

*Lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen  
arvon arviointi*



*Lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen  
arvon arviointi*

---





		<b>KUVAILULEHTI</b>	
<b>Julkaisija:</b> Sosiaali- ja terveysministeriö		<b>Julkaisun päivämäärä</b>	
<b>Tekijät</b> (toimielimestä: toimielimen nimi, puheenjohtaja, sihteeri)		<b>Julkaisun laji:</b> Muistio	
		<b>Toimeksiantaja</b> Sosiaali- ja terveysministeriö	
		<b>HARE-nro ja toimielimen asettamispäivä</b>	
<b>Julkaisun nimi:</b> Lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi			
<p><b>Tiivistelmä</b> Hallitusohjelman mukaan tulevilla hallituskaudella tullaan selvittämään erityisesti uusien lääkkeiden kustannusvaikuttavuutta sairaanhoidossa. Lääkkeen hoidollinen arvo ja sen käytön hyödyt ja haitat suhteessa kustannuksiin tulee tietää, kun harkitaan valmisteen hintaa ja korvattavuutta. Tätä tietoa tarvitsevat myös käytännön lääkärit sekä lääkkeiden hankinnoista päättävät sairaanhoitopiirit ja terveyskeskukset.</p> <p>Sosiaali- ja terveysministeriön terveysosasto on 20.6.2007 pyytänyt Lääkehoidon kehittämiskeskusta (ROHTO) laatimaan muistion systemaattisesta lääkearviointien järjestämisestä Suomessa. Muistiossa tulisi olla:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. ehdotus lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnin keskeisistä käsitteistä;</li> <li>2. kuvaus keskeisistä lääkkeiden arvon arviointitiedon tarpeista ja arvio niiden volyyymista;</li> <li>3. kuvaus alan keskeisistä toimijoista maassamme ja niiden nykyinen toiminta lääkkeiden arvon arvioinnissa;</li> <li>4. kuvaus lääkkeiden arvon arvioinnin kansainvälisestä yhteistyöstä;</li> <li>5. esitys siitä, miten lääkearviointit tulisi toteuttaa, esityksen tulee sisältää alustava arvio toiminnan edellyttämistä henkilöstövoimavaroista</li> <li>6. esitys alustavaksi suunnitelmaksi lääkearviointitiedon hyödyntämiseksi eri käyttäjäryhmille (HILA, lääkkeitä määräävät lääkärit yms.) Muistiota laadittaessa tulee kuulla tarvittavassa määrin lääkealan viranomaistahojen edustajia sekä ottaa huomioon professori Mossialoksen selvityksessä esitetyt näkökohdat ja eri osapuolten roolit ja yhteistyömahdollisuudet. Myöhemmin toimeksiantoon lisättiin kohta:</li> <li>7. muistio koordinoidaan Kelassa tekeillä olevan lääkkeiden arviointia koskevan selvitystyön kanssa.</li> </ol> <p>Toimeksiannolle alun perin asettua määräaika 15.8.2007 on jatkettu 15.9.2007 asti. Tässä muistiossa rajaudutaan markkinoilla olevien lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen (lisä)arvon arviointiin olemassa olevan tutkimustiedon perusteella. Muistioon ei sisälly lääkkeiden perustutkimus eikä soveltava, kliininen tai terveystaloustieteellinen tutkimus. Muistiossa lääkkeellä tarkoitetaan valmistetta tai ainetta, jonka tarkoituksena on sisäisesti tai ulkoisesti käytettynä parantaa, lievittää tai ehkäistä sairautta tai sen oireita ihmisessä tai eläimessä (Läkelaki 395/1987).</p> <p>Muistio on laadittu Kelan tutkimusosaston ja Rohdon yhteistyönä. Muistiota varten on haastateltu kahtatoista hallinnonalan asiantuntijaa ja virkamiestä (liite 1) sekä hyödynnetty viime vuosina tehtyjä viranomaisselvityksiä (liite 3). Muistioluonnos on toimitettu kaikille haastatelluille, jotka ovat saaneet mahdollisuuden sitä kommentoida. Haastatellut henkilöt eivät kuitenkaan vastaa lopullisen muistion sisällöstä ja esityksistä.</p>			
<b>Asiasanat:</b> arviointi, arvot, lääkehoito, kustannus-hyötyanalyysi, terveydenhuolto			
Muut tiedot: <a href="http://www.stm.fi">www.stm.fi</a>			
<b>Sarjan nimi ja numero</b> Sosiaali- ja terveysministeriön selvityksiä 2007:68		<b>ISSN</b> 1236-2115	<b>ISBN</b> 978-952-00-2501-4 (nid.) 978-952-00-2502-1 (PDF)
<b>Kokonaissivumäärä</b> 46	<b>Kieli</b> Suomi	<b>Hinta</b> 10,80 €	<b>Luottamuksellisuus</b> Julkinen
<b>Jakaja</b> Yliopistopaino Kustannus, <a href="mailto:books@yliopistopaino.fi">books@yliopistopaino.fi</a> <a href="http://www.yliopistopaino.fi/kirjamyynti">www.yliopistopaino.fi/kirjamyynti</a>		<b>Kustantaja</b> Sosiaali- ja terveysministeriö	



		<b>PRESENTATIONSBLAD</b>	
Utgivare: Social- och hälsovårdsministeriet		Utgivningsdatum	
Författare (Uppgifter om organet: namn, ordförande, sekreterare)		Typ av publikation: Promemoria	
		Uppdragsgivare Social- och hälsovårdsministeriet	
Publikationens titel: Bedömning av läkemedlens terapeutiska och ekonomiska värde			
<p><b>Referat</b></p> <p>Enligt regeringsprogrammet ska man under regeringsperioden utreda i synnerhet de nya läkemedlens kostnadseffektivitet inom sjukvården. Man måste veta ett läkemedels terapeutiska värde och de fördelar och nackdelar som dess användning medför i förhållande till kostnaderna när man överväger preparatets pris och ersättningsgillhet. Denna uppgift behövs även av läkare i praktiken samt av sjukvårdsdistrikt och hälsovårdscentraler som beslutar om anskaffning av läkemedel.</p> <p>Social- och hälsovårdsministeriets hälsoavdelning bad 20.6.2007 Utvecklingscentralen för läkemedelsbehandling (ROHTO) att utarbeta en promemoria om det systematiska ordnandet av läkemedelsbedömningar i Finland. Promemorian skulle inkludera:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. ett förslag om de centrala begrepp som används vid bedömningen av det terapeutiska och ekonomiska värdet av läkemedel;</li> <li>2. en beskrivning av de viktigaste behoven när det gäller uppgifter om bedömning av värdet av läkemedel och en uppskattning av deras volym;</li> <li>3. en beskrivning av de centrala aktörerna inom området i Finland och deras nuvarande verksamhet inom bedömningen av värdet av läkemedel;</li> <li>4. en beskrivning av det internationella samarbetet när det gäller bedömningen av värdet av läkemedel;</li> <li>5. ett förslag om hur läkemedelsbedömningarna bör genomföras, inklusive en preliminär uppskattning av de personalresurser som verksamheten kräver;</li> <li>6. ett förslag till en preliminär plan för utnyttjande av uppgifter om läkemedelsbedömningar till olika användargrupper (Läkemedelsprinsnämnden HILA, läkare som ordinerar läkemedel osv.).</li> </ol> <p>Vid utarbetandet av promemorian ska man i behövlig mån höra representanter för myndigheterna inom läkemedelsområdet och beakta de synpunkter som framförts i professor Mossialos' utredning samt de olika parternas roller och samarbetsmöjligheter. Senare utökades uppdraget med en ny punkt:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>7. promemorian skall koordineras med det utredningsarbete beträffande läkemedelsbedömningar som pågår vid Folkpensionsanstalten.</li> </ol> <p>Tidsfristen för uppdraget, som var ursprungligen 15.8.2007, förlängdes till 15.9.2007.</p> <p>Denna promemoria avgränsas till en bedömning av det terapeutiska och ekonomiska (mer)värdet av de läkemedel som finns på marknaden på basis av de befintliga forskningsrönen. Promemorian inbegriper inte grundforskning av läkemedel, och inte heller tillämpad, klinisk eller hälsoekonomisk forskning. I promemorian förstås med läkemedel ett preparat eller ämne vars ändamål är att vid invärtes eller utvärtes bruk bota, lindra eller förebygga sjukdomar eller sjukdomssymptom hos människor och djur (läkemedelslagen 395/1987).</p> <p>Promemorian har utarbetats i samarbete med Folkpensionsanstaltens forskningsavdelning och ROHTO. Man har intervjuat tolv sakkunniga och tjänstemän inom förvaltningsområdet (bilaga 1) samt utnyttjat de utredningar som myndigheterna gjort på senare år (bilaga 3). Utkastet till promemoria har tillställts samtliga intervjuade personer, vilka har fått möjlighet att kommentera den. De intervjuade personerna ansvarar dock inte för innehållet och förslagen i den slutliga promemorian.</p>			
Nyckelord: bedömning, hälso- och sjukvård, kostnads-nyttoanalys, läkemedelsbehandling, värden			
Övriga uppgifter: <a href="http://www.stm.fi/svenska">www.stm.fi/svenska</a>			
Seriens namn och nummer Social- och hälsovårdsministeriets rapporter 2007:68		ISSN 1236-2115	ISBN 978-952-00-2501-4(inh.) 978-952-00-2502-1 (PDF)
Sidoantal 46	Språk Finska	Pris 10,80 €	Sekretessgrad Offentlig
Försäljning Helsingfors Universitetsförlaget <a href="mailto:books@yliopistopaino.fi">books@yliopistopaino.fi</a> <a href="http://www.yliopistopaino.fi/kirjamyynti">www.yliopistopaino.fi/kirjamyynti</a>		Förlag Social- och hälsovårdsministeriet	





		<b>DOCUMENTATION PAGE</b>	
<b>Publisher:</b> Ministry of Social Affairs and Health, Finland		<b>Type of publication</b> Memorandum	
		<b>Commissioned by</b> Ministry of Social Affairs and Health	
<b>Title of publication:</b> Evaluation of the therapeutic and economic value of medicinal products			
<p><b>Summary</b></p> <p>According to the Government Programme the cost-effectiveness of in particular new medicinal products in medical care will be examined during the present period of office of the Government. The therapeutic value of a medicinal product and the advantages and disadvantages of its use in relation to its costs must be known when considering the price and reimbursability status of the preparation. This information is also needed by medical practitioners and by the hospital districts and health centres deciding on the acquisition of medicinal products.</p> <p>The Health Department of the Ministry of Social Affairs and Health asked the Centre for Pharmacology Development ROHTO on 20 June 2007 to draw up a memorandum regarding how the systematic evaluation of medicinal products is organised in Finland. The memorandum should contain:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. a proposal for the most important concepts used in the evaluation of the therapeutic and economic value of medicinal products;</li> <li>2. a description of the vital needs for information regarding the evaluation of the value of medicinal products and an estimate of their volume;</li> <li>3. a description of the most important actors in the field in Finland and of their present evaluation work regarding the value of medicinal products;</li> <li>4. a description of international cooperation in the evaluation of the value of medicinal products;</li> <li>5. a proposal on how the evaluations of medicinal products should be carried out, including an estimate of the personnel resources required for the activity;</li> <li>6. a proposal for a preliminary plan for making use of the information of evaluation of medicinal products for different groups of users (the Pharmaceuticals Pricing Board, physicians prescribing medicines etc.).</li> </ol> <p>When drawing up the memorandum, representatives of the authorities in the field of medicines should be consulted to the extent needed, and the considerations presented in Professor Mossialos' study, and the roles and cooperation opportunities should be taken into account. Later on the following was added to the task:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>7. the memorandum should be coordinated with the review of evaluation of medicinal products being conducted by the Social Insurance Institution.</li> </ol> <p>The deadline for the work was first set at 15 August 2007 but was later extended to 15 September 2007. The present memorandum is restricted to evaluation of the therapeutic and economic (added) value of the medicinal products on the market on the basis of the existing research findings. The memorandum does not encompass basic research of medicinal products, nor applied, clinical or health economics research. In the memorandum, a medicinal product refers to a preparation or substance the purpose of which is, used internally or externally, to cure, alleviate or prevent an illness or its symptoms in a human being or animal (Medicines Act 395/1987).</p> <p>The memorandum has been drawn up in cooperation by the Research Department of the Social Insurance Institution and the Centre for Pharmacotherapy Development. For the memorandum, twelve experts and civil servants in the administrative sector have been interviewed (Appendix 1) and studies commissioned by authorities have been made use of (Appendix 3). The draft memorandum has been delivered to all the interviewees, and they have been provided an opportunity to comment on it. The interviewees however do not answer for the content and proposals in the final memorandum.</p>			
<b>Key words:</b> cost-benefit analysis, evaluation, health care, pharmacotherapy, values			
<b>Other information:</b> <a href="http://www.stm.fi/english">www.stm.fi/english</a>			
<b>Title and number of series</b> Reports of the Ministry of Social Affairs and Health 2007:68		<b>ISSN</b> 1236-2115	<b>ISBN</b> 978-952-00-2501-4 (pb) 978-952-00-2502-1 (PDF)
<b>Number of pages</b> 46	<b>Language</b> Finnish	<b>Price</b> 10.80 €	<b>Publicity</b> Public
<b>Orders</b> Helsinki University Press <a href="mailto:books@yliopistopaino.fi">books@yliopistopaino.fi</a> , <a href="http://www.yliopistopaino.fi/bookstore">www.yliopistopaino.fi/bookstore</a>		<b>Financier</b> Ministry of Social Affairs and Health	



# Sisällysluettelo

KUVAILULEHTI.....	3
PRESENTATIONSBLAD .....	5
DOCUMENTATION PAGE .....	7
1 Yhteenveto .....	11
2 Ehdotus lääkkeiden arvon arvioinnin keskeisiksi käsitteiksi .....	13
3 Kuvaus keskeisistä lääkkeiden arvon arviointitiedon tarpeista ja arvio niiden volyyimista .....	13
3.2 Lääkkeiden hintalautakunta (Hila) .....	14
3.3 Kliinikot.....	15
4 Kuvaus alan keskeisistä toimijoista maassamme ja niiden nykyinen toiminta lääkkeiden arvon arvioinnissa .....	17
4.1 Lääkkeiden arviointi Suomessa .....	17
4.2 Yhteenveto eri toimijoiden rooleista .....	18
5 Kuvaus lääkkeiden arvon arvioinnin kansainvälisestä yhteistyöstä .....	20
5.1 Pohjoismainen yhteistyö.....	20
5.2 Eurooppalainen yhteistyö.....	20
5.3 Kansainvälinen hoitosuositusyhteistyö.....	21
6 Esitys siitä, miten lääkearvioinnit tulisi toteuttaa sekä alustava arvio toiminnan edellyttämistä henkilöstövoimavaroista .....	22
6.1 Arvioinnin kohteiden valinta .....	22
6.2 Arvioinnin sisältö ja ulkoasu (templaatti) .....	22
6.3 Arviointityön edellyttämät voimavarat .....	23
6.4 Arvioinnin toteutus.....	23
6.5 Arviointityön koordinointi.....	26
6.6 Arviointityön rahoituksesta.....	26
7 Esitys alustavaksi suunnitelmaksi lääkearviointitiedon hyödyntämiseksi eri käyttäjäryhmille .....	28
7.1 Julkaiseminen ja levittäminen .....	28
7.2 Hyödyntäminen päätöksenteossa.....	28
7.3 Hyödyntäminen kliinisessä työssä .....	28
8 Aikataulu .....	30
Liitteet.....	31
Liite 1. Muistiota varten haastatellut kesä-elokuussa 2007.....	31
Liite 2. Ehdotus lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnin keskeisistä käsitteistä .....	32
Liite 3. Keskeisimmät sosiaali- ja terveysministeriön hallinnonalalla tehdyt lääkkeiden arviointia sivuavat selvitykset ja ehdotukset 2004-2007 .....	34
Liite 4. Esimerkkejä yksittäisten maiden lääkearviointityöstä.....	36
Liite 5. Lääkkeiden ja muiden terveydenhuollon menetelmien arvioinnin erityispiirteitä.....	39
Kirjallisuutta.....	40



# I Yhteenveto

Markkinoille tulevalla lääkevalmisteella on oltava Suomessa Lääkelaitoksen tai Euroopan komission myöntämä myyntilupa. Myyntiluvan myöntämisen kriteerit ovat lääkevalmisteella osoitettu teho, turvallisuus ja laatu. Sen sijaan uusien lääkevalmisteiden hoidollisen tai taloudellisen lisäarvon osoittamista ei edellytetä. Viime vuosina uusia lääkeaineita on Suomen markkinoille tullut vuosittain 20-30. Lääkkeiden arviointiin liittyy runsaasti erityispiirteitä verrattuna muiden terveydenhuollon menetelmien arviointiin.

