

Selvitys lääkkeiden HTA-arviointikanavista Suomessa

Toimeksiantaja: Lääketeollisuus ry

Selvityksen tehnyt: MedEngine Oy, toukokuu 2025

Selvityksen tekijät: Saku Torvinen, Riikka Viitanen, Mirka Mähönen

Sisällysluettelo

Lukijalle.....	4
Tiivistelmä.....	5
Summary	6
Sammanfattning	7
1 Selvitystyön tarkoitus ja menetelmät.....	8
1.1 Tarkoitus.....	8
1.2 Menetelmät	8
2 Aineiston kuvaus	9
2.1 Aineisto	9
2.2 Aineiston jaottelu	9
2.3 Aineistosta tarkasteltavat muuttujat	9
3 Terveystieteiden menetelmien arviointi.....	10
3.1 Lääkkeiden jaottelu	10
3.2 Lääkehoitojen arvioinnin tarkoitus.....	11
3.3 Sairaala- ja avolääkkeiden arviointi	11
3.3.1 Fimea.....	12
3.3.2 Palko.....	13
3.3.3 Kansallinen hintaneuvottelu.....	14
3.3.4 FinCCHTA.....	14
3.3.5 Pohjoismainen HTA-yhteistyö	15
3.4 Avohoidon lääkkeiden arviointi	15
4 Sairaala- ja avolääkkeiden arviointikriteerit	18
4.1 Sairaala- ja avolääkkeiden arviointikriteerit	18
4.2 Palkon uudelleenarvioinnin kriteerit	19
4.3 Lääkekorvausjärjestelmään kuuluvien lääkkeiden arviointikriteerit.....	19
4.4 Lääkkeiden maksuhalukkuuden taso Suomessa	20

5	Nykyisen HTA-arviointijärjestelmän haasteet	21
5.1	Eriävät arvioinnin käynnistymistavat	22
5.2	Poikkevat arviointikriteerit ja erot käyttöönnotossa	22
5.3	Lääkkeiden uudelleenarvointi	23
5.4	HTA-arviointien määrä Suomessa	24
5.5	HTA-arviointien keskimääräiset kestot	25
5.6	Poikkeukselliset lääkehoidot	27
5.7	HTA-arvioinneissa havaittuja poikkeustapauksia	27
6	HTA-arvioinnin ja käyttöönoton kehittäminen	29
6.1	Euroopan unionin asetus terveysteknologian arvioinneista	29
6.2	Toimivan HTA-arviointi- ja käyttöönottojärjestelmän ominaisuuksia	29
6.2.1	Yhtenäisyys, selkeys ja oikeudenmukaisuus	29
6.2.2	Yhtenäinen arviointi- ja päätöksenteko	30
6.2.3	Uusien innovaativien hoitojen nopea käyttöönotto	30
6.2.4	Jatkuva kehittäminen ja kansainvälinen yhteistyö	32
7	Yhteenveto ja johtopäätökset	33
7.1	Yhteenveto	33
7.2	Johtopäätökset ja toimenpide-ehdotukset	34
	Lähteet	36

Lukijalle

Tässä selvityksessä tarkastellaan lääkkeiden arviointi- ja päätöksentekojärjestelmää erityisesti lääketeollisuuden ja potilaiden näkökulmasta. Lääkehoitojen saatavuus, teho ja turvallisuus sekä kustannusvaikuttavuus ovat terveydenhuollon keskeisimpiä kysymyksiä, ja aiemmissa selvitystöissä on tunnistettu nykyjärjestelmän haasteita, kuten hajanaisuutta ja heikkoa ennakoitavuutta. Hallitusohjelman mukaisesti käynnistetty Lääkkeet ja apteekkitalous -hanke pyrkii vastaamaan näihin haasteisiin ja yhtenäistämään lääkkeiden arviointi- ja käyttöönottojärjestelmää.

Tämä selvitys eroaa aiemmista selvitystöistä siinä, että sen lähtökohtana on konkreettinen aineisto: vuosina 2020–2022 myyntiluvan saaneet uudet lääkevalmisteet. Sen sijaan, että tarkastelisimme arviointijärjestelmää ainoastaan rakenteellisesta näkökulmasta, seurasimme yksittäisten lääkkeiden kulkua myyntiluvasta hinta- ja korvattavuushakemuksiin, HTA (Health Technology Assessment, terveysteknologian arviointi)-arviointeihin ja käyttöönottoa koskeviin päätöksiin. Tämä lähestymistapa tarjoaa yksityiskohtaisempaa tietoa arviointi- ja päätöksentekojärjestelmän toimivuudesta käytännössä ja tuo esiin mahdolliset kehittämistarpeet tavalla, jota aiemmissa selvitystöissä ei ole tehty.

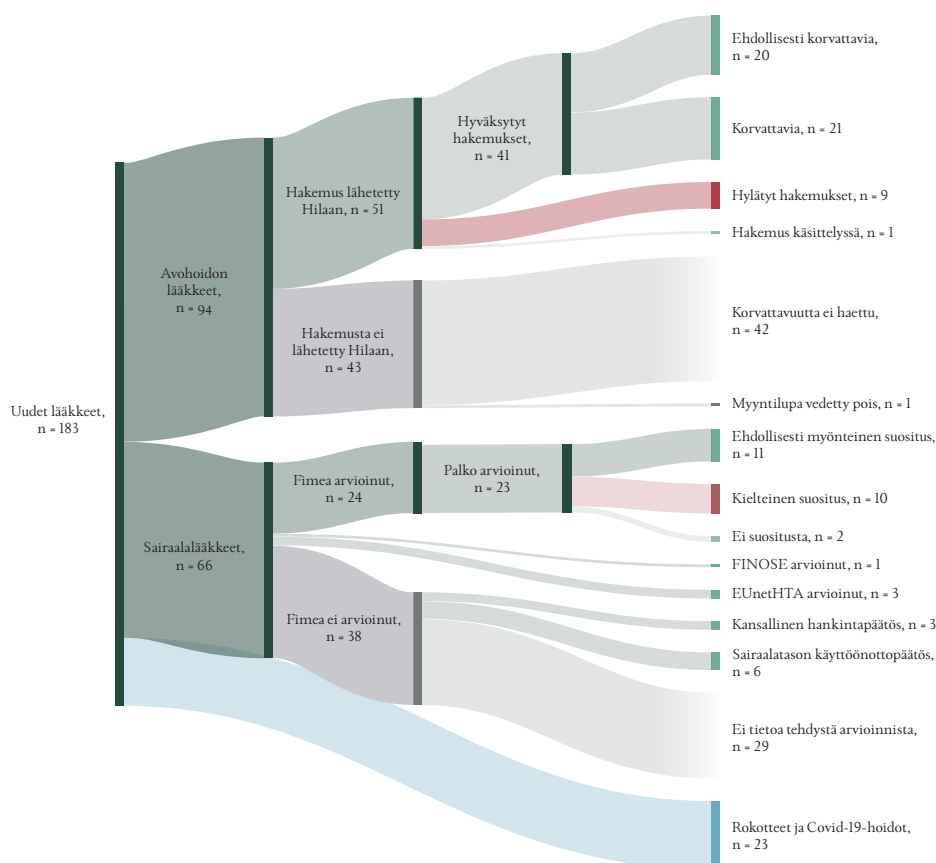
Toivomme, että selvityksen tuottama analyysi auttaa kehittämään lääkkeiden arviointi- ja päätöksentekojärjestelmää entistä yhdenvertaisemmaksi, sujuvammaksi ja läpinäkyvämmäksi, edistään samalla rationaalista lääkehoitoa ja potilaiden hyvinvointia.

Tiivistelmä

Lääkkeiden arviointi- ja päätöksentekojärjestelmän tehtävänä on varmistaa, että tehokkaat, turvalliset ja vaikuttavat lääkeshoidot ovat oikea-aikaisesti ja yhdenvertaisesti niitä tarvitsevien potilaiden saatavilla yhteiskunnalle hyväksyttävien kustannuksin. Nykyisessä arviointi- ja päätöksentekojärjestelmässä avo- ja sairaalalääkkeiden arviointikriteerit, -perusteet ja käsittelyajat eroavat toisistaan. Tämän selvityksen tarkoituksena oli kuvata nykyinen monikanavainen arviointi- ja päätöksentekojärjestelmä sekä selvittää kuinka suuri osa valmisteista arvioidaan, hyväksytään tai hylätään, saa käyttöönottopäätöksen ja on otettu käyttöön riippumatta arvioinnin tuloksesta. Lisäksi tarkasteltiin eri arviointiviranomaisten kriteerejä ja käsittelyaikoja, nykyisen järjestelmän haasteita sekä kehittämiskohteita. Selvityksen aineisto koostui vuosina 2020–2022 aikana myyntiluvan saaneista lääkevalmisteista ja niistä tehdyistä HTA (Health Technology Assessment, terveysteknologian arviointi) -arvioinneista Suomessa.

Selvityksessä havaittiin, että vain osa kaikista uusista myyntiluvan saaneista lääkevalmisteista arvioitiin tai kävi läpi arviointiprosessin (katso kuva 1). Lisäksi aineiston perusteella osoitettiin, että sairaalalääkkeiden arviointi- ja käyttöönottoprosessi on tällä hetkellä hidaskäyttöinen ja ajallisesti selkeästi pidempi kuin avohoidon lääkkeiden (vaihteluväli 10,5–26,6 kk vs. 3,9–6,0 kk). Tarkastellessamme avo- ja sairaalalääkkeiden HTA-arviointeja huomasimme, että niiden kriteereissä ja perusteissa oli poikkeavuuksia. Avohoidon lääkkeille on sairausvakuutuksessa tarkoin määritelty kriteerit, kun taas sairaalalääkkeiden osalta terveydenhuoltolaki on huomattavasti suurpiirteisempi. Myös avo- ja sairaalalääkkeiden käyttöönottopäätökset erosivat toisistaan. Palkon tekemät suositukset sairaalalääkkeistä eivät ole sitovia, vaan sairaalat voivat poiketa niistä ja päättää sairaalalääkkeiden käyttöönotosta toisin.

Aiemmat ja tämän selvityksen tulokset vahvistavat, että nykyiset hajanaiset HTA-arviointi- ja käyttöönottojärjestelmät tarvitsevat yhtenäistämistä riippumatta hoidon antotavasta.



Kuva 1. HTA-arviointien jakautuminen eri kanaviin ja niiden päätökset vuosina 2020–2022

Summary

The purpose of the medicinal product evaluation and decision-making system is to ensure that effective, safe, and impactful medical treatments are made available in a timely and equitable manner to patients in need, at a cost acceptable to society. In the current evaluation and decision-making framework, the criteria, grounds, and processing times for outpatient and hospital medicines differ. The aim of this report was to describe the current multi-channel evaluation and decision-making system and to examine the proportion of products that are evaluated, approved or rejected, receive an adoption decision, and are taken into use regardless of the evaluation outcome. In addition, the criteria and processing times of different evaluation authorities, the challenges of the current system, and areas for improvement were reviewed. The data for the report consisted of medicinal products that received marketing authorisation between 2020 and 2022 and the Health Technology Assessments (HTA) conducted on them in Finland.

The findings showed that only a portion of all newly authorised medicinal products were evaluated or underwent the evaluation process (see Figure 1). Moreover, the data indicated that the evaluation and adoption process for hospital medicines is currently slow and takes significantly longer than that for outpatient medicines (range 10.5–26.6 months vs. 3.9–6.0 months). When examining the HTA assessments of outpatient and hospital medicines, discrepancies in their criteria and grounds were observed. For outpatient medicines, the criteria are strictly defined under the Health Insurance Act, whereas for hospital medicines, the Health Care Act is considerably less specific. Differences were also noted in the adoption decisions for outpatient and hospital medicines. Recommendations issued by PALKO concerning hospital medicines are not binding, and hospitals may deviate from them and make independent decisions on the adoption of hospital medicines.

Previous findings, together with the results of this report, confirm that the current fragmented HTA evaluation and adoption systems require harmonisation regardless of the route of administration of the treatment.

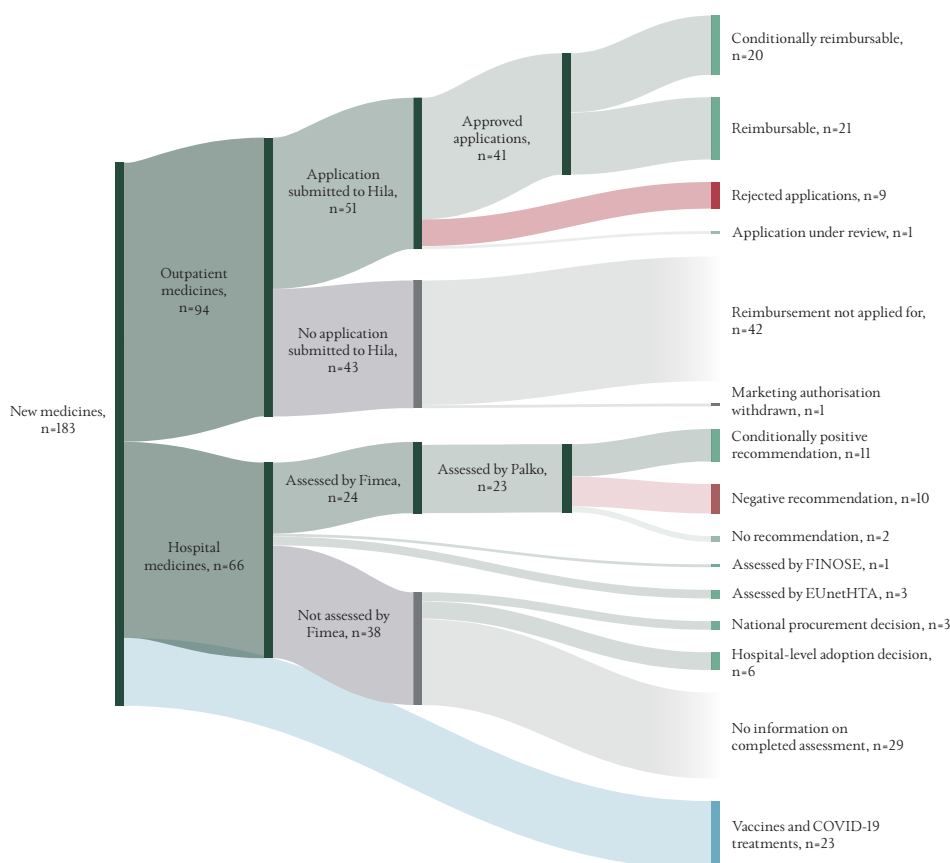


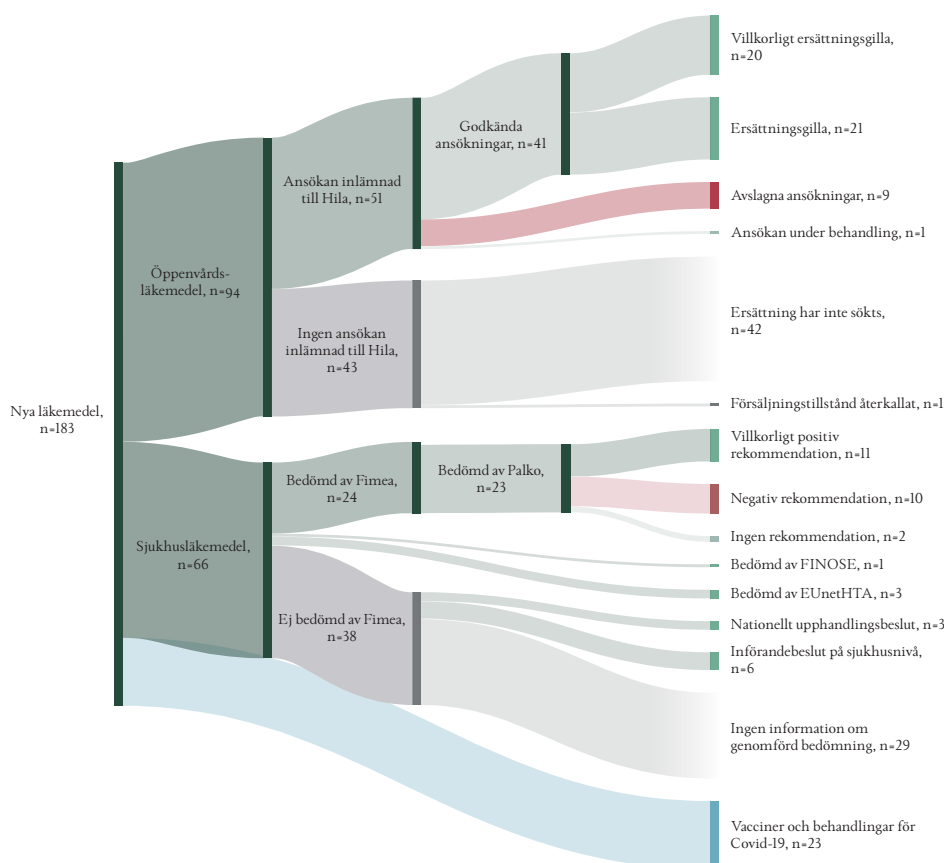
Figure 1. Distribution of HTA assessments across different channels and their outcomes in 2020–2022.

Sammanfattning

Utvärdering av läkemedel syftar till att säkerställa tillgång på effektiva, säkra och ändamålsenliga läkemedelsbehandlingar för de patienter så att de får dem i rätt tid, på ett jämlikt sätt och till en kostnad som är godtagbar för samhället. I det nuvarande systemet skiljer sig utvärderingskriterierna och handläggningstider åt mellan öppenvårdsläkemedel och sjukhusläkemedel. Denna rapport syftar till att beskriva det nuvarande systemet för utvärdering och beslutsfattande, samt att kartlägga hur stor andel av läkemedlen som utvärderas, godkänns eller avslås, får ett införandebeslut och har tagits i bruk, oavsett bedömningsresultatet. Dessutom granskades kriterier och handläggningstider hos olika utvärderingsinstanser, nuvarande systemets utmaningar samt utvecklingsområden.

Rapportens material består av läkemedel som beviljades försäljningstillstånd under åren 2020–2022 samt de HTA-utvärderingar (Health Technology Assessment) som genomfördes i Finland. Rapporten visar att endast en del av de nyförsäljningsgodkända läkemedlen utvärderades (se figur 1). Vidare visade materialet att utvärderingen för sjukhusläkemedel är långsam, jämfört med öppenvårdsläkemedel (10,5–26,6 månader för sjukhusläkemedel jämfört med 3,9–6,0 månader för öppenvårdsläkemedel). Granskningen av HTA-utvärderingar visar skillnader i kriterier. För öppenvårdsläkemedel finns det strikt definierade kriterier i sjukförsäkringslagen, medan hälso- och sjukvårdslagen för sjukhusläkemedel är betydligt mer generell formulerad. Även beslutsfattandet om införande skiljer sig mellan olika läkemedelsgrupper. De rekommendationer som PALKO ger om sjukhusläkemedel är inte bindande och sjukhusen kan därför avvika från dem och fatta egna beslut om införande.

