




Selvitys uusien lääkehoitojen vaikuttavuusperusteisista rahoitusmalleista

- Katsaus kansainvälisiin kokemuksiin ja ehdotus rahoitusmallien käyttöönotosta Suomessa

Janne Martikainen
Professori (lääketaloustiede)
Vastuuprofessori (UEF Vaikuttavuuden talo)
Itä-Suomen yliopisto
 @JaMartikainen

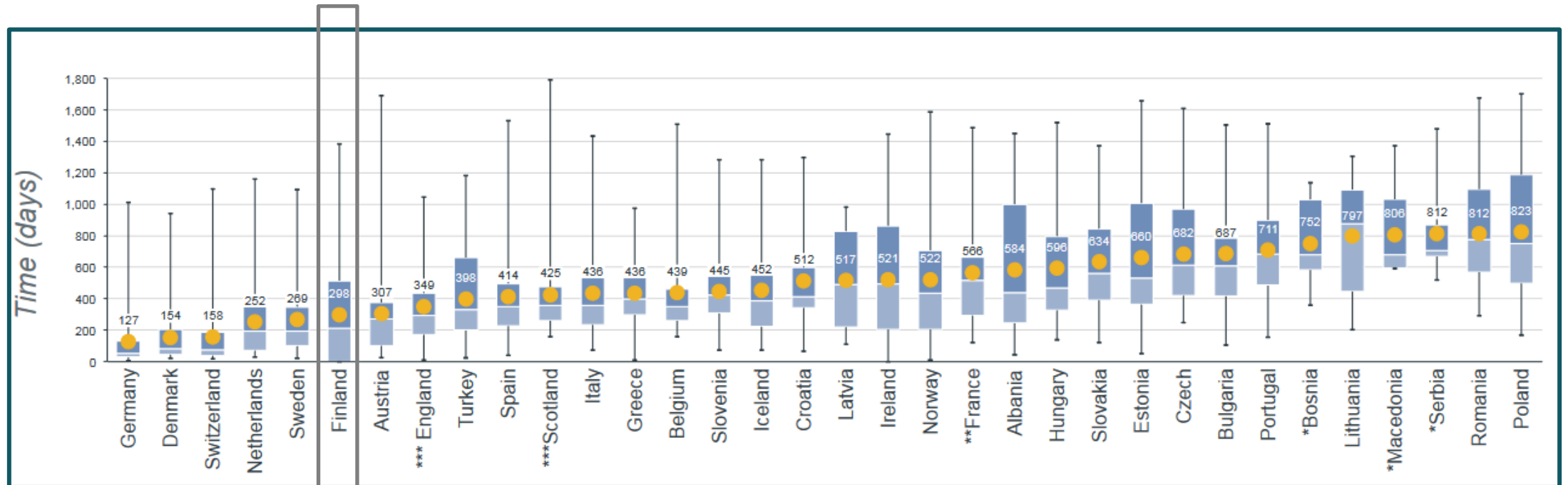


Keskeiset käsitteet

- Tässä esityksessä käytetyillä termeillä tarkoitetaan seuraavia asioita
 - **Vaikuttavuus**
 - Hoidolla aikaansaatu vaikutus normaaliolosuhteissa valikoimattomassa potilasjoukossa. Vastataan kysymykseen: toimiiko hoito käytännössä?
 - **Kustannusvaikuttavuus**
 - Hoidolla aikaansaatu lisäterveyshyötyjen suhde sen käytöstä aiheutuviin lisäkustannuksiin verrattuna muihin käytössä oleviin hoitoihin. Vastataan kysymykseen: kannattaako hoito?
 - **Innovatiiviset rahoitusmallit**
 - Yleisnimitys vaikuttavuusperusteisille rahoitusmalleille, joiden avulla pyritään jakamaan riskiä ja vähentämään epävarmuustekijöitä hoitojen kustannuksiin ja vaikuttavuuteen liittyen. Malleihin voi liittyä myös ominaisuuksia, joilla pyritään ajallisesti tasaamaan (useammalle vuodelle) hoitojen käyttöönoton aiheuttamia budjettivaikutuksia.
 - **Vaikuttavuusperusteiset rahoitusmallit**
 - Vaikuttavuusperusteiset rahoitusmallit, joiden avulla pyritään jakamaan riskiä ja vähentämään epävarmuustekijöitä hoitojen kustannuksiin ja vaikuttavuuteen liittyen. Rahoitusmallit eivät tyypillisesti sisällä budjettivaikutusta tasaavia komponentteja.
 - **Vaikuttavuusperusteiset annuiteettirahoitusmallit**
 - Vaikuttavuusperusteiset rahoitusmallit, joiden avulla pyritään **sekä** jakamaan riskiä hoitojen kustannuksiin ja (arki)vaikuttavuuteen liittyen **että** tasaamaan hoidon korkeita etupainotteisia kustannuksia useammalle vuodelle.
 - **Vaikuttavuusperusteiset väestötason rahoitusmallit**
 - Vaikuttavuusperusteiset rahoitusmallit, joissa budjettikauden ylittävä ehkäisevätoiminta mahdollistetaan esim. pääomamarkkinoilta saatavalla riskirahoituksella (rahastomalli). Maksaja maksaa ainoastaan saavutetuista vaikutuksista tai jakaa osan syntyneistä säästöistä palveluntuottajan/rahaston kanssa (säästönjakamismalli).

Selvityksen taustaa

Uusien lääkkeiden saatavuuteen* kuluva keskimääräinen aika Euroopan maissa 2015-2018

