa suosituksia terveyden- ja sairaanhoidon toimenpiteiden, tutkimusten sekä hoito- ja kuntoutusmenetelmien kuulumisesta palveluvalikoimaan tai rajaamisesta pois palveluvalikoimasta. Suosituksia antaessaan neuvoston tulee ottaa huomioon eri alojen tutkimustieto ja muu näyttö sekä terveydenhuollon eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat.

Terveydenhuoltolain 45 §:n nojalla erikoissairaanhoidon työnjaosta ja eräiden tehtävien keskittämisestä annetun valtioneuvoston asetuksen (582/2017, muutettu 1242/2022) (keskittämisasetus) 3 §:n 6 kohdan mukaan Pohjois-Pohjanmaan hyvinvointialueelle on säädetty terveydenhuollon menetelmien arviointia hyvinvointialueilla koskevat koordinaatiotehtävät valtakunnallisen kokonaisuuden suunnittelua ja yhteen sovittamista varten. Tehtävää varten on perustettu Kansallinen HTA-koordinaatioyksikkö FinCCHTA (Finnish Coordinating Center for Health Technology Assessment) .

4.1.2 Fimean arviointiraportti

Uusien lääkkeiden tai myyntiluvan laajentamista hakevien lääkkeiden osalta ensimmäinen HTA-arvioinnin vaihe toteutetaan Fimeassa . Fimea alkaa seurata kehitysvaiheissa olevia lääkkeitä noin 1–1,5 vuotta ennen arvioitua myyntiluvan myöntämistä ensisijaisesti arviointitoiminnan työtilanteen suunnittelemiseksi.

Fimea voi aloittaa lääkkeen arvioinnin, kun Euroopan lääkeviraston ihmislääkekomi-
tea (Committee for Medicinal Products for Human Use, lyh. CHMP) on antanut lää-
kkeen myyntilupaa puoltavan kannanoton. EU:n komissio myöntää myyntiluvan ja käy-
tännössä siihen kuuluu keskimäärin noin kuusi viikkoa (enimmäisaika 67 päivää)
CHMP:n lausunnosta. Myyntilupa voidaan myöntää joko uudelle lääkkeelle tai jo ole-
massa olevaa myyntilupaa voidaan laajentaa. Tavoitteena on, että Fimeassa tehtävän
arvioinnin tulos on käytettävissä mahdollisimman pian myyntiluvan myöntämisen jäl-
keen.

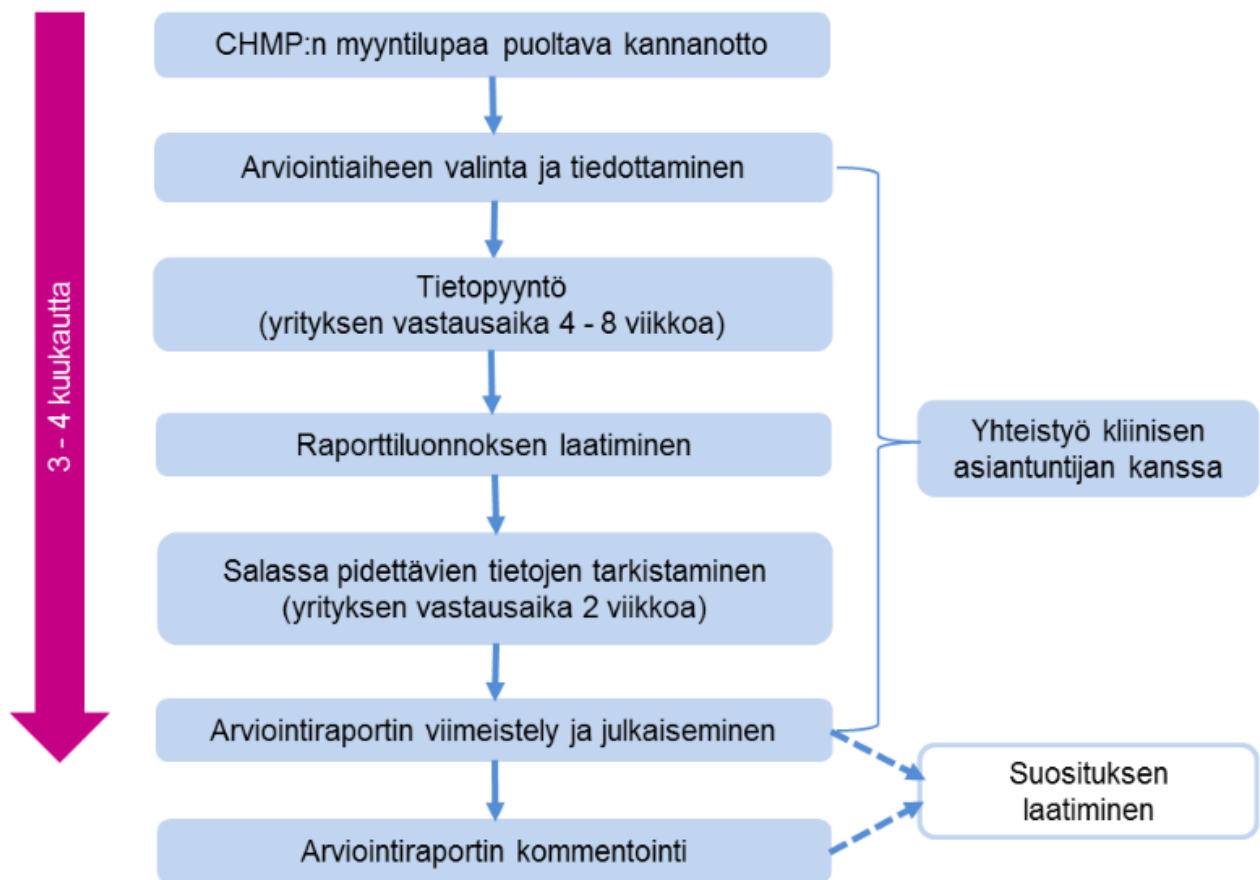
Noin viikko CHMP:n kannanoton jälkeen Fimeassa päätetään, arvioidaanko puoltavan
kannanoton saanut lääke. Päätöksen tukena käytetään arvioita sairauden yleisyy-
destä, vakavuudesta sekä lääkkeen odotetuista talousvaikutuksista. Lisäksi arvioi-
daan hoidon potentiaalia muuttaa tai vaikuttaa olemassa olevan hoitokäytäntöön.
Fimea konsultoi FinCCHTA:n alaista arviointiyliilääkäriverkostoa, mikäli aihevalinnassa
on tarpeen tehdä priorisointia resurssisyistä. Fimea käy tarvittaessa myös myyntiluvan
haltijan kanssa keskustelua arvioinnin aloittamisesta ja sen ajankohdasta. Mikäli
lääke päätetään arvioida, lääkeyritykselle lähetetään tietopyyntö arvioinnissa tarvitta-
vista tiedoista kuten tarkemmista, usein julkaisemattomista kliinisten tutkimusten tu-
loksista sekä kustannusvaikuttavuusmallista ja tähän liittyvästä dokumentaatiosta. Li-
säksi pyydetään yrityksen arviota kustannuksista ja budjettivaikutuksesta. Aikaa tieto-
pyyntöön vastaamiseen on yksi kuukausi. Arvioinnissa tarvittavista kansainvälisistä
tiedoista ja malleista pyydetään myös tietoa lääkeyrityksestä ja vastausaikaa siihen
on kaksi kuukautta. Lääkeyrityksen kanssa tehdään myös tietojenluovutus sopimus.

Arvioinnin määrittely tehdään lääkekohtaisesti etukäteen. Lääkkeitä arvioidaan ns.
PICO-kysymysten mukaan, jotka koostuvat tutkitusta väestöstä (P = population, pa-
tients), arvioitavasta lääkehoidosta (I = intervention), vertailuhoidosta (C = compari-
son, comparators) ja lopputuloksista (O = outcomes). Arvioinnissa painotetaan arvioi-
tavan lääkkeen vaikuttavuutta ja turvallisuutta verrattuna vertailuhoitoon.

Lääkeyritykselle lähetetyn tietopyynnön aikana Fimeassa arvioidaan lääkettä jo saata-
villa olevien tietojen perusteella. Näitä tietoja täydennetään lääkeyrityksen toimittaman
materiaalin perusteella. Lopullinen arviointi sisältää arvion hoidon vaikutuksista, kus-
tannuksista ja kustannusvaikuttavuudesta suhteessa vertailuhoitoihin. Arviointiin lisä-
tään myös tietoja muissa maissa mahdollisesti valmistuneista arvioinneista ja niiden
lopputuloksista. Arviointi ei käy läpi muodollista hyväksymisprosessia. Arvioinnin
osana olevat salassa pidettävät asiat tarkastetaan kahden viikon kuluessa arvioinnin
valmistumisesta. Tarvittaessa salassa pidettävistä asioista keskustellaan vielä tässä

vaiheessa lääkeyrityksen kanssa. Tämän jälkeen arviointi julkaistaan Fimean kotisivuilla. Arviointia on mahdollista kommentoida julkisesti noin neljän viikon ajan sen julkaisemisen jälkeen. Edellä kuvattu prosessi on esitetty kuvassa 1.

Kuvio 1. Sairaaläläkkeen arviointiprosessi (lähde: www.fimea.fi)



4.1.3 Palkon suositus

Terveystieteiden tutkimuskeskus (Palko) antaa suosituksia terveyden- ja sairaanhoidon sekä kuntoutuksen menetelmien kuulumisesta julkisin varoin rahoitettuun terveydenhuollon palveluvalikoimaan. Palko on päättänyt ottaa käsiteltäväkseen kaikki Fimean arvioimat uudet lääkkeet, mutta ehdotus Palkon suositusvalmistelun käynnistämisestä voi tulla myös muualta (koskee esim. lääkkeitä, joita Fimea ei ole arvioinut). Lääkkeitä koskevat suositukset valmistellaan lääkejaostossa, jossa aluksi

esitellään Fimean arviointiraportti ja käydään alustava keskustelu. Sen jälkeen sihteeristö valmistelee suositusluonnoksen. Kun suositusluonnos on hyväksytty lääkejaostossa, se viedään Palkon kokoukseen alustavasti hyväksyttäväksi. Sen jälkeen luonnos julkaistaan Ota kantaa -palvelussa, jossa kuka tahansa voi kommentoida sitä. Myyntiluvan haltijalle annetaan myös vastinmahdollisuus. Kommentit käsitellään lääkejaoston kokouksessa, jonka jälkeen lopullinen suositus hyväksytään Palkon kokouksessa ja julkaistaan kotisivuilla.

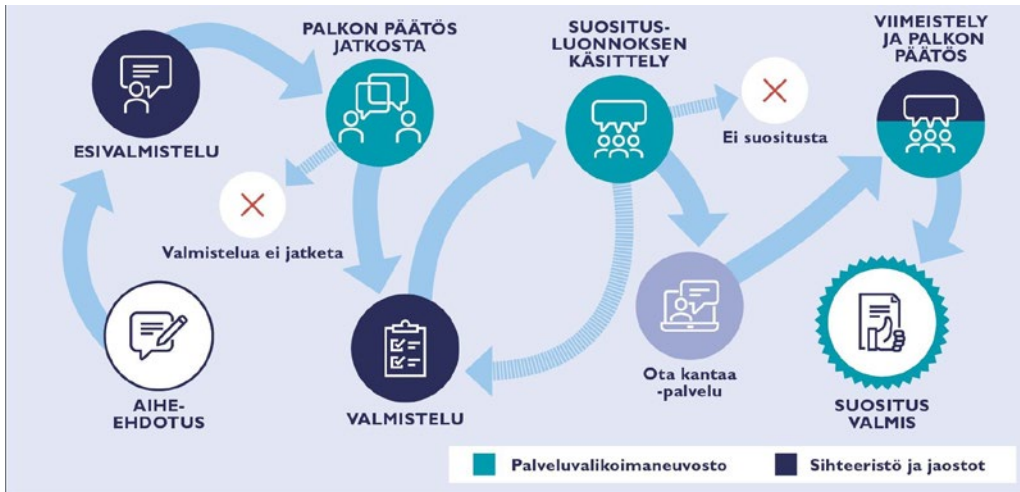
Palkon suositus voi olla joko myönteinen, ehdollisesti myönteinen tai kielteinen. Ehdollisesti myönteisen suosituksen ehdot liittyvät yleensä joko kohderyhmään tai hintaan.

Palkon suositukset ovat lähtökohtaisesti voimassa toistaiseksi. Palko on hyväksynyt kriteerit, joiden perusteella se arvioi, aloitetaanko annetun suosituksen päivittämissä. Käytännössä päivittämisen perusteita on arvioitu kielteisten suositusten kohdalla lääkkeen myyntiluvan haltijan pyynnöstä.

Palko pyrkii osaltaan seuraamaan omien suositustensa noudattamista ja vaikuttavuutta. Rajallisten resurssien lisäksi ongelmaksi on todettu tietopohjan puutteet sekä se, ettei ole tahoa, jolle tiedonkerääminen ja jalostaminen selvästi kuuluisi.

Palkon arviointiprosessi on kuvattu kuvassa 2. Lääkkeiden osalta prosessi poikkeaa siltä osin, että Palko on päättänyt ottaa käsiteltäväksi kaikki Fimean arvioimat lääkkeet ja että Fimean arviointiraportti siten korvaa aihe-ehdotuksen ja esivalmistelun.

Kuvio 2. Palveluvalikoimaneuvoston arviointiprosessi (lähde: www.palveluvalikoima.fi)



4.1.4 Kansallinen hintaneuvottelu

Palkon myönteisen tai ehdollisesti myönteisen suosituksen jälkeen tulee vielä sopia lääkkeen hinnasta. Se voi tapahtua joko kansallisessa hintaneuvottelumenettelyssä (uudet kalliit sairaalalääkkeet) tai alueellisella tasolla. Kansallisessa menettelyssä HUS-apteekki on valtuutettu käymään neuvottelut koko maan osalta ja kansallinen lääkeneuvottelukunta, jossa ovat edustettuna sairaanhoitopiirit, hyväksyy tai hylkää neuvottelutuloksen. Ensimmäiset kansalliset neuvottelut on käyty vuonna 2022. Kansallista hintaneuvottelua ja hankintaa on havainnollistettu kuvassa 3.