Tidigare resultat, tillsammans med denna rapport, bekräftar att de olika systemen för HTA-utvärderingar och införande behöver harmoniseras, oavsett administreringsätt.



Figur 1. Fördelning av HTA-utvärderingar i olika kanaler och deras beslut under åren 2020–2022

1 • Selvitystyön tarkoitus ja menetelmät

1.1 • Tarkoitus

Lääkkeiden arviointi- ja päätöksentekojärjestelmän tehtävänä on varmistaa, että tehokkaat, turvalliset ja vaikuttavat lääkehoidot ovat oikea-aikaisesti ja yhdenvertaisesti niitä tarvitsevien potilaiden saatavilla yhteiskunnalle hyväksyttävin kustannuksin.

Lääkkeiden arviointijärjestelmää on kuvattu useissa sosiaali- ja terveysministeriön teettämässä selvityksissä (Pelkonen ym. 2017, Rajaniemi 2023; Ruskoaho, 2018; Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2023:15). Näissä selvityksissä nykyjärjestelmän haasteiksi ovat nousseet muun muuassa arviointitoiminnan hajanaisuus, heikko ennakoitavuus sekä resurssien riittämättömyys. Nykyisen hallitusohjelman yhtenä tavoitteena onkin jatkaa lääkeasioden uudistusta tiekartan pohjalta ja varmistaa rationaalisen lääkehoidon toteutuminen parantamalla väestön terveyttä ja toimintakykyä, lääkehoitojen vaikuttavuutta, turvallisuutta ja laatua, taloudellisuutta, saatavuutta sekä yhdenvertaisuutta (Valtioneuvoston julkaisu 58:2023).

Hallitusohjelman tavoitteita selvittämään on perustettu Lääkkeet ja apteekkitalous -hanke vuosien 2024–2026 ajaksi. Hankkeessa käsitellään muun muassa lääkkeiden arviointitoimintaa, lääkehoidon ja -huollon ohjausta sekä lääkkeiden saatavuutta. Keskeisenä tavoitteena on hallitusohjelman mukaisesti yhtenäistää ja uudistaa avo- ja sairaalahoidon osalta lääkkeiden käyttöönottoon liittyvät arviointiprosessit ja -kriteerit, jotta ne olisivat yhteneväiset riippumatta lääkkeen annostelumuodosta. Julkisesti rahoitettu lääkevalikoima määrittäisi lääketieteellisin perustein, näytön ja kustannusvaikuttavuuden arvion perusteella (Lääkkeet ja apteekkitalous -hanke, 2024).

Tämän selvityksen tarkoituksena on tuoda kehittämisen tueksi näkemyksiä arviointijärjestelmän

toimivuudesta lääketeollisuuden ja potilaiden näkökulmasta. Aiemmista raporteista poiketen valitsimme selvitystyön lähtöaineistoksi kaikki vuosina 2020–2022 myyntiluvan saaneet lääkevalmisteet, joiden hinta- ja korvattavuushakemusten, HTA-arviointien ja käyttöönottoa koskevien suositusten toteutumista seurasimme.

Selvityksen tavoitteena oli

1. Kuvata nykyinen monikanavainen arviointijärjestelmä ja sen toimijat sekä tarkastella uusien valmisteiden HTA-prosessien eri vaiheita myyntiluvasta arviointiin ja mahdolliseen käyttöönottopäätökseen.
2. Kartoittaa avo- ja sairaalalääkkeiden arviointikriteerit ja arvioida vastaako nykyinen HTA-järjestelmä HTA:n viitekehystä.
3. Kuvata nykyisen arviointijärjestelmän kehittämistarpeita erityisesti lääketeollisuuden ja potilaiden näkökulmasta.

1.2 • Menetelmät

Raportissa perehdyttiin avo- ja sairaalalääkkeiden hinta- ja korvattavuus- sekä HTA-prosesseihin. Tavoitteena oli selvittää, kuinka suuri osa valmisteista arvioidaan, hyväksytään tai hylätään, saa käyttöönottopäätöksen ja on otettu käyttöön riippumatta arvioinnin tuloksesta. Lisäksi tarkasteltiin eri viranomaisten arviointikriteereitä sekä sitä, miten arvioinnit etenevät sovittujen aikataulujen ja prosessien mukaisesti. Lopuksi keskityttiin kuvaamaan tämänhetkisen järjestelmän ongelmia sekä sitä, miten järjestelmää tulisi kehittää.

Selvityksessä tarkasteltiin vuosien 2020–2022 aikana myyntiluvan saaneita lääkevalmisteita ja niistä tehtyjä HTA-arviointeja Suomessa. Käytössä oli lääkkeiden myyntitietoja sisältävä aineisto, josta

kyseisten lääkevalmisteiden myyntejä eri sosiaali- ja terveydenhuollon yhteistyöalueilla (YTA) oli mahdollista tarkastella. Selvityksessä hyödynnettiin lääkkeiden hintalautakunnalta (Hila) pyydettyä aineistoa saapuneista hakemuksista vuodesta 2020

eteenpäin. Selvityksen aikana haastateltiin myös Suomen HTA-viranomaisia ja eri lääkeyritysten edustajia. Haastatteluihin valittiin lääkeyrityksiä, joiden valmisteille oli myönnetty vuosien 2020–2022 aikana eniten uusia myyntilupia.

2 · Aineiston kuvaus

2.1 · Aineisto

Tämän selvityksen aineisto kerättiin Fimean internet-sivuilla olevasta kuukausittain päivittyvästä Excel-tiedostosta, johon on koottu Euroopan lääkeviraston ihmislääkekomitean (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) puoltavan kannanoton saaneet valmisteet. Selvityksen aineisto koostui kaikista uusista, ensimmäistä kertaa markkinoille tulevista valmisteista (n = 183), jotka saivat Euroopan lääkeviraston CHMP:n puoltavan kannanoton ajanjaksolla 1.1.2020–31.12.2022. Aineistosta rajattiin pois rokotteet ja Covid-19-hoidot (n = 23). Aineiston rajauksen jälkeen uusia, ensimmäistä kertaa markkinoille tulevia valmisteita oli yhteensä 160.

2.2 · Aineiston jaottelu

Aineiston valmisteet (n = 160) jaettiin kahteen ryhmään sen mukaan, mikä suomalainen viranomaistaho on vastannut valmisteen HTA-arvioinnista. Arviointikanavien perusteella jaotellut ryhmät olivat avohoidon lääkkeet (n = 92) ja sairaalalääkkeet (n = 68).

2.3 · Aineistosta tarkasteltavat muuttujat

Selvityksen ensimmäisessä vaiheessa mielenkiinnonkohteena olivat eri HTA-viranomaisten arviointiprosessien kuvaus, uusista markkinoille tulevista valmisteista aloitetut HTA-arvioinnit ja se, mikä viranomaistaho on vastannut arvioinnista. Toisessa vaiheessa analysoitiin nykyisen HTA-arvioinnin keskimääräistä kesto- ja sairaalalääkkeille, eri kanavien arviointikriteerien eroavaisuuksia, HTA-arviointien vaikutuksia valmisteiden myyntiin, HTA-arvioinneissa havaittuja poikkeustapauksia ja HTA-arvioinnin kehittämistä tulevaisuudessa.

3 · Terveysthuollon menetelmien arviointi

3.1 · Lääkkeiden jaottelu

Läkelain (395/1987) 3 §:ssä on määritelty lääke seuraavanlaisesti:

”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)

Suomessa potilaalle voidaan antaa lääkkeitä joko sairaalassa tai avohoidossa, mikä jakaa lääkkeet karkeasti kahteen ryhmään: sairaalalääkkeet ja avohoidon lääkkeet. Sairaalalääkkeellä tarkoitetaan lääkettä, jonka käyttökuntoon saattaminen tai annostelu vaatii sairaalanomaisia olosuhteita ja/tai annostelun tekee terveydenhuollon ammattilainen. Sairaalalääkkeistä ei aiheudu kustannuksia potilaalle, sillä julkisen terveydenhuollon sairaaloissa toteutettava lääkehoito sisältyy asiakasmak suihin. Avohoidon lääkkeitä ovat yleensä potilaan itse annostelemat apteekista hankittavat tabletit, ihon alle itsepistettävät valmisteet, rasvat tai muut

vastaavat valmisteet, joiden käyttö ei edellytä sairaalanomaisia olosuhteita. Potilaan itse maksamaan avohoidon lääkkeen hintaan vaikuttaa se, kuuluuko kyseinen lääke korvausjärjestelmään. Avohoidon lääkkeestä on mahdollista saada Kelan maksama sairausvakuutuskorvaus, jos lääke kuuluu korvausjärjestelmään ja lääke on määrätty reseptillä sairauden hoitoon Hilan hyväksymässä käyttötarkoituksessa. Kela-korvauksen jälkeen jäljelle jäävä loppukustannus tulee potilaan itse maksettavaksi. Terveysthuoltolain 68 § säätelee, mitkä potilaalle annettavat lääkkeet kuuluvat hoitoa antavan yksikön vastuulle (Terveysthuoltolaki 1326/2010).

Lääkehoidon HTA-arvioinnin näkökulmasta lääkkeet voidaan jakaa neljään eri kategoriaan. Näitä kategorioita ovat avohoidon reseptilääkkeet, sairaalassa annettavat lääkkeet, yleisvaarallisten ja ilmoitettavien tartuntatautiin lääkehoito sekä kansalliseen rokotosohjelmaan kuuluvat rokotteet. Taulukossa 1 on esitetty eri lääkekategoriat ja niiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioijat.

Taulukko 1. Lääkkeiden arvon arvioijat Suomessa

	Avohoidon lääkkeet	Sairaalalääkkeet	Yleisvaarallisten ja ilmoitettavien tartuntatautiin lääkehoito	Rokotteet*
HTA-tiedon tuottaja	Lääkeyritys	Fimea, lääkeyritys		THL
HTA-arvioinnin päätöksentekijä / suosituksen tekijä	Hila, Kela	Palko, hyvinvointialueet	STM:n työryhmät	STM, Valtiovarainministeriö

*Uuden rokotteen sisällyttämistä kansalliseen rokotosohjelmaan arvioidaan kansallisen rokotosiantuntijaryhmän toimesta.

3.2 · Lääkehoitojen arvioinnin tarkoitus

Euroopan lääkevirasto (EMA) koordinoi arviointia, jossa tieteelliset komiteat arvioivat tutkimusnäyttöön perustuen uuden lääkkeen lääketieteellisiä näkökohtia. Myyntiluvan haltijan hakemuksen perusteella viranomaiset tekevät arvioinnin lääkkeen laadusta, tehosta ja turvallisuudesta, ja arvioivat erityisesti, ovatko lääkkeen hyödyt suurempia kuin riskit. Arviointiin sisältyy mm. kliinisten tutkimusten tulosten analysointi, riskienhallintasuunnitelmat ja markkina- ja turvallisuuden toimenpiteet. Myyntiluvan keskitetty arviointimenettely mahdollistaa yhtenäisen päätöksenteon, joka kattaa kaikki EU:n jäsenvaltiot, mikä nopeuttaa innovatiivisten lääkkeiden pääsyä potilaiden käyttöön. (EMA, 2024)

Lääkehoitojen kansallinen arviointi keskittyy lääkkeen hoidollisen lisäarvon arviointiin,

eli siinä tiivistetään ja arvioidaan tutkimusnäyttöä lääkehoidon hyödyistä, haitoista, kustannuksista ja kustannusvaikuttavuudesta muihin saman sairauden hoitovaihtoehtoihin verrattuna. Tutkimusnäytön kokoamisessa ja arvioinnissa hyödynnetään terveysteknologian arvioinnin (HTA, health technology assessment) lähestymistapoja, ja sen tarkoituksena on antaa perusta päätöksenteolle. Arvioinnin sisältö voidaan jakaa kliiniseen ja ei-kliiniseen osaan. Kliiniseen osaan kuuluu hoidon vaikuttavuuden ja turvallisuuden arviointi suhteessa vertailuvalmisteisiin. Ei-kliiniseen osaan puolestaan kuuluu taloudellinen, oikeudellinen, organisatorinen, eettinen ja potilasnäkökulman arviointi. (HTA-opas, 2017) Yhteenveto HTA:n viitekehyksen eri osa-alueista on esitetty kuvassa 2.



Kuva 2. HTA-arvioinnin keskeisimmät osa-alueet

3.3 · Sairaalalääkkeiden arviointi

Uusien sairaalalääkkeiden tai myyntiluvan laajenusta hakevien lääkkeiden osalta HTA-arviointiin osallistuvat Suomessa lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus (Fimea) ja sosiaali- ja terveysministeriön yhteydessä toimiva terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto (Palko). Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskuksesta annetussa laissa (593/2009) on listattuna kaikki Fimean tehtävät. Yksi näistä keskeisistä

tehtävistä on tuottaa ja koota lääketoimien hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointia sekä koordinoida tätä koskevaa yhteistyötä.

Terveystieteiden laissa (1326/2009) 78 §:n mukaan Palkon tehtävänä on seurata ja arvioida terveydenhuollon palveluvalikoimaa sekä antaa suosituksia siitä, mitkä terveyden ja sairaanhoidon toimenpiteet, tutki-

mukset ja hoitomenetelmät kuuluvat palveluvalikoimaan tai rajataan sen ulkopuolelle. Suosituksia tehdessään Palkon tulee ottaa huomioon tutkimustieto ja muu näyttö sekä terveydenhuollon eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat. Palkon käsikirjan mukaan palveluvalikoimaan ei tulisi sisältyä sellaisia sairaalalääkkeitä, joiden käyttöön potilaan hengen tai terveyden kannalta sisältyvä riski on kohtuuttoman suuri verrattuna saavutettuun terveyshyötyyn. Riskin ja terveyshyödyn arvioinnin tulee perustua kaikilta osin lääketieteellisiin seikkoihin. (Palko, 2024)

Fimea–Palko-arviointiprosessin jälkeen käydään kansallinen hintaneuvottelu HUS Apteekin johdolla niiden sairaalalääkkeiden osalta, jotka ovat saaneet Palkolta ehdollisesti myönteisen suosi-

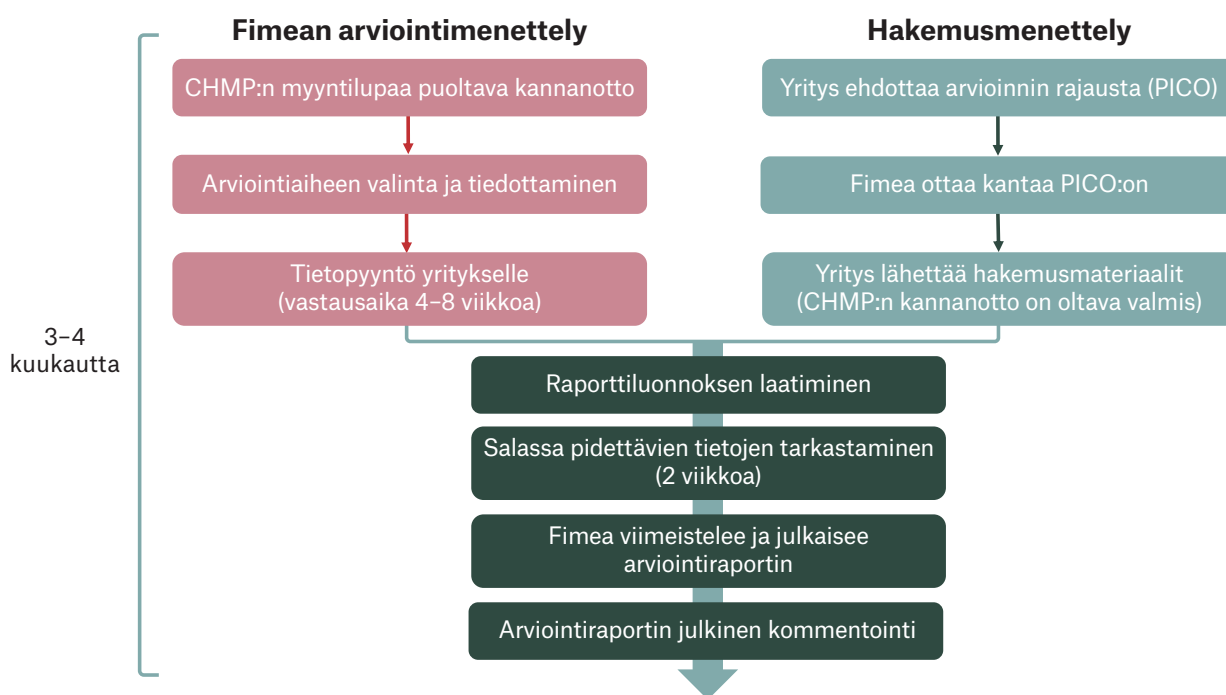
tuksen. Kansallisessa hintaneuvottelussa sovitun hinnan hyväksymisestä tai hylkäämisestä päättää kansallinen lääkeneuvottelukunta, joka koostuu yliopistosairaaloiden johtajaylilääkäreistä. Kansallisen lääkeneuvottelukunnan hyväksymän hinnan jälkeen hyvinvointialueet päättävät lopulta itsenäisesti kalliiden uusien sairaalalääkkeiden käyttöönotosta. (Antikainen, ym., 2024)

3.3.1 Fimea

Sairaalalääkkeiden HTA-arvioinnin tekee Fimea. Fimea seuraa kuukausittain Euroopan lääkeviraston CHMP:n antamia lääkkeen myyntilupaa puoltavia kannanottoja. CHMP:n positiivisen kannanoton jälkeen Fimeassa päätetään, käynnistetäänkö kyseisen lääkkeen HTA-arviointi. Päätöksentekoon vaikuttavat sairauden yleisyys, vakavuus, vaikutus nykyiseen hoitokäytäntöön ja odotettavat taloudelliset vaikutukset (budjettivaikutus). Fimea tiedottaa lääkeyritystä sairaalalääkkeen HTA-arvioinnin käynnistämisestä ja lähettää yritykselle tietopyynnön. Tietopyynnössä lääkeyritykseltä pyydetään materiaalia kliinisten tutkimusten tuloksista (julkaistut ja julkaisemattomat) ja kustannusvaikuttavuusmallista sekä arvioita kustannuksista ja budjettivaikutuksesta. Lääkeyrityksellä on noin kuukausi aikaa vastata Fimean tietopyyntöön. Sen

aikana tehdään salassapitosopimus lääkeyrityksen ja Fimean välillä. (Fimea, 2024) Salassapitosopimus tehdään suojaamaan liike- tai muun salaisuuden nojalla salassa pidettävää tietoa julkisuuslain 24 §:n mukaisesti. Yleensä salassa pidettävät tiedot liittyvät lääkeyrityksen julkaisemattomiin tutkimustuloksiin, kustannusvaikuttavuusanalyysissä käytettäviin malleihin ja niihin liittyviin ohjeisiin sekä listahinnasta poikkeaviin hinnoittelutapoihin. (Fimea, 2024) Fimea voi aloittaa lääkkeen arvioinnin jo ennen lääkeyrityksen toimittamia materiaaleja julkisesti saatavilla olevilla tiedoilla. Fimea lähettää lopullisesta arviointiraportista luonnoksen lääkeyritykselle salassapitotarkistukseen. Lääkeyrityksellä on mahdollisuus salata julkaistavasta raportista salassa pidettäviä asioita. Tämän jälkeen lääkkeen arviointiraportti julkaistaan Fimean internet-sivuilla, jossa arviointiraporttia on mahdollista kommentoida julkisesti 4 viikon aikana. Fimean HTA-arviointi kestää kokonaisuudessaan noin 3–4 kuukautta. (Fimea, 2024) Fimean arviointiprosessi on esitetty kuvassa 3.