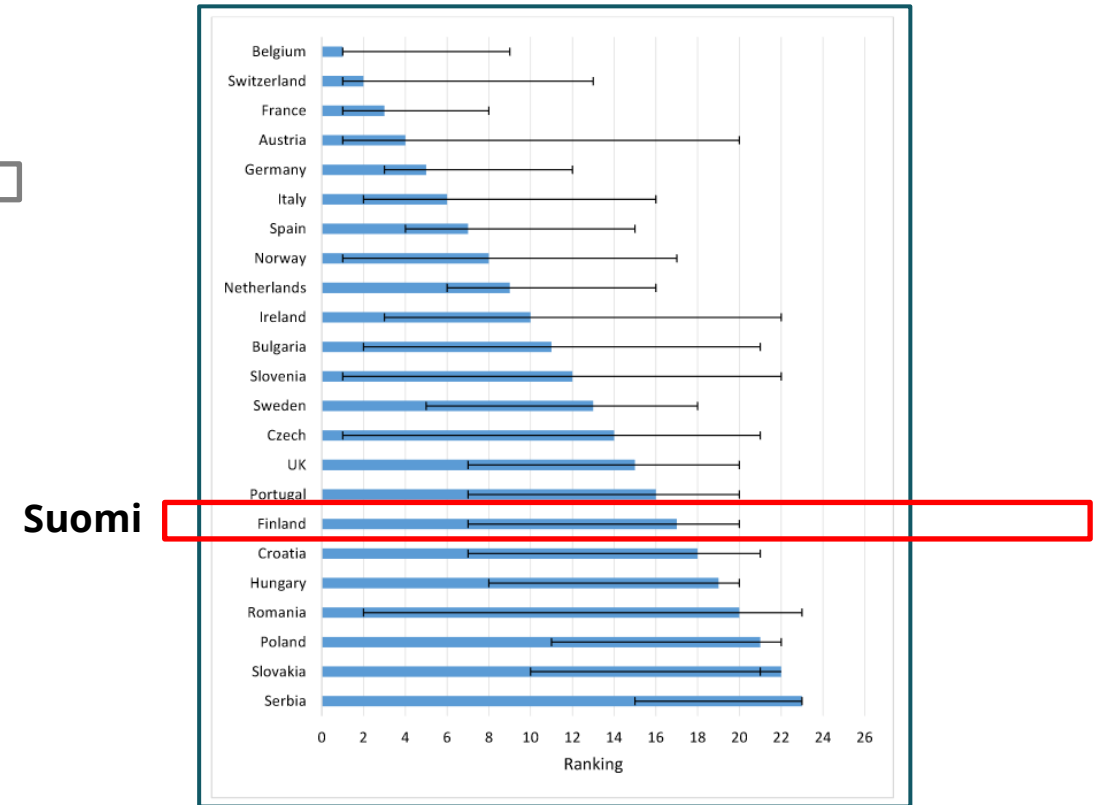
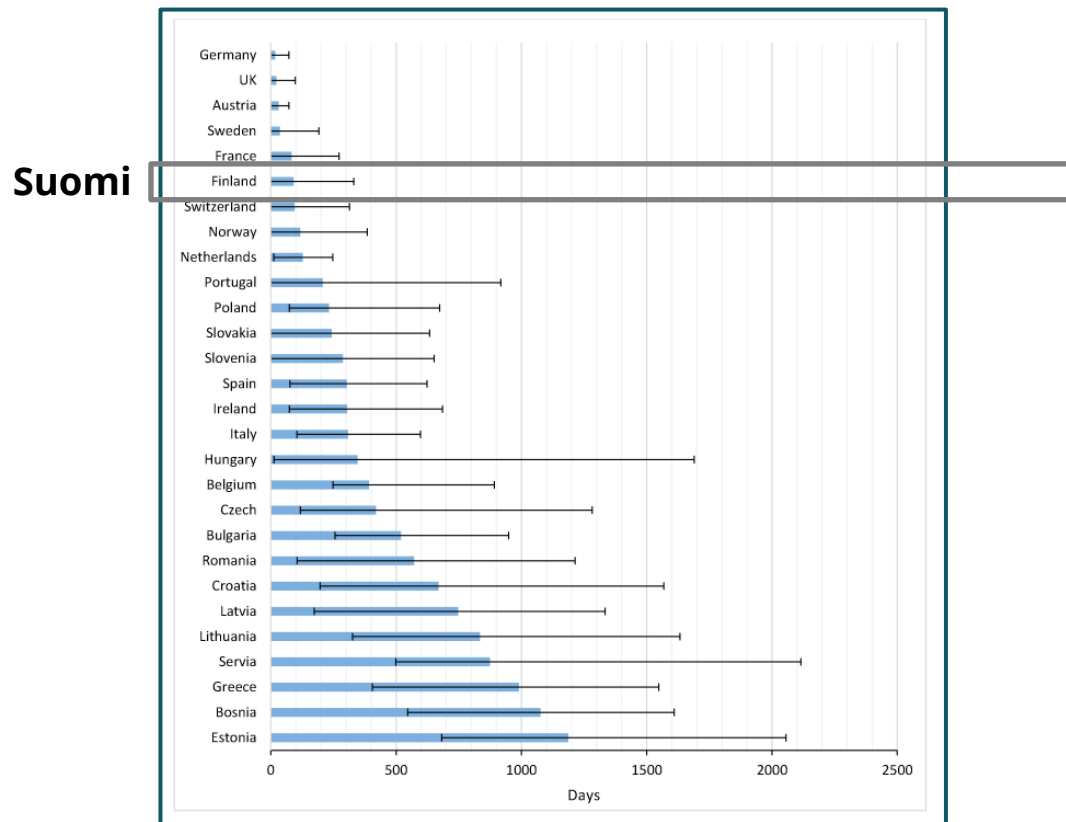


(EFPIA W.A.I.T. indicator 2019 Survey/ Time to availability)

* Lääke on markkinolla ja korvattuna potilaille joko normaalin korvausjärjestelmän tai ehdollisen korvattavuuden kautta TAI käytössä sairaaloissa

Uusien syöpälääkkeiden saatavuus ja käyttöönoton nopeus eri Euroopan maissa 2011-2018