Kuvio 3. Uusien sairaalalääkkeiden kansallinen hintaneuvottelu ja hankinta (lähde: Lääketeollisuus ry)

Uusien sairaalalääkkeiden kansalliset hankinnat – ehdollisen PALKO-suosituksen saaneet valmisteet



Lääketeollisuus
Pharma Industry Finland

4.1.5 Sairaalalääkkeiden arvioinnin kokonaiskesto

Fimean arviointi kestää tyypillisesti noin 3–4 kuukautta, jonka jälkeen käynnistyvä Palkon suosituskäsittely 4–5 kuukautta. Kansallinen lääkeneuvottelu vie puolestaan muutamasta viikosta muutamaan kuukauteen. Prosessin kokonaiskesto on siis yhden vuoden molemmin puolen.

4.1.6 Muut arvioinnit

Uuden sairaalalääkkeen arviointi voi tapahtua myös muulla tavoin. Arviointi voi tapahtua FinCCHTA:n koordinoiman arviointiverkoston kautta. Verkoston ydinjoukon muodostavat yliopistosairaaloiden arviointiyliääkärit ja muut sairaanhoitopiirien arviointitoiminnasta vastaavat henkilöt. Verkosto voi arvioida lääkkeitä, joista Fimea ei ole tuottanut arviointia, lääkkeiden off label -käyttöä, avohoidon lääkkeiden sairaalakäyttöä,

lääkkeiden käytöstä luopumista sekä kokeellisia lääkehoitoja. Arviointiverkosto voi myös ottaa arvioitavaksi lääkkeen, jonka käyttötarve on akuutti, jolloin normaali arviointi ei ole mahdollinen. Se voi arvioida myös uusia sairaalalääkkeitä, joita ei arvioida Fimean ja Palkon menettelyssä. Useimmiten kyse on harvinaislääkkeistä ja -lääkeyhdistelmistä.

Lisäksi yksittäisissä sairaaloissa tehdään jonkin verran yksittäisen potilaan lääkityksen aloituksiin liittyen ns. mini-HTA-arviointeja.

4.2 Avohoidon lääkkeet

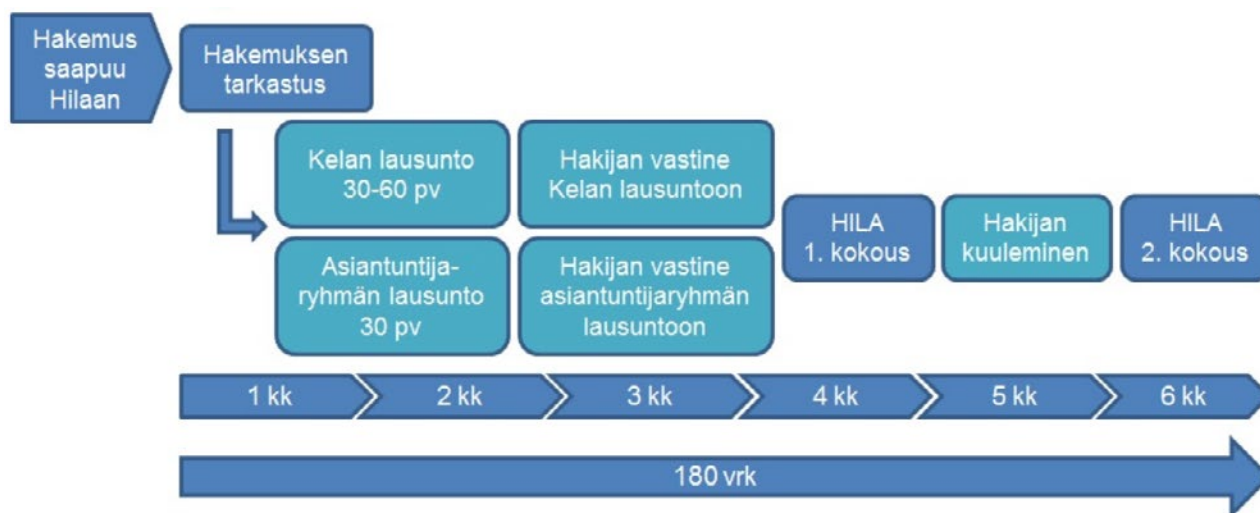
Lääkeyritys voi tuoda lääkevalmisteen markkinoille, kun valmiste on saanut myyntiluvan. Mikäli yritys haluaa saada avohoidon lääkevalmisteen lääkekorvausjärjestelmän piiriin, sen tulee hakea korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan vahvistamista lääkkeiden hintalautakunnalta (Hila). Jos valmiste ei kuulu korvausjärjestelmään, yritys voi hinnoitella valmisteen vapaasti ja potilas maksaa lääkkeen kustannuksen kokonaisuudessaan noutaessaan sen apteekista.

Hilan toimintaan sovelletaan EU:n transparensidirektiiviä (Neuvoston direktiivi 89/105/EY ihmisille tarkoitettujen lääkkeiden hintojen sääntelytoimenpiteiden avoimuudesta ja niiden soveltamisesta kansallisissa sairausvakuutusjärjestelmissä), joka koskee mm. määräaikoja ja menettelytapoja.

Hakemus voidaan jättää valmisteen saatua myyntiluvan. Hilan tulee antaa päätös korvattavuutta ja hintaa koskevasta hakemuksesta 180 päivässä hakemuksen saapumisesta. Uutta lääkeainetta koskevan hakemuksen käsittelyajan mediaani oli 128 päivää sekä hyväksytyillä että hylätyillä peruskorvattavuus- ja hintahakemuksilla vuonna 2022.

Hilan sihteeristö tarkastaa saapuneen hakemuksen ja pyytää tarvittaessa siihen täydennystä hakijalta. Tarkastusvaiheen jälkeen hakemuksesta voidaan pyytää lausunto Kansaneläkelaitokselta ja Hilan yhteydessä toimivalta lääketieteelliseltä asiantuntijaryhmältä. Myös potilasjärjestöt voivat halutessaan antaa asiasta lausunnon. Hakija voi toimittaa lisämateriaalia hakemuskäsittelyn kaikissa vaiheissa. Hilan sihteeristön lautakunnan päätöksentekoa varten valmistelema esitysmuistio sisältää arvion hoidon vaikutuksista, kustannuksista ja kustannusvaikuttavuudesta suhteessa vertailuhoitoihin. Hila tekee hakemuksista päätöksiä noin kerran kuukaudessa järjestettävässä kokouksessa. Hakija voi valittaa Hilan päätöksestä Helsingin hallinto-oikeuteen ja sen päätöksestä edelleen korkeimpaan hallinto-oikeuteen, mikäli se myöntää valitusluvan. Hilan arviointiprosessi on havainnollistettu kuvassa 4.

Kuvio 4. Lääkkeiden hintalautakunnan arviointiprosessi (lähde: www.hila.fi)



Uutta lääkeainetta sisältävän valmisteen päätökset tulevat voimaan pääsääntöisesti päätöstä seuraavan toisen kalenterikuukauden alusta. Korvattavuus- ja tukkuhinta-päätökset ovat määräaikaisia. Uutta lääkeainetta sisältävän valmisteen päätös on voimassa enintään kolme vuotta ja muita valmisteita koskeva päätös enintään viisi vuotta.

4.2.1 Kelan rooli Hilan käsittelyprosessissa ja päätösten toimeenpanossa

Kela antaa Hilalle pyydettäessä lausunnon lääkkeen korvattavuudesta, ehdotetun tukkuhinnan kohtuullisuudesta ja sairausvakuutukselle aiheutuvista kustannuksista. Kelan etuuksien ja palvelujen suunnitteluyksikön lääkeryhmä vastaa lausuntopyynnöistä, joihin ei sisälly terveystaloudellista selvitystä (30 pv lausuntoaika). Kelan Tietopalveluiden tutkimusyksikkö vastaa lausuntopyynnöistä, joihin sisältyy terveystaloudellinen selvitys (60 pv lausuntoaika).

Kelan Tietopalveluiden tutkimusyksikön arviointiprosessi valmisteista, joiden hakemukseen sisältyy terveystaloudellinen selvitys, käynnistyy Hilasta tulevalla lausuntopyynnöllä. Lausunto laaditaan farmasian ja terveystaloustieteen tai taloustieteen asiantuntijoiden yhteistyönä. Lausunnossa arvioidaan hakemusvalmisteelle haettua korvattavuutta ja sen mahdollisia rajoituksia sekä ehdotetun tukkuhinnan kohtuullisuutta.

Käytännössä arvioidaan korvattavuuden edellytyksiä, sopivuutta suomalaiseen hoitokäytäntöön ja korvausjärjestelmään, kliinistä tehoa ja turvallisuutta sekä kustannusvaikeuttavuutta.

Kelan tehtävä on lisäksi toimeenpanna Hilan päätökset eli maksaa asiakkaille lääkekorvauksia päätösten mukaisesti. Kun Hila tekee päätöksen rajoitetusta korvattavuudesta, Kela määrittelee tarkemmin, millä lääketieteellisillä edellytyksillä asiakas kuuluu Hilan päätöksen mukaiseen potilasjoukkoon. Kela päättää myös, millaisella selvityksellä lääketieteellisten edellytysten täyttyminen osoitetaan ja kuinka pitkäksi ajaksi asiakkaalle voidaan myöntää oikeus korvaukseen. Kelan sosiaalilääketieteellisen neuvottelukunnan lääkejaosto antaa suosituksensa siitä, millä edellytyksillä korvausoikeus myönnetään asiakkaalle. Kelan johtaja ja palvelujohtaja hyväksyvät päätökset. Prosessiin kuluu aikaa noin 7 viikkoa.

4.3 Terveydenhuollon laitteet

Terveydenhuollon laitteiden arviointia tehdään sekä FinCCHTA:n arviointiverkostossa että varsinkin hankintoihin liittyen yksittäisissä sairaaloissa. FinCCHTA on kehittänyt erityisesti Digi-HTA:ta, joka on sosiaali- ja terveydenhuollon ja hyvinvoinnin digitaalisten tuotteiden ja palvelujen arviointia varten kehitetty menetelmä. Sen avulla arvioidaan tuotteen tai palvelun soveltuvuutta asiakkaiden ja työntekijöiden käyttöön. Arvioinnin näkökulmia ovat vaikuttavuus, kustannukset, turvallisuus, tietosuoja ja -turva sekä käytettävyys ja saavutettavuus. Näiden lisäksi tarkastellaan erityisesti digitaalisen tuotteen käyttöönottoon vaikuttavia asioita kuten hoitoprosessia ja it-muutoksia.

Myös Palko voisi antaa suosituksia yksittäisen potilaan tutkimukseen tai hoitoon tarkoitetuista terveydenhuollon laitteista, mutta ainakaan toistaiseksi se ei ole ottanut niitä käsiteltäväkseen.

5 Nykytilan arviointia

Työryhmä listasi nykytilan keskeisiksi haasteiksi seuraavat:

Oikeudelliset

- Arviointi jakautuu eri kanaviin lääkkeen annostelumuodon perusteella, minkä vuoksi myös samaa sairautta sairastavat voivat olla eriarvioisessa asemassa ja potilaiden yhdenvertaisuus voi vaarantua
 - Avohoito- ja sairaalalääkkeissä sovelletaan eri arviointi- ja päätöksentekoperusteita
 - Sairaalalääkkeiden osalta terveydenhuoltolaissa ei ole tarkempia arviointiperusteita
 - Koska Palkon suositukset eivät ole sitovia, sairaalalääkkeiden kohdalla voidaan niistä poiketen terveydenhuollossa päättää käyttöönotosta toisin
- Arvioinnin käynnistymistapa on kanavissa erilainen (hakemusperusteisuus vs. viranomaisaloitteisuus)
- Arviointiin osallistuvilla voi olla esim. tutkimusrahoitukseen ja -toimintaan liittyviä mahdollisia sidonnaisuuksia

Organisatoriset

- Nykyistä kahden eri kanavan järjestelmää ei pidetä selkeänä, koska aina ei ole etukäteen tiedossa, mikä taho lääkkeen arvioi ja milloin
 - Arvioinnin tarve voi myös ilmetä vasta myöhemmin markkinoille tulon jälkeen, jolloin ei ole aina selvää, kuka lääkkeen arvioisi
- Prosessi voi joissain tapauksissa olla hidas ja pitkäkestoinen, joten olisi hyvä tarkastella, miten sitä voitaisiin nopeuttaa.
- Hyvinvointialueiden tuleva rooli on vielä epäselvä ja se tulee arvioida uudelleen viimeistään, jos avohoitolääkkeiden rahoitus siirretään niille osittain

Arvioinnin toteuttaminen

- Sairaalalääkkeissä resurssit eivät riitä arvioimaan kaikkia uusia lääkkeitä ja käyttöaiheen laajennuksia
- Avo- ja sairaalalääkkeen vertaaminen voi olla vaikeaa, jos on tehty luotamuksellisia riskinjako- tai hinnoittelusopimuksia

Erityistilanteet

- On epäselvää, tulisiko harvinaislääkestatus huomioida arvioinnissa ja erityisesti suositusta tai käyttöönottopäätöstä laadittaessa.
- Avohoidon lääkkeiden arviointi ei ole perusteltua silloin, kun lääkkeellä ei ole käyttöaihetta ko. sairaudessa taikka kun korvattavuutta ei ole haettu tai myönnetty
- Yhdistelmähoitojen arviointiin liittyvät kysymykset
 - sisältää tilanteet, joissa avohoidon lääkkeellä ei ole korvattavuutta tai käyttöaihetta ko. yhdistelmässä
 - Lääkkeen ja laitteen yhdistelmien arviointi, koska lainsäädäntö ei aina mahdollista yhdenmukaista arviointia yhdessä organisaatiossa

Hankintaan liittyvät

- Riskinjakosopimukset eivät ole julkisia, joten niiden osalta kustannusvaihtavuudesta ei saada tietoja
- peruslääkevalikoiman osalta hankinnat toimivat, mutta uusien lääkkeiden hankintaa olisi edelleen mahdollista keskittää enemmän, mikä voisi laskea hintoja
- hankinnassa käytettävillä asiantuntijoilla voi olla sidonnaisuuksia

6 EU:n HTA-asetus

EU:n asetus terveysteknologian arvioinnista (HTA-asetus) hyväksyttiin joulukuussa 2021 ja sen soveltaminen alkaa 2025. Neljä keskeistä aluetta, joita asetus säätelee, ovat: yhteiset kliiniset arvioinnit, yhteiset tieteelliset kuulemiset, kehitteillä olevien terveysteknologioiden kartoittaminen ja jäsenmaiden vapaaehtoinen yhteistyö.