Lääkkeiden arviointitiedolla on useita eri käyttäjäryhmiä. Lääkkeiden hintalautakunta (Hila) tarvitsee uusien lääkkeiden hoidollisen lisäarvon arviointia tukkuhinta- ja korvauspäätöksensä tueksi. Sairaanhoidopiirien lääkeneuvottelukunnat ja hankintarenkaat tarvitsevat hankintapäätöksiinsä arviointeja uusien lääkkeiden hoidollisesta ja taloudellisesta lisäarvosta. Potilaita hoitavat klinikot tarvitsevat lääkkeiden arviointeja hoitopäätöksiä ja niiden ohjaamista varten. Maassamme tarvitaan vuosittain noin 20 arviointia avo- tai laitoshoidon lääkkeistä yhteensä. Osa arvioitavista lääkkeistä on uusia lääkkeitä, joista on saatavilla niukasti tutkimustietoa. Osa näistä on tarpeen arvioida uudelleen siinä vaiheessa, kun tutkimustietoa on kertynyt enemmän. Sekä Hilassa että sairaanhoidopiireissä tarvitaan arviointeja hyvin lyhyellä aikataululla. Tarvetta on sekä laajoille ja perusteellisille arvioinneille että suppeille, hyvin nopealla aikataululla tehdyille arvioinneille.

Tällä hetkellä lääkkeiden arviointityötä tehdään useassa eri organisaatiossa ja kansallinen koordinaatio puuttuu. Kukin toimija on itse valinnut käsiteltävät lääkkeet, ja toimijoiden välillä on ollut niukasti yhteistyötä. Lääkkeiden hoidollista arvoa arvioidaan useassa EU-maassa joko viranomaisvoimin tai tieteellisissä lehdissä. Pohjoismainen yhteistyö lääkkeiden arvioinnissa olisi erittäin perusteltua, koska Pohjoismaissa tulevat arvioitaviksi suunnilleen samat uutuudet. Lisäksi lääkevalikoima, toimintaympäristö ja lääketieteellinen kulttuuri ovat yhtenäiset.

Tarvittavien noin 20 arvioinnin toteuttamiseen tarvitaan yhteensä 11 henkilötyövuotta. Lääkkeiden arvioinnin kohteiden valinnalle on laadittava selkeä prosessi, jota ohjaavat Hilan ja sairaanhoidopiirien tarpeet, sekä havaittu tarve ohjata kliinisiä käytäntöjä. Aiheiden valinnassa on pyrittävä ennakoimaan tulevaa vuoden parin aikajänteellä. On tarpeen muodostaa avo- ja laitoshoidon lääkkeille yhteinen arviointipohja. Se sisältää tiiviin ja lyhyen (1-2 liuskaa) kannanoton lääkeaineen tai lääkevalmisteen hoidollisesta ja taloudellisesta lisäarvosta suhteessa muihin lääkkeisiin ja/tai hoitoihin. Kannanoton taustana on eri osista olemassa olevan ja kootun tiedon sisältävä katsaus. Näiden laadinnassa on syytä hyödyntää käytössä olevia kotimaisia ja ulkomaisia malleja.

Muistiossa esitetään kolme vaihtoehtoista kansallista toimintamallia perustuen nykyisiin laitos- ja virastorakenteisiin. Yhden yksikön mallissa kootaan kaikki tarvittava osaaminen ja voimavarat yhteen yksikköön. Tämä koordinoi arviointia sekä tuottaa kannanotot ja arviot konsultoiden tarvittaessa aiheen asiantuntijoita. Verkostomallissa kootaan suurin osa tarvittavasta osaamisesta ja voimavaroista yhteen yksikköön, joka koordinoi verkostoa, arviointia ja tuottaa kannanotot sekä suurimman osan arvioista. Arviointityötä tehdään lisäksi useassa STM:n alaisessa laitoksessa, Kelassa, yliopistoissa ja sairaaloissa. Pohjoismaiseen yhteistyöhön perustuva mallissa arviointityö aloitetaan Suomessa pienimuotoisesti. Samaan aikaan tehdään jäntevää työtä sen puolesta, että Pohjoismaat tiivistävät yhteistyötään sekä seurataan mitä parhaissa lääkkeiden arviointia tekevissä yksiköissä tapahtuu.

Lääkkeiden arvon arviointia varten ei tule perustaa kokonaan uutta yksikköä. Toiminnan tulisi sijaita jossakin soveltuvassa organisaatiossa, jolla olisi käytössään palkattua tutkijatyövoimaa sekä hallinto- ja toimistopalvelut. Kansallisten arvioiden laadinta edellyttää kuitenkin hyvin toimivaa verkottumista ja eri erikoisalojen kliinisen osaamisen hyödyntämistä. Mahdollisia yksikön sijaintipaikkoja olisivat lähinnä Rohto, Kela ja Finohta. Valittavasta toteutusmallista riippumatta tarvitaan selkeä kansallinen koordinaatio. Ensisijainen rahoitusvaihtoehto on rahoittaa toiminta julkisin varoin valtion budjetista, mikä takaisi parhaiten riippumattomuuden. Yksi pohdittava mahdollisuus on toiminnan osittainen rahoitus Hilan käsittelymaksuista.

Kannanotot ja katsaukset ovat julkisia lukuun ottamatta mahdollisia salassa pidettäviä osia. Ne julkaistaan laajasti sähköisenä sekä keskeisissä ammattilehdissä. Erikseen on mietittävä nykyisten useiden lääketietoa jakavien julkaisujen rooli ja suhde kannanottoihin. Arviointien toimeenpano tapahtuu Rohto-verkoston ja kansallisen sähköisen päätöksentuen kautta.

## 2 Ehdotus lääkkeiden arvon arvioinnin keskeisiksi käsitteiksi

Ehdotukset lääkkeiden arvioinnin keskeisiksi käsitteiksi on koottu liitteeseen 2.

## 3 Kuvaus keskeisistä lääkkeiden arvon arviointitiedon tarpeista ja arvio niiden volyyymista

Lääkkeiden arviointitiedolla on useita eri käyttäjäryhmiä:

- Lääkepoliittisia päätöksiä tekevät päättäjät
- Lääkkeiden tukkuhinta- ja korvauspäätöksiä tekevä Lääkkeiden hintalautakunta
- Lääkkeiden hankintapäätöksiä tekevät lääkeneuvottelukunnat ja hankintarenkaat
- Muut tahot, kuten hoitosuositusten tuottajat
- Kliinisiä hoitopäätöksiä tekevät lääkärit
- Potilaat ja väestö

Kaikkien markkinoille tulevien lääkkeiden hoidollista arvoa ei tarvitse arvioida. Vuosittain Lääkelaitos tekee noin 700 myyntilupapäätöstä. Viime vuosina uusia lääkeaineita on Suomen markkinoille tullut vuosittain 20-30. Näistä pääasiassa laitoksissa käytettäviä lääkkeitä on ollut 1/3-2/3. Useimpina vuosina markkinoille tulleista lääkeaineista alle kymmenen on ollut vaikutusmekanismiltaan uusia, ”innovatiivisia” lääkkeitä. Valtaosa markkinoille tulleista lääkkeistä on ollut ns. ”me too”-lääkkeitä. Uusista lääkkeistä vain osa tuo todellista hoidollista lisäarvoa. Esimerkiksi vuosina 1991-2002 Saksassa myyntiluvan saaneista 190 uudesta lääkeaineesta 8 %:n arvioitiin tuovan hoidollista lisäarvoa. Näiden joukossa oli sekä uusia innovatiivisia lääkkeitä että joitakin ”me too” -lääkkeitä (Szuba 2007). Lääkkeiden arviointiin liittyy runsaasti erityispiirteitä verrattuna muiden terveydenhuollon menetelmien arviointiin (liite 5)

Arviointitietoa tarvitaan erityisesti seuraavissa tilanteissa:

- uusi lääke tulee markkinoille
- uudelle lääkkeelle haetaan kohtuullista tukkuhintaa ja korvattavuutta tai näille uusintakäsittelyä
- vanha lääke saa merkittävän uuden käyttöaiheen
- kyseessä on uusi lääkemuoto
- valmistellaan päätöksiä tai linjauksia lääkeryhmien sisällä tai välillä esimerkiksi viitehinta- ja järjestelmää varten.

## 3.2 Lääkkeiden hintalautakunta (Hila)

### Mihin arviointitietoa tarvitaan

Lääkkeiden hintalautakunta (Hila) tekee päätökset lääkkeiden kohtuullisesta tukkuhinnasta ja erityiskorvattavuudesta.

### Mitä ja miten on tarvetta arvioida

Hilan päätöksentekoa varten on tärkeintä saada vastaus kysymykseen, onko lääkkeellä hoidollista lisäarvoa verrattuna muihin saman taudin tai terveystilanteen hoitoihin. Hila pyytää myyntiluvan haltijaa arvioimaan korvattavuudella saavutettavat hyödyt verrattuna muihin saman sairauden hoidossa käytettäviin lääkkeisiin ja muihin hoitomuotoihin tai antamaan tietoa saavutettavissa olevista hyödyistä suhteessa vaihtoehtoihin lääke- tai muihin hoitoihin.

Hilan päätöksenteossa arviointeja tarvitaan nopeasti, käytännössä 1-2 kk kuluessa. Kaikkiaan määräaika Hilan päätöksille on 180 päivää hakemuksen saapumisesta. Siksi tarvitaan nykyistä parempaa ennakkointia.

Yleensä ensimmäistä tukkuhinta- ja korvauspäätöstä tehtäessä tutkimustietoa on käytössä niukasti ja uusintakäsittelyissä jo enemmän. Hila tarvitsee arviointinsa osaksi näkemyksen siitä, milloin uusintakäsittely on perusteltu.

### Tarpeen volyymi

Tieteelliseen kirjallisuuteen ja muiden maiden arvioihin perustuvia arviointeja yksittäisestä lääkeaineesta tarvitaan osasta lääkkeitä, erityisesti kansanterveydellisesti tärkeimmistä. Todennäköinen tarve on 10-20 vuodessa. Yli kolmasosa päätöksistä koskee uutta vaikuttavaa ainetta. Muut päätökset liittyvät lääkkeiden korvattavuuden uusintakäsittelyihin 1,5-3 vuoden kuluttua. Tällöin lääkkeestä on usein jo julkaistu enemmän tutkimustietoa. Lisäksi tarvitaan yhden taudin/terveysongelman lääkehoitojen vertailua. Näitä tarvitaan jatkossa esim. mahdollisia viitehintapäätöksiä varten muutamia vuodessa.

### Lääkeneuvottelukunnat ja hankintarenkaat

Sairaanhoitopiireillä ei ole toimivaa yhtenäistä lääkkeiden arviointimenettelyä ja lääkeneuvottelukuntien ja vastaavien työtavoissa ja päätöksentekoprosessissa on paljon vaihtelua (Asola ja Jyrkkiö 2007). Lääkehankinnat ovat keskittymässä yhä suurempiin hankintarenkaisiin.

### Mihin arviointitietoa tarvitaan

Sairaanhoitopiirit sekä niiden lääkeneuvottelukunnat ja vastaavat elimet tarvitsevat arviota uusien lääkkeiden hoidollisesta arvosta hankintapäätöksiä tehdessään ja peruslääkevalikoimia muodostaes-



saan sekä lääkehoidon yhteisiä linjauksia varten: mitä lääkkeitä sairaaloissa käytetään ja kenelle niitä annetaan. Osa lääkkeistä ei tule lainkaan käytettäväksi avohoidossa, joten ne eivät siten käy lävitse tavanomaista hinnan ja korvattavuuden harkintaa. Koska monet uudet lääkkeet tulevat sairaaloissa vakavasti sairaiden potilaiden käyttöön (esim. syöpätaudit, vaikeat infektiot) päätöksenteossa korostuu eettinen näkökulma ja sen pohdinta, mitkä ovat oikeat lääkkeenkäyttöaiheet.