- Tutkimus uusien syöpälääkkeiden (n=12) käyttöönotosta Euroopan maissa (n=28) vuosina 2011-2018 (Uyl-de Groot et al. 2020)
- Uusien syöpälääkkeiden (n=12) hyväksyntä ja käyttöönoton nopeus Euroopan eri maissa



Esimerkkejä käyttöönottoviiveen aiheuttamasta potentiaalisten elinvuosien menetyksestä (PYLL) Suomessa

- Esimerkkinä käyttöönottoviiveen aiheuttama potentiaalisten elinvuosien menetys (PYLL) edenneen eturauhassyövän (A) ja melanooman (B) hoidon osalta Suomessa EMA:n myyntiluvan saamisen jälkeen (Uyl-de Groot et al. 2020)

A: abirateroni (Zytiga)

B	Number of Prostate Cancer Deaths in 2012 *	Number of Patients Need Abiraterone (80%)	Perc. Patients not Treated 1 Year after EMA Approval	Number of Patients Not Treated	Number of Lost Life Years after EMA Approval	Number of Lost Life Years between FDA-EMA Approval **	Total Number of Lost Life Years due to Delay
Austria	1238	990	63%	626	204	115	318
Belgium	1513	1210	96%	1157	376	140	516
Bulgaria	959	767	100%	767	249	89	338
Croatia	780	624	100%	624	203	72	275
Czech Republic	1693	1354	100%	1354	440	157	597
Estonia	268	215	100%	215	70	25	95
Finland	914	731	99%	721	234	85	319

Myyntiluvan jälkeisen käyttöönottoviiveen aiheuttama potentiaalisten elinvuosien menetys Suomessa:

B: ipilimumabi (Yervoy)

A	Number of Melanoma Deaths in 2012 *	Number of Patients Need Ipilimumab (80%)	Perc. Patients not Treated 1 Year after EMA Approval	Number of Patients Not Treated	Number of Lost Life Years after EMA Approval	Number of Lost Life Years between FDA-EMA Approval **	Total Number of Lost Life Years due to Delay
Austria	385	308	53%	163	50	31	81
Belgium	315	252	89%	225	69	26	95
Bulgaria	161	129	100%	129	40	13	53
Croatia	188	150	100%	150	46	15	62
Czech Republic	463	370	100%	370	114	38	152
Estonia	55	44	100%	44	14	4	18
Finland	222	178	92%	164	50	18	68