6.1 Soveltaminen laajenee portaittain

HTA-asetuksen soveltaminen alkaa tammikuussa 2025, jolloin sen piiriin tulevat lääkkeet, joiden käyttöaiheena on syöpä. Lisäksi mukaan tulevat ns. kehittyneet terapiat (ATMP, advanced therapy medicinal product), kuten geeniterapiahoitot. Kolme vuotta myöhemmin eli tammikuussa 2028 soveltaminen laajenee harvinaissairauksien lääkkeisiin, ja kaikki uudet lääkkeet tulevat yhteisarvioinnin piiriin tammikuussa 2030. Kusakin vaiheessa soveltaminen koskee vain lääkkeitä ja hoitoja, joille on haettu myyntilupaa em. ajankohtien jälkeen eli asetuksen mukaisen arvioinnin piiriin ei oteta jo markkinoilla olevia lääkkeitä takautuvasti. Jo arvioidun lääkkeen uusien käyttöaiheiden osalta tehdään myös arviointi. Lisäksi HTA-asetus koskee ainoastaan lääkkeitä, joille on myönnetty EU:n laajuinen myyntilupa. Tämän vuoksi on tarpeellista ylläpitää sekä siirtymäaikana tammikuuhun 2030 saakka että myös sen jälkeen rinnakkainen kansallinen arviointiprosessi, jossa voidaan arvioida lääkkeitä, joita HTA-asetus ei koske.

Lääkkeiden lisäksi tehdään yhteisiä kliinisiä arviointeja lääkinnällisistä laitteista ja in vitro -diagnostiikan laitteista. Niiden osalta ei pyritä kattavaan arviointiin, vaan arviointi keskittyy korkeamman riskiluokituksen (IIb ja III) laitteisiin. EU:n komissio päättää vähintään joka toinen vuosi arvioitavista laitteista ottaen huomioon mm. niiden merkityksen ja vaikutukset.

6.2 Koordinoitiryhmä

Keskeinen HTA-asetuksen mukaisia tehtäviä hoitava elin on koordinoitiryhmä, jolla on omat kokoonpanonsa lääke- ja laiteasioita varten. Kukin EU:n jäsenmaa nimittää kokoonpanoihin jäseneksi yhden tai useamman organisaation, jotka puolestaan nimeävät edustajansa ja varaedustajansa. Jäsenorganisaatioiden tulisi olla HTA-arvioinneista vastaavia kansallisia viranomaisia.

Koordinointiryhmän tehtävänä on huolehtia arviointiraporttien oikea-aikaisesta valmistumisesta ja korkeasta tieteellisestä laadusta. Ryhmä hyväksyy tarkempia menettelyohjeita sekä koordinoi ja hyväksyy asettamiensa alaryhmien työt. Lisäksi koordinointiryhmä hyväksyy vuosittain 30.11. mennessä seuraavan vuoden työohjelman.

Koordinointiryhmän työn alkuvaiheessa sen jäseninä Suomesta ovat Fimea ja STM (Hila/Palko) lääkekokoonpanossa ja FinCCHTA ja STM laitekokoonpanossa.

6.3 Yhteinen kliininen arviointi

Toistaiseksi kukin EU-maa tekee suurimmalta osin terveydenhuollon menetelmien arvioinnit itse, vaikka maiden välillä onkin jonkin verran vapaaehtoista yhteistyötä (mm. Suomen, Norjan ja Ruotsin FINOSE-yhteistyö). HTA-asetuksella pyritään vähentämään päällekkäistä työtä ja parantamaan arviointien laatua, kun arvioinnin ns. kliininen osa tehdään jatkossa yhdessä EU-tasolla. Kliininen yhteisarviointi sisältää arvioitavaa menetelmää koskevan kliinisen näytön tieteellisen kokoamisen ja sen vertaamisen yhteen tai useampaan jo käytössä olevaan menetelmään.

Arvioinnin ei-kliinisen osuuden toteuttaminen on edelleen kunkin maan omalla vastuulla. Tämä osuus sisältää kustannusten ja taloudellisten vaikutusten arvioinnin sekä eettisten, organisatoristen, sosiaalisten ja oikeudellisten näkökohtien huomioimisen. EU:n perussopimuksen mukaisesti kukin maa päättää itse terveydenhuoltonsa resursseista ja sisällöstä. Tämän turvaamiseksi asetus sisältää kiellon ottaa raportteihin mukaan arvoarvostelmia tai päätelmiä arvioitavan terveysteknologian koko kliinisestä lisäarvosta. Niissä voidaan kuvata ainoastaan arvioitavan menetelmän suhteellista vaikuttavuutta valittujen muuttujien perusteella sekä näytön vahvuutta ja rajoitteita.

6.4 Arvioinnin toteutus

Koordinointiryhmä käynnistää yksittäisen arvioinnin nimeämällä sitä varten jäsenistään alaryhmän, joka puolestaan valitsee varsinaisen arvioijan ja avustavan arvioijan. Arviointiraportin laatiminen alkaa arvioinnin kohteen rajaamisella määrittämällä raportissa arvioitavat muuttujat: potilaspopulaation, toimenpiteen, vertailuvalmisteen tai -laitteen ja terveystulosten osalta (ns. PICO-asetelma). Tämän jälkeen EU:n komissio pyytää yritystä toimittamaan asiakirja-aineiston arviointia varten viimeistään 45 päivää ennen kuin Euroopan lääkeviraston ihmislääkekomitean (CHMP) on tarkoitus antaa

lausuntonsa siitä. Asetus sisältää myös aineiston laatua ja kattavuutta koskevia mää-
räyksiä.

Arvioija laatii yhdessä avustavan arvioijan kanssa asiakirja-aineistoon perustuvan ra-
portin ja tiivistelmän luonnokset ja he voivat tarvittaessa pyytää lisätietoja. Kun arvi-
ointia varten nimetty alaryhmä on hyväksynyt luonnokset, se toimitetaan koordinointi-
ryhmän vahvistettavaksi. Vahvistamisen jälkeen eri tahot voivat esittää niistä kom-
menttinsa, minkä jälkeen arvioijat viimeistelevät raportin ja tiivistelmän, jotka toimitte-
taan uudelleen koordinointiryhmän tarkasteltavaksi. Ryhmän tulee pyrkiä vahvista-
maan ne yksimielisesti, mutta mikäli siihen ei päästä, erilaiset tieteelliset lausunnot
perusteluineen liitetään mukaan ja raportit katsotaan vahvistetuiksi. Jotta raportti olisi
käytettävissä oikea-aikaisesti, lääkkeiden osalta luonnosten vahvistamisen tulee ta-
pahtua viimeistään 30 päivän kuluessa siitä, kun EU:n komissio on myöntänyt lääk-
keelle myyntiluvan.

Vahvistetut raportit toimitetaan EU:n komissiolle menettelyseikojen tarkistamiseksi.
Komission on kymmenessä työpäivässä tarvittaessa ilmoitettava koordinointiryhmälle,
mikäli se katsoo, etteivät raportit täytä menettelysääntöjä. Koordinointiryhmän on tar-
vittaessa korjattava ne. Komissio julkaisee arviointiraportit todettuaan, että ne täyttä-
vät menettelysäännöt.

6.5 Arviointiraportti ja jäsenmaat

Jäsenmaiden on omissa arvioinneissaan otettava asianmukaisesti huomioon yhteisen
kliinisen arvioinnin raportti sekä liitettävä raportti ja sen perustana oleva asiakirja-ai-
neisto omaan raporttiinsa. HTA-asetus kieltää pyytämästä tai toimittamasta uudelleen
kansallisella tasolla asiakirjoja, jotka on jo toimitettu yhteisarvioinnin perustaksi. Sel-
vennystä EU-tasolla toimitettuihin tietoihin on kuitenkin mahdollista pyytää.

Asetus ei vaikuta jäsenvaltioiden yksinomaiseen kansalliseen toimivaltaan päättää
terveyspalveluiden tai sairaanhoidon hallinnoinnista ja tarjoamisesta taikka niihin osoi-
tettujen resurssien kohdentamista mukaan lukien kansalliset hinnoittelu- ja korvaus-
päätökset. Jäsenmaalla on siis oikeus tehdä omat johtopäätöksensä terveysteknolo-
gian koko kliinisestä lisäarvosta oman terveydenhuoltojärjestelmänsä puitteissa. HTA-
asetus ei estä jäsenmaata tekemästä omaa kliinistä arviointia etenkin silloin, kun
yhteisen kliinisen arvioinnin valmistumisen jälkeen on ilmestynyt uutta tietoa lääk-
keestä tai laitteesta. Tällainen kliininen arviointi on toimitettava muiden jäsenmaiden
käyttöön.

Jäsenmaan on annettava koordinoitiryhmälle 30 päivän kuluessa kansallisen arvioinnin päättymisestä tietoja kansallisesta arvioinnista sekä raportoitava, miten yhteisen kliinisen arvioinnin raportti on huomioitu kansallisessa arvioinnissa.

6.6 Yhteiset tieteelliset kuulemiset

Jotta yhteisiä kliinisiä arviointeja varten saataisiin mahdollisimman hyvin arviointeja palvelevaa tietoa, voidaan terveysteknologioita kehittäville yrityksille järjestää yhteisiä tieteellisiä kuulemisia, jotta ne saisivat ohjeita siitä, millaisia tietoja, dataa, analyysseja ja näyttöä kliinisiltä tutkimuksilta todennäköisesti edellytetään. Yhdenmukaisesti arviointiraportin laatimisen kanssa myös kuulemista varten nimetään alaryhmä, joka valitsee arvioijan ja avustavan arvioijan. Kuulemisesta laaditaan loppuasiakirja. Kuulemisen toteutuksessa pitää huomioida mahdollinen samanaikainen Euroopan lääkeviraston toteuttama neuvonta tai kuuleminen.

6.7 Kehitteillä olevien terveysteknologioiden kartoittaminen (Horizon scanning)

Asetuksen mukaan koordinoitiryhmän on huolehdittava, että laaditaan selvityksiä kehitteillä olevista terveysteknologioista, joilla odotetaan olevan merkittävää vaikutusta potilaisiin, kansanterveyteen tai terveydenhuoltojärjestelmiin. Kyseisissä selvityksissä tulee käsitellä erityisesti kehitteillä olevien terveysteknologioiden arvioituja kliinisiä vaikutuksia ja mahdollisia organisatorisia ja rahoituksellisia vaikutuksia kansallisiin terveydenhuoltojärjestelmiin.

6.8 Muuta HTA-asetuksesta

HTA-asetus sisältää säännöksiä myös jäsenmaiden vapaaehtoisesta yhteistyöstä ja menettelysäännöksistä mukaan lukien laadunvarmistus, avoimuus ja eturistiriitojen julkistaminen. EU:n komissio rahoittaa toiminnan ja tarjoaa verkkoalustan tietojen ja koon osapuolten välillä.

Menettelyistä ja määräajoista säädetään tarkemmin komission tai koordinoitiryhmän päätöksillä, jotka tulevat voimaan ennen asetuksen soveltamisen alkamista. Siksi tässä vaiheessa ei voida vielä kaikilta osin yksityiskohtaisesti arvioida vaikutuksia kansalliseen arviointiin.

7 Avo- ja sairaalalääkkeiden arviointitoiminnan lähentämisen näkökulmia

Kuten edellä on todettu, yhdeksi lääkehoitojen arvioinnin ja rahoituksen kehittämisen tavoitteeksi on asetettu avo- ja sairaalalääkkeitä koskevien periaatteiden ja menettelyjen lähentäminen tai yhdenmukaistaminen. Sitä voidaan tarkastella monista eri näkökulmista.

7.1 Hakemusperusteinen vai viranomaisaloitteinen arviointi

Avohoidon lääkkeiden hakemusprosessi lääkkeiden hintalautakunnassa on hakemusperusteinen eli lääkevalmisteen myyntiluvan haltija käynnistää prosessin hakemuksella. Myyntiluvan haltijalla on siis yksinomainen valta päättää, jättääkö se hakemus ja milloin sen jättää.

Sairaalalääkkeiden arviointiprosessi Fimeassa ja Palkossa on puolestaan viranomaisaloitteinen eli kyseiset tahot päättävät itse, mitkä uusista lääkkeistä otetaan arvioinnin ja suositusvalmistelun piiriin sekä milloin arviointi aloitetaan. Käytännössä Fimea kuitenkin tarvittaessa keskustelee lääkeyritysten kanssa ajankohdasta, milloin lääke on tulossa Suomen markkinoille tai milloin yrityksellä on valmius toimittaa ei-kliinisessä arvioinnissa tarvittavat tiedot.

Koska avohoidon lääkkeiden hakemusprosessi tulee sen luonteen takia olemaan jatkossakin hakemusperusteinen, arvioitavaksi tulee ensisijaisesti se, olisiko sairaalalääkkeiden arviointiprosessi myös perusteltua muuttaa hakemusperusteiseksi. Muutos hakemusperusteiseksi yhdentäisi prosesseja ja sairaalalääkkeiden osalta parantaisi arviointiprosessin ennakoitavuutta, oikea-aikaisuutta ja tasapuolisuutta, kun kaikilla valmisteilla olisi mahdollisuus tulla arvioiduksi samoin menettelyin siinä vaiheessa, kun yritys on valmis tuomaan tuotteensa Suomen markkinoille. Toisaalta yritys voisi itse päättää hakemuksen jättämisen ajankohdan ja se voisi myös olla jättämättä hakemusta lainkaan, mikä saattaisi olla terveydenhuollon ja potilaiden näkökulmasta ei-toivottavaa.

Viranomaisaloitteisessa menettelyssä arvioinnin työmäärän hallinta on helpompaa, kun arvioitavaksi voidaan päättää ottaa ainoastaan sen verran valmisteita, joiden arvioimiseen riittää resursseja. Toisaalta hakemusperusteinen malli yhdistettynä käsittelymaksuun takaisi arviointien määrää vastaavan taloudellisen resurssin, mutta ei välttämättä työvoiman oikea-aikaista saatavuutta ainakaan, mikäli arviointien määrä vaihtelisi paljon. Hakemusperusteinen malli takaisi kuitenkin nykyistä ennustettavamman ja myyntiluvan haltijoita tasapuolisemmin kohtelevan prosessin, kun esimerkiksi viranomaisen työtilanne tai resurssit eivät voisi vaikuttaa siihen, mikä lääke arvioidaan ja milloin.

Olisi myös mahdollista luoda malli, jossa yhdistettäisiin hakemusperusteinen ja viranomaisaloitteinen käsittely. Viranomaisaloitteisuus voisi olla perusteltu esim. tilanteissa, jossa yritys ei hae arviointia tai jossa on kyse jo pitkään markkinoilla olleen lääkkeen arvioinnista (myös mahdollisen käytöstä poistamisen näkökulmasta). Lääkkeiden ja laitteiden osalta on myös mahdollista päätyä erilaiseen ratkaisuun siitä, miten arviointi käynnistyy.