## Mitä ja miten on tarvetta arvioida

Erityisesti tarvitaan arviointeja lääkkeistä, joilla on uusi vaikutusmekanismi tai jotka ovat hinnaltaan selvästi aikaisempaa käypää hoitoa kalliimpia. Arviointeja tarvitaan uuden lääkkeen tullessa markkinoille ja muutaman vuoden kuluttua, kun tutkimustietoa on kertynyt enemmän. Lisäksi tarvitaan arviointeja jo käytössä olevista lääkkeistä, joille tarjotaan käyttöindikaatioiden laajennusta. Arviointeja tarvitaan erityisesti lääkkeen asemasta suhteessa oman sairaalan, sairaanhoitopiirin käytäntöihin ja kansallisiin suosituksiin. Usein uusi lääkehoito liittyy laajemmin uuteen hoitotapaan, eikä lääkkeen arviointia ole mahdollista irrottaa erilleen siitä. Jossain tapauksissa uuden lääkkeen etuna saattaa olla paremman tehon tai siedettävyyden sijasta hoitoprosessin helpottuminen tai yksinkertaistuminen jolloin lääkkeen anto helpottuu ja siihen liittyvä työmäärä vähenee mikä voi näkyä myös taloudellisena säästönä. Lääkkeen hoidollisen arvon ja aseman arvioinnin lisäksi tarvitaan lääkkeen taloudellista arviointia. Arviointeja tarvitaan nopeasti: tarpeen ilmenemisestä yleensä muutaman viikon tai kuukauden kuluessa.

Erityisesti arviointitiedon tarvetta ovat tuoneet esiin yliopistosairaalat. Näillä arviointitiedon tarve koskee erityisesti uusia antibiootteja, biologisia lääkkeitä reuman ja maha-suolikanavan sairauksien hoitoon sekä syöpälääkkeitä.

## Tarpeen volyymi

Todennäköinen tarve on alle 10 arviointia. Osa arvioinneista on uuden lääkkeen arviointeja sen tullessa markkinoille ja osa saman lääkkeen uudelleen arviointeja muutaman vuoden jälkeen.

## 3.3 Kliinikot

### Mihin arviointitietoa tarvitaan

Kliinikot tarvitsevat arviointitietoa oman lääkevalikon muodostamista varten sekä klinisiä hoitopäätöksiä ja niiden ohjaamista varten.

### Mitä ja miten on tarvetta arvioida

Kliinikoilla on tarvetta erityisesti lääkkeen hoidollisen arvon arviointitietoon. Hoidon taloudellisuuden arvioinnilla on merkitystä silloin kun Suomen oloihin sovellettavissa olevia tutkimuksia on

tehty. Valtaosa tarpeesta täytyisi yllä mainittujen Hilan ja lääkeneuvottelukuntien tarpeisiin vastaamalla. Lisäksi on tarvetta arvioida lääkkeitä tilanteessa, jossa on näkyvissä tai ennakoitavissa risiiriitä lääkkeenmääräämiskäytännön ja rationaaliseen lääkehoidon välillä. Käytännön lääkärit tarvitsevat tukea päätöksenteolle erityisesti lääkkeiden ja lääkkeettömien hoitojen vaikuttavuudesta ja hoidollisesta lisäarvosta. On tärkeää välittää tieto heille tiiviissä ja helposti ymmärrettävässä muodossa.

## Tarpeen volyymi

Erikoissairaanhoidon lääkärit tarvitsevat heille suunnattuja uusien ja uudehkojen lääkkeiden arviointeja 5-10/vuosi. Nämä jakautuvat usealle erikoisalalle. Perusterveydenhuollon lääkärit tarvitsevat uusien ja jo pitempään markkinoilla olleiden lääkkeiden arviointeja saman verran tai vähemmän. Todennäköisesti tätä suurempaa määrää ei ole mahdollista omaksua, kun samaan aikaan julkaistaan myös uusia kansallisia hoitosuosituksia ja muuta koottua tieteellistä näyttöä.

## Muut: hoitosuosituksen laatijat

Käypä hoito ja Lääkäriin käsikirja (LCD) laativat näyttöön perustuvia hoitosuosituksia mutta niitä tarvitsevat myös muut kansalliset hoitosuosituksia laativat toimijat. Alueelliset ohjelmat/hoitoketjut yleensä tukeutuvat Käypä hoito-suositukseen ja voivat myös ottaa kantaa lääkehoitoihin.

Tarve kohdistuu lääkkeiden hoidollisen arvon arviointiin. Kansallisten hoitosuosituksen laatimisessa käytetään näytön vahvuuden ilmaisemisessa neliportaista luokittelua ja suosituslauselma perustuu näytönastekatsauksiin. Lääkkeiden arviointien hyödyntäminen hoitosuositustyössä helpottuu, jos ne laaditaan vastaavalla tavalla. Hoitosuositukset eivät ota kantaa hoitojen kustannuksiin muulloin kuin erityistapauksissa.

Vuosittain valmistuu 10 ja päivitetään 10-20 lääkkeitä hoitosuositusta. Kussakin on keskimäärin 10-20 lääkkeisiin liittyvää näytönastekatsausta. Lisäksi valmistuu päivitettyjä versioita.

## Yhteenveto tarpeesta

Maassamme tarvitaan vuosittain noin 20 arviointia avo- tai laitoshoidon lääkkeitä yhteensä. Arviointeja tarvitaan lääkkeen hoidollisesta ja taloudellisesta lisäarvosta. Osa arvioitavista lääkkeitä on uusia lääkkeitä, joista on saatavilla niukasti tutkimustietoa. Osa on jo pitempään markkinoilla olleita lääkkeitä, joista on jo kertynyt enemmän tutkimustietoa ja jotka on tarpeen arvioida uudelleen. Sekä Hilassa että sairaanhoitopiireissä tarvitaan arviointeja hyvin lyhyellä aikataululla. Eri kanavien kautta tarvitaan tietoa todennäköisesti käsittelyyn tulevista lääkkeitä, jolloin arvioinnin/kannanoton laatiminen voidaan aloittaa ajoissa. Tarvetta on sekä laajoille ja perusteellisille arvioinneille että suppeille, hyvin nopealla aikataululla tehdyille arvioinneille.

## 4 Kuvaus alan keskeisistä toimijoista maassamme ja niiden nykyinen toiminta lääkkeiden arvon arvioinnissa

### 4.1 Lääkkeiden arviointi Suomessa

Uuden lääkkeen teho, turvallisuus ja laatu arvioidaan ensi kerran myyntilupapäätöksen yhteydessä. Tämä tapahtuu keskitetysti joko EMEA:ssa tai EU:n jäsenvaltioiden viranomaisten välisissä hyväksymismenettelyissä sekä kansallisesti. Myyntilupapäätökset perustuvat lääkeyrityksen tehosta, turvallisuudesta ja laadusta toimittamaan aineistoon. Suhteellisen harvoin mukana on tutkimuksia, joissa tehon lisäksi on arvioitu vaikuttavuutta tai suhteellista vaikuttavuutta.

Lääkkeen kustannuksista annetaan sairausvakuutuslain mukainen korvaus vain silloin, kun Hila on vahvistanut lääkkeelle myyntiluvan hakemuksesta korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan. Tukkuhinta ja korvattavuus ratkaistaan aina kansallisesti ja erillään myyntiluvasta. Erityisesti uutta vaikuttavaa aihetta sisältävien valmisteiden/uusien lääkeaineiden tukkuhintaa ja peruskorvattavuutta harkittaessa otetaan Hilassa huomioon niiden terveystaloudellinen merkitys lääkeyritysten tuottamien selvitysten perusteella. Hintahakemuksista ja niihin liittyvistä selvityksistä Kela antaa lausunnon Hilalle.

Hila arvioi valmisteen hoidollista arvoa ja kustannusvaikuttavuutta myös harkitessaan hinnan tai korvattavuuden muutosta. Tätä varten ei kuitenkaan laadita systemaattista selvitystä. Kela on tehnyt vastaavaa arviointityötä - tosin suppeammassa muodossa - aikaisemmin antaessaan STM:lle lausuntoja lääkkeiden erityiskorvattavuutta koskevista ehdotuksista. Toiminta on kuvattu Lääkkeiden viitehintaa selvittäneen työryhmän muistiossa (2007).

Sairaanhoitopiirien lääkeneuvottelukunnat laativat peruslääkevalikoimia kukin erikseen tai kahden tai useamman piirin yhteistyönä. Erityisesti toisilleen vaihtoehtoisten valmisteiden valintaan vaikuttaa olennaisesti lääkeyrityksen myyntitarjous. Sairaanhoitopiirien on noudatettava lakia julkisista hankinnoista ja sen mukaisesti valittava kunakin hankintakautena (yleensä 2 tai 3 vuoden jakso) julkiselle yhteisölle ja yhteiskunnalle edullisin, pääsääntöisesti halvin tarjottu valmiste. Vähittäishinnaltaan valmiste voi olla huomattavan korkea. Taustalla on maassamme olevat kaksi lainsäädännöllistä lääkkeiden hintoihin vaikuttavaa järjestelmää. Sairausvakuutuslaki määrittelee lääkevalmisteen korvausperusteet. Hankintalainsäädäntö säätelee kaikkia julkisia hankintoja, myös lääkkeitä. Laitosten lääkehankinnoissa nykyinen laki julkisista hankinnoista tekee käytännössä lähes mahdottomaksi poikkeamisen halvimhasta tarjotusta valmisteesta. Se on mahdollista vain hyvin perustelluista syistä ja aina asiantuntijan kirjalliseen lausuntoon perustuen. Tämän johdosta samojenkin lääkevalmisteiden keskinäinen hinta-asetelma vaihtelee ja voi perättäisinä hankintakausina olla täysin vastakkainen kunkin hankintakauden markkinatilanteesta riippuen.

Kansallisia Käypä hoito –suosituksia laadittaessa asiantuntijaryhmät ja Lääkärin käsikirjan artikkelien kirjoittajat ottavat kantaa myös lääkehoitoon, kun se liittyy käsiteltävään aiheeseen. Kannanotot perustuvat pääosin tieteellisiin julkaisuihin ja sen puuttuessa myös kliiniseen kokemukseen, ja näyttön aste porrastetaan neljään tasoon. Kustannuksiin suosituksissa ei yleensä oteta kantaa.

Kuopion yliopistossa toimii sosiaalifarmasian laitoksen yhteydessä Lääkepolitiikan ja -talouden tutkimuskeskus ja Helsingin yliopistossa on lääketaloustieteen oppituoli. Näissä yksiköissä tehdään lääketaloudellista tutkimusta. Kliinisen farmakologian ja farmakologian tutkimusta tehdään alan laitoksissa. Lisäksi tutkimusta tehdään lääketieteen eri erikoisalojen laitoksilla, yliopistosairaaloissa ja erityisvastuualueiden muissa sairaaloissa. Lääke-epidemiologisia tutkimuksia tehdään Kelan ohella erityisesti Turun yliopistossa.

Suomessa on julkaistu uusien lääkkeiden esittelyjä Tabussa sekä lääkkeiden arviointeja Suomen Lääkärilehdessä ja Rohdon kotisivuilla. Lääkelaitoksen ja Kelan Kapseli-sarja kokoaa hoito-ohjeita keskeisistä valmisteryhmistä. Viime vuosina suomenkielisiä tiivistelmiä ulkomaisista lääkkeiden arviointiraporteista on julkaistu myös Finohtan Ohtanen-tietokannassa sekä Impakti-lehdessä. Useat kansalliset hoitosuosituksen käsittelevät myös lääkehoitoa. Kukin toimija on valinnut itse käsiteltävät lääkkeet ja toimijoiden välillä on ollut niukasti yhteistyötä. Pällekkäistä työtä ei ole voitu välttää.

## 4.2 Yhteenveto eri toimijoiden rooleista

Hila päättää valmisteen tukkuhinnasta ja korvattavuudesta sekä näitä koskevista muutoksista.

Rohto on tuottanut pääasiassa julkaistuun tietoon perustuvia lääkkeiden arviointeja, jotka on suunnattu käytännön lääkäreille ja julkaistu Rohdon kotisivuilla sekä Suomen Lääkärilehdessä. Rohto organisoii paikallisia työpajoja erityisesti perusterveydenhuollossa laajan yhdyshenkilöverkoston avulla. Näissä viedään käytäntöön rationaalista lääkehoitoa. Rohto on ainut kansallinen toimija, joka vie käytäntöön (implementoi) lääkkeiden arviointeja ja muuta rationaalista lääkehoitoa edistävää tietoa laajasti perusterveydenhuollon kattavan verkostonsa kautta. Rohdolla on lääkkeiden arvon arvioinnin osaamista ja laaja asiantuntijaverkosto, mutta käytännössä lääkkeiden arvon arviointiin on ollut käytössä noin yksi henkilötyövuosi. Kaikkiaan Rohdolla on käytössä 9 henkilötyövuotta.

Lääkelaitos vastaa mm. myyntilupakäsittelystä, lääkevaihdon vaihtokelpoisten valmisteiden luettelon ylläpidosta, kulutustilastoinnista, haittavaikutusten seurannasta, markkinoinnin valvonnasta ja kliinisten lääketutkimusten lupakäytännön koordinoinnista. Lääkelaitoksella on oma TABU-lehtensä, jossa julkaistaan uusien lääkkeiden esittelyjä sekä yhteistyössä Kelan kanssa julkaistu Kapseli-sarja. Kaikkiaan Lääkelaitoksella on käytössä n. 180 henkilötyövuotta.

Kelan tutkimusosasto antaa lausunnot lääkeyritysten esittämistä hinta- ja korvattavuushakemuksista ja erityisesti uusia molekyylijä koskevista terveystaloudellisista selvityksistä. Osasto tekee Kelan rekistereihin perustuvia tutkimuksia ja selvityksiä sekä yhdistää niihin tarvittaessa tietoa myös hoitoilmoitus-, syöpä ja kuolinsyyrekistereistä. Osastolla on lääke-epidemiologista ja -taloudellista asiantuntemusta. Kelan terveys- ja toimeentuloturvaosasto antaa lausuntoja lääkkeiden hintahakemuksista ja osallistuu erityiskorvattavuutta koskevaan valmistelutyöhön. Osasto on edustettuna myös Hilassa. Kelassa on käytössä näihin tehtäviin arviolta 4-5 henkilötyövuotta.

Finohta tuottaa, tukee ja koordinoi terveydenhuollon menetelmien arviointia Suomessa. Lääkkeiden arviointia Finohta tekee vain niissä tapauksissa, joissa lääkehoitoa on verrattu muuhun menetelmään/interventioon. Lisäksi se välittää kotimaassa ja ulkomailla tuotettua arviointitietoa ja -

kokemuksia koko terveydenhuoltojärjestelmälle. Käytännössä viime vuosina Finohta on julkaissut Ohtanen-tietokannassaan sekä Impakti-lehdessään suomenkielisiä tiivistelmiä ulkomaisista lääkkeiden arviointiraporteista. Vuonna 2006 käynnistynyt sairaanhoitopiirien ja Finohtan yhteinen uusien menetelmien hallittu käyttöönotto -ohjelma (HALO) käsittelee Finohtan perustehtävän mukaisesti lääkkeitä vain silloin, kun niitä vertaillaan muuhun hoitoon. HALO:a käynnistettäessä lääkearvioinnit ovat olleet toistuvasti esillä keskusteluissa, ja sairaanhoitopiirien tarve lääkearviointeihin on tullut selvästi esille. Finohta harkitsee osallistumista kansainväliseen Horizon Scanning -yhteistyöhön, jonka kohteena ovat myös lääkkeet. Kaikkiaan Finohtalla on käytössään 29,5 henkilötyövuotta.