Vuonna 2023 Fimea käynnisti pilottina hakemusmenettelyn, jossa aloite arvoinnista tulee yritykseltä. Lääkeyritys on yhteydessä Fimeaan uudesta sairaalalääkkeestä, tiedottaa hakemuksen jättämisen ajankohdasta ja ehdottaa arvioinnin rajausta (Patient



Kuva 3. Sairaalalääkkeiden arviointiprosessi Fimeassa

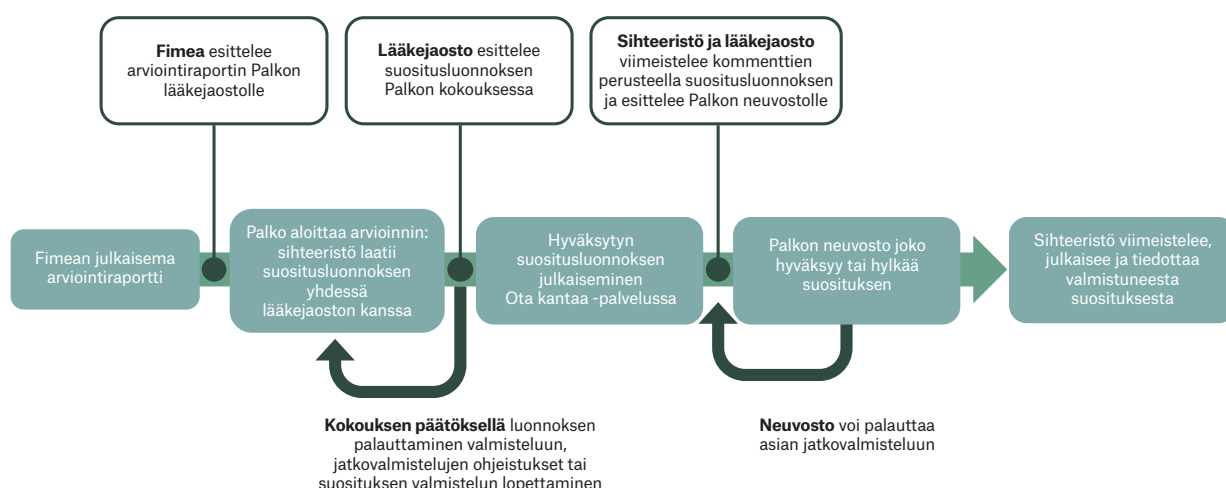
Intervention Comparator Outcomes, PICO). Fimea ottaa kantaa lääkeyrityksen ehdottamaan arvioinnin rajaukseen ja lääkkeen soveltuvuuteen hakemusmenettelyyn. Fimean hyväksymän arvioinnin rajauksen jälkeen lääkeyritys toimittaa hakemusmateriaalit Fimealle ja Fimean ja lääkeyrityksen välille tehdään tietojen luovuttamiseen ja käyttöön liittyvä salassapitosopimus. Fimean hakemusmenettelyssä noudatetaan soveltuvien osin lääkkeiden hintalautakunnan uuden lääkevalmisteen korvattavuuden hakemusohjeita ja terveystaloudellisen selvityksen laatimisen ohjetta. (Fimea uusien sairaalalääkkeiden arviointi, 2024) Tämän jälkeen Fimea aloittaa varsinaisen arvioinnin sairaalalääkkeiden arviointiprosessin mukaisesti (kuva 3).

3.3.2 Palko

Palkon tehtävänä on antaa suosituksia terveyden- ja sairaanhoidon sekä kuntoutuksen menetelmien kuulumisesta julkisin verovaroin rahoitettuun terveydenhuollon palveluvalikoimaan. Palkon pyrkimyksenä on valmistella suositus kaikista Fimean arvioimista uusista lääkevalmisteista. Tämän lisäksi Palkolle voi tulla ehdotus lääkkeen suosituksen valmistelusta myös muualta, kuten arviointiyli-lääkäreiden verkostolta. Nämä lääkkeet ovat yleensä sellaisia, joita Fimea ei ole valinnut arvioitavaksi CHMP:n kannanoton jälkeen.

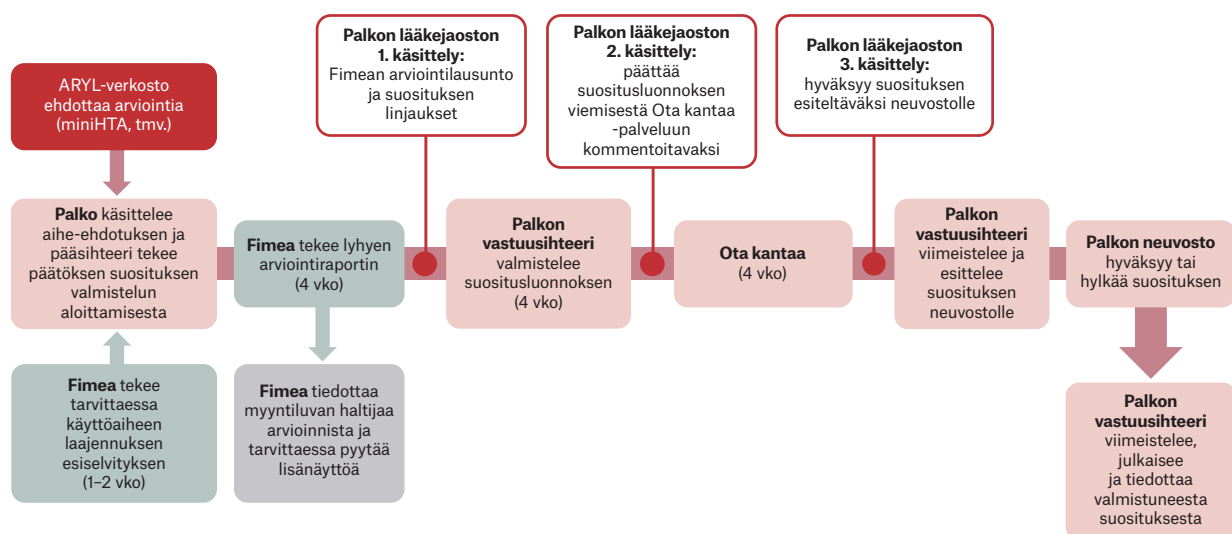
Palkon lääkejaosto valmistelelee lääkkeitä koskevat suositukset. Fimea esittelee lääkkeen arviointiraportin Palkon lääkejaostolle, minkä jälkeen sihteeristö aloittaa suositusluonnoksen valmistelun. Palkon lääkejaosto päättää suositusluonnoksen valmistamisesta ja viemisestä Palkon neuvoston kokoukseen käsiteltäväksi. Palkon neuvoston kokouksessa voidaan päättää suositusluonnoksen valmistelun lopettamisesta, suositusluonnoksen palauttamisesta Palkon lääkejaostolle uudelleen valmisteltavaksi tai suositusluonnoksen viemisestä Ota kantaa -palveluun kommentoitavaksi. Ota kantaa -palvelussa kuka tahansa, myös myyntiluvan haltija, voi kommentoida suositusta 4 viikon ajan. Palkon lääkejaosto käy kommentit läpi kokouksessaan, minkä jälkeen lopullinen suositus hyväksytään Palkon kokouksessa ja julkaistaan Palkon internet-sivuilla. Palkon suositus voi olla myönteinen, ehdollisesti myönteinen tai kielteinen. Ehdollisesti myönteisen suosituksen saaneen lääkkeen ehdot liittyvät yleensä lääkkeen hintaan. Palkon antamat suositukset ovat toistaiseksi voimassaolevia tai määräaika-aisia. Palkon suositusprosessi on esitetty kuvassa 4, joka on laadittu nykyisen käytännön mukaisesti.

Toukokuussa 2024 Palko käynnisti pilotin suositusten laatimisesta lääkkeiden käyttöaiheen laajennuksille. Sairaalalääkkeiden käyttöaiheen laajennuksia on tätä ennen arvioitu miniHTA-menettelyllä yli-



Kuva 4. Palkon suositusprosessi

opistosairaaloiissa. Lääkkeen käyttöaiheen laajennukset voivat olla ensimmäistä käyttöaihetta merkittävämpiä esimerkiksi siksi, että potilasmäärä ja siitä aiheutuva taloudellinen vaikutus tai hoidollinen tarve ovat ensimmäistä käyttöaihetta suurempia. Pilotin tarkoituksena on arvioida käyttöaiheiden laajennuksia kansallisella tasolla ja arvioida tarkemmin taloudellisuutta. Mikäli lääkkeen ensimmäinen käyttöaihe ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan, käyttöaiheen laajennuksen arviointi vastaa uuden lääkeaineen arviointiprosessia. Lääkkeen käyttöaiheen laajennuksen arvioinnin tarvetta Palkolle ehdottaa arviointiylilääkärien verkosto, mikäli siihen liittyy tarve miniHTA:ta laajempaan arviointiin tai odotettavissa on taloudellisesti merkittävä kustannus. Fimeassa tehdään tarvittaessa aiheesta hyvin lyhyt tarvekartoitus, jossa arvioidaan lääkehoidon edellytyksiä ja sovellettavuutta suositusprosessiin, minkä jälkeen Palkon sihteeri arvioi aihe-ehdotuksen ja pääsihteeri päättää suositusvalmistelun käynnistämisestä. Suositusprosessin käynnistymiseen tai käynnistämättä jättämiseen vaikuttavat aiheen hoidollinen ja taloudellinen merkitys, Palkon suositusvalmisteluun käytettävissä olevat resurssit sekä Fimean arviointilausunnon tuottamiseen kulloinkin käytettävissä olevat resurssit. Käyttöaihelajennuksia ei siis välttämättä aloiteta kattavasti kaikista uusista käyttöaiheista. Palko on arvioinut, että käyttöaiheen laajennusten arviointiprosessin kokonaiskesto olisi 16 viikkoa. (Palko käyttöaiheen laajennus, 2024) Käyttöaiheen laajennuksen arviointiprosessi on esitetty kuvassa 5.



Kuva 5. Lääkkeen käyttöaiheen laajennuksen Fimea–Palko-arviointiprosessi

ARYL, arviointiylilääkäri

3.3.3 · Kansallinen hintaneuvottelu

Uuden sairaalalääkkeen kansallisesta hinnasta neuvotellaan Palkon myönteisen tai ehdollisesti myönteisen suosituspäätöksen jälkeen. HUS Apteekki on valtuutettu käymään myyntiluvan haltijan kanssa hintaneuvottelut yliopistosairaaloiden hankintarenkaiden puolesta. HUS Apteekki esittelee myyntiluvan haltijan kanssa aikaansaadun neuvottelutuloksen kansalliselle lääkeneuvottelukunnalle, johon kuuluvat yliopistosairaaloiden johtajaylilääkärit. Kansallinen lääkeneuvottelukunta hyväksyy tai hylkää neuvottelutuloksen. Mikäli kansallinen lääkeneuvottelukunta on hyväksynyt neuvottelutuloksen, valmisteen hankinnasta tehdään kansallinen hankintasopimus. Lopulliset päätökset uusien lääkkeiden käyttöönotosta tehdään edelleen hyvinvointialueilla (Antikainen, ym., 2024).

3.3.4 · FinCCHTA

Kansallinen HTA-koordinaatioyksikkö FinCCHTA (Finnish Coordinating Center for Health Technology Assessment) on perustettu koordinoimaan terveydenhuollon menetelmien arviointityötä Suomessa. FinCCHTA:n keskeisiin tehtäviin kuuluvat hoitoteknologioiden arviointityön koordinointi Suomessa, terveydenhuollon menetelmien arviointi ja arviointitiedon julkaiseminen, kansainvälinen HTA-yhteistyö, HTA-menetelmäkoulutuksen ja -tutkimuksen vahvistaminen sekä digitaalisten

sosiaali- ja terveyspalveluiden ja -tuotteiden arvioiminen. Lääkkeiden osalta FinCCHTA:n tehtävänä on koordinoida kansallista arviointiverkostoa, joka koostuu yliopistosairaaloiden arviointiylilääkäreistä ja muista hyvinvointialueiden arviointitoiminnasta vastaavista henkilöistä. Arviointiverkoston tehtäviin kuuluu puolestaan sairaaloiden arviointitarpeiden kartoittaminen, päätöksenteon ja hankintojen koordinoiminen sairaaloissa sekä arviointitiedon tuottaminen terveystalouden ja kliinisen päätöksenteon tueksi. Arviointiylilääkärit eivät yleensä arvioi uusia sairaalalääkkeitä, mutta voivat koordinoida sairaalakohtaisia arviointeja tilanteissa, joissa Fimea ei ole tehnyt arviointia uudesta vaikuttavasta, aineesta tai kyse on esimerkiksi lääkkeen uudesta käyttötarkoituksesta tai off-label-käytöstä. Lisäksi arviointiylilääkärit koordinoivat käyttöönottopäätösten tekoa Fimea-Palko-arviointiprosessin jälkeen. (FinCCHTA, 2024)

3.3.5 Pohjoismainen HTA-yhteistyö

Pohjoismainen HTA-yhteistyö tarjoaa avoimia yhteisiä terveysteknologian arviointeja lääkkeistä. Lisäksi yhteistyön tavoitteena on lisätä ja kehittää pohjoismaista yhteistyötä HTA-arvioinneissa sekä nopeuttaa uusien lääkkeiden tuloa potilaiden saataville. Yhteistyöhankkeisiin sisältyy sekä suhteellisen vaikuttavuuden arviointeja, joita tehdään yhteistyössä maiden välillä, että taloudellisten vaikutusten arviointeja soveltuvin osin. Vuonna 2017 käynnistet-

tiin FINOSE-yhteistyö Suomesta Fimean, Norjasta NOMA:n (Norwegian Medicines Products Agency) ja Ruotsista TLV:n (Tandvårds- och Läkemedelsförmånsverket) aloitteesta. Tanska liittyi mukaan vuonna 2023 ja Islanti seurasi vuonna 2024, minkä jälkeen nimeksi muutettiin Joint Nordic HTA-Bodies (JNHB). (Fimea, 2024; JNHB, 2024)

Pohjoismainen JNHB:n alla tapahtuva HTA-arviointi voi käynnistyä joko JNHB:n tai lääkeyrityksen aloitteesta. Lääkeyrityksen näkökulmasta pohjoismainen yhteistyö mahdollistaa HTA-arvioinnin käynnistämisen jopa kaikissa viidessä Pohjoismaassa. Arvioinnin käynnistäminen edellyttää kuitenkin, että JNHB katsoo valmisteen yhteisarviointiin sopivaksi. On myös mahdollista, että yhteisarviointi ei kata kaikkia Pohjoismaita. Esimerkiksi avohoidon lääkkeitä arvioitaessa Fimean rooli on toimia JNHB:ssä pelkästään tarkkailijana, eikä arviointiraporttia silloin hyödynnetä Suomessa. Yhteistyö edellyttää, että lääkeyritys antaa suostumuksensa luottamuksellisten tietojen jakamiseen HTA-viranomaisten kesken. Suomessa JNHB:n tekemä arviointi korvaa Fimean yksin tekemän arvioinnin. Arviointivaihetta seuraa suosituksen antamis- ja hintaneuvotteluvaihe normaaliin tapaan. JNHB:n ajatuksena on, että hintaneuvottelut voitaisiin käydä myös pohjoismaisella tasolla Nordic Pharmaceutical Forumin yhteistyöverkoston kautta. (Fimea, 2024; JNHB, 2024; JNHB – NED Collaboration, 2024)

3.4 Avohoidon lääkkeiden arviointi

Avohoidon lääkkeiden arviointi voi alkaa vasta, kun lääke on saanut myyntiluvan. Lisäksi tammi-kuussa 2025 voimaan tulleen sairausvakuutuslain muutoksen myötä hakemuksen käsittelyaika alkaa kulua vasta, kun HTA-asetuksen 13 artiklan 1 kohdan a-alakohdassa mainitut raportit ja tiedot ovat saatavilla. HTA-asetuksen mukaisesti raportin hyväksymisen tulisi tapahtua 30 päivän sisällä myyntiluvasta. (Sairausvakuutuslaki 1224/2004, Laki sairausvakuutuslain muuttamisesta 932/2024) Lääkeyritys voi hakea lääkkeelle korvattavuutta ja

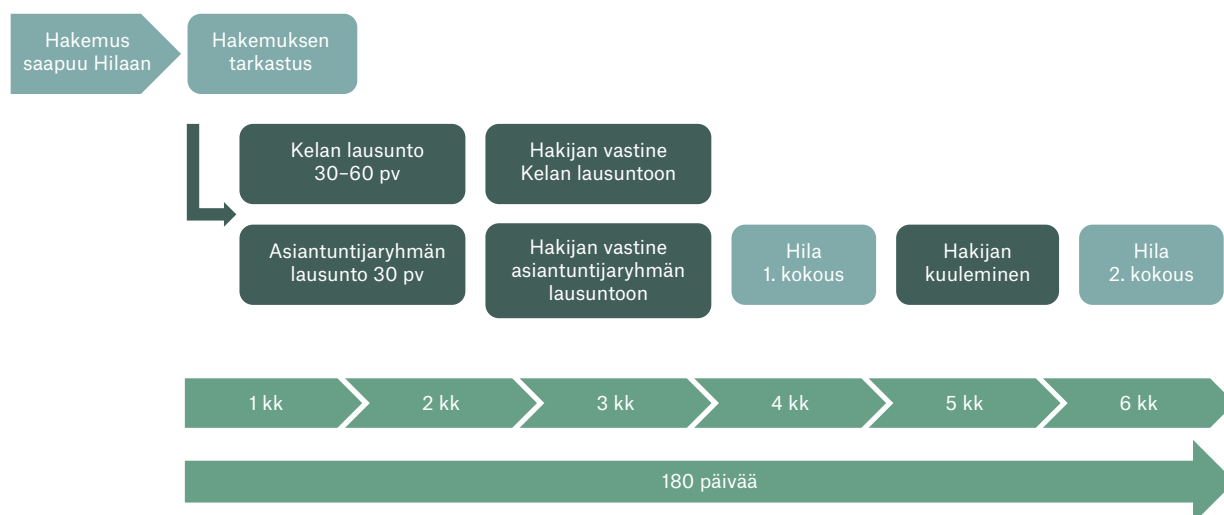
kohtuullisen tukkuhinnan vahvistusta Hilalta enintään valmisteyhteenvedon mukaisen käyttöaiheen laajuudessa. Mikäli lääke ei kuulu korvausjärjestelmään, potilas maksaa lääkkeen kustannuksen kokonaisuudessaan itse.