7.2 Budjettirahoitus vai käsittelymaksuperusteinen rahoitus

Arviointitoiminta on mahdollista rahoittaa joko budjettirahoitteisesti tai käsittelymaksuilla. Jälkimmäinen vaihtoehto on mahdollinen ainoastaan silloin, kun arviointiprosessi on hakemusperusteinen, jolloin arvioinnin edellytyksenä on säädetyn maksun maksaminen. Sen sijaan viranomaisaloitteiseen prosessiin ei ole mahdollista liittää käsittelymaksua. Toisaalta hakemusperusteinen malli on myös mahdollista rahoittaa budjettirahoituksella.

Käsittelymaksuja voidaan käyttää siihen tarkoitukseen, johon maksut on kerätty. Muu mahdollinen toiminta olisi rahoitettava muulla tavoin, käytännössä budjettirahoituksella. Tällä hetkellä Hilan toiminta rahoitetaan kokonaan käsittelymaksuilla, kun taas Palkon toiminta perustuu budjettirahoitukseen.

Käsittelymaksuperusteista mallia puoltaa se, että käsittelymaksut takaavat riittävän arviointiin tarvittavan resurssin olettaen, että käsittelymaksu on asetettu oikealle tasolle ja että ammattitaitoista työvoimaa on saatavilla. Toisaalta käsittelymaksun suuruus saattaa etenkin pienimennekkisten lääkevalmisteiden kohdalla olla este hakemuksen jättämiselle.

Budjettirahoitteisessa järjestelmässä myyntiluvan haltijalle ei aiheudu taloudellista rasitusta hakemuksen jättämisestä, mikä saattaa kannustaa jättämään hakemuksia vaiheessa, jossa materiaali saattaa olla keskeneräinen. Ilmiötä voitaisiin rajoittaa esimerkiksi asettamalla hylätyn hakemuksen jälkeen karenssiaika, jonka kuluessa uutta hakemusta ei voi tehdä.

7.3 Hoidollisen arvon arvioinnin perusteet

Tällä hetkellä avo- ja sairaalalääkkeiden arvioinnissa sovellettavat hoidollisen arvon arvioinnin perusteet ovat lainsäädännön tasolla kohtalaisen lähellä toisiaan, mutta soveltamiskäytännöt eroavat sen suhteen, miten arvioinnissa painotetaan eri asioita ja miten arvioinnin tulos vaikuttaa päätöksentekoon. Tästä voi seurata esimerkiksi, että samaa lääkeainetta sisältävien, mutta eri annosmuodossa olevien lääkkeiden kohdalla ratkaisut voivat olla erilaisia. Hoidollisen arvon lisäksi arvioinnin ja päätöksenteon lopputulokseen vaikuttavat muutkin seikat, etenkin lääkkeen lopullinen hinta. Tämän vuoksi päätösten lopputulokset voivat olla erilaiset, vaikka hoidollinen arvo arvioidaisiinkin samoin perustein.

Hoidollisen arvon arvioinnin yhdenmukaistaminen avo- ja sairaalalääkkeissä edistäisi lääkkeitä käyttävien henkilöiden yhdenvertaisuutta ja helpottaisi avo- ja sairaalalääkkeitä sisältävien lääkeyhdistelmien arviointia. Suunnitelmissa oleva avohoitolääkkeiden kustannusvastuun osittainen siirto valtiolta hyvinvointialueille puoltaa yhdenmukaistamista. Täyttää ratkaisujen yhdenmukaisuutta voi kuitenkin olla vaikea saavuttaa, sillä viime kädessä avohoitolääkkeiden arvioinnissa on kyse sairausvakuutuslain mukaisen etuusjärjestelmän toimeenpanosta, kun taas sairaalalääkkeiden arvioinnissa on kyse julkisen terveydenhuollon sisällön ohjaamisesta.

7.4 Arvioinnin sitovuus ja pakollisuus

Arvioinnin ja päätöksenteon lopputuloksen mahdollisen sitovuuden osalta on olennaista, mikä taho arvioinnin tekee, ketä kohtaan lopputulos olisi sitova ja olisiko sitovuus samanlainen sekä myönteiseen että kielteiseen lopputulokseen päätyvien arviointien osalta. Lääkkeiden tai laitteiden arvioinnin sitovuutta ei voida ratkaista erillään muun terveydenhuollon sisällön ohjauksen sitovuudesta, jota ryhdytään mahdollisesti selvittämään vuonna 2023 alkavalla hallituskaudella. Sitovuutta ratkaistaessa on huomioitava perustuslaista johdettu jokaisen oikeus yksilöllisen terveydentilansa edellyttämisiin riittäviin terveyspalveluihin. Toisaalta perustuslaki velvoittaa yhdenvertaiseen

kohteluun, ellei siitä ole hyväksyttävää syytä poiketa, ja sitovuus edistäisi yhdenvertaisuutta.

Terveydenhuollon järjestämisestä vastuussa olevilla hyvinvointialueilla on perustuslain mukaan itsehallinto. Arvioinnin tuloksen sitovuuden kannalta on kyse siitä, miten alueiden itsehallinto, eri alueiden asukkaiden yhdenvertaisuus ja yksilön oikeus riittäviin terveyspalveluihin on sovitettavissa yhteen. Alueiden itsensä yhteistoiminnassa toteuttaman arviointitoiminnan sitovuus alueita kohtaan voi olla oikeudellisesti helpommin toteutettavissa kuin valtion toimintana tapahtuvan arvioinnin sitovuus.

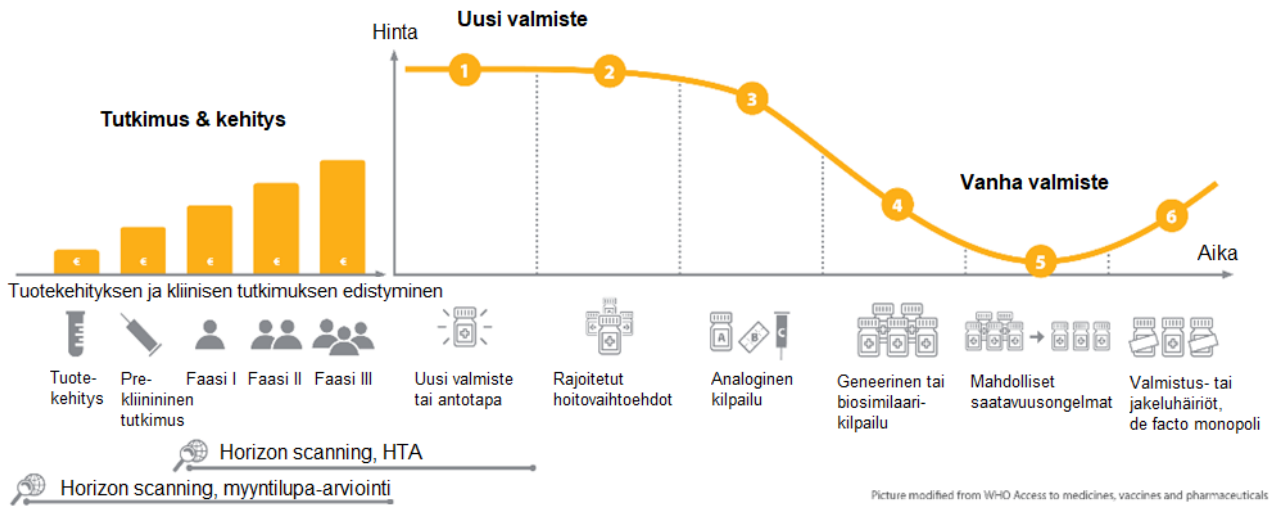
Sitovuuteen olisi mahdollista yhdistää myös arvioinnin pakollisuus eli vain arvioituja lääkkeitä saisi käyttää julkisessa terveydenhuollossa. Jotta kaikilla olisi yhdenvertainen mahdollisuus saada valmisteensa julkiseen käyttöön, pakollisuus olisi mahdollinen vain hakemusperusteisessa mallissa.

Myönteisen ratkaisun sitovuus on oikeudellisesti helpommin toteutettavissa, koska sillä ei rajoitettaisi kenenkään oikeutta riittäviin terveyspalveluihin. Toisaalta on muistettava, että myönteinen ratkaisu ei sinänsä perusta kenellekään potilaalle oikeutta hoitoon, vaan kyse on siitä, että hoito tulee olla terveydenhuollon ammattilaisten käytettävissä, mikäli potilas sitä yksilöllisen arvion perusteella tarvitsee.

Sitovuudesta seuraisi velvollisuus noudattaa transparenssidirektiiviä. Direktiivissä määritellään muun muassa määrääjat, jonka sisällä päätös lääkkeen hinnasta on eri tilanteissa tehtävä, päätöksen tiedoksiannosta hakijalle, päätöksen perusteluvollisuudesta ja velvollisuudesta ilmoittaa muutoksenhakumahdollisuudesta.

7.5 Arviointi lääkkeen elinkaaren eri vaiheissa

Lääkkeen elinkaari koostuu oheisen kuvan mukaisesti eri vaiheista (Kuva 5). Uusien, vasta markkinoille tulevien lääkkeiden ja markkinoilla jo pitempään olleiden, käyttöaiheiltaan vakiintuneiden lääkkeiden arviointiin sovelletaan samaa lainsäädäntöä ja menettelyjä, vaikka arvioinnin tietopohja ja kysymyksenasettelu ovat osin erilaiset. Samaa lääkettä voidaan arvioida useampaan kertaan sen elinkaaren eri vaiheissa ja vakiintunut lääke voi myös olla vertailuhoitona muuta, yleensä uudempaa lääkettä arvioida.

Kuvio 5. Lääkkeen elinkaaren eri vaiheet. (Lähde: STM)

Picture modified from WHO Access to medicines, vaccines and pharmaceuticals

Uudella lääkkeellä tarkoitetaan tässä raportissa hiljattain myyntiluvan saanutta valmistetta, joka sisältää lääkeainetta, jota ei aiemmin ole ollut markkinoilla (esim. NME; New Molecular Entity) tai jota ei ole aiemmin käytetty kyseisessä käyttöaiheessa tai hoitolinjassa. Uuden lääkkeen ensimmäinen arviointi tapahtuu vaikuttavuuden ja turvallisuuden osalta yleensä myyntilupaa myönnettäessä käytettävissä olleilla tiedoilla (kuvan vaiheet 1–2). Käyttöaiheen laajennuksen osalta voidaan käyttää myös aiempia tietoja lääkkeen turvallisuudesta. Kolmannessa vaiheessa kilpailu voi lisääntyä muiden yritysten tuodessa markkinoille saman tyyppisiä lääkkeitä samaan käyttöaiheeseen ja tällöin arvioinnissa voi olla kyse lääkkeiden vertaamisesta toisiinsa. Viimeistään siinä vaiheessa, kun lääkkeestä tulee markkinoille geneerisiä kopioita, hinta arvioinnin perusteena korostuu (vaihe 4). Mitä vanhemmasta lääkkeestä on kyse, sitä enemmän sen (uudelleen)arvioinnin yhteydessä on huomioitava myös laajemmin muita terveydenhuollon menetelmiä (esim. lääke osana sairauden hoitoa yhdessä muiden menetelmien kanssa tai niihin verrattuna). Erityisesti lääkkeen elinkaaren loppuvaiheessa, mutta myös aiemmin, arvioitavaksi voi tulla myös sen käytöstä luopuminen.

7.6 Harvinaislääkkeet

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 olemassa vaikuttavaa hoitoa. Euroopan lääkevirasto EMA myöntää hakemuksesta harvinaislääkestatuksia

(Orphan Drug Designation) valmisteille, joista kehitetään lääkkeitä harvinaissairauksien hoitoon. Hakemukset arvioi harvinaislääkekomitea (COMP, Committee for Orphan Medicinal Products). Harvinaislääkestatus on käyttöaihekohtainen.

Harvinaislääkkeen määritelmä on oikeudellinen, ei lääketieteellinen. Arvioinnin teknisen toteuttamisen näkökulmasta harvinaislääkestatuksella ei ole merkitystä. Sen sijaan arvioinnin perusteella tehtävässä päätöksenteossa on perusteltua ottaa huomioon sairauden harvinaisuudesta johtuvat seikat, kuten näytön keräämisen haasteet. Suuri porras arviointiperusteissa esimerkiksi harvinaislääkestatuksen edellytysten täytyessä voisi vaarantaa potilaiden yhdenvertaisuuden, jos sen johdosta lääkkeen käytön edellytykset muuttuisivat sen johdosta olennaisesti. Siksi arvioinnin tulisi lähtökohtaisesti perustua liukuviin asteikoihin.

Harvinaisten tai hyvin harvinaisten (ultra orphan) sairauksien lääkkeitä ei kaikissa tilanteissa ole mahdollista tai perusteltua arvioida kansallisesti etenkin tilanteissa, joissa oletuksena on, ettei lääkkeellä ole tarvetta kansallisesti. Tarvittaessa arviointeja voidaan tehdä myös sairaaloissa (hospital-based HTA).

7.7 Lääkkeen off label -käyttö ja erityislupavalmisteet

Lääkkeen myyntiluvan ulkopuolisella käytöllä (off label -käyttö) tarkoitetaan lääkkeen määräämistä ja käyttämistä muuhun kuin valmisteyhteenvedossa mainittuun käyttötarkoitukseen. Käyttötarkoituksella tarkoitetaan lääkkeen valmisteyhteenvedossa mainittua käyttöaihetta, annosta, annostelutapaa ja kohderyhmää. Osa lääkkeiden käytöstä on muuta kuin myyntiluvan mukaisen käyttöaiheen mukaista, mutta osuus vaihtelee merkittävästi eri erikoisalojen kesken.

Sairausvakuutuslain 6 luvun 5 § estää avohoidon lääkkeiden osalta korvattavuuden myöntämisen lääkkeen myyntiluvan mukaisen käyttöaiheen ulkopuolelle. Tästä seuraa, että avohoidon lääkkeitä ei käytännössä tehdä HTA-arviointeja off label -käytön osalta. Fimea on katsonut, ettei se myyntilupaviranomaisena tee arviointeja sairaalalääkkeiden off label -käytöstä, mutta vakiintunutta off label -hoitoa voidaan pitää arvioinnin vertailuhoitona.