## 5 Kuvaus lääkkeiden arvon arvioinnin kansainvälisestä yhteistyöstä

Lääkkeiden hoidollista arvoa arvioidaan useassa EU-maassa joko viranomaisvoimin tai tieteellisissä lehdissä. Systemaattisia koosteita ja/tai valmistekohtaisia arvioita julkaisevat viranomaiselimistä mm. Britannian NICE ja NPC, Ruotsin Läkemedelsverket, Tanskan IRF ja Kanadan CADTH. Lääkehoidon arvioita julkaisevat mm. ranskalainen Prescrire, yhdysvaltalainen Medical Letter, brittiläinen Drug and Therapeutics Bulletin, Hollannin Pharma-Selecta ja Gebu, ja Saksan Arznei-Telegramm. Esimerkkejä yksittäisten maiden lääkearviointityöstä on koottu liitteeseen 4.

### 5.1 Pohjoismainen yhteistyö

Suomi, Ruotsi, Norja ja Tanska muodostavat kansainvälisen lääketeollisuuden kannalta yhtenäisen markkina-alueen, jolla on samanlainen lääkevalikoima, tautikirjo ja lääketieteellinen kulttuuri. Lääkeyrityksillä saattaa olla pohjoismainen pääkonttori kaikkia näitä maita varten. Uudet lääkkeet tulevat markkinoille kaikissa maissa lähes samaan aikaan ja niiden markkinoinnissa sovelletaan yhtenäisiä, keskitetyksi laadittuja strategioita. Hintojen ja korvattavuuden asettaminen on kuitenkin kansallisten viranomaisten vastuulla, joten korvausjärjestelmiin uudet lääkkeet tulevat Pohjoismaissa eri aikoihin. Ruotsi ja Tanska hyväksyvät yleensä uudet lääkkeet korvausjärjestelmään nopeammin kuin Norja ja Suomi. Pohjoismaiden HTA-yksiköistä Norjan NOKC tekee runsaasti lääkearvioita, Ruotsin SBU ja Tanskan Dacehta satunnaisemmin. Yksiköiden kesken (Finohta mukana) on keskusteltu läheisemmän yhteistyön mahdollisuuksista lääkearvioinnissa.

Pohjoismaiden lääkeviranomaiset ovat aikaisemmin tehneet tiivistä ja menestyksestä yhteistyötä Pohjoismaisen lääkelahtakunnan puitteissa. Lautakunta kuitenkin lakkautettiin 1990-luvun puolivälissä. Pohjoismaisella tasolla on nyt virinnyt keskustelua yhteistyön lisäämiseksi lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen lisäarvon arvioinnissa. Göteborgissa sijaitseva Nordiska högskolan för folkhälsovetenskap (NHV) on Pohjoismaiden Ministerineuvoston toimeksiannosta selvittänyt eri Pohjoismaissa käytössä olevia lääkkeiden arviointimalleja kesällä 2007. Tehtävä on sisältänyt sen selvittämisen, olisiko mahdollista luoda ja implementoida pohjoismainen SOP (Standard Operating Procedure) lääkkeiden arvioinnista erityisesti korvauspäätöksiä varten eri Pohjoismaissa. Selvitys julkistetaan lokakuussa 2007. Samanaikaisesti koulu on tehostamassa rekisteritutkimuksen käyttöön perustuvaa lääke-epidemiologista opetusta ja tutkimusta. Pohjoismainen yhteistyö lääkkeiden arvioinnissa on erittäin perusteltua, koska Pohjoismaissa tulevat arvioitaviksi suunnilleen samat uutuudet. Lääkevalikoima on muutoinkin melko yhtenäinen.

### 5.2 Eurooppalainen yhteistyö

Euroopan Unionissa lääkkeet ovat osa Unionin teollisuuspolitiikkaa, sisämarkkinapolitiikkaa, kilpailupolitiikkaa, kansanterveystyötä sekä sosiaalivakuutusta. Siksi lääkkeiden arviointiakin käsitellään monella eri taholla ja monessa eri ryhmässä.

Euroopan Unionissa **Pharmaceutical Forum** on korkean tason poliittisen keskustelun foorumi. Sen keskeinen tehtävä on parantaa eurooppalaisen lääketeollisuuden kilpailukykyä, jotta se voisi osallistua sosiaalisten ja kansanterveydellisten tavoitteiden saavuttamiseen. Viimeisin foorumi järjestettiin 26.6.2007. Sen työtä tukee kolme asiantuntijatasoista työryhmää. Yksi työryhmistä on suhteellisen vaikuttavuuden ryhmä (Working Group on Relative Effectiveness), joka on esittänyt, että edetään kolmella alueella:

- Työskennellään eurooppalaisen konsensuksen saavuttamiseksi yleisistä periaatteista ja hyvistä käytännöistä lääkkeiden suhteellisen vaikuttavuuden arvioinnissa.
- Parannetaan saatavilla olevaa tietoa ja sen saatavuutta niin tuotekehittelyvaiheessa, myyntiluvan myöntämisen vaiheessa kuin myöhemmin.
- Vahvistetaan suhteellisen vaikuttavuuden kanssa työskentelevien viranomaisten ja muiden asianosaisten verkostoja.

Pharmaceutical Forumin toimeksiannosta Lääkkeiden hintatyöryhmä (Working Group on Pricing) on vuodesta 2006 tehnyt selvitystyötä innovatiivisten lääkkeiden hoidollisen arvon arvioinnista (Characterisation of value of innovative medicines) yhteistyössä edellämainitun suhteellisen vaikuttavuuden työryhmän kanssa. European Social Insurance Platformin (ESIP) alaisena työskentelee Medicine Evaluation Committee (MEDEV), joka on käytännössä vienyt työtä eteenpäin.

Useisiin muihin EU:n ja WHO:n hankkeisiin liittyen on viime vuosina tiivistetty yhteistyötä lääkkeiden hinta- ja korvauspäätöksiä tekevien tahojen välillä (Pharmaceutical Pricing and Reimbursement Information; PPRI). Hankkeessa on koottu tietoja muun muassa kunkin mukana olevan maan lääkkeiden hinta- ja korvausjärjestelmistä. Nämä on julkaistu kesäkuussa 2007.

Euroopan Unionin tukemana toimii jo menetelmien arviointiyksiköiden verkosto EUnetHTA, joka kehittää menetelmien arviointiin kansainvälisesti käytettäviä runkoja ja pelisääntöjä, mutta ei spesifisesti lääkearviointeihin liittyen.

Suomi on aktiivisesti mukana kaikissa yllä olevissa hankkeissa.

### 5.3 Kansainvälinen hoitosuositusyhteistyö

The Guidelines International Network (GIN) on hoitosuositusten laatijoiden ja käyttäjien kansainvälinen organisaatio, johon kuuluu 73 järjestöjä 36 maasta. GIN on tärkeä hoitosuositusyhteyden koordinoija ja kehittäjä, jonka toiminnan tärkeä painopiste on tieteellisen näytön arvioinnin ja esittämisen yhtenäistäminen, aineistojen ja osajien verkottaminen ja levittäminen sekä toimeenpanon kehittäminen. Suomalaisilla hoitosuosituspioneereilla ja -organisaatioilla on merkittävä rooli GIN:ssä. GIN järjestää vuosittain kansainvälisen kongressin. Lääkkeiden arviointi ei ole ollut kahdessa edellisessä kongressissa suoranaisesti esillä, mutta keskusteluissa ja pienryhmissä tarve tunnustetaan. Hoitosuositusverkosto joutunee jatkossa enemmän esittämään kannanottoja lääkkeiden tehon lisäksi niiden vaikuttavuudesta ja hoidollisen lisäarvosta.

## 6 Esitys siitä, miten lääkearvioinnit tulisi toteuttaa sekä alustava arvio toiminnan edellyttämistä henkilöstövoimavaroista

Esitys sisältää ehdotuksen lääkkeiden arvioinnin malliksi, arvion tarvittavista henkilöstövoimavaroista sekä ehdotuksen lääkkeiden arvioinnin toteutuksesta ja koordinoinnista.

### 6.1 Arvioinnin kohteiden valinta

Arvioinnin kohteiden valinnalle on luotava selkeä prosessi. Sitä ohjaavat Hilan, lääkkeiden määrääjien ja sairaanhoitopiirien tarpeet. Tärkeää on tarttua myös lääkkeisiin, joiden määräyskäytännössä on havaittu olevan tai joissa ennakoitaan syntyvän ongelmia. Aiheiden valinnassa on pyrittävä ennakoimaan tulevaa vuoden parin aikajänteellä. Tässä voidaan eri viranomaistahojen näkemyksen lisäksi hyödyntää tämän tyyppiseen toimintaan erikoistuneita ulkomaisia organisaatiota (horizon scanning). Tärkeä tietolähde ennakoinnissa ovat eri erikoisalojen asiantuntijaverkostot, jolloin erikoislääkäriyhdistysten sekä alan ylilääkärikokousten rooli on merkittävä. Kohteiden valintaan tarvitaan keskeisten toimijoiden yhteinen foorumi. Siinä analysoidaan nykytilannetta, ennakoitaan tarpeita ja linjataan tulevaa toimintaa. Foorumin on syytä toimia myöhemmin mainitun kansallisen koordinoijan johdolla.

### 6.2 Arvioinnin sisältö ja ulkoasu (templaatti)

On tarpeen muodostaa avo- ja laitoshoidon lääkkeille yhteinen arviointipohja (templaatti). Arviointipohja on lomake, jossa on otsikot arvioinnissa huomioitaville asioille. Templaatti ja sen käyttö on tarkasti määritelty ja ohjeistettu. Se sisältää tiiviin ja lyhyen (1-2 liuskaa) **kannanoton** lääkeaineen tai lääkevalmisteen hoidollisesta ja taloudellisesta lisäarvosta. Kannanoton taustana on eri osista olemassa olevan ja kootun tiedon sisältävä **katsaus**. Kannanoton ja katsauksen laadinnassa on syytä hyödyntää kotimaisia ja ulkomaisia malleja, joista on esimerkkejä liitteessä 4.

Finohta on laatinut suomalaisen mallin katsaukselle terveydenhuollon menetelmästä. Sitä käytetään muun muassa sairaanhoitopiireille tuotettavissa katsauksissa ja muussa Finohtan julkaisutoiminnassa. Mallia on perusteltua hyödyntää ja tarpeen mukaan myös muokata lääkkeiden arvioinnissa.

Voi kuitenkin olla tarpeen muokata templaattia ottamaan huomioon lääkehoidon avohoidon ja laitoshoidon lääkehoidon erityispiirteitä. Esimerkiksi joidenkin laitoshoidon lääkkeiden kohdalla merkittävä asia arvioitavaksi voi olla myös lisäarvo hoitoprosessille. Harvinaislääkkeet (orphan drugs) muodostavat arvioinnissa oman haasteensa. Käytännössä myyntiluvan saamisen yhteydessä sekä uuden lääkkeen hintaa ja korvattavuutta päätettäessä tietopohja on erilainen kuin jo jonkun aikaa käytössä olleella valmisteella. Alkuvaiheessa julkaistua tietoa on niukasti, mutta arviointi saattaa olla käynnissä useassa eri yksikössä ulkomailla. Joidenkin vuosien jälkeen saattaa olla julkaistuna jo runsaasti tutkimustietoa, ja lisäksi on jo tietoa uuden lääkkeen kulutuksesta, määräyskäytännöistä sekä



lääkityksen kohdentumisen asianmukaisuudesta. On todennäköistä, että tarvitaan templaatti laajalle ja suppealle arvioinnille. Yksittäisten lääkeaineiden ohella arvioinnin kohteeksi voidaan ottaa lääkeryhmiä tai kansantautien lääkehoito. Templaatin muodostaminen on syytä tehdä tiivissä yhteistyössä sen tulevien käyttäjien kanssa.

**Katsaus** kokoaa olemassa olevan julkaistun tiedon, arvioi ja tarvittaessa luokittelee sen. Arvioon laaditaan systemaattinen kirjallisuuskatsaus valituista tietokannoista ja muiden maiden arviointityköiden julkaisuista. Tässä on perusteltua käyttää kotimaisten hoitosuosittelujen laadinnassa käytettyjä työvälineitä, kuten tieteellisen näytön vahvuuden ilmoittamista neliportaisella luokituksella. Arvio sisältää myös tiedon siitä, että julkaistua tietoa ei löydy tai mitä tutkimusta on meneillään ja millä aikataululla (julkiset tutkimusrekisterit ja vastaavat).

**Kannanotto** (appraisal) laaditaan arvion ja muiden näkökohtien perusteella päätöksenteon tueksi. Arvion lisäksi tarvitaan tietoa mm. lääkkeen käytön laajuudesta, hinnasta, kustannuksista, kohdentumisesta ja markkina-asemasta. Myös käsiteltävän sairauden yleisyys ja sen yhteiskunnallinen merkitys sekä lääkkeiden asema hoitokokonaisuudessa tulee ottaa huomioon. Kannanotto on kansallinen kannanotto kyseiseen asiaan. Kannanotto ei kuitenkaan voi sitoa päätöksentekoa. Kannanotto voi tarvittaessa ottaa kantaa myös asioihin, joista sillä hetkellä ei ole julkaistua, luotettavaa tutkimustietoa. Kaikissa tilanteissa on selkeästi erotettava tutkimustieto ja muu tieto.

Tällainen arvioinnin templaatti erottaa toisistaan tieteellisen tiedon systemaattisen kokoamisen ja arvioinnin sekä sen ja muun tiedon perusteella tuotettavan kannanoton laatimisen. Se myös mahdollistaa tarvittaessa näiden tuottamisen kokonaan tai osittain eri yksiköissä.

## 6.3 Arviointityön edellyttämät voimavarat

Maassamme tarvitaan vuosittain noin 20 arviointia avo- tai laitoshoidon lääkkeitä. Näistä osa on uusien lääkkeiden arviointeja niiden tullessa markkinoille ja lääkeyritysten anoessa niille hintaa ja korvattavuutta. Osa on samojen lääkkeiden arviointeja uudelleen, kun tietoa on kertynyt enemmän. Kyseisten 20 arvioinnin toteuttamiseksi tarvitaan yhteensä noin 11 henkilötyövuotta:

- 7-8 lääketieteen, terveydenhuollon ja arvioinnin asiantuntijan kokoaikaista työpanosta (esim. eri erikoisalojen lääkärit, proviisorit, terveydenhuollon maisterit)
- 2-3 arvioinnin muun asiantuntijan kokoaikaista työpanosta (terveystaloustieteilijä, tilastotieteilijä, informaattikko)
- 1 sihteerin kokoaikaista työpanosta

## 6.4 Arvioinnin toteutus

Arvioinnin toteutukselle voidaan esittää useita malleja. Seuraavassa esitetään kolme vaihtoehtoista mallia jotka perustuvat nykyisiin laitos- ja virastorakenteisiin.