Sairausvakuutuslain (1224/2004) mukaan Hilan tehtävänä on lääkkeiden, kliinisten ravintovalmisteiden ja perusvoiteiden korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan vahvistaminen, kohtuullisen tukkuhinnan korottamisesta päättäminen sekä korvattavuuden ja tukkuhinnan lakkauttamisesta päättäminen. Samassa laissa on myös määritetty, että Hilan tulee antaa päätös lääkkeen korvattavuutta ja hintaa koskevasta hakemuksesta 180 päivässä myyn-

tiluvan haltijan toimittaman hakemuksen saapumisesta. Päätökset ovat voimassa aina tietyn määräajan, joka on uuden vaikuttavan aineen osalta enintään kolme vuotta ja muiden valmisteiden osalta enintään viisi vuotta. (Sairausvakuutuslaki 1224/2004)

Hilan sihteeristö vastaa käsiteltäväksi toimitettujen hakemusten valmistelusta päätöksentekoa varten. Ensimmäisessä vaiheessa sihteeristö tarkastaa saapuneen hakemuksen ja pyytää tarvittaessa siihen täydennystä hakijalta. Tarkastusvaiheen jälkeen hakemuksesta pyydetään tarvittaessa lausunto Kansaneläkelaitokselta (Kela) ja Hilan yhteydessä toimivalta asiantuntijaryhmältä, jotka ottavat kantaa lääkkeen korvattavuuteen, ehdotettuun tukkuhinnan kohtuullisuuteen ja sairausvakuutukselle aiheutuviin kustannuksiin. Kelan on annettava lausunto Hilalle 30 päivän kuluessa lausuntopyynnön saapumisesta ja 60 päivän kuluessa, jos hakemukseen

sisältyy terveystaloudellinen selvitys. Asiantuntijaryhmän tulee puolestaan antaa lausunto Hilalle 30 päivän kuluessa siitä, kun hakemus on otettu käsiteltäväksi asiantuntijaryhmässä. Sihteeristö valmistelee esitysmuistion, joka sisältää arvion korvattavuuden edellytysten täyttymisestä sekä ehdotetun tukkuhinnan kohtuullisuudesta sairausvakuutuslain mukaisin kriteerein. Sihteeristö esittelee esitysmuistion Hilan lautakunnalle, joka päättää korvausjärjestelmään sisällytettävistä lääkkeistä. Lautakunta voi myös valtuuttaa sihteeristön johtajan tekemään päätöksen puolestaan. Hakijalla on prosessin aikana mahdollisuus toimittaa lisämateriaalia kaikissa vaiheissa, lausua päätökseen vaikuttavasta aineistosta, kuten edellä mainituista Kelan ja asiantuntijaryhmän lausunnoista, sekä oikeus valittaa Hilan päätöksestä hallinto-oikeuteen. Hilan arviointiprosessi on esitetty kuvassa 6.

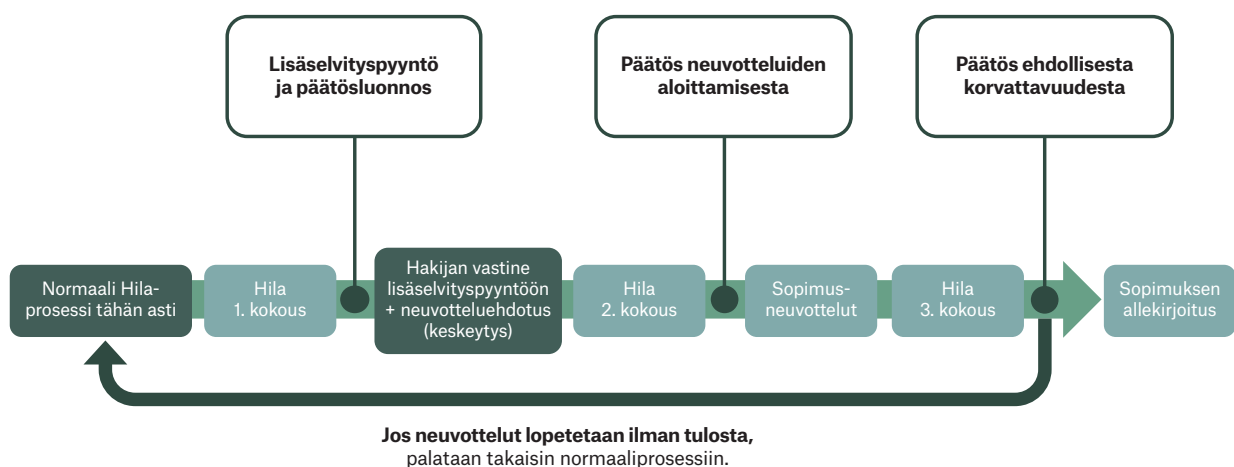


Kuva 6. Hilan arviointiprosessi

Vuoden 2017 alusta lääkekorvausjärjestelmään sisällytettiin ehdollista korvattavuutta koskeva menettely (laki sairausvakuutuslain muuttamisesta (1100/2016), HE 184/2016 vp). Ehdollista korvattavuutta koskevan sääntelyn tarkoituksena oli uusien lääkkeiden hallittu käyttöönotto sekä uusien lääkkeiden saatavuuden mahdollistaminen niitä tarvitseville. Lisäksi uudella toimintamallilla toteutettiin osa hallitusohjelmassa vaadituista säästöistä lääkekorvauksissa vuodesta 2017 lukien. Lääkeyritys voi ehdottaa lääkkeelle ehdollista korvattavuutta, mikäli lääkehoidolle on osoitettu erityinen lääketieteellinen tarve, ja hoitokustannuksiin, kyseisen lääkevalmisteen hoidolliseen arvoon, kustannusvaikuttavuuteen tai muihin vastaaviin lääkevalmisteen korvattavuuteen tai tukkuhinnan kohtuullisuuden arviointiin vaikuttaviin tekijöihin liittyy merkittävää epävarmuutta. Tällöin käyttöön liittyviä taloudellisia riskejä pyritään hallitsemaan luottamuksellisella sopimuksella. Hilassa hakemuksen käsittely alkaa normaalilla hakemusprosessilla. Lääkeyritys voi ehdottaa ehdollisen korvattavuuden neuvotteluita sen jälkeen, kun Hila on käsitellyt lääkkeen korvattavuutta ensimmäisessä kokouksessaan ja on päätyvässä kielteiseen ratkaisuun. Hila päättää tapauskohtaisesti, käynnistetäänkö ehdollisen korvattavuuden neuvottelut. Tyypillisesti neuvotteluvaiheessa voidaan olla 1–6 kuukautta ja prosessin aikana voi olla useita sopimusehdotuksia, mutta vain yksi lopullinen ehdotus viedään lautakunnalle päätettäväksi. Lautakunta tekee hyväksyvän tai hyl-

käävän päätöksen. Ehdollisen korvattavuuden prosessi on esitetty kuvassa 7.

Ehdollisen korvattavuuden voimassaolo säädettiin aluksi määräaikaiseksi vuoden 2019 loppuun asti. Myöhemmin ehdollista korvattavuutta koskevaa sääntelyä muutettiin ja sääntelyn voimassaolon määräaikaa jatkettiin vuoden 2025 loppuun lailla sairausvakuutuslain muuttamisesta (1221/2019), ja myöhemmin malli vakinaistettiin vuoden 2025 alusta lähtien. Hallituksen esityksen 129/2024 mukaan kokemukset toimintamallista ovat olleet pääosin positiivisia. Ehdollinen korvattavuus parantaa uusien, innovatiivisten lääkkeiden pääsyä korvausjärjestelmän piiriin mahdollistamalla lääkkeen kustannusvaikuttavuuteen, tehoon ja taloudellisuuteen liittyvän epävarmuuden hallitsemisen. Ehdollinen korvattavuus soveltuu lääkekorvausjärjestelmään ja siitä luopuminen olisi ongelmallista lääkkeiden saatavuuden kannalta nykyisessä kansainvälisessä toimintaympäristössä (laki sairausvakuutuslain muuttamisesta ja väliaikaisesta muuttamisesta annetun lain voimaantuloa-äännöksen 2 momentin kumoamisesta (933/2024), HE 129/2024). Osana käynnissä olevan lääkkeiden arviointitoiminnan uudistamistyöryhmän (ryhmän asettamispäätös STM078:00/2024) työtä ryhmän tulee tehdä ehdotus sairausvakuutuksen lääkekorvausjärjestelmän ehdollista korvattavuutta koskevan sääntelyn kehittämistarpeista.



Kuva 7. Ehdollisen korvattavuuden prosessi

4 • Sairaala- ja avolääkkeiden arviointikriteerit

4.1 • Sairaalalääkkeiden arviointikriteerit

Fimean hakemuserusteista menettelyä ohjaavat lääkkeiden hintalautakunnan hakemusmuistion ja terveystaloudellisen selvityksen ohjeistukset. Fimean arvioinnin tavoitteena on tuottaa tietoa uusien sairaalalääkkeiden hoidollisista ja taloudellisista vaikutuksista. Fimean arviointi pohjautuu osittain eri kriteereihin kuin myyntiluvan myöntämisprosessissa. Arvioinnissa kiinnitetään huomiota terveysongelmaan, kliiniseen vaikuttavuuteen sekä taloudelliseen näkökulmaan (kustannusvaikuttavuus ja budjetti-vaikutus). Arvioinnin kohteena olevaa lääkettä pyritään vertaamaan nykyisiin käytössä oleviin hoitovaihtoehtoihin. Arviointi perustuu ensisijaisesti julkaistuihin tutkimuksiin, EMA:n tuottamaan julkiseen arviointilausuntoon sekä muista lähteistä saatuihin tietoihin. Arvioinnissa pyritään hyödyntämään myyntiluvan haltijan mahdollisesti toimittamaa aineistoa. Toiminnan pääasiallinen tarkoitus on tuottaa tietoa lääkkeen hoidollisista ja taloudellisista vaikutuksista päätöksenteon tueksi. (Fimea uusien sairaalalääkkeiden arviointi, 2024)

Palkon arviointikriteerit perustuvat terveydenhuoltolakiin ja perustuslain 19 §:n 3 momenttiin, joiden mukaan säädetään julkisen terveydenhuollon toteuttamisesta ja sisällöstä sekä turvataan riittävät terveyspalvelut ja väestön terveyden edistäminen (Terveydenhuoltolaki 1326/2010). Terveydenhuoltolain 7 a §:n mukaan terveydenhuollon palveluvalikoimaan kuuluvat lääketieteellisesti ja hammaslääketieteellisesti perusteltu sairauksien ennaltaehkäisy, sairauden toteamiseksi tehtävät tutkimukset sekä taudinmääritys, hoito ja kuntoutus. Palveluvalikoimaan ei kuitenkaan kuulu sellainen terveyden- ja sairaanhoidon toimenpide, tutkimus, hoito ja kun-

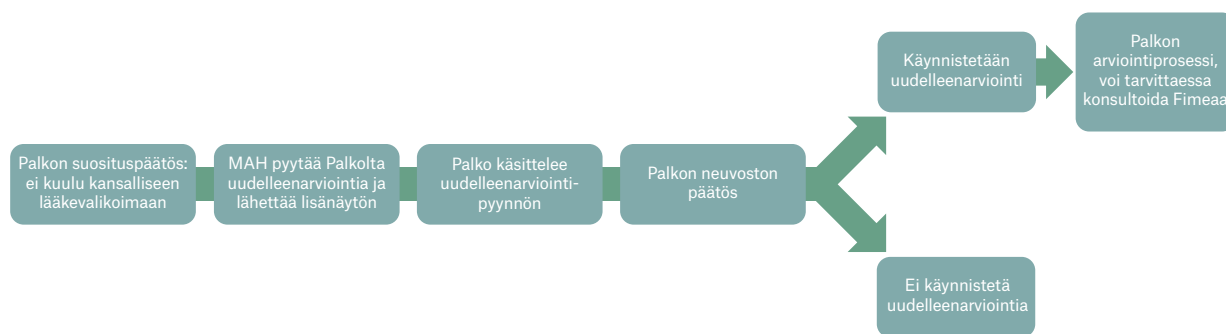
toutus, johon sisältyy saavutettavan terveyshyödyn kannalta kohtuuttoman suuri riski potilaan hengelle tai terveydelle, tai jonka vaikuttavuus on vähäinen ja jonka aiheuttamat kustannukset ovat kohtuuttomat saavutettavissa olevaan terveyshyötyyn ja hoidolliseen arvoon nähden. Terveydenhuoltolain 78 a §:n mukaan suosituksia antaessaan neuvoston tulee ottaa huomioon eri alojen tutkimustieto ja muu näyttö sekä terveydenhuollon eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat.

Palkon käsikirjan mukaan suositusten valmistelussa huomioidaan sen hetkinen tutkimustieto hoidon vaikuttavuudesta ja haitoista. Valmistelussa arvioidaan päätöksenteon tueksi käytettävissä olevien tutkimusten luotettavuutta, tulosten merkittävyyttä potilaiden hoidossa, tiedon epävarmuutta sekä tiedon siirrettävyyttä kotimaiseen hoitokäytäntöön tai potilasryhmiin. Tutkimusten uskottavuutta arvioidessa kiinnitetään huomiota siihen, onko tutkimusasetelma ja toteutus sellainen, että saatuihin tuloksiin voidaan luottaa. Arvioinnissa huomioidaan myös eettiset, taloudelliset ja terveydenhuollon järjestämiseen liittyvät näkökulmat. Lisäksi arvioinnissa huomioidaan, onko terveysongelmaa syytä tutkia, hoitaa tai kuntouttaa terveydenhuollon keinoin ja onko siihen perusteltua käyttää julkisia varoja. Palkon käsikirjan mukaan Palkossa halutaan varmistaa, että palveluvalikoimaan valitaan kustannusvaikuttavimmat hoidot, tunnistetaan tehokaimmat, resursseja säästävät keinot ja poistetaan käytöstä vain vähäistä tai ei lainkaan terveyshyötyä tuottavat menetelmät. Arvioinnissa huomioidaan, että valittavat menetelmät on mahdollista järjestää yhdenvertaisesti väestölle (taloudelliset resurssit, henkilökunnan saatavuus ja maantieteelliset eroavaisuudet). (Palko, 2024)

4.2 · Palkon uudelleenarvioinnin kriteerit

Palkon tekemät suositukset ovat yleensä toistaiseksi voimassaolevia, mutta ne voidaan antaa myös määräaikaisina. Määräaikaisissa suosituksissa päivittämistarve arvioidaan suosituksessa ilmoitettuna ajankohtana. Palkon suositusten uudelleenarviointia koskeva prosessi on esitetty kuvassa 8. Suosituksen päivittämisen käynnistämiseksi huomioidaan uudet aiheeseen liittyvät julkaistut tutkimukset ja niiden tulokset (uuden tutkimustiedon on pystyttävä vahvistamaan näyttöä suuntaan tai toiseen), hoidon kohdentamisen tarkentuminen (hyöty-haitta-analyysin tulos muuttuu), uusien tutkimustulos-

ten johdosta mahdollisesti merkitsevästi muuttuvat hoitokäytänteet (käyttöön tulleet tai käytöstä poistuneet käytänteet), kustannusvaikuttavuuden arvion mahdollisesti muuttuneet perusteet ja se, jos menetelmän kliinisestä käytöstä systemaattisesti kerätty tieto osoittaa hoitoon liittyvän odottamattomia tai odottaman paljon haittoja. Taho, joka esittää Palkon kielteisen suosituksen uudelleenarvioinnin käynnistämistä, toimittaa esitykseensä perusteet eli artikkelit ja/tai tutkimustulokset joihin vedotaan. Tämän jälkeen Palko arvioi selvityksen päivitystarvet ja huomioi päivityksen esittäjän toimittaman ja muun silloin saatavilla olevan tiedon. Palkolla on myös mahdollisuus suositusta päivittämättä päättää, ettei aiempi suositus ole enää voimassa. (Palko, 2024)



Kuva 8. Palkon suosituksen uudelleenarviointi

MAH, myyntiluvan haltija

4.3 · Lääkekorvausjärjestelmään kuuluvien lääkkeiden arviointikriteerit

Lääkkeiden hintalautakunnan arviointikriteerit on määritellyt sairausvakuutuslaissa (1224/2004). Perus- ja erityiskorvattavuus voidaan vahvistaa enintään lääkevalmisteen hyväksytyn käyttöaiheen laajuusena. Perus- ja erityiskorvattavien lääkevalmisteiden arviointikriteerit poikkeavat hieman toisistaan. Peruskorvattavuutta haettaessa lääkkeiden hintalautakunta arvioi hakemusvalmisteen hoidollista arvoa. Korvattavuutta ei voida vahvistaa, jos lääkevalmistetta käytetään muuhun kuin sairauden hoitoon, tilapäisen tai oireiltaan lievän sairauden hoitoon tai sen hoidollinen arvo on vähäinen. Perinteisille kasvirohdosvalmisteille tai homeopaattisille valmis-

teille ei myönnetä peruskorvattavuutta. Jos kyseessä on erityisen kallis lääke tai lääkkeen laajasta käytöstä aiheutuisi kohtuuttomia kustannuksia saavutettavaan hyötyyn nähden, voidaan lääkkeen käyttöä rajata käyttöaiheita suppeammaksi joko hakijan ehdotuksesta tai lautakunnan omasta aloitteesta. (Sairausvakuutuslaki 1224/2004)