Off label -käytön arvioinnissa ongelmaksi muodostuu arvioinnissa tarvittavien tietojen puute. Koska off label -lääkkeellä ei ole myyntilupaa ko. käyttöaiheessa, käytettävissä ei ole myyntilupavaiheen tutkimustietoja samalla lailla kuin tavanomaisessa arviointitilanteessa. Joissain tilanteissa lääkkeellä voi olla myyntilupa jossain toisessa maassa

ja sieltä saatavia tietoja voidaan hyödyntää. Haittojen osalta voidaan hyödyntää myös virallisen käyttöaiheen mukaisesta käytöstä saatuja tietoja. Pitempään markkinoilla olleista lääkkeistä voi myös olla tehty tutkijalähtöisiä tutkimuksia.

Fimea voi erityisistä hoidollisista syistä myöntää yksittäistapauksissa luvan luovuttaa kulutukseen sellaisen lääkevalmisteeseen, jolla ei ole Suomessa myyntilupaa. Lääkeasetuksessa (693/1987) erityislupakäytäntö on rajattu sellaisiin poikkeustapauksiin, joissa mikään muu hoito ei tule kysymykseen tai ei anna toivottua tulosta. Erityisluvat myönnetään joko hakemuksen perusteella (potilas- ja laitospotilainen lupa) tai Fimea voi myös ilman eri hakemusta antaa lääkevalmisteelle määräaikaisen erityisluvan, jonka perusteella se voidaan luovuttaa kulutukseen. Avohoidossa käytettävälle erityisluvalliseksi valmisteelle voidaan hakea korvattavuutta. Jos korvattavuus myönnetään, se koskee kaikkia lääkettä käyttäviä. Sairaanhoidolaitoksille lupa voidaan myöntää laitospotilaisena, jolloin yhtä lupaa kohden voi olla useita lääkkeen käyttäjiä eikä käyttäjiä tarvitse yksilöidä. Erityislupa on voimassa vuoden myöntämispäivästä.

7.8 Lääkeyhdistelmien arviointi

Lääkehoitojen kehityksen myötä ovat lisääntyneet tilanteet, joissa potilaan lääkehoidon kokonaisuus koostuu useammasta lääkkeestä, jotka voivat olla avohoito- ja/tai sairaalalääkkeitä ja jotka voivat olla saman tai eri myyntiluvan haltijan lääkkeitä. Kaikkien lääkeyhdistelmässä käytettävien lääkkeiden myyntiluvassa ei välttämättä ole mainittu ko. lääkeyhdistelmää. Useimmiten kyse on tilanteesta, jossa markkinoille tulevalle uudelle lääkeaineelle (tai jo aiemmin markkinoille tulleen lääkkeelle) hyväksytään käyttöaihe, jossa sitä käytetään yhdistelmänä toisen lääkkeen kanssa. Samanlaisesti kuitenkin yhdistelmän toisen valmisteen myyntilupa ei tehdä yhdistelmäkäyttöä koskevaa laajennusta. Syy siihen voi olla esimerkiksi se, että lääkkeillä on eri myyntiluvan haltija.

Lääkeyhdistelmiä koskevien arviointien sisältö ja lähestymistavat ovat käytännössä samat kuin monoterapioita arvioitaessa, myöskin sellaisessa tilanteessa, missä lääkeyhdistelmän toinen valmiste on avohoito- ja toinen sairaalalääke. Lääkeyhdistelmien arviointiin ei itsessään sisälly merkittäviä ongelmia. Haasteet syntyvät tulosten tulkittavuudessa ja käytettävyydessä pääosin juridisista reunaehdoista johtuen. Tällaiset tilanteet syntyvät erityisesti silloin, kun avo- ja sairaalalääkkeen yhdistelmässä avohoidon lääke ei sairausvakuutuslain 6 luvun 5 §:n nojalla voi saada ko. yhdistelmäkäytössä korvattavuutta, koska yhdistelmäkäyttöaihetta ei mainita sen myyntiluvassa. Tällöin valmistajan ei ole mahdollistakaan hakea korvattavuutta, jolloin avohoidon lääkkeiden saaminen julkisesti rahoitettuna tosiasiasa estyy. Yleensä tällaisissa tilanteissa kyseessä on kallis lääke, jonka omavastuuosuus olisi lääkkeen käyttäjälle

kohtuuton. Samanaikaisesti lääkelain 65 § estää luovuttamasta avohoidon lääkkeitä pitempiaikaiseen käyttöön hoitolaitoksista.

Haasteita voi ilmetä myös siinä vaiheessa, kun yhdistelmään kuuluvien eri lääkevalmisteiden hinnoista käydään neuvotteluja. Tällöin hinnasta neuvotteleva taho ei välttämättä tiedä toisen valmisteen todellista hintaa, eikä myöskään voi siihen vaikuttaa.

Pelkästään lääkeyhdistelmien arvioiminen nykyistä laajemmin yhtenäisten periaatteiden ja tietopohjan perusteella ei parantaisi vaikuttavan lääkehoidon saatavuutta, koska ongelman perussy on lääkkeiden myyntiluvan mukaisten käyttöaiheiden rajauksissa ja muussa kuin itse arviointiin liittyvässä lainsäädännössä.

7.9 Lääkkeen ja laitteen yhdistelmän arviointi

Joissain tilanteissa arvioitavaksi voi tulla lääkkeen ja laitteen yhdistelmä, jolloin ne

- ne myydään ja niitä käytetään yhdessä, tai
- ne myydään erikseen, mutta niitä käytetään yhdessä.

Koska HTA-asetus koskee sekä lääkkeiden että laitteiden arviointia, ei ole perusteltua luoda kansallisesti erillisiä menettelyjä laitteiden arviointiin. Samalla on kuitenkin huomioitava, että lääkkeiden ja laitteiden HTA-arviointi poikkeaa monilta osin toisistaan. Osa lääkkeen ja laitteen yhdistelmistä tulee arvioitavaksi pelkästään lääkkeinä, esimerkiksi lääkkeen ja kiinteän annostelulaitteen yhdistelmä.

Arvioitaviksi voivat tulla myös Euroopassa yleistyvät digitaaliset terapiat, joilla tarkoitetaan digitaalisia hoitomuotoja, jotka perustuvat lääketieteelliseen näyttöön. Niitä tarjotaan suoraan potilaille tukemaan hoitoa ja kuntoutusta. Digiterapiat voivat olla itsenäisiä hoitomuotoja kuten masennukseen tai toimia yhdessä lääkehoidon kanssa, kuten syövän hoidossa. Digitaalisissa terapioiden digitaalinen osa voi olla esimerkiksi älypuhelimien asennettava sovellus, joka on luonteeltaan lääkinnällinen laite.

7.10 Arvioinnin ja hankinnan yhteensovittaminen

Arvioinnin ja hankinnan yhteensovittamisen tarve koskee nykytilanteessa vain sairaalalääkkeitä. Kyse on siitä, miten kansallisen tason, valtion viranomaisten tekemän ar-

vioinnin sekä hyvinvointialueiden (aiemmin sairaanhoitopiirit ja kunnat) lääkehankinnan prosessit sovitetaan yhteen. Valtion viranomaisten mahdollisuudet sitovasti ohjata itsehallinnollisten tahojen lääkehankintaa ovat rajalliset. Edellä kohdassa 4.1.2 kuvatun kansallisen hintaneuvottelun tultua käyttöön osa aiemmissä selvityksissä esitetyistä ongelmista on jo ratkennut, kun lääkehankinnasta neuvottelee vain yksi taho. Palko kuitenkin edelleen joutuu tekemään arviointinsa julkisen tukkumyyntihinnan perusteella, koska arvioinnin siinä vaiheessa ei ole käytettävissä muuta hintaa.

Arvioinnin ja hankinnan yhteensovitus koskee lähinnä, mitä ja millä perusteella arvioinnissa ja päätöksenteossa voidaan olettaa mahdollisen hinnanalennuksen suuruudesta. Samalla tulisi arvioida voitaisiinko hintaneuvottelu käydä ennen lopullista päätöksentekoa, jolloin myönteinen tai kielteinen päätös käyttöönotosta voitaisiin tehdä neuvotellulla hinnalla.

7.11 Työryhmän johtopäätökset arvioinnin lähentämisen näkökulmista

Avo- ja sairaalalääkkeiden arvioinnin lähentämistä voidaan tarkastella edellä kuvatun mukaisesti useammasta eri näkökulmasta. Jatkovalmistelussa on valittava keskeisimmät näkökulmat, jotka täyttävät mahdollisimman hyvin tavoitteen lähentämisestä. Näkökulmien välillä on myös keskinäisiä riippuvuuksia, esimerkiksi käsittelymaksurahoi- tus tai arvioinnin pakollisuus ovat mahdollisia ainoastaan hakemusperusteisessa mal- lissa, jossa kaikilla halukkailla yrityksillä on mahdollisuus tehdä hakemus ja arvioiva taho on ne velvollinen käsittelemään.

8 Työryhmän johtopäätökset

8.1 Tavoitetila

Työryhmä listasi hyvän arviointijärjestelmän ominaisuuksiksi seuraavat:

- Lääkkeiden arviointitoiminta on koordinoitu kansallisella tasolla ja se on kansallisen sote-ohjauksen tavoitteiden kanssa mahdollisimman yhden-suuntaista
- Arviointiosaaminen on koottu yhteen kansallisesti
- Arviointi ja päätöksenteko on erotettu toisistaan, vaikka ne tapahtuisivat samassa yksikössä
- Kaikkia terveydenhuollon menetelmiä, mukaan lukien avo- ja sairaalalääkkeitä sekä laitteita, arvioidaan mahdollisimman samanlaisin kriteerein ja arviointimenettelyjen tulee olla mahdollisimman yhdenmukaiset
- Ratkaisut ovat yhdenmukaisia ja niiden sitovuus on mahdollisimman suuri
- Arvioinnin tulisi pääsääntöisesti olla edellytys sille, että lääkettä voidaan kustantaa julkisin varoin
- Lääkkeiden arviointitoiminnan tulisi perustua ensisijaisesti hakemusperusteisuuteen
- Lääkkeiden arviointiin tulisi kohdistaa riittävät resurssit sen oikea-aikaisuuden ja laadun varmistamiseksi
 - Resurssien varmistaminen on todennäköisesti helpompaa käsitelymaksuilla kustannettavassa järjestelmässä kuin budjettirahoitteisessa
- Arvioinnissa hyödynnetään terveydenhuollon rekistereistä saatavia tietoja
- Ratkaisuja voidaan päivittää ja uudelleenarvioida tarpeen mukaan
- Arviointitoiminnan vaikuttavuutta seurataan säännöllisesti
- Osallistutaan kansainväliseen yhteistyöhön

8.2 Arviointijärjestelmän organisointivaihtoehtoja

Työryhmän toimeksianto ei sisältänyt sen selvittämistä, miten lääkkeiden arviointi- ja päätöksentekojärjestelmä tulisi jatkossa organisoida. Koska organisointitavalla ja aikataululla, minkä kuluessa eri vaihtoehdot voisivat olla toteutettavissa, on merkitystä

arviointiprosessin järjestämisen kannalta, työryhmä on kuitenkin lyhyesti arvioinut eri vaihtoehtoja. Työryhmä ei tarkemmin arvioinut eri vaihtoehtojen hyviä ja huonoja puolia. Seuraavassa on listattu neljä vaihtoehtoa:

1. Nykymalli minimimuutoksin
 - Tehdään nykyprosessin rinnalle HTA-asetuksesta johtuvat prosessimuutokset
 - Viranomaisten organisatorinen asema ja tehtävät pysyvät pääpiirteittäin ennallaan
 - Sovitaan mihin nykyiseen viranomaiseen sijoitetaan HTA-asetuksen vaatiman kansallisen koordinaation toiminnot ja päätehtään tarvittavista resurssillisäyksistä ja -siirroista
2. "Hila-Palko" -malli
 - 1. mallissa esitettyjen toimien lisäksi lähennetään Hilan ja Palkon toimintaa STM:n sisällä
 - Voi sisältää lainsäädännön, alempien säädösten ja ohjeiden sekä sisäisten toimintatapojen muutoksia ja vapaamuotoisen yhteistyön lisäämistä
 - Rajoittavina tekijöinä mm. Hilan ja Palkon toiminnan erilainen luonne ja rahoituspohja sekä käsiteltäviin asioihin liittyvät salassapitovelvoitteet
3. Kansallinen HTA-viranomainen (suppea)
 - Siirretään samaan viranomaiseen kaikki valtion viranomaisten HTA-arviointitoiminnot lukuun ottamatta Fimean ja Kelan arviointitoimintoja
4. Kansallinen HTA-viranomainen (laaja)
 - Siirretään samaan viranomaiseen kaikki valtion viranomaisten HTA-arviointitoiminnot
 - Kelan HTA-toimintojen sijoittuminen tulee arvioida erikseen huomioiden mm. Kelan erityisasema eduskunnan alaisena laitoksena

HTA-asetuksen soveltaminen alkaa vuoden 2025 alussa, joten vaihtoehtojen 3 tai 4 toteuttaminen siihen mennessä ei aikataulujen puolesta ole realistista. Mikäli kansallisen HTA-viranomaisen perustamiseen päädytään, siihen tulee siis edetä kaksipuolaisesti, aloittaen organisoitumisen muutos malleista 1 tai 2 ja tämän jälkeen edeten malliin 3 tai 4.

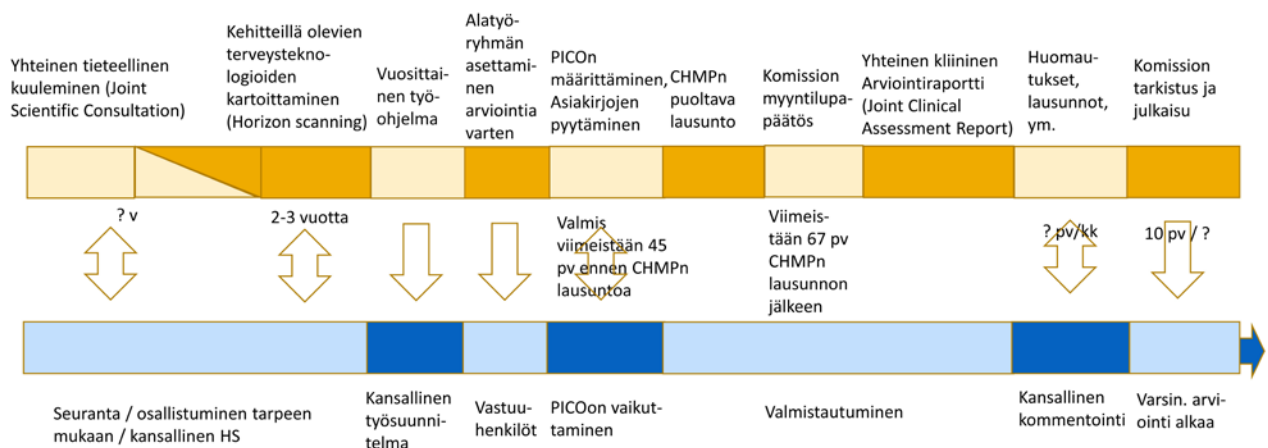
8.3 Kansallisen arviointiprosessin sovittaminen HTA-asetuksen prosessiin

Seuraavassa esitetään HTA-asetuksen mukainen prosessi ja sen rinnalla arvioidaan, mitä toimia ja resursseja missäkin vaiheissa edellytetään kansallisesti.