## A. Yhden yksikön malli

Kootaan tarvittava osaaminen yhteen yksikköön, joka saa käyttöönsä tarvittavat voimavarat. Tämä yksikkö koordinoi arviointia sekä tuottaa katsaukset ja kannanotot konsultoiden tarvittaessa asiantuntijoita.

## B. Verkostomalli

Kootaan suurin osa tarvittavasta voimavaroista yhteen yksikköön, joka koordinoi verkostoa ja arviointia ja tuottaa kannanotot sekä osan katsauksista. Yksikkö saa käyttöönsä työhön yksikössä tarvittavat voimavarat sekä lisäksi voimavaroja tarvittavan asiantuntijatyön hankkimiseen yliopistoilta ja yliopistollisten sairaanhoitopiirien erityisvastuualueilta, STM:n alaisilta muilta laitoksilta ja Kelalta.

## C. Pohjoismaiseen yhteistyöhön perustuva malli

Todennäköisesti eniten hedelmällisen kansainvälisen yhteistyön mahdollisuuksia löytyy pohjoismaisesta yhteistyöstä. Yksi lääkkeiden arvioinnin toteutuksen malli on arvioinnin aloittaminen pienimuotoisesti Suomessa ja jätävä työ sen puolesta, että Pohjoismaat tiivistävät yhteistyötään tässä asiassa. Mallina voisi olla Pohjoismaisen lääkelautakunnan perustaminen uudelleen tai toiminnan keskittäminen Pohjoismaiseen korkeakouluun Göteborgiin. Myös pohjoismaiset HTA-yksiköt saattavat tehostaa yhteistyötään alueella.

On myös tarpeen seurata mitä Euroopan Unionissa sekä sen ulkopuolella parhaissa lääkkeiden arviointia tekevissä yksiköissä tapahtuu ja verkottua niiden kanssa. Arviointitietoa on mahdollista myös ostaa esimerkiksi National Prescribing Centerista (liite 4).

**Taulukko I.** Kolme ehdotusta arvioinnin toteuttamiseksi

Yhden yksikön malli	Verkostomalli	Pohjoismaiseen yhteistyöhön perustuva malli
Yksi yksikkö ei voi hallita koko lääketieteen kenttää	Tuo osaamiseen kriittistä massaa ja joustavuutta	Ei ole varmuutta muodostuuko kiinteää pohjoismaista tai eurooppalaista yhteistyötä ja millä aikataululla
Perustehtävä, tavoitteet ja toimintatavat selkeät	Verkoston kautta asiantuntijuus laajenee	Ainakin alkuvaiheessa kustannukset pienimmät
Tuottavuus hyvä muihin malleihin verrattuna	Organisaatioiden välinen yhteistyö lisääntyy	Kaikki kansainvälinen tutkimustieto ei sellaisenaan ole sovellettavissa Suomeen ja kustannustieto on joka tapauksessa räätälöitävä maakohtaisesti.
Ohjaamisen ja hallinnan kannalta optimivaihtoehto	Tuo joustavuutta erityisasiantuntemuksen hankintaan ja tarvehuippuihin	
Näkyvyys ja uskottavuus korkeat Tuo osaamiseen kriittistä massaa	Ohjaaminen ja hallinta vaativampaa kuin mallissa, jossa voimavarat keskitetään	
Asiantuntijoiden korkea sitoutumisen aste	Laatutaso saattaa vaihdella	Ilman riittävää omaa arviointityötä Suomi ei pystyisi vaikuttamaan aihevalintoihin ja toteutukseen
Haasteena sisäänlämpiävyys Tarvittavat asiantuntijat saattavat olla jo sitoutuneita muiden yksiköiden toimintaan	Asiantuntijoiden sitoutuminen ja identifioituminen verkostossa vaihtelevaa  Enemmän mahdollisia intressiristiriitoja, aikataulun hallinta vaikeutuu (muut prioriteetit eri yksiköissä menevät edelle)  Tuottavuus yhden yksikön mallia heikompi, koska koordinointi edellyttää enemmän voimavaroja  Kilpailevan toiminnan vaara: asiantuntijoita on rajallinen määrä, lääketeollisuus hyödyntää samoja asiantuntijoita	

Erillistä yksikköä pelkästään lääkkeiden arviointia varten tuskin kannattaa perustaa. Toiminnan tulisikin sijaita jossakin soveltuvassa organisaatiossa, jolla on riittävät hallinnolliset ja toimistopalvelut käytössään. Kansallisten arvioiden laadinta edellyttää kuitenkin hyvin toimivaa verkottumista. Mahdollisia yksikön sijaintipaikkoja olisivat lähinnä Rohto, Kela ja Finohta.

Rohdolla tehtävänä on sitä koskevan lain (1080/2002) mukaan koota ja arvioida kliinistä lääkehoitoa koskevaa tietoa sekä koulutuksen ja tiedonvälityksen avulla kehittää lääkehoitokäytäntöjä. Rohto on jo tehnyt pääasiassa käytännön lääkäreitä palvelevaa lääkkeiden arviointityötä, jota varten se on rakentanut yhteistyötä eri erikoisalojen asiantuntijoiden kanssa. Rohdolla on laajan verkoston ja toimipaikoissa järjestettävien työpajojen kautta mahdollisuus rakentaa yhteys toimeenpanoon (implementaatioon).

Kelassa on pitkäaikaista kokemusta lääkeshoidon laadun arvioinnista, mikä perustuu kattaviin rekistereihin ja niiden käytön hallintaan tutkimustyön yhteydessä. Kelan tutkimusosasto on joidenkin vuosien ajan arvioinut lääkkeiden hinta- ja korvattavuushakemuksia sekä niihin liittyviä lääketaloudellisia selvityksiä. Tutkimusosastolla on omassa käytössään informaattikko ja hänen lisäksi tietopalvelu. Kelan terveys- ja toimeentuloturvaosasto on hallinnoinut erityiskorvattavuutta koskevaa päätöksentekoa ja toimii yhteistyössä erikoislääkäriyhdistysten kanssa.

Finohtassa on monipuolista muiden menetelmien kuin lääkkeiden arviointiosaamista. Finohta ei ole toimeenpaneva (implementoiva) yksikkö.

## 6.5 Arviointityön koordinointi

Valittavasta toteutusmallista riippumatta tarvitaan selkeä kansallinen koordinaatio, joka on yhdellä toimijalla. Koordinaatio sisältää ainakin arviointien tarpeiden kartoituksen ja kohteiden valinnan, tuottamisen koordinoinnin ja laadunvalvonnan sekä julkaisun ja levittämisen. Kohteiden valintaa on sivuttu kohdassa 6.1. Arviointityöhön tarvitaan paitsi kirjallisuuskatsauksia myös hyviä ja kattavia rekisteritietoja sekä niihin pohjautuvia tutkimuksia, kliinistä asiantuntemusta, lääke-epidemiologian ja lääketalouden asiantuntemusta, lääkemarkkinoinnin toimintatapojen tuntemusta sekä yhteysviestintään ja koulutukseen. Arviointi edellyttää hyvää keskusteluyhteyttä tiedon tarvitsijoiden eli hinta- ja korvausviranomaisten, hoitosuositusten laatijoiden, lääkeneuvottelukuntien sekä käytännön lääkäreiden kanssa. Lisäksi on oltava joustava mahdollisuus järjestää erilaisissa kokoonpanoissa pidettäviä kokouksia.

Kansallisen lääkkeiden hoidollisen arvon arvioinnin aloittaminen myös sairaaloiden tarpeisiin lisää tarvetta koordinoida ja mahdollisesti yhtenäistää lääkeneuvottelukuntien työtä. Läkeneuvottelukuntien yhtenä tärkeänä tehtävänä alueellaan tulisi olla lääkeasiantuntijaverkoston ylläpito lääkeryhmittäin. Tätä verkostoa voidaan hyödyntää paitsi hankintoihin liittyvissä asiantuntijalausunnoissa, myös kansallisessa yhteistyössä, alueellisessa hoitoketjutyössä ja koulutuksessa. Koordinoitivastuu voisi sisältää myös lääkeneuvottelukuntien yhteistyön koordinoimista.

## 6.6 Arviointityön rahoituksesta

Ensisijainen vaihtoehto on rahoittaa toiminta julkisin varoin valtion budjetista. Arviointityö palvelee julkista päätöksentekoa. Sen rahoituksen on oltava kaupallisista tahoista riippumaton ja ennakoitavissa. Rahoitusta tarvitaan arviointien tuottamisen ja koordinoinnin lisäksi kouluttautumiseen.

Yksi pohdittava mahdollisuus on toiminnan osittainen rahoitus Hilan käsittelymaksuista. Osa arviointityöstä palvelee kuitenkin pääasiassa terveydenhuollon laitoksia ja tätä arviointityötä ei ole mahdollista rahoittaa Hilan käsittelymaksuilla. On mahdollista, että rahoitus käsittelymaksuilla johtaisi käsittelymaksujen ja sitä kautta lääkkeiden hintojen nousuun. Lisäksi käsittelymaksujen nousu saattaisi johtaa päätöksiin että lääkkeelle ei lainkaan haeta korvattavuutta. Rahoitus Hilan käsittelymaksuista saattaisi myös vinouttaa arvioinnin kohteiden valintaa.

Kela kykenee rahoittamaan muutaman asiantuntijan muodostaman ryhmän käytettävissään olevilla varoilla. Hilan tarvitessa arvioita lääkkeiden hoidollisesta arvosta niiden hinta- ja korvaushakemusten yhteydessä se voisi sisällyttää kustannukset lääkeyrityksiltä perittäviin käsittelymaksuihin. Tällä hetkellä Rohdossa käytetään lääkkeiden arviointityöhön noin yksi henkilötyövuosi. Jos lääkkeiden arviointitoiminta ja sen koordinointi sijoitettaisiin Rohtoon tai Finohtaan, tulisi toiminnalle osoittaa voimavarat asiantuntijoiden palkkaukseen ja arvioiden tuottamiseen valtion varoista.

On pohdittava myös osittaisen rahoituksen järjestämistä maksupalvelutoimintana. Tällöin arviointipalvelua tarjottaisiin maksullisena palveluna lääkevalmistajille. Tämä kuitenkin vaarantaisi riippumattomuuden aiheenvalinnassa ja tuotannossa. Se söisi arviointitoiminnan uskottavuutta ja puolueettomuutta. Maksupalvelutoiminta johtaisi epävarmuuteen kassavirroista, jolloin pitkän tähtäimen linjaukset ja rekrytoinnit vaikeutuisivat. Se saattaisi johtaa myös perustehtävän hämärtymiseen ja intressiristiriitojen lisääntymiseen.

## 7 Esitys alustavaksi suunnitelmaksi lääkearviointitiedon hyödyntämiseksi eri käyttäjäryhmille

### 7.1 Julkaiseminen ja levittäminen

Kannanotot ja katsaukset ovat julkisia lukuun ottamatta mahdollisia salassa pidettäviä osia (esim. Lääkelaitoksen tai Hilan tietoja).

Kannanotot ja katsaukset julkaistaan koordinoivan yksikön ja muiden mukana olevien yksiköiden julkisilla kotisivuilla. Pyrkimyksenä on julkaista kannanotot myös Suomen Lääkärilehden Lääkeinfo-palstalla jolloin ne tavoittavat parhaiten kaikki Suomen lääkärit. Kannanotot on syytä julkaista myös muiden ammattiryhmien keskeisissä lehdissä (farmasistit, hoitajat) sekä huolehtia niiden sisältämän tiedon välittämisestä myös potilaille.

Lisäksi kannanottoja levitetään sähköpostin kautta. Tässä hyödynnetään Lääkehoidon kehittämisskeskuksen Rohto-vastaavaverkostoa (yli 150 lääkäriä) sekä Kelan asiantuntijalääkäriverkostoa (yli 200 lääkäriä) ja muita vastaavia sähköpostiverkostoja.

Erikseen on mietittävä nykyisten useiden lääketietoa jakavien julkaisujen, esim. TABUN uusien lääkkeiden esittelyt, Kapseli-sarja, Finohtan käännökset NICEN ja muiden HTA-yksiköiden arvioista sekä kansallisten hoitosuositusten rooli ja suhde kannanottoihin.

### 7.2 Hyödyntäminen päätöksenteossa

Sairausvakuutuslain (1224/2004) mukaan Lääkkeiden hintalautakunta päättää lääkkeen korvattavuudesta ja korvattavuuden lakkauttamisesta sekä vahvistaa lääkkeen hyväksyttävän tukkuhinnan. Kannanotot ja niiden perustana olevat arviot tukevat Hilan päätöksentekoa, mutta eivät sido sitä.

Kannanottojen ja katsausten rooli lääkeneuvottelukuntien päätöksenteossa on määriteltävä tarkoin ottaen huomioon hankintalainsäädäntö. Avainasemassa ovat tarjouspyynnöstä ilmi käyvät arviointi- ja päätöksentekoperusteet. On todennäköistä, että lisäksi tarvitaan tiivistettyä yhteistyötä ainakin kaikkein kalleimpiin lääkkeisiin liittyvässä päätöksenteossa sairaanhoitopiirien välillä.

### 7.3 Hyödyntäminen kliinisessä työssä

Ammatinharjoittamislain mukaan (Laki terveydenhuollon ammattihenkilöistä 559/1994) lääkäri päättää potilaan lääketieteellisestä tutkimuksesta, taudinmäärityksestä sekä siihen liittyvästä hoidosta ja vain lääkäriellä on oikeus määrätä lääkkeitä. Mikään viranomaistaho ei voi määritellä lääkahoitoa tai lääkkeen valintaa, vaan potilasta hoitava lääkäri tekee päätöksen hoitotilanteessa yhteisymmärryksessä potilaan kanssa.