Erityiskorvattavuutta arvioidessa lääkkeelle täytyy olla hyväksyttynä peruskorvattavuus ja lääkevalmisteen tulee olla tarkoitettu sellaisen vaikean ja pitkäaikaisen sairauden hoitoon, joka sisältyy valtioneuvoston asetukseen 1149/2016. Arvioinnissa kiinnitetään huomiota sairauden laatuun sekä siihen, onko lääkevalmisteen hoidollisesta arvosta, välttämättömyydestä, tarpeellisuudesta sekä korjaavasta vaikutustavasta riittävästi kokemusta ja tutkimusnäyttöä. Lisäksi erityiskorvattavuuden arvioin-

tikriteereihin kuuluu taloudellisuus ja siinä otetaan huomioon erityiskorvattavuuteen käytettävissä olevat varat. (Sairausvakuutuslaki 1224/2004)

Hilassa arvioidaan korvausperusteeksi hyväksyttävän tukkuhinnan kohtuullisuutta, kun lääkkehoidolla on osoitettu olevan hoidollista arvoa. Arvioinnissa huomioidaan saman sairauden hoitoon käytettävien vertailuvalmisteiden hinnat Suomessa, lääkevalmisteen hinnat muissa ETA-maissa, käytössä olevien

muiden hoitovaihtoehtojen hyödyt ja kustannukset, lääkevalmisteen käytöstä aiheutuvat hoitokustannukset ja käytöllä saavutettavat hyödyt potilaan ja sosiaali- ja terveydenhuollon kannalta sekä korvauksiin käytettävissä olevat varat. Hakemukseen tulee sisältyä terveystaloudellinen selvitys, jos kysymyksessä on uutta vaikuttavaa lääkeainetta sisältävä lääkevalmiste tai korvattavuuden merkittävä laajentaminen. (Sairausvakuutuslaki 1224/2004)

4.4 · Lääkkeiden maksuhalukkuuden taso Suomessa

Suomessa ei ole käytössä virallista maksuhalukkuuden tasoa eli kynnyksarvoa sille, kuinka paljon uudella hoidolla aikaansaatu lisähyöty-yksikkö saa maksaa verrattuna hoitovaihtoehtoon (Kiviniemi & Rannanheimo, 2020). Kustannusvaikuttavuusa-

nalyysien tuloksiin vaikuttavat monet eri tekijät, kuten vertailuvalmisteiden valinta sekä tiedot kustannuksista ja vaikuttavuudesta. Tämän vuoksi saadut kustannusvaikuttavuussuhteet ovat arvioita, jotka perustuvat valittuihin oletuksiin. Sen seurauksena kynnyksarvon soveltaminen ei ole ainoa päätöksentekokriteeri, vaan päätöksesteossa kiinnitetään huomiota myös sairauteen sekä hoidon hyötyjen ja haittojen uskottavuuteen. (Bertram ym., 2016; Kiviniemi & Rannanheimo, 2020)

5 • Nykyisen HTA-arviointijärjestelmän haasteet

Nykyisen HTA-arviointijärjestelmän haasteena on hajanainen ja erityisesti sairaalalääkkeiden osalta monimutkainen ja osittain ennakoimaton toimintamalli, jolloin se ei palvele halutulla tavalla terveydenhuollon toimijoita, lääkeyrityksiä eikä potilaita. Haasteita aiheutuu kaksikanavaisesta järjestelmästä, jossa avo- ja sairaalavalmisteet arvioidaan toisistaan riippumatta. Arviointikanavien eroavaisuudet on esitetty Taulukossa 2. Kummatkin järjestelmät poik-

keavat toisistaan monin eri tavoin, muun muassa arvioinnin käynnistymisen, erilaisten arviointikriteerien, arvioinnin keston sekä toimijoihin sovellettavien lakien osalta. Myös rahoitus eri kanavissa poikkeaa toisistaan, mikä voi kannustaa toimijoita osaoptimointiin. Sen seurauksena yksittäinen päätöksentekijä voi tehdä omalle toiminnalleen kannattavimman ratkaisun, mutta jättää huomioimatta tästä aiheutuvat seuraamukset muille toimijoille.

Taulukko 2. Arviointikanavien eroavaisuudet

	Avohoidon lääkkeet	Sairaalalääkkeet
Sovellettavat lait	Sairausvakuutuslaki, EU:n transparenssidirektiivi, EU:n HTA-asetus	Terveysturvalaki, laki julkisista hankinnoista ja käyttöoikeussopimuksista, EU:n hankintadirektiivi, EU:n HTA-asetus
Rahoitus	Sairausvakuutuslakiin perustuva Kela-korvaus ja lääkkeiden käyttäjät	Hyvinvointialueet
Arvioinnin käynnistyminen	Hakemusmenettely, jossa aloitteen tekee myyntiluvan haltija	Aloitteen voi tehdä viranomainen, arviointiyhteistyöverkoston verkosto tai myyntiluvan haltija
Arviointikriteerit	Yksityiskohtaiset kriteerit, jotka perustuvat sairausvakuutuslakiin	Väljät kriteerit perustuvat terveydenhuoltolakiin ja Palkon käsikirjaan
Päätöksen voimassaoloaika	Määräaikaisia (viitehintajärjestelmään kuuluvien valmisteiden osalta päätös voimassa toistaiseksi)	Päätös toistaiseksi, voi olla myös määräaikainen
Uudelleenarviointi	Määräaikaisen päätöksen uusintahakemus jätettävä 6 kuukautta ennen korvattavuuden päättymistä Myyntiluvan haltija voi laittaa uuden hakemuksen vireille hylkäyksen jälkeen ilman aikarajoitusta	Palko arvioi, omko suosituksen päivittäminen syytä käynnistää
Valitusmahdollisuus	Kyllä	Ei
HTA-arviointien määrä	Kaikki hakemukset arvioidaan, myös käyttöaiheen laajennukset	Osa uusista lääkkeistä ja käyttöaiheen laajennuksista arvioidaan
Arvioinnin kesto	Sairausvakuutuslaissa määritelty 180 vuorokauden enimmäiskäsittelyaika	Ei lain määräämää enimmäiskäsittelyaikaa

5.1 · Eriävät arvioinnin käynnistymistavat

Arvioinnin käynnistyminen poikkeaa tällä hetkellä arviointikanavien välillä. Lääkevalmisteen myyntiluvan haltija tekee hakemuksen uusien avohoidon valmisteiden sekä niiden käyttöaiheen laajennusten arvioinnin aloittamisesta Hilalle. Sairaalaräläkkeiden arviointi alkaa yleensä joko myyntiluvan haltijan hakemuksesta, viranomaisaloitteisesti, tai arviointiyliläkärien verkoston ehdotuksesta. Ennen vuonna 2023 aloitettua pilottia Fimea valitsi CHMP:n positiivisen kannanoton saaneista sairaalaräläkkeistä ne, joista arviointi käynnistettiin. Fimean päätöksentekoon arvioinnin käynnistämisestä vaikuttavat sairauden yleisyys ja vakavuus, uuden lääkkeen vaikutus nykyiseen hoitokäytäntöön ja arvio odotettavasta taloudellisesta vaikutuksesta (budjettivaikutus). Vuonna 2023 aloitetussa pilotissa myös myyntiluvan haltijalla on ollut mahdollisuus ehdottaa arvioinnin aloitusta Fimealle. Näiden lisäksi myös arviointiyliläkäreiden verkosto voi tehdä ehdotuksen lääkkeen suosituksen valmistelusta Palkolle. Toukokuussa 2024 aloitettiin toinen pilotti, jossa Palko laatii suosituksia käyttöaiheen laajennuksista. Arviointiyliläkäreiden verkosto esittää laajennuksen arviointia Palkolle, joka päättää arvioinnin käynnistämisestä ja pyytää Fimealta suppean arviointiraportin. Fimea tiedottaa tästä myyntiluvan haltijaa ja tarvittaessa pyytää lisätietoja käyttöaiheen laajennuksen tutkimuksista.

Myyntiluvan haltijan näkökulmasta nykyinen sairaalavalmisteista koskeva tilanne on sekava ja ennalta-arvaamaton. Myyntiluvan haltija ei varsinkaan ennen hakemusperusteisen menettelyn vuonna 2023 alkanuta pilottia ole etukäteen tiennyt, tehdäänkö sairaalaräläkkeistä arviointia tai milloin mahdollinen arviointi tehdään, sillä Fimean arviointiresurssien rajallisuus rajoitti arviointien määrää. Voi myös olla epäselvää, hyväksytäänkö valmiste hakemusmenettelyperusteisen arvioinnin pilottiin tai päättääkö viranomainen aloittaa arvioinnin, vaikka hakemusta ei ole tehty. Lisäksi myyntiluvan haltijalla ei ole mahdollisuutta käynnistää uuden käyttöaiheen laajennuksen arviointia, koska nykyisessä pilotissa ehdotuksen käynnistämisestä tekee arviointiyliläkäreiden verkosto. Mikäli arviointiylilä-

läkäreiden verkosto ei ehdota käyttöaiheen laajennuksen arvioinnin valmistelua Fimea–Palko-prosessissa, ei ole olemassa virallista arviointitahoa, johon myyntiluvan haltijat voisivat olla yhteydessä ja pyytää arviointia. Tämä hankaloittaa myyntiluvan haltijan valmistautumista arviointiprosessiin sekä niitä tilanteita, kun myyntiluvan haltija on osallisena vain arviointiprosessin loppuvaiheessa (esim. käyttöaiheen laajennuksen arviointi). Vaikka Palko antaa muodollisesti vain suosituksia, lääkkeen saaminen käyttöön on myös huomattavasti hankalampaa, jos Palko on antanut kielteisen suosituspäätöksen lääkkeelle (mahdollisesti eri käyttöaiheeseen) tai Fimea–Palko-prosessia ei ole käyty ollenkaan. Tällöin neuvottelut lääkkeen käytön mahdollisesta aloittamisesta on käytävä kunkin hyvinvointialueiden kanssa erikseen silloin, jos aloite lääkkeen käyttöön otolle tulee potilaita hoitavalta lääkäriltä, eikä yritys itse voi saattaa asiaa käsittelyyn.

5.2 · Poikkevat arviointikriteerit ja erot käyttöön-otossa

Avo- ja sairaalapuolen valmisteiden arviointiin käytetään erilaisia kriteerejä. Avohoidon lääkkeille on sairausvakuutuslaissa määritetyt selkeät arviointikriteerit, kun taas sairaalaräläkkeiden osalta terveydenhuoltolaki on huomattavasti suurpiirteisempi. Fimea on ohjeissaan avannut, mihin se arvioinnissaan kiinnittää huomiota, mutta tarkempia kriteerejä ei ole saatavissa (Fimea uusien sairaalaräläkkeiden arviointi, 2024). Myös Palko on omassa käsikirjassaan kuvannut kriteereitä, joita se käyttää arvioidessaan palveluvalikoimaan kuuluvia sairaalaräläkkeitä (Palko, 2024). Mm. lääkkeiden uusille käyttötarkoituksille (ja varsinkin aiemmin joidenkin uusienkin lääkkeiden kohdalla) sairaaloissa laaditaan myös suppeampia miniHTA-arvioita, joiden kriteerit eivät ole julkisesti saatavilla. Tämän seurauksena lääkeyritykset sekä samaa sairautta sairastavat potilaat voivat olla eriarvoisessa asemassa riippuen siitä, missä ja millaisin kriteerein lääkevalmiste arvioidaan.

Eroja aiheuttaa myös se, että avohoidon lääkkeiden osalta arvioidaan valmisteen hoidollinen arvo

ja kohtuullinen tukkuhinta. Jos valmisteella ei nähdä vähäistä suurempaa hoidollista arvoa, hylätään hakemus ilman tukkuhinnan kohtuullisuuden arviointia. Hakemus voidaan myös hylätä, jos valmisteen hinta on liian korkea suhteessa hoidolliseen lisäarvoon. Palkon suositustenmenettelyssä ei samantilaista lainsäädännön tuomaa menettelyä ole. Palkon hylkäämät suositukset perustuvat usein hoidollisen arvon arviointiin, mutta toisinaan Palko on ottanut kantaa myös valmisteen hintaan ja kustannusvaikutavuuteen hoidollisen arvon lisäksi.

Palkon suositukset eivät ole myöskään sitovia, vaan sairaalat voivat poiketa niistä ja päättää lääkkeiden käyttöönotosta toisin. Ne saattavat myös tehdä päätöksiä käyttöönotosta jo ennen kuin Palkon suositus on saatu valmiiksi, tai tilanteissa, joissa kansallista suositusta ei ole lainkaan tehty. Sairaaloiden käytännöt lääkkeiden käyttöönottopäätöksistä poikkeavatkin toisistaan, jolloin potilaiden yhdenvertaisuus saman sairauden hoidossa ei välttämättä toteudu. Tarkastellessamme YTA-alueiden lääkemyyntejä havaitsimme, että osa sairaaloista aloittaa lääkkeen käytön heti Fimean arvioinnin jälkeen, kun taas osa odottaa kansallisten hintaneuvottelujen päätöstä ennen lääkkeen käytön aloittamista. Sairaaloiden käytännöt uusien lääkkeiden käyttöönotosta vaihtelevat aluettain myös Hilan hylkäyspäätöksen tai Palkon suosituksen saaneiden, kuin myös niiden lääkkeiden osalta, joita ei ole lainkaan arvioitu Palkon tai Hilan toimesta. Havaitsimme, että YTA-alueilla käytetään eri tavoin sekä kansallisesti arvioituja että ei-arvioituja valmisteita. Tämä voi johtua esimerkiksi kliinisestä tarpeesta, ellei muilla käytössä olevilla hoitovaihtoehdoilla ole saatu apua potilaan hoidossa. Lisäksi hyvinvointialueet ovat voineet tehdä erilaisia riskienjakosopimuksia lääkeyritysten kanssa lääkkeitä, joita ei kansallisesti ole arvioitu. Hyvinvointialueiden käyttöönottopäätökset ja riskienjakosopimukset ovat erilaisia, mikä aiheuttaa maantieteellisiä eroavaisuuksia uusien lääkehoitojen käytössä.

YTA-alueiden välillä on havaittu eroja myös avoterveydenhuollon syöpälääkkeiden käyttöönotossa ja sen nopeudessa. Huttu ja hänen tutkimusryhmänsä tarkastelivat vuosina 2010–2021 myyntiluvan saaneiden sairausvakuutuksesta korvattavien syöpä-

lääkkeiden käyttöönottoa eri YTA-alueiden välillä. Heidän tutkimuksessaan havaittiin, että suurin osa uusista syöpälääkkeistä otettiin käyttöön kaikilla YTA-alueilla. Uusia lääkkeitä käyttöönotettiin eniten HYKS- ja TYKS-alueilla ($n = 39/43$; 91 %) ja vähiten KYS-alueella ($n = 35/43$; 81 %). Myös lääkkeiden käyttöönottoon kuluneessa ajassa oli alueellisia eroja. Hieman alle neljänneksellä käyttöönotetuista lääkkeitä oli yli vuoden ero ensimmäisen ja viimeisen käyttöönottaneen YTA-alueen välillä. (Huttu, Klintrup, Kurko & Koskinen, 2024)

5.3 · Lääkkeiden uudelleenarviointi

Avo- ja sairaalalääkkeiden uudelleenarvioinnin käynnistyminen sekä hyväksytyjen valmisteiden säännöllinen uudelleenarviointi poikkeavat toisistaan. Myyntiluvan haltija voi tehdä hylkäyksen saaneelle lääkkeelle uuden hinta- ja korvattavuushakemuksen Hilalle saadessaan esimerkiksi lisänäyttöä valmisteesta tai valmisteen hinnan alentuessa. Prosessissa ei ole määritelty, milloin uuden hakemuksen voi lähettää Hilaan, joten prosessin aloittaminen on myyntiluvan haltijan harkinnassa ja alkaa saman arviointiprosessin mukaisesti kuin uuden hakemuksen käsittely. Hilan tekemät päätökset ovat voimassa aina tietyn määräajan. Uuden vaikuttavan aineen korvattavuus ja tukkuhinta ovat voimassa enintään 3 vuotta ja muita valmisteita koskeva päätös enintään 5 vuotta. (Sairausvakuutuslaki 1224/2004)

Poikkeuksena tästä viitehintajärjestelmään kuuluvan lääkevalmisteen korvattavuus ja enimmäistukkuhinta ovat voimassa niin kauan kuin valmiste kuuluu yhtäjaksoisesti viitehintaryhmään. Myyntiluvan haltijan tulee puoli vuotta ennen hintaa ja korvattavuutta koskevan päätöksen voimassaolon loppua toimittaa uusintahakemus Hilalle, jos lääkevalmisteen korvattavuuden halutaan jatkuvan. Siten avohoidon lääkevalmisteita sekä arvioidaan säännöllisin väliajoin että aiemmin hylättyjen valmisteiden saaminen järjestelmään on mahdollista esimerkiksi uuden näytön tai muuttuneiden hoitokäytänteiden vuoksi. Hilan päätöksistä on myös mahdollista valittaa toisin kuin Palkon antamista suosituksista, joista myyntiluvan haltijalla ei ole valitusoikeutta.

Palkon antamat suositukset ovat toistaiseksi voimassaolevia tai määräaikaisia. Määräaikaisissa suosituksissa päivittämistarve arvioidaan suosituksessa ilmoitettuna ajankohtana. Palkolla on myös mahdollisuus suositusta päivittämättä päättää, ettei aiempi suositus ole enää voimassa. Palko on suurimmaksi osaksi antanut toistaiseksi voimassaolevia suosituksia. Vuonna 2024 Palko rajasi yhden suosituksensa vain infektiokaudelle 2024–2025, ja vuosien 2020–2022 aikana Palko on kumonnut kaksi tekemäänsä suositusta. Palko on määrittänyt käsikirjassaan kriteerit sille, missä tapauksissa he aloittavat suosituksen uudelleenarvioinnin. (Palkon käsikirja, 2024) Palkon kokousten muistiodien perusteella Palkolta oli pyydetty 9 uudelleenarviointia aikavälillä 1/2022–6/2024. Uudelleenarviointeja oli pyydetty, koska valmisteista oli saatu uusia tutkimustuloksia tai hoitokäytänteet olivat muuttuneet. Uudelleenarviointipyyntöistä Palko oli ottanut käsittelyyn vain yhden tapauksen, joka on edelleen käsittelyssä (tilanne tarkastettu viimeksi 16.12.2024). Muita uudelleenarviointeja ei ole toistaiseksi aloitettu, koska Palkon mukaan uudelleenarvioinnin perusteet eivät olleet täyttyneet Palkon käsikirjassa määriteltyjen kriteerien mukaisesti.