HTA-asetus määrittää pääpiirteissään menettelytavat ja osan määräajoista (Kuva 6), mutta tarkemmin menettelyjä ja määräaikoja on tarkoitus säädellä komission täytäntöönpanosäädöksillä ja koordinoitiryhmän päätöksillä, jotka on tarkoitus hyväksyä ennen asetuksen soveltamisen alkamista tammikuussa 2025. Tämän vuoksi tässä vaiheessa ei ole mahdollista yksityiskohtaisesti arvioida kansalliseen lainsäädäntöön ja muuhun alemman asteiseen sääntelyyn tarvittavia muutoksia.

Kuvio 6. HTA-asetuksen mukainen prosessi ja kansallinen prosessi rinnakkain.

HTA-asetuksen mukainen prosessi ja kansallinen prosessi pääpiirteittäin – kliininen arviointi



8.3.1 Yhteinen tieteellinen kuuleminen (Joint Scientific Consultation) (artiklat 16–21)

Yhteisten tieteellisten kuulemisten tarkoituksena on vaihtaa tietoja terveysteknologioiden kehittäjien kanssa ja edistää yhteisessä kliinisessä arvioinnissa tarvittavan näytön saamista. Yhteinen tieteellinen kuuleminen on vapaaehtoista ja se käynnistyy yrityksen pyynnöstä. Käytännössä lääkkeiden kohdalla se ajoittuu ennen kolmannen faasin tutkimuksia. Lääkkeiden osalta yritys voi pyytää, että kuuleminen toteutetaan rinnakkain Euroopan lääkeviraston tieteellisen neuvonnan kanssa. Laitteiden osalta voidaan pyytää asiantuntijapaneelin kuulemista. Mikäli kuulemista koskevien pyyntöjen määrä ylittää työohjelmassa suunniteltujen kuulemisten määrän, koordinoitiryhmä valitsee kuulemisiin otettavat menetelmät.

Koordinoitiryhmä käynnistää yhteisen tieteellisen kuulemisen nimeämällä sitä varten alaryhmän, joka puolestaan valitsee keskuudestaan arvioitsijan ja avustavan arvioitsijan eri jäsenvaltioista. He laativat luonnoksen loppuasiakirjaksi, johon alaryhmän jäsenillä on mahdollisuus ottaa kantaa. Jäsenet voivat tarvittaessa esittää erityisesti omaa maataan koskevia lisäsuosituksia.

Luonnoksen laatimisen yhteydessä potilailla, kliinisillä asiantuntijoilla ja muilla asiantuntijoilla on mahdollisuus esittää lausuntoja. Lisäksi kuulemisen yhteydessä on järjestettävä tapaaminen näiden tahojen sekä terveysteknologian kehittäjän kanssa näkemysten vaihtamiseksi. Mikäli kuuleminen toteutetaan rinnakkain EMA:n antaman tieteellisen neuvonnan tai asiantuntijapaneelin kanssa, niiden edustajat on tarvittaessa kutsuttava tilaisuuteen. Huomautusten ja lausuntojen vastaanottamisen jälkeen arvioitsijat tarkastelevat niitä ja viimeistelevät luonnoksen yhteisen tieteellisen kuulemisen loppuasiakirjaksi.

Koordinoitiryhmä hyväksyy kuulemisen loppuasiakirjan ja komissio toimittaa sen kuulemista pyytäneelle yritykselle. Anonymisoitu luottamuksellista tietoa sisältämätön tiivistelmä julkaistaan vuosikertomuksessa ja verkkoalustalla.

Asetuksessa todetaan, että yhteisen tieteellisen kuulemisen loppuasiakirjassa on lääkkeiden osalta tarvittaessa neuvottava käyttämään näyttöön perustuvan lääketieteen kansainvälisten normien mukaisesti suoraan vertailevia kliinisiä tutkimuksia, jotka ovat satunnaistettuja, sokkoutettuja ja joissa käytetään vertailuryhmää. EU:n komissio ja koordinoitiryhmä hyväksyvät tarkemmat menettelysäännöt, mukaan lukien määräajat. Ennen niiden hyväksymistä ei voida yksityiskohtaisesti suunnitella ansallisenkansallisen arviointiprosessin yhteensovittamista EU-tason prosessiin.

Jäsenmaa voi itse päättää, missä laajuudessa se osallistuu yhteisen tieteellisen kuulemisen toteuttamiseen. Koordinointiryhmän jäsenet saavat loppuasiakirjan hyväksymisen yhteydessä tiedot sen sisällöstä, mutta tietojen laajempi hyödyntäminen voi olla rajoittunutta niiden luottamuksellisuuden takia. Mikäli päätetään osallistua alaryhmään – arvioijan tai apulaisarvioijan tehtävästä puhumattakaan – tulee huolehtia riittävästä kansallisesta koordinaatiosta ja tuesta, mikä edellyttää, että jo tuossa vaiheessa on nimetty vastuuhenkilö tai -ryhmä. Tehtävä sopisi kansalliselle HTA-viranomaiselle, mikäli sellainen päätetään jossain vaiheessa perustaa. Sitä ennen tai sen sijasta koordinaatiryhmässä olevien tahojen eli Hilan, Palkon, Fimean ja FinCCHTAn tulisi sopia yhteistoiminnasta.

8.3.2 Kehitteillä olevien terveysteknologioiden kartoittaminen (Horizon scanning) (artikla 22)

HTA-asetuksen mukaan koordinaatiryhmä huolehtii selvitysten laatimisesta kehitteillä olevista terveysteknologioista, joilla odotetaan olevan merkittävää vaikutusta potilasiin, kansanterveyteen tai terveydenhuoltojärjestelmiin. Selvityksissä käsitellään arvioituja kliinisiä vaikutuksia ja mahdollisia organisatorisia ja rahoituksellisia vaikutuksia kansallisiin terveydenhuoltojärjestelmiin. Selvitykset laaditaan eri lähteistä kerättävien tietojen pohjalta. Lääkkeiden osalta kartoitus voi olla ajankohtaista noin 2–3 vuotta ennen arvioitua myyntiluvan myöntämistä ja tämä vaihe voi mennä osin päällekkäin yhteisen tieteellisen kuulemisen kanssa. Selvitykset julkaistaan verkkoalustan julkisessa osiossa.

Suomessa sekä Fimea että Hila toteuttavat kehitteillä olevien menetelmien kartoitusta ensisijaisesti työsuunnitelmien laatimiseksi, mutta laajemmin tietoja ei hyödynnetä esimerkiksi terveydenhuollon tulevien rahoitustarpeiden ennakoimiseksi. Laajempi tietojen jakaminen ja hyödyntäminen eri tahoilla edellyttäisi kansallista vastuutahoa tai koordinaatiota, joka voisi olla toteutettavissa samalla tavoin kuin yhteisten tieteellisten kuulemista kohdalla.

8.3.3 Vuosittainen työohjelma (artikla 6)

Koordinaatiryhmä hyväksyy marraskuun loppuun mennessä seuraavan vuoden työohjelman, joka sisältää muun muassa suunnitellun arviointien ja niiden päivittämisen, kuulemisten sekä vapaaehtoisessa yhteistyössä tehtävien arviointien lukumäärä. Työohjelman valmistelussa huomioidaan selvitykset kehitteillä olevista teknologioista, tiedot EMA:lle tehdyistä ja tulevista myyntilupahakemuksista sekä kuullaan sidosryhmäverkostoa ja komissiota. Myös käytettävissä olevat resurssit huomioidaan.

Työohjelman tiedot muodostavat pohjan eri tahojen vuosittaisille kansallisille työsuunnitelmille. Vaikka HTA-asetuksessa ei nimenomaisesti sanota, että työohjelmassa lueteltaisiin nimeltä arvioitavaksi suunnitellut lääkkeet ja laitteet, todennäköisesti ainakin suurin osa niistä tulee jo tietoon ohjelmaa laadittaessa ja tiedot voidaan hyödyntää kansallisten työsuunnitelmien laadinnassa ja arviointeihin valmistautumisessa jo ennen niiden virallista alkamista.

8.3.4 Yhteisen kliinisen arvioinnin käynnistäminen (artikla 8)

Koordinointiryhmä käynnistää yhteisen kliinisen arvioinnin asettamalla alaryhmän suorittamaan sitä. Koordinointiryhmän jäsenet nimeävät alaryhmän jäseniksi kansalliset tai alueelliset viranomaiset ja elimet. Jäsenet voivat nimetä useamman kuin yhden jäsenen kustakin maasta, mutta kullakin jäsenmaalla on vain yksi ääni. Alaryhmään voi tulla nimetyksi muukin taho kuin koordinointiryhmän jäsen. Alaryhmän jäsenet nimeävät alaryhmiin tapauskohtaiset tai pysyvät edustajansa, joilla on oltava riittävä asiantuntemus terveysteknologian arvioinnissa, ja ilmoittavat komissiolle näiden nimeämisestä sekä mahdollisista myöhemmistä muutoksista. Mikäli tarvitaan erityistietämystä, alaryhmän jäsenet voivat nimetä useamman kuin yhden edustajan. HTA-asetus ei säätele sitä, kuinka monta alaryhmää voidaan perustaa.

Alaryhmä valitsee jäsentensä joukosta eri jäsenvaltioista arvioijan ja avustavan arvioijan suorittamaan kliinisen arvioinnin. Nimeämisissä on huomioitava tarvittava tieteellinen asiantuntemus. Samasta menetelmästä yhteisen tieteellisen kuulemisen laatineet henkilöt eivät voi tulla nimetyiksi, ellei poikkeuksellisesti ole muuten saatavilla tarvittavaa asiantuntemusta.

Viimeistään yhteisen kliinisen arvioinnin käynnistämisvaiheessa tulee asettaa vastuuhenkilö, joka välittää tietoa EU- ja kotimaisen tason välillä sekä huolehtii arviontiin liittyvästä kansallisesta koordinaatiosta ja tietojen hankinnasta.

8.3.5 Yhteisen kliinisen arvioinnin toteuttaminen (artiklat 9–11)

Alaryhmä aloittaa kliinisen arvioinnin määrittämällä arvioinnin kohdealan, jonka tulee olla kattava ja jonka muuttujien vastattava jäsenmaiden tarpeita. Kohdealan määritellyyn sisältyy erityisesti PICO-kysymyksenasettelun muuttujien määrittelymäärittely.

Kohdealan rajauksessa on huomioitava terveysteknologian kehittäjän toimittamat tiedot sekä potilailta, kliinisiltä asiantuntijoilta ja muilta asiantuntijoilta saadut lausunnot.

EU:n komissio ilmoittaa yritykselle arvioinnin kohdealan ja pyytää sitä toimittamaan asiakirja-aineiston määräajassa, joka lääkkeissä on viimeistään 45 päivää ennen arviointia CHMP:n puoltavaa lausuntoa. Jos komissio toteaa, että aineisto on toimitettu oikea-aikaisesti ja täyttää vaatimukset, se tallentaa aineiston verkkoalustalle koordinoitiryhmän jäsenten saataville. Mikäli aineisto ei täytä vaatimuksia, yritykselle lähetetään toinen pyyntö. Mikäli toisenkaan pyynnön jälkeen ei saada vaatimukset täyttävää aineistoa, koordinoitiryhmän on keskeytettävä arviointi. Mikäli tarvittavat tiedot saadaan, arviointi voidaan käynnistää uudelleen viimeistään kuuden kuukauden kuluttua alkuperäisestä ensimmäisestä pyynnöstä.

Arvioija ja avustava arvioija laativat yhteistä kliinistä arviointia koskevan raportin ja tiivistelmäraportin luonnokset yrityksen toimittaman asiakirja-aineiston perusteella. Tarvittaessa komissio voi heidän aloitteestaan pyytää yritykseltä lisätietoja. Yrityksen on myös ilmoitettava koordinoitiryhmälle, jos uusia kliinisiä tietoja tulee saataville. Arvioijat voivat tarvittaessa saada käyttöönsä myös tietokantoja ja muita kliinisen tiedon lähteitä, kuten potilasrekistereitä.

Laitteiden osalta määräajasta säädetään erikseen. Vahvistamisen jälkeen alaryhmän jäsenet voivat esittää luonnoksista huomautuksensa ja lisäksi ryhmän tulee varmistaa, että potilaat kliiniset asiantuntijat ja muut asiantuntijat otetaan mukaan arviointiprosessiin antamalla tilaisuus lausuntojen esittämiseen. Yritys saa mahdollisuuden ilmoittaa puhtaasti teknisistä tai asiantuntemuksissa olevista epätarkkuuksista ja luottamuksellisina pitämistään tiedoista. Yritys ei kuitenkaan saa esittää huomautuksia luonnoksen tuloksista. Arvioijat laativat tarkistetut raporttiluonnokset ja toimittavat ne koordinoitiryhmälle. Koordinoitiryhmä vahvistaa raporttiluonnokset viimeistään 30 päivää sen jälkeen, kun lääkkeelle on myönnetty myyntilupa (myyntilupa on myönnettävä viimeistään 67 päivää CHMP:n lausunnon jälkeen).

Arvioinnin kohdealan määrittäminen, käytännössä PICO-kysymyksenasettelu ja valittavat muuttujat, on keskeinen yhteisen kliinisen arvioinnin kansallisen hyödynnettävyyden kannalta. Työryhmän arvion mukaan HTA-asetuksen soveltamisen täydessä laajuudessa kyse voisi olla vuosittain 100–150 uudesta lääkkeisiin (uudet lääkeaineet ja käyttöaiheen laajennukset) liittyvästä PICO-asetelman kommentoinnista. Kun lisäksi huomioidaan laitteisiin liittyvät arvioinnit, vuosittainen kokonaismäärä voi 2030-luvulla nousta jopa kahteensataan. Siksi kansallisesti tulee olla nopea valmius ja riittävät resurssit vaikuttaa kysymyksenasetteluun ja muuttujien valintaan alaryhmässä. Erityisesti kliininen asiantuntemus ja tieto kotimaisista tutkimus- ja hoitokäytännöistä on tässä vaiheessa olennaista. Vastuhenkilöllä tulee sitä varten olla käytettävissään

tarpeellinen asiantuntijatuki. Myös luonnosten kommentointivaiheissa koordinoitiryhmän ja alaryhmän jäsenillä tulee olla käytettävissään kliinistä asiantuntemusta. Samalla on huomioitava myös materiaalin luottamuksellisuus.