Nykyistä laajempi ja koordinoitumpi kansallinen lääkkeiden arviointi olisi merkittävä apu klinikoille, joilla on nyt hyvin saatavilla tiedot lääkkeiden tehosta ja hinnoista. Hyödyntämisen kannalta on keskeistä varmistaa, että arviointitieto välittyy päätöksenteon tueksi. Tiedon julkaiseminen tai sen levittäminen luentotyypisin koulutuksin ei vielä muuta toimintakäytäntöjä. Tieto voidaan saada käyttöön vuorovaikutteisen oppimisen, paikallisten mielipidevaikuttajien, auditoinnin ja palautteen sekä sähköisten muistutusten ja päätöksenteon tukimallien avulla. Toimeenpanossa klinikoille on kaksi realistista vaihtoehtoa, jotka ovat toisiaan tukevia:

## **1. Toimeenpano pajamallilla**

Rohto on rakentanut rationaalisen lääkehoidon asiantuntijaverkoston, joka järjestää yli 140 toimipaikalla Rohto-pajoja. Pajassa keskitytään lääkehoidon kehittämisen kannalta keskeisiin ongelma-alueisiin, pyritään löytämään ymmärrys ongelman merkityksestä ja kokonaisuudesta sekä etsitään yhdessä ratkaisumalleja, jotka sovitaan talon tavaksi. Lääkkeiden arvioinnit sopivat erinomaisen hyvin pajoissa käsiteltäviksi ja toimeenpantaviksi.

## **2. Sähköinen päätöksenteon tuki**

Toimiva päätöksenteon tuki edellyttää rakenteen, joka toimii reaaliaikaisesti potilastiedostoja käsiteltäessä ja hoitopäätöksiä tehtäessä. Perusta on sähköinen potilaskertomusjärjestelmä, jonne tiedot rakenteisesti tallennetaan ja koodataan. Lääkäriseura Duodecim koordinoi kansallista EBMeDS-hanketta, jonka sähköistä päätöksenteon tukea päästään lähiaikoina kokeilemaan käytännössä.

Näiden lisäksi on huolehdittava arviointien tehokas levittäminen muun muassa sähköpostien kautta.

## 8 Aikataulu

### 2007

Jatkovalmistelu, päätökset (kansallinen koordinaatio, muu työnjako, rahoitus)

### 2008

Kansallisen foorumin perustaminen. Arviointitemplaatin luominen. Neuvottelut ja sopiminen eri toimijoiden rooleista. Kouluttautuminen arviointityöhön. Ensimmäisten arviointien laatiminen aloitetaan. Aktiivinen toiminta Pohjoismaisessa yhteistyössä ja EU:ssa. Jo tämä edellyttää lisävoimavaroja 2-3 htv (1-2 asiantuntijalääkäreitä, asiantuntijaproviisori, voimavaroja muiden palvelujen ostoon),

### 2009

Ensimmäiset uudenmuotoiset lääkearvioinnit julkaistaan (2-3 kpl). Lisävoimavaroja toimintaan sovitulla tavalla. Toiminnan vakiinnuttaminen ja arvioinnin suunnittelu.

### 2010

Toiminta ja tuotanto vakiintunut. Arviointi: käyttäjänäkökulma, kannanottojen ja katsausten tieteellinen laatu ym.



## Liite I. Muistiota varten haastatellut kesä-elokuussa 2007

Minna Kaila, ylilääkäri, Finohta/Stakes: HALO-ohjelma

Timo Klaukka, Terveystutkimuksen päällikkö, Kela

Pekka Koivisto, johtava lääkäri, Kela

Mauno Konttinen, ylijohdaja, Stakes

Marjukka Mäkelä, tutkimusprofessori, ryhmäpäällikkö, Finohta/Stakes

Hanna Mäkäräinen, tulosryhmän johtaja, Konservatiivisen hoidon tulosryhmä, TYKS

Seppo Pyrhönen, ylilääkäri, Syöpätautien klinikka, TYKS

Sinikka Rajaniemi, johtaja, Lääkkeiden hintalautakunta

Kirsti Torniainen, sairaala-apteekkari TYKS/johtaja, Varsinais-Suomen lääkehuolto

Jorma Viikari, ylilääkäri, Sisätautien klinikka, TYKS

Lauri Vuorenkoski , erikoistutkija, Stakes

Hannes Wahlroos, ylijohdaja, professori, Lääkelaitos

## Liite 2. Ehdotus lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnin keskeisistä käsitteistä

Tuoreessa suomenkielisessä terveydenhuollon menetelmien oppikirjassa on määritelty keskeisiä käsitteitä (Mäkelä ym 2007), joita seuraavassa sovelletaan lääkkeisiin

### Teho (efficacy)

- Pyrkii vastaamaan kysymykseen *voiko hoito toimia*
- Myyntiluvan saamisen edellytys (turvallisuuden ja laadun lisäksi)
- Hoidon vaikutus ihanneolosuhteissa, esim. satunnaistettu, kontrolloitu koe (RCT)
- Tarkasti valvottu koeasetelma
- Tarkasti valikoidut potilaat

### Vaikuttavuus (effectiveness)

- Pyrkii vastaamaan kysymykseen *toimiiko hoito käytännössä*
- Lääkkeen vaikutus väestötasolla terveydenhuollon arkipäivässä, jossa lääkettä käytetään valikoimattomassa potilasjoukossa sekä monisairailta ja jossa hoitoon sitoutuminen vaihtelee.
- On joskus arvioitu olevan n.  $\frac{3}{4}$  lääkkeen tehosta

### Tehokkuus (efficiency)

- Pyrkii vastaamaan kysymykseen *kannattaako hoito*
- Hoidon vaikuttavuuden ja sen antamiseen käytettyjen voimavarojen suhde
- Tukkuhinta- ja korvauspäätösten perustana
- Hyödyntää terveystaloudellisin menetelmin tehtyä tutkimusta
- Joskus synonyymina käytetään käsitettä kustannusvaikuttavuus. Tämä on jossain määrin hämmäntävää, sillä kustannusvaikuttavuuden analyysi on yksi lääketaloudellisen arvioinnin analyysimenetelmä kustannusutiliteetin, kustannushyödyn ja kustannusten minimoinnin analyysin lisäksi.

Yllämainitut käsitteet eivät pyri erityisesti määrittelemään lääkkeen merkitystä suhteessa muihin markkinoilla oleviin lääkkeisiin. Siksi on tarvittu uusia käsitteitä. Näitä on pohdittu erityisesti eurooppalaisessa yhteistyössä.

### Hoidollinen lisäarvo (added therapeutic value)

- Pyrkii vastaamaan esimerkiksi kysymykseen *antaako lääke olennaisesti parempia hoitotuloksia tai vähemmän haittoja muihin lääkkeisiin verrattuna*
- Lähellä käsitettä suhteellinen vaikuttavuus (relative effectiveness)

### Lisäarvo hoitoprosesseille

- Pyrkii vastaamaan kysymykseen tuoko *lääke lisäarvoa hoitoprosessille* esimerkiksi yksikerätsemman annostuksen ja hoitotavan kautta (esim. i.v. annostus voidaan muuttaa annosteluksi suun kautta)

### Taloudellinen lisäarvo (added economic value)

- Pyrkii vastaamaan esimerkiksi kysymykseen *antaako lääke samoilla kustannuksilla enemmän terveyshyötyä tai saman hyödyn alemmilla kustannuksilla*

Myös arvioinnin käsitteitä käytetään vaihtelevasti. Suomen kielessä yleensä käytetään sanaa arviointi. Englanninkielessä on käytössä useita käsitteitä: evaluation, assessment, appraisal (esim. NICE)

#### **Katsaus (review)**

- Olemassa oleva julkaistu tieto kootaan, arvioidaan ja tarvittaessa luokitellaan. Sisältää myös tiedon siitä, että julkaistua tietoa ei löydy tai mitä tutkimusta on meneillään ja millä aikataululla (julkiset tutkimusrekisterit ym). Arviointiraporttia voidaan muokata sovittujen asiantuntijoiden kommenttien perusteella.

#### **Kannanotto (appraisal)**

- Laaditaan arvioinnin ja muiden näkökohtien (esim. käytössä olevat voimavarat, etiikka) perusteella päätöksenteon tueksi. Tarvitaan ennalta määritellyt kysymykset, joihin kannanotto ottaa kantaa. Kannanotto voi ottaa kantaa myös asioihin, joista sillä hetkellä ei ole julkaistua, luotettavaa tutkimustietoa.

Kannanoton ja katsauksen tuottaminen ja julkaisu on yksi osa tarvittavaa työtä. Englanninkielisessä kirjallisuudessa käytetään käsitettä implementation. Se voidaan jakaa kolmenlaiseen toimintaan (Mäntyranta ym 2003)

**Leviäminen** (diffusion) on passiivista; käytännössä kannanotto vain julkaistaan.

**Levittäminen** (dissemination) tarkoittaa kannanotosta tiedottamista ja kertomista niiden käyttäjille.

**Varsinaisessa toimeenpanossa** (implementation) ei tyydytä tiedon levittämiseen, vaan sen käyttöönottoa tuetaan erilaisilla menetelmillä (koulutus ja kehittämistyö, automaattiset muistutukset jne).

### Liite 3. Keskeisimmät sosiaali- ja terveysministeriön hallinnonalalla tehdyt lääkkeiden arviointia sivuavat selvitykset ja ehdotukset 2004-2007

Mossialos E, Srivastava D. *Pharmaceutical Policies in Finland: Challenges and Opportunities* (luonnos, helmikuu 2007)

- Sosiaali- ja terveysministeriön tilaama selvitys sisältää useita eri vaihtoehtoja lääkkeiden arvioinnin järjestämiseen. Osa ehdotuksista on yhdistettävissä toisiinsa, osa on tosilleen vaihtoehtoisia ehdotuksia. Keskeisimmät lääkkeiden arviointia koskevat ehdotukset ovat:
- Lääkkeiden hoidollisen arvon ja kustannusvaikuttavuuden arvioinnin kapasiteetin lisääminen on tarpeen. Ulkomaisista kokemuksista lääkkeiden luokittelusta hinta- ja korvauspäätöksiä varten on opittavaa. Kapasiteetin lisääminen sisältää osaamisen kehittämisen terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa ja tietojen vaihtoa käytetyistä menetelmistä eri toimijoiden välillä.
- Hintalautakunnan päätöksenteon tueksi voisi hyödyntää Lääkelaitoksen, Rohdon ja Finohtan osaamista ja tutkimusnäyttöä (mm. pharmacovigilance).
- Lääkelaitos voisi laatia Hintalautakunnalle lausunnon uusien lääkkeiden suhteellisesta vaikuttavuudesta. Rohto ja Finohta voisivat laajentaa rooliaan tiedon välittämisessä Lääkkeiden hintalautakunnan päätöksiä varten.
- Sosiaali- ja terveysministeriö perustaisi pysyvän elimen (committee), joka kokoontuu muutaman kerran vuodessa. Siinä toimijat vaihtaisivat mielipiteitään ja se toimisi neuvona antavana elimenä sosiaali- ja terveysministeriölle. Edustettuna olisivat muun muassa Lääkkeiden hintalautakunta, Lääkelaitos, Rohto, Finohta, Suomen Lääkäriliitto ja Kela.
- Uusi lääkkeiden arviointiyksikkö voitaisiin perustaa toimimaan riippumattomana viranomaisena sosiaali- ja terveysministeriön alaisuudessa. Se tarjoaisi asiantuntemusta lääkkeiden arvioinnissa, toimisi käsivarren mitan päässä Lääkkeiden hintalautakunnasta, joka ei myöskään olisi edustettuna sen neuvottelukunnassa (board). Uusi yksikkö keräisi ja arvioisi näyttöä lääkkeen kliinisestä ja hoidollisesta arvosta. Yksikön arviointi lääkkeestä välitettäisi Lääkkeiden hintalautakunnalle päätöksenteon tueksi. Lääkkeiden hintalautakunta jatkaisi omaa työtään lääkkeiden arvioinnissa, mutta se hyödyntäisi uuden yksikön tietoa ja neuvoja päätöksissään. Uusi yksikkö toimisi yhteistyössä eri toimijoiden kanssa ja tuottaisi näkemyksensä lääkkeiden hoidollisesta arvosta ja kustannusvaikuttavuudesta Lääkkeiden hintalautakunnalle. Näkemys voisi sisältää myös neuvoja korvaustasoista. Työskentelyprosessin tulisi olla läpinäkyvä ja näkemykset tulisi julkaista. Muun muassa valitusmenettely täytyy ratkaista. Uusi yksikkö laatisi suosituksia ja käyttäisi eri organisaatioiden kuten Duodecimin ja Finohtan osaamista. Rohto voisi implementoida näitä suosituksia.

Huttunen J. *Lääkkeiden kustannusvastuun ongelmat. Sosiaali- ja terveysministeriön selvityksiä 2007:2.*

- Sosiaali- ja terveysministeriö päättää ministeriöön perustettavan Lääkkeiden arviointilautakunnan esityksestä mitä lääkehoitoja poikkeuksellisen kalliiden lääkkeiden tasausjärjestelmän piiriin otetaan. Lääkehoidon arviointilautakunta ohjaa muiden tehtäviensä ohella valtakunnallisesti kalliiden lääkehoitojen käyttöönottoa.

Eskola ym. The Future of FinOHTA. An external review. Finohta Report 2004:23.

- Sosiaali- ja terveysministeriön tulee johtaa keskustelua, jossa Finohtan ja muiden organisaatioiden (erityisesti Lääkelaitos ja Rohto) rooleja ja vastuita selvennetään.
- Formaalia kansainvälistä yhteistyötä lääkkeiden arvioinnissa tulee rohkaista. Tämä saataisi pohjautua olemassa olevaan pohjoismaiseen yhteistyöhön. Kansallisesti voimavarojen käyttö pitäisi koordinoita niiden optimaalisen käytön varmistamiseksi.
- Finohtan tulisi ottaa vastuu eri hoitovaihtoehtojen , mukaan lukien lääkkeiden, arvioinnista. Finohtan ei tulisi sulkea pois lääkkeiden arviointia omasta toiminnastaan.

Yllämainittujen lisäksi Rohdon laatimassa selvityksessä vuodelta 2006 pohditaan kolmea mallia riippumattoman lääketaloudellisen arvioinnin järjestämiseksi: nykyisiin toimijoihin perustuva työnjakomalli, laaja verkostomalli sekä uusi asiantuntijakeskus (Lamberg M. Riippumaton lääketaloudellinen arviointi- selvitys nykytilasta ja tulevaisuudesta. Lääkehoidon kehittämiskeskus ROHTO 2006; [www.rohto.fi](http://www.rohto.fi)>keskus asiantuntijana >selvitykset ja raportit). Lääketeollisuus ry:n tilaamassa selvityksessä vuodelta 2006 ehdotetaan, että lääkehoidon vaikuttavuuden ja taloudellisuuden arviointia koskevaa osaamista lisätään valtion keskushallinnossa antamalla Finohtalle tehtäväksi lääkehoidon vaikuttavuuden ja kustannusvaikuttavuuden arviointi ja osoittamalla sille tätä varten lisäresursseja. (Huttunen J. Lääkehoidon ja lääkehuollon tulevaisuudennäkymät. Lääketeollisuus ry 2006. Tiivistelmä: [www.pif.fi](http://www.pif.fi)> julkaisut).