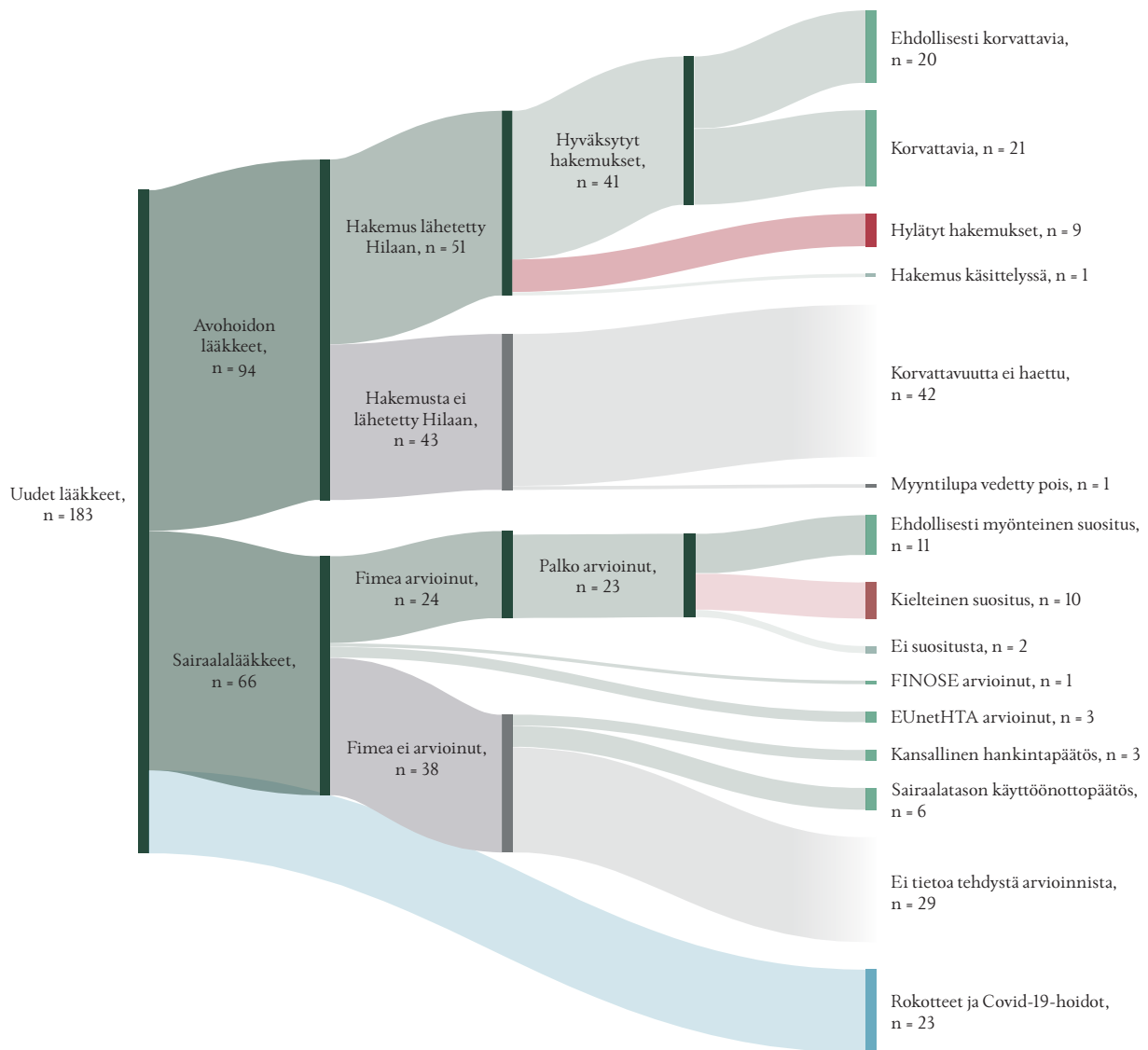
5.4 · HTA-arviointien määrä Suomessa

Tällä hetkellä arviointiresurssit eivät riitä arvioimaan kaikkia uusia sairaalalääkkeitä, niiden uusista käyttöaiheista puhumattakaan. Vuosien 2020–2022 aikana 66 uutta vaikuttavaa-ainetta sisältävää sairaalavalmistetta sai CHMP:n positiivisen kannanoton. HTA-arviointi aloitettiin 28:lle uutta vaikuttavaa-ainetta sisältävälle sairaalalääkkeelle, joka vastasi noin 42 % kaikista CHMP positiivisen kannanoton saaneista (n = 28/66). Näistä sairaalalääkkeiden HTA-arvioinneista suurimman osan toteutti Fimea (n = 24), minkä lisäksi EUnetHTA (European Network for health Technology Assessment)-arviointi tehtiin 3 lääkkeestä ja FINOSE toteutti yhden arvioinnin. EUnetHTA:n ja FINOSE:n arviointien osalta Fimea hyödyntää arviointia Suomeen soveltuvin osin. Suurinta osaa uusista sairaalalääkkeistä

(n = 38) Fimea ei priorisoinut tai valinnut arvioitavaksi. Kuudesta arvioinnin ulkopuolelle jääneestä sairaalalääkkeestä on tehty suppeaan sairaalatason miniHTA-arviointiin perustuva käyttöönottopäätös ja kolmesta muusta löytyy kansallinen hankintapäätös Hilma-palvelusta.

Fimean arvioimista 28:sta lääkkeestä Palko käynnisti suositusluonnoksen valmistelun 23:ssa tapauksessa. Palkon valmistelemista suosituksista 11 oli ehdollisesti myönteisiä, 10 kielteisiä ja kahden osalta suositus joko vedettiin pois tai palautettiin Palkon lääkejaostolle jatkovalmisteluun. Osalla sairaalalääkkeistä (n = 10), jotka oli päätetty jättää Fimeassa arvioimatta, on kuitenkin ollut tukkumyyntiä. Lisäksi kahdella Palkon kielteisen suosituksen saaneella valmisteella sekä kahdella valmisteella, joiden Palkon suositus jäi epäselväksi, on ollut myyntiä tukuista tarkastelujaksolla 1/2020–5/2024. Tästä voidaan päätellä, että potilaiden hoidossa on selvästi ollut tarvetta näille lääkkeille.

Lääkkeiden hintalautakunta arvioi kaikki myyntiluvan haltijan tekemät hinta- ja korvattavuushakemukset. Vuosien 2020–2022 aikana 94 avohoidon lääkevalmistetta sai myyntiluvan. Uusista myyntiluvan saaneista avohoidon lääkkeistä yli puolelle (54 %, n = 51/94) haettiin korvattavuutta Hilasta 5/2024 mennessä. Näistä haetuista korvattavuuksista 80 % (n = 41/51) hyväksyttiin, 20 % (n = 9/51) hylättiin ja yhden valmisteen hakemus on käsiteltyssä. Hilan hylkäämistä uusista myyntiluvan saaneista avohoidon lääkkeistä oli viisi kaupan ilman korvattavuutta. Alle puolelle (46 %) uusista myyntiluvan saaneista avohoidon lääkkeistä ei haettu korvattavuutta Hilasta (n = 43/94). Näistä lääkkeistä yhden valmisteen myyntilupa on peruutettu, kahdeksan osalta valmiste on kaupan ilman korvattavuuden hakemista ja 34 valmistetta ei ole kaupan Suomessa eikä niille ole haettu korvattavuutta. Toteutuneiden arviointien lukumäärää verrattaessa on huomioitava, että myyntiluvan haltijat tekevät hakemukset Hilalle, eikä syitä sille, miksi 34 uutta lääkevalmistetta ei ole toimitettu Hilaan arvioitavaksi, ole voitu tässä yhteydessä selvittää. Yhteen veto HTA-arviointien määristä uusilla lääkkeillä ja niiden päätöksistä on esitetty kuvassa 9.



Kuva 9. HTA-arviointien jakautuminen eri kanaviin ja niiden päätökset vuosina 2020–2022

Hilan julkaisemien tietojen mukaan vuosina 2020–2022 hintalautakunta arvioi 116 uuden lääkeaineen korvattavuushakemusta (mukana myös valmisteita, jotka saaneet myyntiluvan ennen vuotta 2020).

Näistä 67 % (n = 78/116) hyväksyttiin, 28 % (n = 33/116) hylättiin ja 5 % (n = 5/116) peruttiin. (Hila, 2024)

5.5 · HTA-arviointien keskimääräiset kestot

HTA-arviointien käsittelyajat vaihtelevat arviointikanavan mukaan. Avohoidon lääkkeille on sairausvakuutuslaissa määritetty käsittelyajan enimmäispituus. Sairausvakuutuslain mukaan lääkkeiden hintalautakunnan tulee antaa päätös hintaa ja korvattavuutta koskevasta hakemuksesta 180 päivässä ja hinnankorotushakemuksesta 90 päivässä (Sairausvakuutuslaki 1224/2004). Ehdollisen korvattavuuden

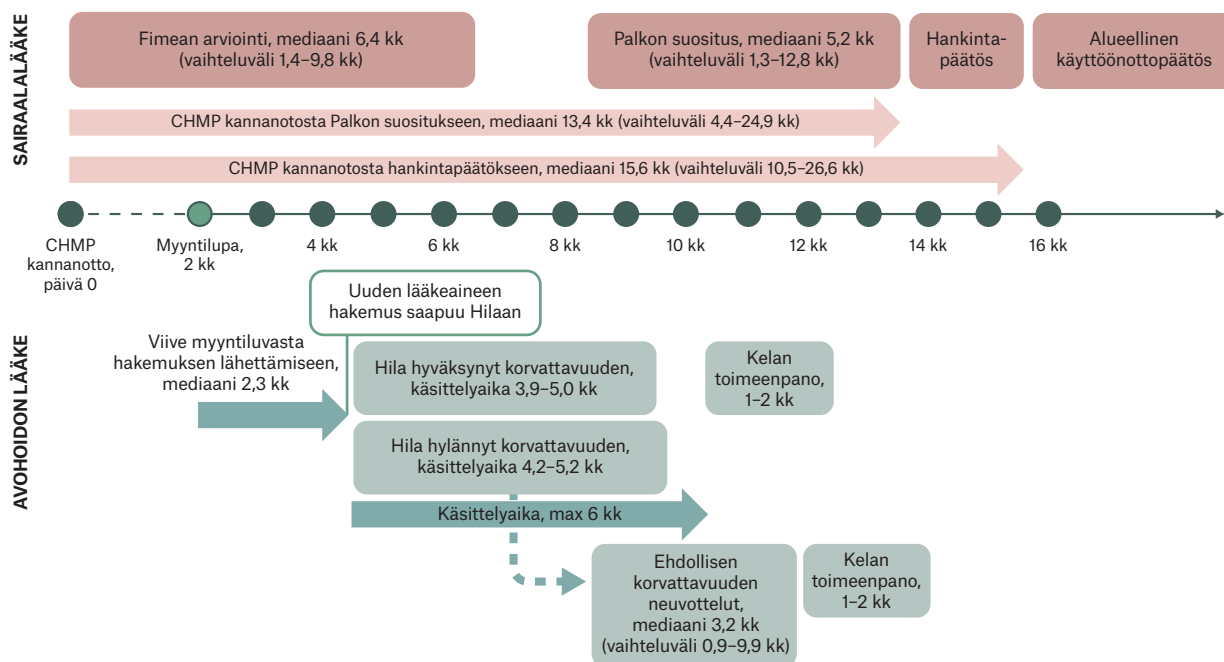
neuvotteluiden alkaessa hakemuksen käsittely keskeytetään neuvotteluiden ajaksi. Vastaavia laissa määritettyjä enimmäiskäsittelyaikoja ei sairaalavalmisteen arvioinnille ole. Fimea on arvioinut arviointiprosessinsa kestävän 3–4 kuukautta siitä, kun valmisteen CHMP kannanotto on tullut. Fimean arvioinnin jälkeen käynnistyvä Palkon suosituskäsittely kestää noin 4–5 kuukautta (Fimea, 2024; Palko, 2024). Sairaalalääkkeille käytäville Fimea–Palko-prosessin jälkeiselle kansalliselle hintaneuvottelulle, alueelliselle arvioinnille tai alueelliselle käyt-

töönottopäätökselle ei ole määritelty käsittelyaikoja tai enimmäisaikoja.

Hila on sivuillaan ilmoittanut keskimääräiset käsittelyajat. Vuosien 2020–2022 uuden lääkeaineen peruskorvattavuuden käsittelyaika korvausjärjestelmään hyväksytyjen valmisteiden kohdalla oli 3,9–5,0 kuukautta ja hylättyjen valmisteiden kohdalla 4,2–5,2 kuukautta. Korvattavuuden laajennushakemusten keskimääräinen käsittelyaika oli lyhyempi verrattuna uusiin lääkeaineisiin. Käsittelyaika hyväksytyille valmisteille oli keskimäärin 3,4–4,2 kuukautta ja hylätyille 3,0–5,7 kuukautta. (Hila, 2024) Uusien vuosina 2020–2022 myyntiluvan saaneiden ehdollisesti korvattavien valmisteiden ehdollisen korvattavuuden neuvotteluiden kesto mediaanina oli 3,2 kk (vaihteluväli 0,9–9,9 kk). Korvattavuus ei astu voimaan heti Hilan tekemän päätöksen jälkeen, vaan päätöstä seuraa Kelan toimeenpanovaihe, jonka vuoksi korvattavuus tulee voimaan yleensä 1–2 kuukauden sisällä päätöksestä (Kela, 2024).

Tarkastelimme uusien vuosina 2020–2022 myyntiluvan saaneiden sairaalavalmisteiden HTA-arviointien keskimääräistä kestoja analysoimalla aikaa CHMP:n kannanotosta aina hankintapäätökseen

asti. Keskimäärin Fimean arviointi kesti 6,4 kuukautta (vaihteluväli 1,4–19,8 kk) CHMP:n positiivisen kannanoton tultua. Seuraavassa vaiheessa katsoimme Palkon suosituksen valmistumisen kestoa siitä hetkestä, kun Fimean arviointiraportti oli julkisesti saatavilla. Palkon arviointiprosessin kesto mediaanina oli 5,2 kk (vaihteluväli 1,3–12,8 kk). Mediaaniaika CHMP:n positiivisesta kannanotosta Palkon suosituksen valmistumiseen oli hieman yli vuoden eli 13,4 kk (vaihteluväli 4,4–24,9 kk). Palkon suosituksen jälkeen tehtävä hankintapäätös lisäsi kokonaiskestoja muutamalla kuukaudella, jolloin mediaaniaika CHMP:n positiivisesta kannanotosta hankintapäätökseen ilmoitettuun voimaantuloon oli 15,6 kk (vaihteluväli 10,5–26,6 kk). Tämän ja hyvinvointialueiden alueellisten arviointien sekä käyttöönottopäätösten perusteella voidaan todeta, että sairaalalääkkeiden arviointi- ja käyttöönottoprosessin kokonaiskesto on merkittävästi pidempi kuin avohoidon lääkkeillä (kuva 10). Pitkät viiveet eri arviointien ja käyttöönoton eri vaiheiden välillä, ja niiden alkamisen epävarmuus ylipäättään, tekevät arviointi- ja käyttöönottoprosessista ennakkoimattoman ja uusien innovatiivisten sairaalavalmisten potilaskäyttöön saamista hidastavan tekijän.



Kuva 10. HTA-arviointiprosessien keskimääräiset kestot

5.6 · Poikkeukselliset lääkehoidot

Yhdistelmähoidoissa yhdistetään usein uusia hoitoja potilaiden käytössä jo oleviin hoitoihin. Eri lääkeaineiden yhdistelmiä on käytetty aina, mutta yhdistelmähoitot ovat nykyään kasvava trendi. Yhdistelmähoitojen arviointiin liittyy haasteita, jotka johtuvat osin kaksikanavaisesta rahoitusjärjestelmästämmme ja osin siitä, että yhdistelmähoidoissa käytettävät valmisteet ovat tyypillisesti eri lääkeyritysten markkinoimia. Näin ollen toisella valmisteella voi olla hyväksyttynä yhdistelmähoiton käyttöaihe, kun taas yhdistelmähoiton toisen komponentin valmisteyhteenvedossa yhdistelmää ei ole mainittu.

Lisäksi yhdistelmähoiton arviointia ja hinnoittelua vaikeuttaa se, ettei eri valmisteisiin liittyviä tietoja voida jakaa osapuolten välillä. Myös kilpailulainsäädäntö ja yritysten immateriaalioikeudet on otettava huomioon, kun eri yritysten valmisteiden yhdistelmää tai sen hinnoittelua pohditaan.

Kahden kanavan järjestelmä aiheuttaa ongelmia myös yhdistelmähoitojen käyttöönnotossa, koska lääkevalmisteiden jakaminen avo- ja sairaalapuolen valmisteisiin ei aina ole yksiselitteistä. Lisäksi on lääkeyhdistelmiä, joiden käyttö edellyttää niin avo- kuin sairaalavalmisteiden yhtäaikaista käyttöä. Tämä voi hidastaa tai jopa estää uuden hoidon käyt-

töönnoton, jos yhdistelmähoitona käytetyt lääkkeet arvioidaan kahdessa eri paikassa. Tällöin voi olla mahdollista, että toista valmistetta ei hyväksytä korvausjärjestelmään tai kansalliseen sairaaloiden lääkevalikoimaan. Tämä aiheuttaa ongelmia erityisesti potilaille, koska sairaalassa annosteltavat lääkkeet sisältyvät asiakasmaksuun, mutta avohoidossa lääkkeen käyttäjä on vastuussa ei-korvattujen valmisteiden kustannuksista kokonaisuudessaan. Jos lääke ei ole korvattava, voivat siitä aiheutuvat kustannukset olla käyttäjälle liian korkeat. Järjestelmän jäykkyyden vuoksi tämänkaltaisten hoitojen saaminen suomalaisten potilaiden käyttöön on usein hankalaa ja osin mahdotonta.

Toisinaan lääkkeitä on tarpeen käyttää off-label, eli tarkoitukseen, johon kyseisellä lääkevalmisteella ei ole EMA:n tai Fimean hyväksymää käyttöaihetta. Lasten sairauksien lääkehoidot ja osa hyvin harvinaisten sairauksien, kuten harvinaisten syöpien lääkehoidoista, ovat esimerkkejä off-label-käytöstä. Off-label-käytössä olevien valmisteiden kustannusvaikuttavuutta ei tämänhetkisen lainsäädännön puitteissa ole mahdollista arvioida lääkkeiden hintalautakunnassa. Sairausvakuutuslaissa määritellään, että lääke voi saada korvattavuuden vain käyttöaiheen mukaisessa laajuudessa. Myöskään Palko ei ole pitänyt mahdollisena tehdä suosituksia lääkevalmisteiden off-label-käytöstä.