Käytännössä asiantuntijatuki olisi toteutettavissa verkostolla, johon voisivat kuulua esimerkiksi arviointiyhteistyöverkosto, kliinisiä hoitosuosituksia laativat ja ylläpitävät työryhmät ja erikoisalayhdistykset. Erikoissairaanhoidon lisäksi myös perusterveydenhuolto olisi huomioitava. Verkosto tehtäviin voisi sisältyä myös arviointien jalkauttaminen käytännön hoitoon.

8.3.6 Yhteisen kliinisen arvioinnin saattaminen päätökseen (artikla 12)

Saatuun tarkistettuihin raporttiluonnoksiin koordinoitiryhmä tarkastelee niitä uudelleen ja pyrkii vahvistamaan ne yksimielisesti aikataulussa. Ellei yksimielisyyttä voida saavuttaa, erilaiset tieteelliset lausunnot perusteluineen liitetään raportteihin ja ne katsotaan vahvistetuiksi. Sen jälkeen raportit toimitetaan komissiolle menettelyseikkojen tarkistamista varten. Vaatimukset täyttävät raportit julkaistaan verkkoalustalla julkisesti saataville. Mikäli komissio katsoo, etteivät raportit ole menettelysääntöjen mukaiset, se palauttaa ne koordinoitiryhmälle uudelleen tarkasteltaviksi. Ryhmän tehty tarvittavat korjaukset ne toimitetaan uudelleen komissiolle, joka julkaisee ne. Jos raportit eivät edelleenkään täyty sääntöjä, ne tallennetaan verkkoalustalle jäsenmaiden käyttöön, mutta niitä ei julkaista.

Myös raportin viimeistelyvaiheessa koordinoitiryhmässä toimivilla kansallisilla edustajilla tulee olla käytettävissään tarpeellinen asiantuntijatuki.

8.3.7 Jäsenmaiden oikeudet ja velvoitteet (artikla 13)

Tehdessään kansallista arviointia terveysteknologiasta, josta on julkaistu yhteinen kliininen raportti tai josta on käynnistetty yhteinen arviointi, kansallisen viranomaisen on otettava omassa arvioinnissaan huomioon yhteinen kliininen raportti ja muut verkkoalustalla saatavilla olevat tiedot. Lisäksi yrityksen toimittama materiaali ja yhteinen kliininen raportti on liitettävä osaksi kansallisen arvioinnin materiaalia. Jäsenmaa ei saa pyytää uudelleen tietoja, jotka on toimitettu keskitetysti, eikä yritys saa tällaisia tietoja jäsenmaalle toimittaa. Mikäli tällaisia tietoja kuitenkin jäsenmaa saa, sen tulee jakaa ne verkkoalustan kautta.

Jäsenvaltion on annettava koordinoitiryhmälle tiedot ja raportti kansallisesta arvioinnista, josta on tehty kliininen yhteinen arviointi. Tiedot on annettava 30 päivän kuluessa kansallisen arvioinnin päättymisestä. Tietoja on annettava erityisesti siitä, miten yhteistä kliinistä arviointia koskevat raportit on otettu huomioon kansallista terveysteknologian arviointia suoritettaessa. Komissio laatii ja julkaisee jäsenmaiden toimittamien tietojen perusteella yhteenvetoja.

Kuten edellä on todettu, yhteisen kliinisen raportin tiedot on otettava huomioon, mutta ne eivät rajoita jäsenmaan oikeutta tehdä itse johtopäätöksi terveysteknologian kliinisestä lisäarvosta ja itse päättää julkisen terveydenhuollon sisällöstä ja resursoinnista. Kansallisesti on luotava menettely, jonka kautta arviointeja tekevät tahot saavat käyttöönsä verkkoalustalle tallennetut tiedot ja raportit, jotka saattavat joltain osin tai jossain vaiheessa prosessia olla luottamuksellisia. Kansallisen arvioinnin pohjaksi voidaan siis saada nykyistä laajemmin materiaalia. Lisäksi on sovittava vastuista ja käytännöistä raportoitaessa kansallisesta tietojen käytöstä ja raporteista.

8.3.8 Yhteisten kliinisten arviointien päivittäminen (artikla 14)

Koordinoitiryhmän on tarvittaessa päivitettävä yhteisiä kliinisiä arviointeja. Alkuperäisessä raportissa on voitu määritellä päivittämisen tarve silloin, kun lisänäyttöä tulee saataville. Vaihtoehtoisesti yksi tai useampi ryhmän jäsen voi pyytää päivittämistä, kun saatavilla on uutta kliinistä näyttöä. Samoin vuotuista työohjelmaa laatiessaan koordinoitiryhmä voi arvioida päivittämisen tarvetta. Itse päivityksen toteutuksessa noudatetaan samoja sääntöjä kuin yhteisten kliinisten arviointien toteuttamisessa.

Jäsenmaat voivat tehdä itse kansallisia päivityksiä, mutta siitä on informoitava muita koordinoitiryhmän kautta. Myös tällöin voidaan päättää yhteisestä päivittämisestä. Tiedot kansallisista päivityksistä on jaettava verkkoalustan kautta.

On mahdollista, että yhteinen kliininen arviointi käynnistyy ja valmistuu ajankohtana, jolloin Suomessa on voimassa Hilan päätös kohtuullisesta tukkumyyntihinnasta tai Palkon suositus palveluvalikoimaan kuulumisesta. Jatkovalmistelussa on selvitettävä, miten näissä tilanteissa tulisi toimia eli voidaanko myös kansalliset ratkaisut ottaa uudelleen arvioitaviksi kesken voimassaoloajan.

8.3.9 Työryhmän arvio HTA-asetuksen vaikutuksista

HTA-asetus ei rajoita kansallista terveydenhuollon sisältöä tai rahoitusta koskevaa päätösvaltaa, mutta asettaa joitain vaatimuksia tai rajoituksia menettelyille, joiden puitteissa kansallista päätösvaltaa käytetään. Suomessa HTA-arvioiteja tekee tai hyödyntää työssään useampi taho (Hila, Palko, Fimea, FinCCHTA, Kela). Asetuksen nojalla on mahdollista, että jäsenmaasta osallistuu useampia jäseniä koordinoitiryhmän tai sen alaryhmien työhön, mutta tahojen välillä tulee olla riittävä yhteistyö ja koordinaatio, koska viime kädessä Suomella on päätöstilanteissa vain yksi ääni, jonka käytöstä tulee sopia yhdessä.

HTA-asetuksen mukaan toimittaessa tulee olla kansallisesti tarvittaessa valmius ottaa kantaa kehitteillä olevaa lääkettä tai laitetta koskeviin kysymyksiin mahdollisen yhteisen tieteellisen kuulemisen aikana jo vuosia ennen markkinoille tuloa. Seurantaa jatketaan kehitteillä olevien terveysteknologioiden kartoittamismenettelyn ("horizon scanning") puitteissa. Viimeistään siinä vaiheessa, kun yhteisarvioinnin aloittaminen on näköpiirissä, tulee myös kansallisesti aloittaa valmistautuminen siihen ja kansalliseen arviointiin. Heti yhteisarvioinnin aloittamispäätöksen jälkeen tehtävä PICO-asetelman päättäminen edellyttää, että kansallisesti tärkeisiin seikkoihin, kuten vertailuhoitoihin, pystytään ottamaan kantaa. Varsinaisen yhteisen kliinisen arvioinnin aikataulu on niin nopea, että kansallinen etukäteisvalmistautuminen on välttämätöntä. Kokonaisuutena edellä todettu tarkoittaa, että kansallisesti arviointiin käytettävän työpanoksen tarve aikaistuu nykyisestä tilanteesta.

Kansallisessa arviointitoiminnassa tulee asianmukaisesti ottaa huomioon yhteinen kliininen raportti ja sen perustana oleva muu materiaali. Yhteiseen kliiniseen arviointiin osallistuminen ei kuitenkaan velvoita jatkamaan lääkkeen arviointia kansallisella tasolla, mikäli sille ei katsota olevan tarvetta. HTA-asetus sisältää kiellon pyytää ja toimittaa kansallisesti samoja materiaaleja, jotka ovat olleet kliinisen arvioinnin perusteena. Materiaalit tulee hakea yhteiseltä verkkoalustalta.

Koska HTA-asetuksen mukainen arviointimalli laajenee portaittain, eikä asetuksen täyden voimaantulon jälkeenkään kaikkia lääkkeitä ja laitteita arvioida asetuksen mukaisesti, kansallisesti tulee ylläpitää rinnakkain kahta arviointiprosessia. Tämä tulee huomioida myös lainsäädännössä.

HTA-asetuksen soveltaminen edellyttää muutoksia lääkkeiden hintalautakuntaa koskeviin sairausvakuutuslain pykäliin. Myös hintalautakunnan sisäisiä käsittelyprosesseja ja -aikatauluja koskeviin ohjeisiin on tehtävä muutoksia. Transparenssidirektiiviin perustuvat määräajat hakemusten käsittelylle ja HTA-asetuksen mukaisten arviointien

tai päivitysten valmistumisaikataulut saattavat joissain tilanteessa olla ristiriidassa keskenään ja näitä tilanteita varten on luotava ratkaisusäännöt.

Sairaalalääkkeiden osalta sääntely on tällä hetkellä niukkaa, kuten kohdasta 4.1.1 ilmenee. Mitä enemmän avo- ja sairaalalääkkeiden arviointia halutaan lähentää, sitä enemmän tarvitaan uutta säätelyä varsinkin sairaalalääkkeiden arvioinnista. Mikäli HTA-asetuksen mukaisen arviointitoiminnan vaatimien lainsäädäntömuutosten yhteydessä ei haluta tehdä laajempia muutoksia arviointijärjestelmään, tarvittavat lainmuutokset voivat olla vähäisiä.

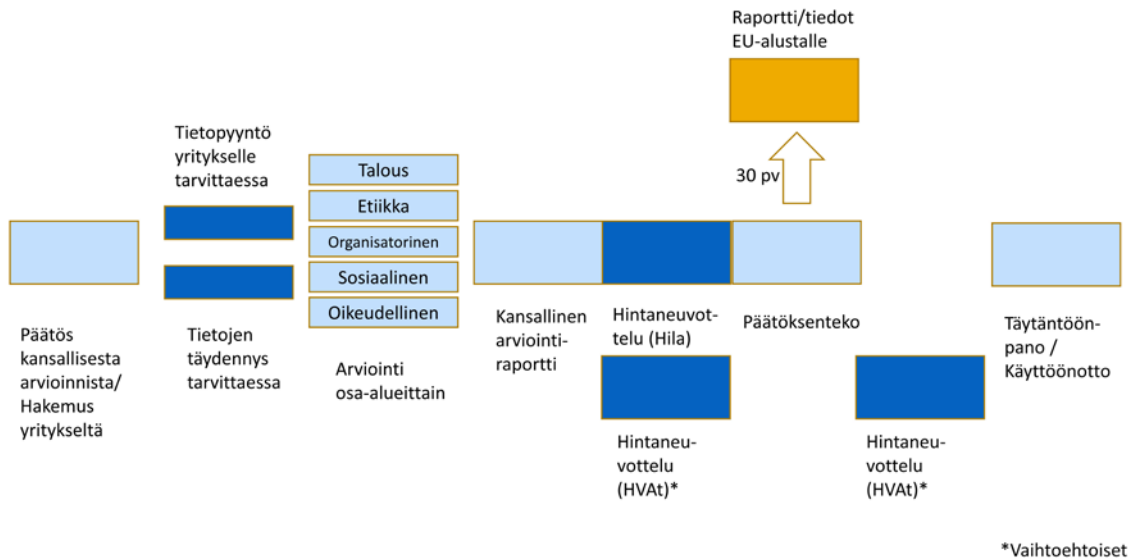
8.4 Kansalliset arviointiprosessit

8.4.1 Yhteisen kliinisen arvioinnin jälkeinen kansallinen arviointi ja päätöksenteko

Työryhmä on päättänyt kuvaamaan kansallisen arvioinnin ja päätöksenteon prosessin yleisellä tasolla yhtenä prosessina (Kuva 7), sillä HTA-asetuksen mukaisten menettelyjen yksityiskohdat eivät ole vielä tiedossa. Ratkaisu tukee myös avo- ja sairaalalääkkeiden arviointiprosessien lähentämisen tavoitetta.

Kuvio 7. Lääkkeiden kansallinen arviointiprosessi ja päätöksenteko, kun EU:n HTA-asetus on tullut voimaan.

Kansallinen arviointiprosessi pääpiirteittäin



8.4.2 Kansallisen arvioinnin käynnistäminen

Kuten edellä on todettu, yhteisen EU-tason kliinisen arvioinnin toteuttaminen ja siihen osallistuminen ei velvoita jäsenmaata jatkamaan arviointia kansallisella tasolla, vaan arvioinnista ja sen ajankohdasta voidaan tehdä päätös kansallisten säännösten perusteella. Transparensidirektiivin mahdollinen soveltaminen päätöksentekoon on kuitenkin huomioitava.

Kansallisen arvioinnin käynnistämisen prosessi riippuu olennaisesti siitä, onko kyseessä viranomaisaloitteinen vai hakemuserusteinen menettely. Edellä kohdassa 7.1 on kuvattu tarkemmin niihin liittyviä eroja. Viranomaisaloitteisessa arvioinnissa päätöksen aloituksesta tekee toimivaltainen viranomainen, kun taas hakemuserusteinen arviointi käynnistyy yrityksen hakemuksella.

8.4.3 Kansallisen arvioinnin toteuttaminen

Resurssien tarkoituksenmukaista käyttöä tukisi se, että samat tahot, jotka ovat olleet mukana yhteisen kliinisen arvioinnin toteuttamisessa, osallistuvat myös kansalliseen arviointiin.