## Liite 4. Esimerkkejä yksittäisten maiden lääkearviointityöstä

Esimerkkejä käytössä olevista lääkkeiden hoidollisen arvon luokitteluista

Ranska ja Kanada luokittelevat lääkkeet arvioimalla lääkkeen hyödyt ja mahdollisen lisäarvon muihin lääkehoitoihin verrattuna. Ranskassa käytetään ASMR-luokittelua (PPRI 2006: 11, No 5, s.134-137). Luokkia on kuusi.

- 1 = huomattava terapeuttinen etu
- 2 = merkittävä etu hoidollisessa tehossa ja/tai vähemmän sivuvaikutuksia
- 3= kohtalainen etu hoidollisessa tehossa ja/tai vähemmän sivuvaikutuksia
- 4= vähäinen parannus tehossa ja/tai hyödyissä
- 5= ei hoidollista etua
- 6 = korvattavuus ei suositeltava

Myös Prescrire luokittelee uudet lääkkeet kuusiportaisesti:

Bravo: merkittävä edistysaskel aikaisemmin lääkehoidon ulkopuolelle jääneen sairauden hoidossa.

A real advance: merkittävä hoidollinen uutuus, mutta valmisteella on joitakin rajoituksia.

Offers an advantage: jonkin verran hoidollista lisäarvoa, mutta valmiste ei tuo merkittävästi uutta kyseisen sairauden hoitoon.

Possibly helpful: vähän lisäarvoa, eikä valmisteen vuoksi pitäisi muuttaa lääkemääräyskäytäntöä muutoin kuin poikkeustapauksissa.

Nothing new: ei tuo lääkevalikoimaan mitään olennaista uutta.

Not acceptable: ei hoidollista lisäarvoa, mutta valmisteeseen liittyy tai voi liittyä haittoja.

Lisäksi lehti varaa itselleen mahdollisuuden siirtää kannanottoaan uutuuslääkkeeseen, kunnes sen ominaisuuksista on käytettävissä enemmän tai parempaa tietoa (Judgement reserved). Kummassakaan edellä kuvatuissa luokitteluissa ei oteta huomioon valmisteen hintaa.

### Institut for rationel farmakoterapi (IRF), Tanska

IRF tuottaa lääkearvioita (anmelderse) lääkevalmisteista, joilla on yleistä lääketieteellistä kiinnostusta tai jotka tuovat olennaisesti uutta verrattuna markkinoilla oleviin lääkkeisiin. IRF pyrkii uuden lääkkeen kohdalla määrittämään sen paikan hoidossa. Se pyrkii julkaisemaan lääkearvionsa kotisivullaan samana päivänä kun valmiste tulee Tanskan markkinoille. Lähteinä IRF käyttää myyntilupayhteenvetoa sekä kansallisia ja EMEAN tuottamia myyntilupadokumentaatiota. Kotisivuillaan se ilmoittaa tekevänsä haut Medline ja Embase-tietokannoista, mutta käytännössä tähän ei aina ole ollut aikaa. IRF voi myös pyytää lisätietoja suoraan lääkevalmistajalta. IRF ei hyödynnä muiden lääkkeiden arviointia tekevien organisaatioiden arviointeja eikä se tee omien arviointiensä tueksi systemaattisia kirjallisuushakuja. Lääkevalmistajalle tarjotaan mahdollisuus kommentoida arviota ennen sen julkaisemista. Arviot ovat lyhyitä, korkeintaan 2 sivun pituisia. IRF tuottaa vuosittain noin 15 arviota. IRF:llä on ollut vaikeuksia asiantuntijalääkäreiden rekrytoinnissa; lääkearviot tuotetaan pääosin farmaisistien toimesta (vastaa Suomessa proviisoreita). Tietyistä arvioiden käyttöä ja vaikuttavuutta ei ole selvitetty.

Lähteet: [www.irf.dk](http://www.irf.dk), Rohdon vierailukäynti keväällä 2005

## National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE), Iso-Britannia

NICE tuottaa erityyppisiä julkaisuja. Lääkkeitä arvioivia julkaisuja ovat menetelmien arviointiraportit. Lääkkeitä ja muita yksittäisiä terveydenhuollon menetelmiä varten on vuonna 2006 laadittu ohje kannanotosta yksittäiseen menetelmään (single technology appraisal, STA). Aiemmin arvioinnit on toteutettu toisin. STA käsittelee näyttöä terveydenhuollon menetelmän (esim. lääkkeen) terveysvaikutuksista, kustannuksista ja tehokkuudesta (kustannusvaikuttavuudesta) verrattuna nykykäytäntöihin. Prosessi koostuu useasta osasta:

Aihe valitaan, pyydetään kooste tieteellisestä näytöstä menetelmän valmistajalta/sponsorilta (esimerkiksi lääkevalmistaja), erikseen nimetty asiantuntijaryhmä arvioi valmistajan luovuttaman näytön, konsulteilta (organisaatioita, jotka nimittävät kliiniset asiantuntijansa tai potilasedustajansa) pyydetään suulliset kommentit asiasta. Komitea (Appraisal Committee) valmistelee kannanottoa käyttäen materiaalina näyttöä ja kuulemisessa saatuja suullisia kommentteja. Tuloksena syntyy lopullinen kannanotto (appraisal), jota NICE käyttää ohjeistuksensa (guidance) perustana. Formaali valmistajan konsultointi tehdään vain, jos alustavat suositukset näyttävät olevan myönnetyn myyntiluvan indikaatioita tiukempia. Koko prosessi vie noin 40 viikkoa. NICE ei itse tee omaa systemoivaa kirjallisuushakua eikä hyödynnä muiden arviointiyksiköiden arviointeja

NICE tuotti vuosina 2001 - 2005 vuosittain kymmenkunta ja vuonna 2006 kaikkiaan 14 menetelmien arviointiraporttia, joissa lääke oli keskeisin arvioitu menetelmä. Vuosina 2001-2005 tuotetuista arviointiraporteista rajoittavimmiksi luokiteltujen 11 raportin vaikutuksia kliinisiin käytäntöihin on tutkittu lääkerekisterien avulla ja havaittu, että NICE:n arviointiraportit eivät käytännössä ole vaikuttaneet kliinisiin käytäntöihin juuri lainkaan.

Lähteet: [www.nice.org.uk](http://www.nice.org.uk)

Dietrich E, Wagner C, Zierold F. What effects had NICE's negative and most restrictive technology appraisal on pharmaceuticals on their use and costs to the NHS in England and Wales (poster). EHMA 2007 Annual Conference 27th – 29th June 2007. Lyon, France

## National Prescribing Centre (NPC), UK

NPC tuottaa erityyppisiä ns. MeReC-julkaisuja (*MeReC Bulletin*, *MeReC Briefing*, *MeReC Extra*). MeReC-julkaisut julkaisee NPC ja rahoittaa NICE. Julkaisujenaiheet ovat kliinisiä ja tarkoituksena on tuottaa tiivistettyä näyttöön perustuvaa tietoa lääkkeistä ja lääkkeen määräämiseen liittyvistä asioista. Rahoittamalla NPC:n toimintaa, NICE voi vaikuttaa julkaisujen aiheiden valintaan, niiden metodologisiin käytäntöihin ja jakelutapoihin. Julkaisujen ulkoasu on aina sama. Julkaisu sisältää yleensä yhteenvedon, tekstiosan, yhteenvetotaulukoita ja viiteluettelon. Julkaisut julkaistaan nykyisin pääosin elektronisena NPC:n nettisivuilla. Tekstin viitteet on linkitetty viiteluetteloon ja viiteluettelosta on linkki mahdollisimman moneen viitteeseen. Lukija voi halutessaan rekisteröityä käyttäjäksi ja saada sähköpostiinsa tiedon uudesta MeReC-julkaisusta. Englannin ja Walesin terveydenhuollon (NHS) henkilökunta voi vapaasti kopioida ja käyttää julkaisuja. Muut voivat käyttää niitä henkilökohtaisiin tarkoituksiin. Muuhun käyttöön tarvitaan NPC:n lupa. NPC myy julkaisutietoaan ainakin Italialle.

*MeReC Bulletin*: julkaistu vuodesta 1998 ja vuosittain on valittu n. 5-6- aihetta, jonka aiheet ovat diagnoosikohtaisia, kuten tyyppi 2 diabeteksen lääkehoito tai lääkekohtaisia kuten bentsodiatsepiinit ja uudemmat unilääkkeet. Aiheet on valittu tukemaan NICE:n ohjelmaa. Kukin julkaisu on n. 1-4 sivua pitkä ja tarkoituksena on liittää mukaan opetusmateriaalia implementointia varten.

*MeReC Extra*: julkaistu vuodesta 2001. Käsittelee ajankohtaisia kysymyksiä ja tarjoaa lyhyitä katsauksia tuoreisiin kliinisiin tutkimuksiin ja ohjeisiin (guidelines), jotka saattavat vaikuttaa tai muuttaa kliinistä käytäntöä. Useimmat aiheet käsittelevät lääkkeitä esimerkiksi "Cardiovaskular risk of rosiglitazone", "When should aspirin be added with warfarin?" Ne ovat lyhyitä 2 sivun pituisia ja kerrallaan käsitellään 2-5 aihetta.

*MeReC Rapid Review*: julkaistu vuodesta 2006/2007, löytyy NPC:n kotivuolta. Julkaisuissa on käsitelty joidenkin merkittävien uusien julkaisujen tuloksia ja arvioitu, miten ne istuvat yhteen nykyisen näytön ja UK:n nykyisen kliinisen käytännön kanssa.

Lisäksi vuodesta 1997 lähtien NPC on tuottanut perusterveydenhuollon sekä sairaaloiden päättäjille tietoa uusista lääkkeistä, joilla saattaa olla merkittävä vaikutus hoidollisesti, taloudellisesti tai terveydenhuollon palveluille. Tähän liittyen NPC tuottaa useita julkaisuja, joiden julkisuusaste ilmeisesti vaihtelee. NPC tuottaa tietoa uusista tulevista lääkkeistä (*On the Horizon – Future Medicines, Rapid Review Bulletins, the New Drugs in Clinical Development Monographs*). Tämän ohjelman yhteistyökumppaneita ovat "the Wessex and Newcastle Medicines Information Centres" ja "the UKMI consortium". NPC:n kotisivuilta löytyvät seuraavat linkit: Planning Ahead for key new medicines, On The Horizon - Future Medicines, On the Horizon - Post Launch Update, On The Horizon Newsletter, New Medicine Alert, New Drugs in Clinical Development, New Medicines Scheme Index. Uusista lääkkeistä välitetään tietoa päättäjille jo ennen myyntiluvan saamista.

Lähteet: [www.npc.co.uk/index.htm](http://www.npc.co.uk/index.htm), Rohdon henkilöstön vierailukäynti syksyllä 2006

### **The Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH), Kanada**

CADTH tuottaa uusien lääkkeiden arviointeja (The Common Drug Review): objektiivisia, perusteellisia katsauksia uusien lääkkeiden kliinisestä vaikuttavuudesta ja kustannusvaikuttavuudesta pyrkien vastaamaan kysymyksiin

- kuinka uusi lääke vertautuu suhteessa vaihtoehtoihin
- mitkä potilaat hyötyvät
- antaako se rahalle vastinetta (value for money)

Lähtökohta arvioinnille on lääkevalmistajan, alueellisen toimijan lääkesuunnitelman; Drug Plan (vastannee meillä Lääkkeiden hintalautakuntaa) tai kansallisen lääkeneuvottelukunnan (Advisory Committee on Pharmaceuticals) esitys. CADTH asettaa arviointiryhmän, joka kokoaa systemaattisen katsauksen. Tätä varten on laadittu ohjeet ja templaatti kliinisen ja taloudellisen arvon arvioimista varten. Lääkevalmistajalta pyydetään kommentit ja niihin vastataan.

Lähteet: [www.cadth.ca](http://www.cadth.ca)



## Liite 5. Lääkkeiden ja muiden terveydenhuollon menetelmien arvioinnin erityispiirteitä

	Lääkkeet	Muut menetelmät, erityisesti laitteet
Käyttö	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Laajaa, usein sekä perusterveydenhuollossa että erikoissairaanhoidossa julkisella ja yksityisellä sektorilla</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Vaihtelee</li> </ul>
Tutkimustietoa	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Paljon tehosta, myös satunnaistettuja tutkimuksia, niukemmin vaikuttavuudesta, hoidollisesta ja taloudellisesta lisäarvosta</li> <li>• Lääketeollisuuden voimakas panostus</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Niukasti, usein avoimia kontrolloimattomia sarjoja</li> <li>• Laitetoimittajien vaihteleva panostus</li> </ul>
Käyttöönotto kansallisesti	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Edellyttää myyntiluvan saamisen, jossa kansallinen tai keskitetty (EU) tehon, turvallisuuden ja laadun arviointi, jota varten teollisuus tuottaa dokumentaation</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Ei kansallista menettelyä</li> </ul>
Käyttöönotto kliinisessä työssä	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Viime kädessä yksittäisten lääkäreiden päätöksillä</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Toimipaikkojen hankintapäätöksillä</li> </ul>
Kustannukset (välittömät ja välilliset)	Välittömiä kustannuksia seurataan tarkasti (Kela, organisaatioiden kustannusseuranta), välillisiä (henkilöstökustannukset) niukasti	Kustannuksia seurataan niukasti (hankinnan jälkeen)
Rahoitusmalli	Monikanavainen: Kela, potilaat, kunnat tai yksityiset toimipaikat	Yleensä yksikanavainen: kunnat tai yksityiset toimipaikat

(Minna Kaila, Timo Klaukka, Taina Mäntyranta)

# Kirjallisuutta

Asola R, Jyrkkö S. Kallis lääkehoito haastaa terveydenhuollon johtamisen. VARSA III-työ 2006-7. Varsinais-Suomen ja Satakunnan sairaanhoitopiirit 2007.

Eskola ym. The Future of FinOHTA. An external review. Finohta Report 2004:23.

Huttunen J. Lääkehoidon ja lääkehuollon tulevaisuudennäkymät. Lääketeollisuus ry 2006. Tiivistelmä: [www.pif.fi](http://www.pif.fi) julkaisut).

Huttunen J. Lääkkeiden kustannusvastuun ongelmat. Sosiaali- ja terveysministeriön selvityksiä 2007:2.