5.7 · HTA-arvioinneissa havaittuja poikkeustapauksia

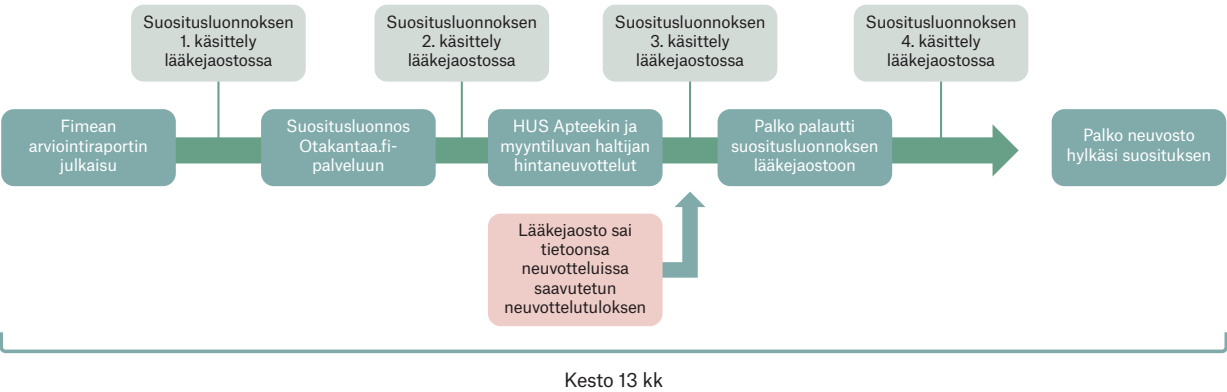
Vuosina 2020–2022 hyväksytyjen valmisteiden myyntiluvan haltijoiden edustajia haastateltaessa kävi ilmi, että sairaalalääkkeiden arviointimenettelyissä on ilmennyt useita poikkeustapauksia vakiintuneesta arviointikäytännöstä. Tyypillisimmät tapaukset liittyivät siihen, että Fimea ei ollut priorisoinut sairaalalääkkeiden arvioinnin aihevalinnassa kyseistä valmistetta. Näissä tapauksissa osalle arvioimatta jääneistä sairaalalääkkeistä on arviointiylilääkäreiden verkoston aloitteesta pyydetty HTA-arviointia Fimealta. Joissakin tapauk-

sisssa Fimea on laatinut lääkkeestä suppeamman HTA-arviointiraportin ainoastaan arviointiylilääkäriverkoston käyttöön, minkä jälkeen on käyty hintaneuvottelut lääkeyrityksen kanssa sekä tehty päätös käyttöönotosta. Sairaalalääke, jota Fimea ei ole arvioinut, on ollut mahdollista saada käyttöön myös sairaaloiden omien miniHTA-arviointien jälkeen. Joissakin tapauksissa Fimea on käynnistänyt tämän seurauksena HTA-arvioinnin, joka on mennyt arviointimenettelyn mukaisesti aina Palkoon asti. Palko on sen jälkeen tehnyt myönteisen tai kielteisen suosituksen kyseisestä valmisteesta. Tällaisia poikkeavia arviointimenettelyjä ei ole kuvattu minkään suomalaisen HTA-viranomaisen toimesta, joten lääkeyrityksen näkökulmasta prosessin eteneminen, ennustettavuus ja päätöksenteko eivät ole olleet selkeitä.

Edellä mainittujen arviointi- ja käyttöönottopojen lisäksi osa sairaalalääkkeistä, joita Fimea ei ole arvioinut, on otettu käyttöön ja sairaalan peruslääkevalikoimaan säännöllisten lääkekilpailutusten kautta, niiden kustannusten jäädessä myös sairaaloiden miniHTA-menettelyn kynnyksarvon alapuolelle.

Tarkastellessamme Palkon tekemiä suosituksia havaitsimme myös poikkeuksia yleisistä arviointimenettelyistä, joista kuvassa 11 on esitetty esimerkki. Tässä tapauksessa arviointi käynnistyi normaalin menettelyn mukaan, jossa Palkon lääkejaosto tekee suositusluonnoksen Fimean arviointiraportin jälkeen. Kuitenkin normaalista poiketen tässä

tapauksessa HUS Apteekin ja myyntiluvan haltijan hintaneuvottelut käytiin jo ennen Palkon lopullista päätöstä ja neuvottelutulos tuotiin lääkejaoston tietoon. Lisätiedon valossa lääkejaosto katsoi, ettei neuvotteluissa saavutettu tyydyttävää ratkaisua valmisteen näyttöön ja kustannuksiin liittyvän epävarmuuden hallintaan. Tämän jälkeen Palkon neuvosto teki kokouksessaan päätöksen, että valmiste ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan. Palko on suosituksessaan ilmaissut, että hintaneuvotteluvaiheen yhdistämistä suositusvalmisteluun pilotoitiin kokeiluna. Pilotin alkamisesta ei kuitenkaan oltu aiemmin virallisesti ilmoitettu. (Palko, 2024)



Kuva 11. Esimerkki tapahtuneesta poikkeusmenettelystä

6 · HTA-arvioinnin ja käyttöönoton kehittäminen

6.1 · Euroopan unionin asetus terveysteknologian arvioinneista

Tällä hetkellä jokainen EU-maa tekee myyntiluvan jälkeisen hoidollisen lisäarvon ja kustannusvaikuttavuuden arvionsa itsenäisesti, vaikkakin maiden välillä on jonkin verran myös vapaaehtoista yhteistyötä. Uudella EU:n HTA-asetuksella pyritään vähentämään päällekkäistä työtä eri tahoilla ja nopeuttamaan uusien hoitojen saamista potilaille, toteuttamalla arvioinnin kliininen osa yhteisesti EU-tasolla. (EUnetHTA, 2024)

EU:n HTA-asetus (2021/2282) hyväksyttiin joulukuussa 2021 ja sen soveltaminen aloitetaan portaittain vuodesta 2025 alkaen. Yhteisarvioinnin soveltaminen alkoi 12.1.2025 uusista syöpälääk-

keistä ja kehittyneistä terapiodoista, 13.1.2028 mukaan tulevat harvinaissairauksien lääkehoidot ja lopulta 13.1.2030 kaikki uudet lääkkeet. Yhteisarviointi koskee lääkkeitä, joille myönnetään myyntilupa keskitetyssä menettelyssä. Asetuksen tavoitteena on parantaa terveydenhuollon innovatiivisten teknologioiden kuten lääkkeiden ja tiettyjen lääkinnällisten laitteiden saatavuutta EU:ssa. Lisäksi asetuksella halutaan varmistaa resurssien tehokas käyttö ja lujittaa HTA-arvioinnin laatua koko Euroopan unionin alueella. (Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus 2021/2282)

Arvioinnin ei-kliininen osuus eli kustannusten ja taloudellisten vaikutusten arviointi sekä eettisten, oikeudellisten, sosiaalisten ja organisatoristen näkökulmien huomioiminen on jatkossakin jokaisen maan omalla vastuulla (EUnetHTA, 2024).

6.2 · Toimivan HTA-arviointi- ja käyttöönottojärjestelmän ominaisuuksia

6.2.1 · Yhtenäisyys, selkeys ja oikeudenmukaisuus

Lääkkeiden arviointi- ja päätöksentekojärjestelmän tehtävänä on varmistaa, että tehokkaat, turvalliset ja vaikuttavat lääkehoidot saadaan oikea-aikaisesti ja yhdenvertaisesti niitä tarvitsevien potilaiden käyttöön yhteiskunnalle hyväksyttävien kustannuksien. Yhdenmukainen arviointi- ja käyttöönottojärjestelmä, jossa uudet lääkkeet arvioidaan samoin perustein ja samanlaisessa prosessissa, tukee vaikuttavaa terveydenhuoltoa ja mahdollistaa kustannusvaikutavien lääkehoitojen yhdenvertaisen saatavuuden potilaille koko Suomessa. Laadukkaan ja tehokkaan arviointi- ja käyttöönottoprosessin tulee olla ennakoitava ja johdonmukainen, ja perustua selkeisiin

ja läpinäkyviin kriteereihin sekä ajantasaiseen metodologiaan. Suomen kokoisessa maassa olisi kaikkien osapuolten resurssien käytön kannalta tarkoituksenmukaista, että arvioinnin ja käyttöönottoa koskevan päätöksenteon järjestelmiä ei olisi useita rinnakkaisia, vaan osaaminen keskitettäisiin.

Yhteisölaainsäädännössä jäsenvaltioiden varsinaisia lääkkeiden hintasääntelytoimenpiteitä sekä lääkkeiden korvattavuutta rajoittavia toimenpiteitä koskee niin sanottu transparenssidirektiivi (89/105/ETY), joka edellyttää jäsenvaltioita huolehtimaan, että ”*kaikki kansalliset lainsäädäntö- tai hallintotoimenpiteet ihmisille tarkoitettujen lääkkeiden hintojen valvomiseksi tai kansallisten sairausvakuutusjärjestelmien kattamien lääkevalikoimien rajoittamiseksi ovat tässä direktiivissä säädettyjen vaatimusten mukaisia.*” Direktiivin mukaan jäsenvaltion on huolehdittava, että päätökset hakemuksista, jotka koskevat hintaa ja sairausvakuutusjärjestelmän korvaamien lääkkeiden luetteloon sisällyttämistä, tehdään ja toimite-

taan direktiivissä määriteltyjen aikarajojen mukaisesti, ja että näihin kahteen menettelyyn käytettävä kokonaisuus ei ole 180 päivää pidempi.

Direktiivi määrittelee edelleen, että *”Päätöksessä siitä, että lääkettä ei sisällytetä sairausvakuutusjärjestelmän korvaamien lääkkeiden luetteloon on oltava puolueettomien ja todennettavissa olevien arviointiperusteiden mukaiset perustelut, mukaan lukien ne asiantuntijoiden lausunnot tai suositukset, joihin päätös perustuu. Lisäksi hakijalle tulee ilmoittaa voimassa olevan lainsäädännön mukaiset muutoksenhakumahdollisuudet sekä määräajat muutoksenhauille.”* On huomattava, että EU-tasolla kansallinen ”sairausvakuutusjärjestelmä” ei rajaudu vain Suomen lääkkeiden kaksikanavaisesta rahoituksesta johtuvaan avohoidon sairausvakuutusjärjestelmään, vaan soveltamisala on laajempi.

Arviointitoiminnan oikea-aikaisuuden ja ennakoitavuuden edellytyksenä voidaan pitää hakemuskäytöisyyttä. Arviointitoiminnan ja sitä seuraavan päätöksenteon yhteydet ja vastuut tulee määritellä selkeästi. Arvioinnin objektiivisuuden säilyttäminen edellyttää sen erottamista päätöksenteosta, mutta toimintojen tulee muodostaa yhtenäinen, selkeä ja läpinäkyvä prosessi, jossa hakija on asianosaisena koko arviointi- ja käyttöönottoprosessin ajan. Laadukkaan ja kattavan arvioinnin varmistamiseksi siinä tulee hyödyntää myös klinikoiden ja potilaiden asiantuntemusta.

Prosessiin tulee sisältyä mahdollisuus arvioinnin uudelleen käynnistämiseen esimerkiksi uuden tiedon kertyessä tai hintatason muuttuessa. Transparenssidirektiivin mukaisesti tuloksena tulee olla valituskelpoinen päätös siitä, voidaanko valmiste sisällyttää julkisesti rahoitettuun lääkevalikoimaan. Potilaiden taloudellisen ja alueellisen yhdenvertaisuuden varmistamiseksi on tärkeää, että päätös on mahdollisimman pitkälle sairausvakuutusjärjestelmää ja hyvinvointialueita sitova.

Arviointi- ja käyttöönottoprosessiin tulee sisältyä myös nykyisin avohoidon lääkkeillä käytössä oleva mahdollisuus neuvotella luottamuksellisesti hakijayrityksen ja viranomaisen välillä hoidolliseen arvoon, kustannuksiin tai kustannusvaikuttavuuteen liittyvän epävarmuuden hallinnasta. Samalla

valmiuksia ja menetelmiä valmisteiden käytöstä kertyvän tosielämän tiedon (real word evidence, RWE) keräämiseksi tulee aktiivisesti kehittää.

6.2.2 · Yhtenäinen arviointi- ja päätöksenteko

Yhtenäiseen arviointi- ja päätöksentekojärjestelmään siirtymistä on suositettu mm. useissa sosiaali- ja terveysministeriön aiemmin teettämässä selvityksissä (Ruskoaho 2018; Työryhmän raportti 2023; Rajaniemi 2023). Myös nyt käsissä olevan selvityksen perusteella yhtenäinen järjestelmä, jossa arvioitaisiin sekä avo- että sairaalalääkkeet, selkeyttäisi ja tehostaisi toimintaa. Yhtenäisessä järjestelmässä arviointi perustuisi samoihin kriteereihin ja periaatteisiin valmisteiden käyttöpaikasta riippumatta, mikä mm. helpottaisi hoitovaihtoehtojen vertailuja ja yhdistelmähoitojen arviointia ja parantaisi kokonaisuuden hallintaa. Arviointitoiminnan keskittäminen yhteen osaavaan ja riittävästi resursoituun arviointielimeen olisi perusteltua myös toiminnan tehokkuuden sekä terveyden- ja sosiaalihuollon rajallisten arviointi- ja päätöksentekoresurssien tarkoituksenmukaisen kohdentamisen näkökulmasta. Kansallisella tasolla tehty päätös valmisteiden käyttöönotosta julkisesti rahoitetussa lääkevalikoimassa varmistaa myös potilaiden yhdenvertaisuuden toteutumisen, kun päätös toimeenpannaan hyvinvointialueilla.

Arviointi- ja käyttöönottojärjestelmän kehittämisessä on tunnistettava myös poikkeavat tilanteet, kuten hyvin pienten potilasryhmien käyttöön tarkoitettujen valmisteiden arvioinnin haasteet. Omia kysymyksiään liittyä myös mm. lapsipotilaiden lääkeshoidon toteuttamiseen sekä muihin potilaskoh- taitisiin tarpeisiin (näistä mm. Ruskoaho 2018).

Yhtenäiseen arviointi- ja käyttöönottojärjestelmään siirtyminen ei edellytä yksikanavaista rahoitusta.

6.2.3 · Uusien innovatiivisten hoitojen nopea käyttöönotto

EU on pyrkinyt nopeuttamaan innovatiivisten lääkkeiden myyntilupamenettelyjä, jotta erityisesti niille potilaille, joiden sairauksiin ei ole aiemmin ollut saatavilla lääkevalmisteita, saadaa uusia inno-

vatiivisia hoitoja nopeammin käyttöön. Tämän seurauksena uusille valmisteille voidaan myöntää ehdollinen myyntilupa, jonka aikana lääkeyritys tuottaa lisää tutkimusnäyttöä valmisteen tehosta ja turvallisuudesta. Uuden lääkevalmisteen hoidolliseen lisäarvoon, budjettivaikutukseen tai kustannusvaikuttavuuteen mahdollisesti liittyvästä epävarmuudesta johtuvaa riskiä voidaan jakaa erilaisten hallitun käyttöönnoton sopimusten avulla. Alkuvaiheessa kustannusvaikuttavuuteen liittyvän riskin jakaminen maksajan ja lääkeyritysten välillä erilaisten riskienjakosopimusten avulla mahdollistaa uuden lääkkeen käytöstä kertyvään tosielämän tietoon (RWE) perustuvan näytön keräämisen sekä valmisteen vaikuttavuutta koskevan lisänäytön saamisen. Jotta uudet ja innovatiiviset ehdollisen myyntiluvan saaneet lääkkeet saataisiin tehokkaasti käyttöön potilaiden hoidossa osana korvausjärjestelmää tai kansallista palveluvalikoimaa, on tärkeää kehittää myös riskijakosopimusten laatimiseen liittyvää osaamista osapuolten välillä ja kehittää niiden toteuttamista tukevaa tietopohjaa.

Tarkastelimme raporttia laatissamme myös vuosien 2020–2022 aikana myyntiluvan saaneiden, joko ehdollisen korvattavuuden piirissä olevien tai Palkon arvioimien lääkevalmisteiden myyntilupadokumentaatioita. Vuosien 2020–2022 aikana myyntiluvan saaneista valmisteista Hila oli hyväksynyt korvattavaksi 41 lääkevalmistetta, joista 20 sai ehdollisen korvattavuuden, kun taas Palko oli ottanut arvioonsa 23 lääkevalmistetta, joista 11 hyväksyttiin ehdollisesti kansalliseen palveluvalikoimaan.

Palkon suosituksia tarkastellessa havaittiin, että Palko oli omassa arvioinnissaan ottanut kantaa myös lääkkeen tehoon ja turvallisuuteen. Palkon suositusprosessiin tulleet lääkevalmisteet ovat saaneet myyntiluvan Euroopan lääkeviraston (EMA) keskitetyn menettelyn kautta. EMAn tehtävänä on vastata ihmisille tarkoitettujen lääkevalmisteiden tieteellisestä arvioinnista, valvonnasta ja turvallisuusseurannasta koko EU:n alueella. Täyttääkseen myyntiluvan edellytykset lääkevalmisteen on oltava tehokas, turvallinen ja laadultaan hyväksyttävä. Myös ehdollisen myyntiluvan myöntäminen edellyttää, että EMA on arvioinut lääkkeen hyöty-riskisuhteen olevan positiivinen. Lisäksi ehdollisen myyntiluvan myöntä-

minen edellyttää, että lääke täyttää tyydyttämätön lääketieteellisen tarpeen ja että lääkkeen välittömän saatavuuden hyöty potilaille on suurempi kuin riski, joka johtuu siitä, että lisätietoja tarvitaan vielä. Lääkevalmisteiden seuranta jatkuu myös myyntilupien voimassaoloaikana, ja erityisesti turvallisuutta koskeva tieto tarkentuu käytettäessä lääkettä suurille potilasjoukoille. Myyntilupa tehdään tarvittaessa muutoksia uusien tietojen mukaisesti. Jos lääkevalmisteen käytössä ilmenee turvallisuushuolia, voidaan käyttöehtoja rajoittaa tai lisätä muita turvallisuustoimia. (EMA ehdollinen myyntilupa, 2024) Ottaen huomioon Euroopan lääkeviraston käytävissä olevat arviointiresurssit ja arviointiin käytävissä olevan dokumentaation laajuuden, ei voida pitää tarkoituksenmukaisena toistaa kansallisesti valmisteen tehoon ja turvallisuuteen liittyvää arviointia, vaan kansallisen arvioinnin tulisi keskittyä suhteellisen vaikuttavuuden ja terveystaloudellisten vaikutusten arviointiin.