Arvioinnin käynnistämisen jälkeen on keskeistä arvioida, onko tarvetta täydentää yhteistä kliinistä arviointia kansallisesti. HTA-asetus ei estä pyytämästä yritykseltä kansallisesti selvennystä toimitettuihin tietoihin, dataan, analyysiin tai muuhun näyttöön. (resitaalin kohta 32). Myös silloin, kun kansallinen arviointi aloitetaan vasta myöhemmin, jäsenvaltioilla on mahdollisuus ottaa huomioon sellaisia tietoja, dataa, analyysseja ja muuta näyttöä, jotka eivät sisältyneet unionin tason yhteiseen kliiniseen arviointiin (resitaalin kohta 30). Ottaen kuitenkin huomioon jäsenmaiden oikeus itse päättää terveydenhuollon sisällöstä ja rahoituksesta, asetuksella ei viime kädessä voida rajoittaa kansallisen arvioinnin tietopohjaa ja sisältöä.

Kansallisesti arvioitavia elementtejä ovat HTA-asetuksen mukaan kustannukset ja taloudelliset vaikutukset sekä eettisten, organisatoristen, sosiaalisten ja oikeudellisten näkökohtien huomioiminen. Kansallinen lainsäädäntö määrittää kuitenkin sen, mitä eri seikkoja kansallisessa arvioinnissa huomioidaan. EU:n jäsenmaat voivat halutessaan tehdä vapaaehtoista yhteistyötä ei-kliinisissä arvioinneissa ja HTA-asetuksen 23 artiklan nojalla komissio voi tukea sitä.

Yrityksen tulee toimittaa arvioivan viranomaisen ohjeiden mukainen materiaali arvioinnin perustaksi. Tarvittaessa viranomaisen on pyydettävä täydennystä hallintolain 31 §:n mukaisen selvittämismääräyksen täyttämiseksi. Samoin viranomaisen on huolehdittava muun tarvittavan selvityksen hankkimisesta.

HTA-asetus velvoittaa jäsenmaan ottamaan asianmukaisesti huomioon julkaistut yhteistä kliinistä arviointia koskevat raportit ja kaikki muut verkkoalustalla saatavilla olevat tiedot. Kansalliseen arviointiin on liitettävä yrityksen toimittama asiakirja-aineisto ja yhteistä kliinistä arviointia koskevat raportit. Muilta osin HTA-asetus ei säätele kansallisen arvioinnin toteuttamista eikä arviointiraportin sisältöä.

8.4.4 Kansallinen arviointi ja hinnan huomioiminen/hintaneuvottelut

Edellä kohdissa 4.1 ja 4.2 kuvatun mukaisesti lääkkeen hinta huomioidaan avo- ja sairaalalääkkeiden arvioinnissa tällä hetkellä eri tavoin. Hilan lakisääteinen tehtävä on yrityksen hakemuksesta vahvistaa kohtuullinen tukkuhinta, joten hinta on arvioinnin

keskeinen elementti. Käsittelyn kuluessa voidaan käydä keskusteluja yrityksen kanssa, mutta viime kädessä Hila voi vain hyväksyä tai hylätä yrityksen ehdottaman hinnan. Hyväksytyt hinta on julkinen lukuun ottamatta ehdollisen korvattavuuden menettelyä, jossa yrityksen kanssa tehdään sopimus julkista tukkuhintaa alemmasta hinnasta.

Sairaalalääkkeiden arviointi Palkossa tapahtuu tällä hetkellä julkisen tukkumyyntihinnan perusteella ja hyvinvointialueet käyvät hintaneuvottelut vasta Palkon suosituksen julkaisemisen jälkeen. Kun arvioinnissa ei voida käyttää todellista, sovittua hintaa, myöskään kustannusvaikuttavuuden tai budjettivaikutuksen laskenta ei anna todellista tulosta. Vaihtoehtona voisi olla Palkon prosessin jakaminen kahteen osaan niin, että hintaneuvottelut käytäisiin arvioinnin valmistumisen jälkeen ja vasta kun hinnasta olisi päästy sopimukseen lääkkeen myyjän ja ostajan välillä, Palko antaisi lopullisen ratkaisun siitä, kuuluuko lääke julkisen terveydenhuollon palveluvalikoimaan.

8.4.5 Kansallinen päätöksenteko

Kansallisella päätöksenteolla tarkoitetaan arvioinnissa kerättyjen tietojen perusteella kansallista lainsäädäntöä noudattaen tehtävää ratkaisua menetelmän käyttöönotosta ja sen ehdoista. Päätöksentekoa voidaan kutsua myös arvottamiseksi (englanniksi appraisal), koska siinä punnitaan eri tekijöiden suhdetta toisiinsa.

Edellä kohdassa 3.2 todetun mukaisesti arvioinnin ja päätöksenteon tulisi olla erotettuna toisistaan, vaikka ne tapahtuisivatkin samassa organisaatiossa. Tämä toteutuu jo tällä hetkellä Hilan ja Palkon prosesseissa, joissa virkamiessihteeristö valmistelee esitykset, mutta ulkopuolisista henkilöistä koostuva, valtioneuvoston tai ministeriön nimitämä elin tekee ratkaisut. Tämä malli on syytä säilyttää mahdollisissa organisatorisissa uudistuksissa.

Kansallisen päätöksenteon keskeisten elementtien osalta työryhmä ei tunnistanut erityisiä HTA-asetuksesta tai muista syistä johtuvia kehittämistarpeita lukuun ottamatta Palkon ratkaisujen sitovuutta. Niiden sitovuuden lisäämisen mahdollisuudet tulee selvittää jatkossa osana terveydenhuollon sisällön ohjauksen lainsäädännön kehitystyötä. Sitovuuden lisääminen saattaa johtaa siihen, että transparenssidirektiivi tulee sovellettavaksi myös sairaalalääkkeiden arvioinnissa.

HTA-asetuksen 13 artiklan nojalla jäsenmaan on toimitettava tiedot kansallisesta arvioinnista koordinoitiryhmälle. Erityisesti on annettava tietoja siitä, miten yhteistä klii-

nistä arviointia koskevat raportit on otettu huomioon kansallista terveysteknologian arviointia suoritettaessa. Lisäksi kansallisista kliinisistä arvioinneista ja päivityksistä on 24 artiklan nojalla toimitettava raportti.

8.4.6 Täytäntöönpano / käyttöönotto

Hilan päätösten täytäntöönpano on Kelan tehtävä. Palkon suositusten ja hintaneuvottelujen jälkeiset päätökset lääkkeen käyttöönotosta tehdään terveydenhuollossa kunkin organisaation päätöksentekokäytäntöjen mukaisesti. Edellä kohdassa 4.1.2 kuvattun kansallisen hintaneuvottelun prosessiin on tarvittaessa tehtävä lainsäädännön ja Palkon prosessin mahdollisista muutoksista johtuvat muutokset.

Osana arviointitoimintaa on perusteltua seurata myös sen vaikuttavuutta. Siihen sisältyy sekä yksittäisten ratkaisujen vaikuttavuuden seuranta, että järjestelmän yleisen vaikuttavuuden seuranta ja arviointi mukaan lukien sen arvioiminen, onko arviointiin käytettävien resurssien ja siitä saatavien hyötyjen suhde oikea. Vaikuttavuuden arvioinnin toteuttaminen edellyttää, että terveydenhuollosta saadaan riittävän tarkat tiedot arvioinnin pohjaksi.

8.4.7 Kansalliset päivitykset

HTA-asetuksen 14 artiklan nojalla jäsenmaa voi tehdä kansallisia päivityksiä sellaisista arvioinneista, joista on tehty yhteinen kliininen arviointi, mutta siitä on informoitava koordinoitiryhmää. Koordinointiryhmä voi myös päättää päivityksestä alkuperäisessä raportissa todetun tarpeen perusteella tai jäsenmaan pyynnöstä, jos saatavilla on uutta kliinistä näyttöä. Tiedot päivityksistä on valmistumisen jälkeen jaettava verkkoalustalla muille.

Hilan päätökset ovat määräaikaista eli mikäli lääkeyritys haluaa pitää korvattavuuden voimassa, yrityksen tulee tehdä uusintahakemus tietyin väliajoin. Ainakin osassa korvattavuuden uudistamista koskevista päätöksistä saattaa olla kyse asetuksen tarkoittamasta päivityksestä, jolloin päätöksiin liittyy informointi- ja tiedonjakovelvollisuus. Ilman lääketieteellisen näytön uudelleen arviointia tapahtuviin puhtaisiin kohtuullisen myyntihinnan uudelleen arviointeihin veloitteita ei ilmeisesti kuitenkaan liity. Palkon suositusten päivityksiin liittyy todennäköisesti asetuksen mukaiset informointi- ja tiedonjakovelvoitteet.

EU-tason päivityksen käynnistyminen saattaa vaikuttaa kansallisen päivityksen aika-
tauluun ja tietopohjaan. Lääkkeiden osalta ainakin myyntiluvan ehtoihin tehtävät muu-
tokset saattavat olla tekijöitä, jotka käynnistävät EU-tason päivityksen, koska muutok-
set koskevat kaikkia jäsenvaltioita.

8.5 Nykyiset arviointiprosessit uusien prosessien rinnalla

Koska HTA-asetuksen soveltaminen laajenee portaittain ja koska se ei tule laajim-
massakaan muodossaan koskemaan kaikkia lääkkeitä ja laitteita, HTA-asetuksen mu-
kaiseen raporttiin pohjautuvan kansallisen arvioinnin rinnalla tulee edelleen säilyttää
kansalliset arviointi- ja päätöksentekoprosessit. Niiden merkitys kuitenkin todennäköi-
sesti vähenee 2030-luvulla HTA-asetuksen soveltamisen saavutettua täyden laajuus-
den.

Avolääkkeiden osalta Hilan prosessi on säännelty jo nyt varsin yksityiskohtaisesti sai-
rausvakuutuslaissa ja näihin säännöksiin tulee tehdä tarvittavat muutokset, jotta uu-
den ja vanhan prosessin välillä ei ole tarpeettomia eroja. Sairaalälääkkeiden osalta
sääntely on kohdassa 4.1.1 kuvatun mukaisesti tällä hetkellä niukkaa. Lainsäädäntö-
teknisesti sekä uuden että nykyisen prosessin sääntely tulee toteuttaa saman tasoi-
sesti, eli mitä tarkemmin uusi prosessi säädellään, sitä enemmän joudutaan säätele-
mään myös nykyistä prosessia.

HTA-asetuksen 23 artiklan perusteella jäsenmaat voivat tehdä vapaaehtoista yhteis-
työtä, jota komissio tukee. Tämä yhteistyö voi koskea yhteisten kliinisten arviointien
ulkopuolelle jääviä lääkkeitä ja laitteita.

8.6 Keskeiset HTA-asetuksen vaikutukset ja siitä johtuvat muutos- ja kehittämistarpeet

Edellä kuvatun perusteella työryhmä on tiivistänyt HTA-asetuksen vaikutukset ja siitä johtuvat muutos- ja kehittämistarpeet seuraavasti:

- HTA-asetuksen mukainen kansainvälinen yhteistyö ja asetuksen kansallinen täytäntöönpano vaativat riittäviä resursseja ja HTA-arvioinnin eri osa-alueiden osaamista, mutta toisaalta ne tarjoavat myös mahdollisuuden kehittää kansallista osaamista
- Arvioinnin kansallisen osaamisen kokoaminen yhden organisaation puitteisiin varmistaisi osaltaan resurssien ja osaamisen riittävyyden, mutta lisäresurssiejakin tarvitaan
 - Tueksi tarvitaan kansallinen asiantuntijaverkosto, joka pystyy reagoimaan tarvittaessa nopeastikin tietotarpeisiin
- Ottaen huomioon HTA-asetuksen soveltamisen alkaminen vuoden 2025 alussa arviointitoiminnan muutokset on tehtävä kahdessa vaiheessa:
 - asetuksesta johtuvat välttämättömät muutokset soveltamisen alkuun mennessä
 - myöhemmässä vaiheessa laajemmat muutokset, kuten osaamisen ja resurssien kokoaminen yhteen
- Käytettävissä olevien resurssien puitteissa on kansallisesti päätettävä, kuinka aktiivisesti Suomi osallistuu arviointien tekemiseen
- Kansallisen kannanmuodostuksen menettelyt tulee sopia, koska kullakin jäsenmaalla on vain yksi ääni HTA-asetuksen koordinoitiryhmässä
- EU-tasolla tehtävä kliininen HTA-arviointi tarjoaa mahdollisuuden aiempaa kattavampaan kansalliseen arviointiin, mutta hyötyjen varmistamiseksi on aktiivisesti vaikutettava arviointien kohteeseen jo niiden käynnistysvaiheessa, eli arviointeihin liittyvä työ muuttuu aiempaa etupainotteisemmaksi
- HTA-asetuksen mukainen yhteinen tieteellinen neuvonta ja kehitteillä olevien teknologioiden kartoitus tarjoavat tietoa, jota voidaan hyödyntää julkisen terveydenhuollon suunnittelussa, mutta sitä varten tarvitaan menettelyt tietojen jakamiseen kansallisesti
- Koska HTA-asetuksen mukaisissa menettelyissä ei erotella toisistaan avo- ja sairaalalääkkeitä, asetuksen voimaantulo osaltaan puoltaa avo- ja sairaalalääkkeiden arvioinnin lähentämistä kansallisesti
- Kansallisissa arvioinneissa tulee aiempaa selvemmin erottaa kliininen ja muu, ei-kliininen arviointi, mikä voi vaikuttaa sekä arviointien prosessiin että laadittavien asiakirjojen rakenteeseen
- Nykyisen lainsäädännön muuttamista ja uutta lainsäädäntöä tarvitaan, mutta niiden sisältöön voidaan tarkemmin ottaa kantaa vasta, kun HTA-

asetuksen nojalla annettavien tarkempia menettelytapoja koskevien päätösten sisältö on tiedossa

- Yhteisillä kliinisillä arvioinneilla on todennäköisesti heijastusvaikutuksia niiden varsinaisen soveltamisalan ulkopuolelle, kuten esimerkiksi sairaaloissa tapahtuvaan HTA-toimintaan tai laitteiden hankintoihin; rajanveto potilaskohtaiseen kliiniseen päätöksentekoon on pidettävä selvänä
- HTA-asetuksen mukaisten tehtävien asianmukainen ja oikea-aikainen toteuttaminen edellyttää, että jäsenvaltiot lisäävät resursseja arviointitoimintaan
 - HTA-asetuksen voimaantulon tosiasialliset kansalliset vaikutukset jäävät nähtäväksi: lyhyellä tähtäimellä lisäresurssien tarve ja lisätehtävät voivat korostua