Lamberg M. Riippumaton lääketaloudellinen arviointi- selvitys nykytilasta ja tulevaisuudesta. Lääkehoidon kehittämiskeskus ROHTO 2006; [www.rohto.fi](http://www.rohto.fi) >keskus asiantuntijana >selvitykset ja raportit

Lääkkeiden viitehintajärjestelmää selvittäneen työryhmän muistio. Sosiaali- ja terveysministeriön selvityksiä 2007:46

Mossialos E, Srivastava D. Pharmaceutical Policies in Finland: Challenges and Opportunities (luonnos, helmikuu 2007)

Mäkelä M, Kaila M, Lampe K, Teikari M (toim.). Menetelmien arviointi terveydenhuollossa. Kustannus oy Duodecim, 2007

Mäntyranta T, Kaila M, Varonen H, Mäkelä M, Roine RP, Lappalainen J. Hoitosuosittelujen toimeenpano. Duodecim, Helsinki 2003.

## Linkkejä:

[http://ec.europa.eu/health/ph\\_overview/other\\_policies/pharmaceutical/pharma\\_forum\\_progress\\_report062007\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/health/ph_overview/other_policies/pharmaceutical/pharma_forum_progress_report062007_en.pdf)

[http://ec.europa.eu/health/ph\\_overview/other\\_policies/pharma\\_forum\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/ph_overview/other_policies/pharma_forum_en.htm)

<http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/pharmacos/new.htm#j07>

<http://ppri.oebig.at/>

- 2007: 1 Mikael Fogelholm, Olavi Paronen, Mari Miettinen. Liikunta – hyvinvointipoliittinen mahdollisuus. Suomalaisen terveysliikunnan tila ja kehittyminen 2006.  
ISBN 978-952-00-2232-7 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2233-4 (PDF)
- 2 Jussi Huttunen. Lääkkeiden kustannusvastuun ongelmat ja ehdotuksia ongelmien ratkaisemiseksi. Selvityshenkilön raportti. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2237-2 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2238-9 (PDF)
- 3 Salme Kallinen-Kräkin, Tero Meltti. Sosiaalipalvelut toimiviksi. Sosiaalialan kehittämishankkeen arviointikierroksen raportti. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2245-7 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2246-4 (PDF)
- 4 Simo Salminen, Riikka Ruotsala, Jarmo Vorne, Jorma Saari. Työturvallisuuslain toimeenpano työpaikoilla Selvitys uudistetun työturvallisuuslain vaikutuksista työpaikkojen turvallisuus-toimintaan.  
ISBN 978-952-00-2247-1 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2248-8 (PDF)
- 5 Perhepäivähoidon kehittämisen suuntia. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2255-6 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2139-9 (PDF)
- 6 Varhaiskasvatustutkimus ja varhaiskasvatuksen kansainvälinen kehitys. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2259-4 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2260-0 (PDF)
- 7 Varhaiskasvatuksen henkilöstön koulutus ja osaaminen. Nykytila ja kehittämistarpeet. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2261-7 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2262-4 (PDF)
- 8 Markku Lehto. Tie hyvään vanhuuteen. Vanhusten hoidon ja palvelujen linjat vuoteen 2015. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2263-1 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2264-8 (PDF)
- 9 Sosiaali- ja terveysministeriön hallinnonalan tulossopimukset kaudelle 2004-2007. Tarkistusvuosi 2007. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2265-5 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2266-2 (PDF)
- 10 Sosiaali- ja terveysministeriön toimintasuunnitelma vuodelle 2007. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2267-9 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2268-6 (PDF)
- 11 Samapalkkaisuusohjelma. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2273-0 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2274-7 (PDF)
- 12 Sosiaalihuollon kehittämistoiminnan arvioinnin loppuraportti. Toim. Jaana Kaakinen, Jarmo Nieminen, Jukka Ohtonen.  
ISBN 978-952-00-2279-2 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2280-8 (PDF)

- 2007: 13 Varhaiskasvatuksen kehittämisen suuntaviivoja lähivuosille. Väliraportti varhaiskasvatuksen neuvottelukunnan työstä. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2281-5 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2282-2 (PDF)
- 14 Annakaisa livari, Pekka Ruotsalainen. Suomen eTerveys -tiekartta. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2283-9 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2284-6 (PDF)
- 15 Annakaisa livari, Pekka Ruotsalainen. eHealth roadmap - Finland. (Stencil)  
ISBN 978-952-00-2285-3 (pb)  
ISBN 978-952-00-2286-0 (PDF)
- 16 Opportunities to reconcile family and work. Ed. by Rolf Myhrman, Riitta Sääntti.  
ISBN 978-952-00-2287-7 (pb)  
ISBN 978-952-00-2288-4 (PDF)
- 17 Tomi Hussi, Guy Ahonen. Business-oriented maintenance of work ability. (Stencil)  
ISBN 978-952-00-2289-1 (pb)  
ISBN 978-952-00-2290-7 (PDF)
- 18 Anita Haataja. Viisikymppisten työllisten työssä jatkamista ennakoivat tekijät.  
ISBN 978-952-00-2292-1 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2293-8 (PDF)
- 19 Sanna Parrila. Perhepäivähoidon ohjauksen kehitysvaihtoehtoja.  
ISBN 978-952-00-2294-5 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2295-2 (PDF)
- 20 Elina Renko. "Alkoholinkäyttö ei ole yksityisasia". Alkoholiohjelmaan ja alkoholipolitiikkaan liittyvä lehdistökirjoittelu 2004-2006.  
ISBN 978-952-00-2296-9 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2297-6 (PDF)
- 21 Nikotiinivalmisteiden seurantatyöryhmän muistio. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2304-1 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2305-8 (PDF)
- 22 Leena Tamminen-Peter. Ergonomiaopetuksen kehittäminen sosiaali- ja terveydenhoitoalan oppilaitoksissa. (Julkaistaan ainoastaan verkossa [www.stm.fi](http://www.stm.fi))  
ISBN 978-952-00-2306-5 (PDF)
- 23 Sosiaali- ja terveysministeriön taloussääntö 1.3.2007.  
ISBN 978-952-00-2315-7 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2316-4 (PDF)
- 24 Kansallisen terveydenhuollon hankkeen seurantaryhmän raportti. Vuoden 2006 toiminta. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2321-8 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2322-5 (PDF)
- 25 Erityisryhmien asumisturvallisuuden parantaminen. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2327-0 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2328-7 (PDF)
- 26 Markku Kuisma. Ensihoito- ja sairaankuljetuspalvelujen kehittäminen. Selvityshenkilön raportti.  
ISBN 978-952-00-2332-4 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2333-1 (PDF)

- 2007: 27 Koko perhe kierteessä. Lähisuhdeväkivalta ja alkoholi.  
ISBN 978-952-00-2342-3 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2343-0 (PDF)
- 28 Päivi Voutilainen, Eija Kattainen, Reija Heinola. Omaishoidon tuki sosiaalipalveluna. Selvitys omaishoidon tuesta ja sen vaihtelusta 1994-2006.  
ISBN 978-952-00-2344-7 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2345-4 (PDF)
- 29 Terveysalan opettajan ammatillisen osaamisen ylläpitäminen ja kehittäminen. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2352-2 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2353-9 (PDF)
- 30 Aila Kumpulainen. Kehitysvammopalvelut vuonna 2004.  
ISBN 978-952-00-2356-0 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2357-7 (PDF)
- 31 Stefan Ehrstedt. Työelämän kehittämishankkeet ja –ohjelmat valituissa OECD-maissa sekä kansainvälisissä järjestöissä. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2362-1 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2363-8 (PDF)
- 32 Samapalkkaisuusohjelman seurantaryhmän (2006-2007) loppuraportti. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2370-6 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2371-3 (PDF)
- 33 Lapsiasiavaltuutetun toimintakertomus vuodelta 2006.  
ISBN 978-952-00-2374-4 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2375-1 (PDF)
- 34 Sairaanhoidovakuutuksen kehittäminen. Sairausvakuutuksen sairaanhoitovakuutuksen kehittämistyöryhmän muistio. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2378-2 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2379-9 (PDF)
- 35 Palveluksessanne STM.  
ISBN 978-952-00-2390-5 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2391-2 (PDF)
- 36 Mirja Willberg, Hannu Valtonen. Pohjoismaiden terveydenhuollon rahoitus- ja palvelujärjestelmien vertailu.  
ISBN 978-952-00-2386-7 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2387-4 (PDF)
- 37 Mirja Willberg, Hannu Valtonen. Jämförelse av finansierings- och servicesystemen inom hälso- och sjukvården.  
ISBN 978-952-00-2388-1 (inh.)  
ISBN 978-952-00-2389-8 (PDF)
- 38 Raija Volk, Tuula Laukkanen. Palvelusetelin käyttö kunnissa.  
ISBN 978-952-00-2390-4 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2391-1 (PDF)
- 39 Janne Jalava, Tuomas Ketola, Nina von Hertzen, Petri Virtanen. Tasa-arvoa edistävien EU-hankkeiden arviointi.  
ISBN 978-952-00-2400-0 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2401-7 (PDF)

- 2007:40 Anita Haataja, Ossi Korkeamäki, Tomi Kyyrä. Soviteltu työttömyysetuus: kohdentuminen, toimeentulo ja vaikutus työllistymiseen. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2406-2 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2407-9 (PDF)
- 41 Maahanmuuttajien palvelut ja työllistyminen sosiaalialalle. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2408-6 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2409-3 (PDF)
- 42 Suomen kansainvälisten lapseksiottamisasioiden lautakunta. Toimintakertomus 2006. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2423-9 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2424-6 (PDF)
- 43 Nämnden för internationella adoptionsärenden i Finland. Verksamhetsberättelse 2006.  
ISBN 978-952-00-2425-3 (inh.)  
ISBN 978-952-00-2426-0 (PDF)
- 44 The Finnish Board of Inter-Country Adoption Affairs. Annual Report 2006.  
ISBN 978-952-00-2427-7 (pb)  
ISBN 978-952-00-2428-4 (PDF)
- 45 Apteekkityöryhmän muistio. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2429-1 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2430-7 (PDF)
- 46 Lääkkeiden viitehintajärjestelmää selvittäneen työryhmän muistio. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2431-4 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2432-1 (PDF)
- 47 Hannu Puolijoki, Anja Tuulonen. Erikoislääkäri- ja erikoishammaslääkärikoulutuksen arviointi.  
ISBN 978-952-00-2433-8 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2434-5 (PDF)
- 48 Mikko Wennberg, Olli Oosi, Kaisa Alavuotunki, Sirpa Juutinen, Henrik Pekkala. Sosiaalialan kehittämishankkeen organisoinnin arviointi. Sosiaalialan kehittämishankkeen loppuarviointi. Osaraportti 1.  
ISBN 978-952-00-2435-2 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2436-9 (PDF)
- 49 Jaakko Virkkunen, Yrjö Engeström, Reijo Miettinen. Sosiaalihuollon kehittämistoiminnan tulevaisuus. Projekteista konseptikehittämiseen.  
ISBN 978-952-00-2437-6 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2438-3 (PDF)
- 50 Helena Seppänen. Asiakastietojen käsittely kuntoutusyhteistyössä. Opas kuntoutuksen asiakasyhteistyöryhmille  
ISBN 978-952-00-2439-0 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2440-6 (PDF)
- 51 Kansallisen terveydenhuollon hankkeen seurantaryhmän raportti. Kevään 2007 toiminnasta. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2441-3 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2442-0 (PDF)
- 52 Biopankit, yhteinen etu. Ihmisperäisten näytekokoelmien hyödyntämistä selvittäneen työryhmän loppuraportti. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2448-2 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2449-9 (PDF)

- 2007:53 Sosiaali- ja terveysministeriön hallinnonalan IT-strategia vuosille 2007-2011. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2450-5 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2451-2 (PDF)
- 54 Sanna Parrila. Ryhmäperhepäivähoitoseelvitys. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2456-7 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2457-4 (PDF)
- 55 Sosiaali- ja terveysministeriön hallinnonalan tulosohjauksen kehittämistyöryhmän muistio. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2458-1 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2459-8 (PDF)
- 56 Vakuutusvalvonnan kehittäminen. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2464-2 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2465-9 (PDF)
- 57 Kari Niilola. Alkoholijuomien tuotanto ja myynti työllistäjänä. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2466-6 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2467-3 (PDF)
- 58 Alkoholimainontatyöryhmän muistio 2007. (Julkaistaan ainoastaan verkossa [www.stm.fi](http://www.stm.fi))  
ISBN 978-952-00-2468-0 (PDF)
- 59 Jyri Sorvali. Urheilu- ja liikuntajärjestöt alkoholiohjelmakumppaneina 2004-2007. (Julkaistaan ainoastaan verkossa [www.stm.fi](http://www.stm.fi))  
ISBN 978-952-00-2469-7 (PDF)
- 60 Jouni Puumalainen. Työterveys ja kuntoutus. Työterveyshuollon, työpaikkojen ja kuntoutuksessa toimivien yhteistyö.  
ISBN 978-952-00-2472-7 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2473-4 (PDF)
- 61 Tom Tarvainen, Ville Pietiläinen, Tapio Kuure. Nuoret eivät odota! Palvelurakenteen muutos nyt.  
ISBN 978-952-00-2476-5 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2477-2 (PDF)
- 62 Maahanmuuttajatyön kehittäminen varhaiskasvatuksessa. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2482-6 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2483-3 (PDF)
- 63 Arja Rimpelä, Susanna Rainio, Heini Huhtala, Hanna Lavikainen, Lasse Pere, Matti Rimpelä. Nuorten terveystapatutkimus 2007. Nuorten tupakkatuotteiden ja päihteiden käyttö 1997-2007.  
ISBN 978-952-00-2486-4 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2487-1 (PDF)
- 64 Oikeuslääketieteellisen kuolemansyyntä selvittämisen organisointi. (Julkaistaan ainoastaan verkossa [www.stm.fi](http://www.stm.fi))  
ISBN 978-952-00-2490-1 (PDF)
- 65 Sosiaali- ja terveysministeriön toiminta- ja taloussuunnitelma vuosille 2009-2012. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2493-2 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2494-9 (PDF)
- 66 Jussi Huttunen, Kari-Pekka Mäki-Lohiluoma. Sosiaali- ja terveysministeriön alaisten virastojen ja laitosten voimavarojen uudelleen suuntaaminen. Selvityshenkilöiden raportti. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2497-0 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2498-7 (PDF)

67 Sosiaali- ja terveysministeriön hallinnonalan tuottavuusohjelmatyöryhmän loppuraportti.  
ISBN 978-952-00-2499-4 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2500-7 (PDF)

68 Lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi. (Moniste)  
ISBN 978-952-00-2501-4 (nid.)  
ISBN 978-952-00-2502-1 (PDF)