Tiedot myyntilupadokumentaatioissa esitetyistä teho- ja turvallisuutta tukevista tutkimuksista on saatu EMA:n sivuilta lääkevalmisteiden julkisesti saatavilla olevista myyntilupadokumentaatioista. EMA:an toimitetun myyntilupadokumentaation perusteella yli puolessa hakemuksista ehdollisen korvattavuuden saaneiden lääkevalmisteiden näyttö valmisteen tehoon ja turvallisuuden osalta perustui lumekontrolloituihin tutkimuksiin. Lopuissa hakemuksissa esitettiin yksihaaraisia tutkimuksia tai verrattiin uutta lääkevalmistetta hoitolinjan muihin hyväksyttyihin lääkevalmisteisiin. Sairaala- ja valmisteiden osalta suurin osa tutkimuksista oli yksihaaraisia tai niissä oli mukana vertailuhoido, ja lumekontrolloituja tutkimuksia oli esitetty vähiten. Sairaala- ja valmisteiden osalta myyntilupadokumentaatioissa ilmoitettuja tutkimuksia sekä myyntiluvan haltijan toimittamia muita tutkimuksia tai epäsuoria vertailuja on käytetty pohjana lääkevalmisteiden vaikuttavuuden selvittämiseen Fimea–Palko–arviointiprosessissa. Lääkkeiden hintalautakunnalle toimitetut hakemukset eivät ole julkisesti saatavilla, joten ne jätettiin tämän selvityksen ulkopuolelle. Tämän vuoksi ehdollisesti korvattavien valmisteiden osalta ei ole tiedossa, mitä muuta taustatietoa tai lisätutkimuksia myyntiluvan haltija on toimittanut hakiesaan lääkevalmistelleen korvattavuutta Hilasta.

Koska hakemukset eivät ole julkisesti saatavilla, on hankala tehdä johtopäätöksiä siitä, miten Hilan ja Palkon arviointimenettelyt eroavat esimerkiksi vaadittujen kliinisten tutkimusasetelmien tai tutkimusten teho- ja turvallisuustietojen osalta.

6.2.4 · Jatkuva kehittäminen ja kansainvälinen yhteistyö

Uusien käyttöön otettujen lääkevalmisteiden hoitotulosten systeeminen seuraaminen ja niistä saadun RWE:n hyödyntäminen on jatkossa aiempaakin tär-

keämpää esimerkiksi valmisteiden käytön kohdentamiseksi siitä eniten hyötyville, käytön ehtojen päivittämiseksi tai tarvittaessa käytöstä luopumispäätösten tueksi. Uusien terveysteknologioiden ja arviointimetodologian kehittymisen vuoksi on tärkeää, että myös arviointi- ja käyttöönottojärjestelmän toimintaa pystytään arvioimaan ja pitämään ajantasaisena. Osallistuminen kansainväliseen yhteistyöhön mahdollistaa Suomen pysymisen eurooppalaisen arviointimenettelyjen kehityksen mukana, mikä edesauttaa uusien lääkeinnovaatioiden käyttöönottoa Suomessa muun Euroopan tahtiin.

7 · Yhteenveto ja johtopäätökset

7.1 · Yhteenveto

Aiempien sosiaali- ja terveysministeriön teettämien selvitysten havainnot on kiteytetty STM:n lääkkeiden arviointitoiminnan uudistamista valmistelevan työryhmän asettamispäätöksessä, jonka mukaan aiemmissa selvityksissä ratkaisuiksi on esitetty arviointitoiminnan toteuttamista keskitetysti kansallisella tasolla, avo- ja sairaalalääkkeiden arviointia koskevien periaatteiden ja menettelyjen lähentämistä tai yhdenmukaistamista sekä lääkkeiden käytön päätöksenteon sitovuuden parantamista. Selvityksissä on myös todettu, että lääkkeiden järkevä käyttö ja kustannusten hillintä edellyttävät, että parhaiden hoitokäytäntöjen mukaisen lääkehoidon toteuttamista seurataan, ja käytössä olevien lääkkeiden arviointeja päivitetään tarvittaessa. Lääkkeiden käytöstä kertyvää tosielämän tietoa (RWE) tulisi myös pystyä hyödyntämään nykyistä paremmin. (Asettamispäätös: lääkkeiden arviointitoiminnan uudistamista valmisteleva työryhmä, VN/7478/2024)

Tässä selvityksessä keskityimme tarkastelemaan, miten järjestelmän haasteet näyttäytyvät erityisesti

lääketeollisuuden ja potilaiden näkökulmasta. Selvityksessä hyödynnettiin julkisista lähteistä saatavilla olevia lääkkeiden arviointiraportteja ja -tietoja, lääkkeiden myyntiaineistoa sekä Hilaan saapuneista hakemuksista kerättyä aineistoa. Selvityksessä havaittiin, että sairaalalääkkeiden arviointi- ja käyttöönottoprosessi on tällä hetkellä hidas ja ajallisesti selkeästi pidempi kuin avohoidon lääkkeiden (vaihteluväli 10,5–26,6 kk vs. 3,9–6,0 kk). Lisäksi nykyisessä järjestelmässä ei ehditä arvioimaan kaikkia tarvittavia sairaalalääkkeitä tai niiden käyttötarkoituksia, ja monimutkaisen ja epäjatkuvan prosessin vuoksi välillä on jouduttu turvautumaan myös normaaliprosessista poikkeaviin arviointimenettelyihin. Tämänhetkinen järjestelmä vaikeuttaa myös poikkeuksellisten lääkehoitojen, kuten yhdistelmähoitojen, käyttöönottoa. Nämä havainnot ovat saman suuntaisia aikaisempien sosiaali- ja terveysministeriön tekemien selvitysten kanssa. Epäselvä, ennalta arvaamaton ja paikoittain hidas järjestelmä voi jopa estää tai hidastaa uusien lääkkeiden saamisen potilaiden käyttöön.

7.2 · Johtopäätökset ja toimenpide-ehdotukset

Aiemmat ja tämän selvityksen tulokset osoittavat selvästi, että nykyiset hajanaiset HTA-arviointi- ja käyttöönottojärjestelmät tarvitsevat yhtenäistämistä, jotta uudet innovatiiviset hoidot voidaan ottaa käyttöön potilaiden hoidossa nopeasti ja tasa-arvoisesti, riippumatta hoidon antotavasta. Seuraavaksi esitetyillä toimenpide-ehdotuksilla voitaisiin parantaa järjestelmän tehokkuutta ja lisätä sen oikeudenmukaisuutta niin potilaiden ja terveydenhuollon ammattilaisten kuin myyntiluvanhaltijoidenkin kannalta sekä edistää kustannusvaikuttavien hoitojen käyttöönottoa, mikä lisäisi potilaiden terveyshyötyä ja elämänlaatua.

Toimenpide-ehdotukset arviointi- ja käyttöönottojärjestelmän kehittämiseksi

Yhtenäinen arviointi- ja päätöksentekojärjestelmä

Lääkkeiden arviointi- ja päätöksentekojärjestelmän tulee tukea tehokkaiden, turvallisten ja vaikuttavien lääkehoitojen saamista oikea-aikaisesti ja yhdenvertaisesti niitä tarvitsevien potilaiden käyttöön yhteiskunnalle hyväksyttävien kustannuksin.

Yhtenäinen järjestelmä, jossa arvioidaan sekä avo- että sairaalalääkkeet, selkeyttää ja tehostaa arviointitoimintaa. Arvioinnin tulee perustua samoihin kriteereihin ja periaatteisiin riippumatta valmisteen käyttöpaikasta. Arviointiprosessin vaiheet, toimijat ja enimmäiskäsittelyajat on syytä määritellä selkeästi. Arviointitoiminnan keskittäminen yhteen osaan ja riittävästi resursoituun arviointielimeen on perusteltua toiminnan tehokkuuden, resurssien tarkoituksenmukaisen kohdentamisen ja laadukkaan päätöksenteon edistämiseksi. Yhtenäiseen arviointijärjestelmään siirtyminen ei edellytä yksikana-vaista lääkerahoitusta.

Selkeys ja oikeudenmukaisuus

Arviointi- ja käyttöönottoprosessin on oltava ennakoitava, johdonmukainen ja perustuttava selkeisiin, läpinäkyviin ja kohtuullisiin kriteereihin sekä ajantasaiseen metodologiaan, EU:n transparenssidirektiivin vaatimukset huomioiden. Arviointityön tulee olla riippumatonta, ja arvioinnin tukea päätöksentekoa. Prosessin tuloksena tulee olla julkinen ja valituskelpoinen päätös. Arviointia tulee myös voida hakea uudelleen esimerkiksi uuden tiedon kertyessä.

Hakemuslähtöisyys on arviointitoiminnan oikea-aikaisuuden edellytys. Hakemuserusteinen prosessi, jota tukee avoin kommunikaatio prosessin osapuolten välillä sen aikana, mahdollistaa osapuolten aktiivisen osallistumisen läpi koko prosessin ja sitä kautta ratkaisujen löytämisen. Sairaalalääkkeiden osalta Fimean pilotti hakemukseen perustuvasta arvioinnin käynnistämisestä on hyvä esimerkki ennakoitavuuden paranemisesta. Prosessissa tulee hyödyntää jo aikaisessa vaiheessa myös potilaiden ja klinikoiden asiantuntemusta, jolloin saatu palaute voidaan ottaa huomioon päätöksen valmistelussa. Poikkeavat tilanteet, kuten yhdistelmähoitojen ja hyvin pienten potilasryhmien käyttöön tarkoitettujen valmisteiden arvioinnin haasteet, tulee tunnistaa ja huomioida järjestelmän kehittämisessä.

Resurssien tehokas hyödyntäminen

Lääkkeiden tehon ja turvallisuuden arvioinnista vastaavat myyntilupaviranomaiset, joiden työ muodostaa perustan arvioinnista ja käyttöönotosta vastaavien viranomaisten toiminnalle. HTA-arvioinnin tai käyttöönottopäätöksen yhteydessä ei ole tarpeen uudelleenarvioida tehoa ja turvallisuutta.

Uusien terveysteknologioiden ja arviointimetodologian kehityksen vuoksi arviointijärjestelmän toimintaa on arvioitava ja pidettävä ajantasaisena. Kansainväliseen yhteistyöhön osallistuminen mahdollistaa Suomen pysymisen eurooppalaisen arviointimenetelyjen kehityksen mukana ja edesauttaa uusien lääkinnovaatioiden käyttöönottoa Suomessa.

Arvioinnin jälkeen kansallisella tasolla tulee tehdä mahdollisimman sitova päätös siitä, millä edellytyksillä lääke voidaan sisällyttää julkisesti rahoitettuun lääkevalikoimaan. Tämä voi tarkoittaa joko sairausvakuutuksen lääkekorvausjärjestelmää tai hyvinvointialueiden järjestämisvastuulla olevien sairaaloiden lääkevalikoimaa. Mahdollisesti tarvittavan hyvinvointialueen erillisen hankintapäätöksen tulee perustua kansalliseen käyttöönottopäätökseen, jotta potilaiden yhdenvertainen kohtelu eri alueilla toteutuu.

Riskienjakosopimusten käyttö tukee uusien innovatiivisten hoitojen saamista potilaille

Järjestelmässä tulee olla mahdollisuus neuvotella luottamuksellisesti lääkeyrityksen ja viranomaisen välillä valmisteiden hoidolliseen arvoon, kustannuk-

siin tai kustannusvaikuttavuuteen liittyvän epävarmuuden hallinnasta. Neuvotteluihin perustuvat hallitun käyttöönoton sopimukset voivat olla joko taloudellisia tai vaikuttavuusperusteisia.

Tosielämän tiedon hyödyntäminen

Riskinjakosopimusten tehokas hyödyntäminen edellyttää myös niitä tukevan tosielämän tietoa (RWE) tuottavan tietopohjan jatkuvaa kehittämistä. Uusien käyttöönotettujen lääkevalmisteiden hoitotulosten systeminen seuraaminen ja niistä saadun tosielämän tiedon hyödyntäminen on tärkeää lääkkeiden käytön optimaaliseksi kohdentamiseksi ja julkisista varoista rahoitetun lääkkeiden käytön ehtojen päivittämiseksi.

Lähteet

Antikainen T, Kinnunen K, Koivuviita N, Marttila-Vaara M, Pakarinen S, Parkkila AK, Liinamaa J, Linna M & Jauhonen HM. Uuden syöpälääkkeen hyväksymisprosessi ja käyttöönotto. Lääketieteellinen Aikakauskirja Duodecim 2024;140(21):1798–804.

Bertram MY, Lauer JA, De Joncheere K, Edejer T, Hutubessy R, Kieny MP & Hill SR. Cost-effectiveness thresholds: pros and cons. Bull World Health Organ. 2016; 94 (12):925-930.

EMA. Human regulatory: overview. 2024. Verkkosivu. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview>

EMA ehdollinen myyntilupa. 2024. Verkkosivu. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/marketing-authorisation/conditional-marketing-authorisation>

EUnetHTA. 2024. Verkkosivu. <https://www.eunetha.eu>

Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus. Terveysteknologian arvioinnista ja direktiivin 2011/24/EU muuttamisesta. 2021/2282. Saatavilla sähköisesti osoitteessa: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/FI/ALL/?uri=CELEX%3A32021R2282>

Fimea. 2024. Verkkosivu. <https://fimea.fi/etusivu>

Fimea. Uusien sairaalalääkkeiden arviointi. 13.8.2024. Saatavilla sähköisesti osoitteessa: <https://fimea.fi/documents/147152901/159465524/Sairaalalääkkeiden+arviointiprosessi+2024.pdf/66644fa4-173f-2851-6237-05f030b731b2/Sairaalalääkkeiden+arviointiprosessi+2024.pdf?t=1724735580766>

FinCCHTA. 2024. Verkkosivu. <https://oys.fi/fincchta/>

Hallituksen esitys 129/2024. Saatavilla sähköisesti osoitteessa: <https://www.finlex.fi/fi/esitykset/he/2024/20240129>

Hila. 2024. Verkkosivu. <https://www.hila.fi>

HTA-opas. Versio 1.1. Helsinki: Suomalainen Lääkäriseura Duodecim, 2017.

Huttu M, Klintrup K, Kurko T & Koskinen H. Syöpälääkkeiden käyttöönotossa on alueellisia eroja. Dosis. 2024; 40 (3):240-255.

JNHB. 2024. Verkkosivu. <https://jnhtabodies.org/about/>

JNHB–NED Collaboration. 2024. Saatavilla sähköisesti osoitteessa: <https://jnhtabodies.org/media/1j4badtw/jnhb-ned-collaboration-june-2024.pdf>

Kela. Mitä Kelassa tehdään Hilan päätöksen jälkeen?. Vierailtu 2024. Saatavilla sähköisesti osoitteessa: <https://www.kela.fi/tietoa-kelasta-laakeyriytkset-laake-sai-korvattavuuden>

Kiviniemi V & Rannanheimo P. Lääkehoitojen kustannusvaikuttavuuden arviointi: perusteista käytäntöön. Lääketieteellinen Aikakauskirja Duodecim 2020; 136 (2):184-191.

Laki sairausvakuutuslain muuttamisesta 932/2024. Saatavilla sähköisesti osoitteessa: <https://www.finlex.fi/fi/laki/alkup/2024/20240932>

Lääkelaki 395/1987. Saatavilla sähköisesti osoitteessa: <https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/1987/19870395>

Lääkkeet ja apteekkitalous -hanke.3.6.2024. Verkkosivu. <https://stm.fi/laakeasioiden-uudistus>

Palko. Palkon käsikirja. 2024. Verkkosivu. <https://palveluvalikoima.fi/periaatteet>

Palkon käyttöaiheen laajennus. 2024. Verkkosivu. <https://palveluvalikoima.fi/-/palko-aloittaa-pilotin-suositusten-antamiseksi-laakkeiden-indikaation-laajennuksista>

Pelkonen L, Rannanheimo P, Anttila VJ, Komulainen J, Koskinen H, Leipälä J, Mäntyranta T, Närhi U, Oravilahti T, Puumalainen T, Tamminen N, Tahvanainen H & Turpeinen M. Miten lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi tulisi järjestää Suomen sosiaali- ja terveydenhuollossa. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita. 2017:31.

Rajaniemi S. Lääkehoidon ohjauksen kehittäminen. Selvitys henkilön raportti. 2023. Saatavilla sähköisesti osoitteesta: https://valtioneuvosto.fi/documents/1271139/2013549/Selvitys+SR+15.1.23_final.pdf/000f9c8b-159b-5c32-5874-4c204a9c610f/Selvitys+SR+15.1.23_final.pdf?t=1675761745353

Ruskoaho H. Lääkekorvausjärjestelmän kehittäminen. Selvityshenkilön loppuraportti. 2018. Saatavilla sähköisesti osoitteesta: https://julkaisut.valtioneuvosto.fi/bitstream/handle/10024/160908/STM_20_Laakekorvausjarjestelman_kehittaminen_WEB.pdf?sequence=1&isAllowed=y

Sairausvakuutuslaki 1224/2004. Saatavilla sähköisesti osoitteessa: <https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/2004/20041224>

Sosiaali- ja terveysministeriö. Asettamispäätös: lääkkeiden arviointitoiminnan uudistamista valmisteleva työryhmä. VN/7478/2024. 15.2.2024. Saatavilla sähköisesti osoitteesta: https://stm.fi/documents/1271139/198978037/Asettamispäätös_laakkeiden_arviointitoiminta_STM_2024.pdf/e3f0af6a-320d-d88a-d268-e7dea7330d27/Asettamispäätös_laakkeiden_arviointitoiminta_STM_2024.pdf?t=1716464399806

Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita. Lääkehoidon ohjaus ja rahoitus: Kehittämisen suuntaviivat. 2023:15. Saatavilla sähköisesti osoitteesta: https://julkaisut.valtioneuvosto.fi/bitstream/handle/10024/164814/STM_2023_15_rap.pdf?sequence=11&isAllowed=y

Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita. Sairaалalääkkeiden arviointitoiminnan kehittäminen. Työryhmän raportti. 2023:15. Liite 2. Saatavilla sähköisesti osoitteesta: https://julkaisut.valtioneuvosto.fi/bitstream/handle/10024/164814/STM_2023_15_rap_LIITE%202.pdf?sequence=3&isAllowed=y

Terveystenhoitolaki 1326/2010. Saatavilla sähköisesti osoitteessa: <https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/2010/20101326>

Valtioneuvoston julkaisuja. Vahva ja välittävä Suomi, Pääministeri Petteri Orpon hallituksen ohjelma. 58/20.6.2023. Saatavilla sähköisesti osoitteessa: <https://valtioneuvosto.fi/hallitukset/hallitusohjelma/#/>

[illegible]

[illegible]



MedEngine Oy

Eteläranta 14 · 00130 Helsinki

☎ 029 170 1101