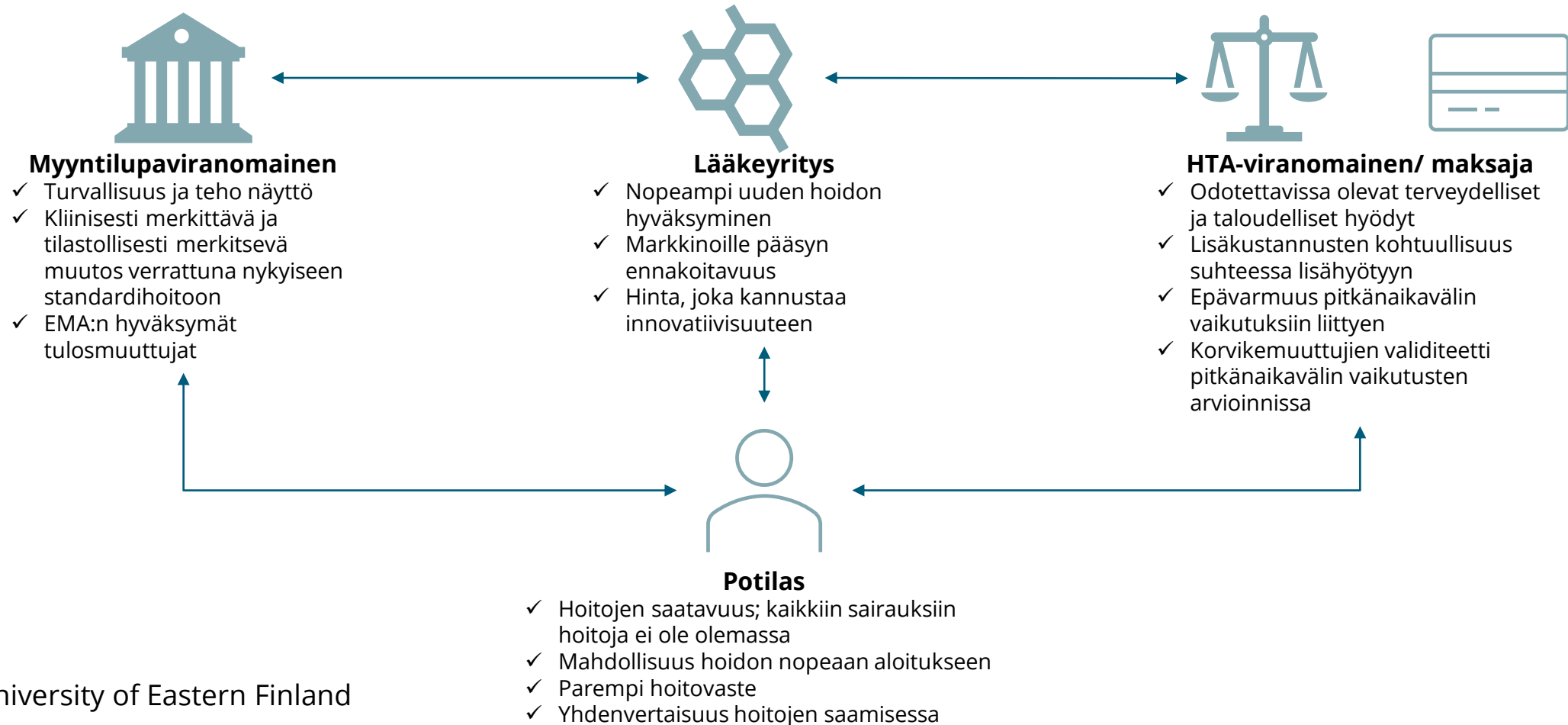
Abirateroni: **234 vuotta**

Ipilimumabi: **50 vuotta**



Tarpeet, epävarmuus ja käyttöönoton nopeuteen vaikuttavia tekijöitä

Eri sidosryhmien tarpeita ja epävarmuustekijöitä:





Vaikuttavuusperusteiset rahoitusmallit uusien hoitojen käyttöönoton tukena

Vaikuttavuusperusteiset rahoitusmallit tarjoavat riskinjakoratkaisuja, kun epävarmuutta liittyy esimerkiksi

- ✓ klinisiin vaikutuksiin
- ✓ taloudellisiin vaikutuksiin (esim. hoidon aiheuttamat lisä- tai kokonaiskustannukset)
- ✓ kustannusvaikuttavuuteen

Vaikuttavuusperusteisiin rahoitusmalleihin voidaan liittää myös muita ominaisuuksia, jos kyse on esim. uuden hoidon käyttöönottoon liittyvästä korkeasta etupainotteisesta budjettivaikutuksesta (esim. geeniterapiat). Näissä tilanteissa kustannusten tasaamiseksi vaikuttavuusperusteisiin rahoitusmalleihin voidaan liittää tasaerä- eli annuiteettimaksuominaisuuksia, joiden avulla kustannustaakkaa voidaan jakaa vaikuttavuusperusteisiin vuosimaksuihin.



Sopimuksen perusmekanismi

- ✓ Potilaspopulaation määrittäminen
- ✓ Vaikuttavuusmittarin määrittäminen
- ✓ Aikahorisontin määrittäminen



Vaikuttavuusindikaattoreiden seuranta

- ✓ Potilaspopulaatiotaso (esim. osuus potilaista, jotka hoitotavoitteessa)
- ✓ Potilastaso (esim. potilaan PFS-aika)



Vaikuttavuuden todentaminen

- ✓ Ennakkoon määritetyt kriteerit ja kynnsarvot

Asetetun vaikuttavuus-tavoitteen saavuttaminen:

Kyllä: sopimuksen mukainen maksu

Ei: sopimuksen mukainen alennus/hyvitys

Kansainvälisiä esimerkkejä innovatiivisista rahoitusmalleista



Pay-for-Success -esimerkki (1)

- Maksu asetetun hoitotavoitteen saavuttamiseen pohjautuen

- **Sovellusympäristö: avohoito**
- Rahoitusmallin sopijaosapuolet (2016)
 - Cigna (US)
 - Amgen (Repatha)
 - Sanofi/Regeneron (Praluent)
- Kaksi itsenäistä vaikuttavuusperusteista rahoitussopimusta samalla hoitotavoitteella
 - LDL-kolesterolin (LDL-C) hoitotavoitteen saavuttaminen korkean riskin CVD-potilailla, joilla hoitotavoitetta ei ole saavutettu elintapaohjauksella ja korkeimmalla siedetyllä annoksella kolesterolilääkettä (statiini)
- Rahoitussopimusten perusmekanismi
 - Elleivät potilaat saavuta vähintään samaa LDL-C:n alenemaa kuin mitä RCT-tutkimuksissa on havaittu lääkeyritykset tarjoavat alennusta lääkkeidensä hinnoista
 - Hoitotavoitteen saavuttaneilla tai sen ylittäneillä potilailla lääkkeiden hinnat pysyvät samalla sovitulla alkuperäisellä tasolla
- RWD-datan kerääminen osana rahoitussopimusta
 - Hoitojen laaja-alaisten vaikutusten tutkiminen (Cigna) kohdepopulaatiossa EHR- ja lääkekorvaustietojen perusteella

Rahoitusmalli tiivistetysti:

- **Mallin yleiskuvaus:**
 - ✓ "Tuotetakuu"-tyyppinen rahoitussopimus, jossa hoidon lopullinen hinta määräytyy hoitotavoitteen saavuttamisen perusteella
 - ✓ "Terapia-alue"-näkökulma, jossa useammalle ko. terapia-alueen hoidolle tehdään perusmekanismiltaan samanlaiset rahoitussopimukset
- **Epävarmuus, jota pyritään hallitsemaan:**
 - ✓ Hoidon vaikuttavuus RW-olosuhteissa
- **Vaatimukset:**
 - ✓ Selkeästi määriteltävissä oleva potilaspopulaatio
 - ✓ Lyhyellä aikavälillä mitattavissa oleva vaikuttavuusindikaattori
 - ✓ Pääsy asiakas- ja potilastietoaineistoihin vaikuttavuuden todentamiseksi
 - ✓ Olemassa oleva maksu- / hyvitysjärjestelmä



Pay-for-Success -esimerkki (2)

-Maksu asetetun hoitotavoitteen (yhdistelmäindikaattori) saavuttamiseen pohjautuen

- **Sovellusympäristö: avohoito**
- Rahoitusmallin sopijaosapuolet (2017)
 - Harvard Pilgrim (US)
 - Amgen
- Vaikuttavuusperusteinen rahoitusmalli keskivaikean ja vaikean nivelreuman biologisessa lääkähoidossa (Enbrel)
- Rahoitussopimusten perusmekanismi
 - Kaksi vuotinen sopimus
 - Vaikuttavuusmittarina **komposiittimittari**
 - Komposiittimittarin osatekijät 1) hoitoon sitoutumiseen, 2) lääkitysmuutoksiin (vaihto/lisäys), 3) annoksen nosto- ja 4) steroidien käyttötarpeeseen pohjautuen
 - Komposiittimittarilla etukäteen määritetyt kynnyksarvot
 - Alennus niiden potilaiden hoidoista, joilla asetetut hoitotavoitteet jäivät saavuttamatta
- Rahoitussopimus on tietävästi yksi ensimmäisistä, joissa on yhtenä vaikuttavuusosakriteerinä on käytetty myös potilaiden hoitoon sitoutumisen tasoa

Rahoitusmalli tiivistetysti:

- **Mallin yleiskuvaus:**
 - ✓ "Takuu toimivuudesta"-tyyppinen rahoitussopimus, jossa hoidon lopullinen hinta määräytyy saavutetun hoitotuloksen perusteella
 - ✓ Vaikuttavuuden todentaminen usean eri hoitotavoitekriteerin perusteella
- **Epävarmuus, jota pyritään hallitsemaan:**
 - ✓ Hoidon vaikuttavuus RW-olosuhteissa
- **Vaatimukset:**
 - ✓ Selkeästi määriteltävissä oleva potilaspopulaatio
 - ✓ Lyhyellä aikavälillä mitattavissa oleva vaikuttavuusindikaattorit
 - ✓ Etukäteen määritellyt eri kriteerien painoarvot yhdistelmäindikaattorin laskennassa
 - ✓ Pääsy potilas- ja lääkitystietoihin vaikuttavuuden ja hoitoon sitoutumisen todentamiseksi
 - ✓ Alennus-/hyvitysjärjestelmän olemassaolo

https://www.harvardpilgrim.org/public/news-detail?nt=HPH_News_C&nid=1471912468296



Pay-for-Failure -esimerkki

-Hyvitys, jos asetettu hoitotavoite jää saavuttamatta

- **Sovellusympäristö: sairaala**
- Sopimusosapuolet (2015)
 - Priority Health (USA)
 - Genentech
- Vaikuttavuusperusteinen rahoitusmalli ei-pienisoluista keuhkosyöpää sairastavien potilaiden 1.linjan hoitoon (Avastin)
- Rahoitusmallin perusmekanismi
 - Hyvitys hoidon hinnasta, ellei potilas saavuta vähintään samaa taudin etenemismäärää (PFS) kuin kliinisissä RCT-tutkimuksissa
 - Etukäteen sovitut kriteerit
 - Soveltuvien potilaiden määrittämiseksi
 - PFS-ajan määrittämiseksi potilaan EHR- ja kuvantamistietojen perusteella

Rahoitusmalli tiivistetysti:

- **Mallin yleiskuvaus:**
 - ✓ "Takuu toimivuudesta"-tyyppinen rahoitussopimus, jossa hoidon lopullinen hinta määräytyy suhteessa hoidolla optimaalisissa olosuhteissa (RCT) saavutettuun hoitotulokseen
- **Epävarmuus, jota pyritään hallitsemaan:**
 - ✓ Hoidon vaikuttavuus RW-olosuhteissa (vs. RCT-tutkimus)
- **Vaatimukset:**
 - ✓ Etukäteen määritellyt kriteerit potilaspopulaation tunnistamiselle
 - ✓ Etukäteen määritelty vaikuttavuusindikaattori
 - ✓ Lyhyellä aikavälillä mitattavissa oleva vaikuttavuusindikaattori
 - ✓ Pääsy asiakas- ja potilastietoaineistoihin vaikuttavuuden todentamiseksi
 - ✓ Olemassa oleva maksu- / hyvitysjärjestelmä

Overcoming Challenges Of Outcomes-Based Contracting For Pharmaceuticals: Early Lessons From The Genentech--Priority Health Pilot, " Health Affairs Blog, April 3, 2017. DOI: 10.1377/hblog20170403.059442



Pay-for-Failure -esimerkki

-Hyvitys, jos asetettu hoitotavoite jää saavuttamatta

- **Sovellusympäristö: avohoito**
- Sopimusosapuolet (useita sopimuksia)
 - Harvard Pilgrim, Cigna, Aetna (USA)
 - Novartis
- Vaikuttavuusperusteinen rahoitusmalli sydämenvajatoimintapotilaiden sairaalahoitotarpeen vähentämiseksi Entresto-hoidon avulla
- Rahoitusmallin perusmekanismi
 - Hyvitys hoidon hinnasta, ellei potilaiden **nykyisillä hoidoilla saavutettu sairaalahoidon ilmaantuvuustaso** vähenny Entresto-hoidolla etukäteen sovittua tasoa alemmaksi

Rahoitusmalli tiivistetysti:

- **Mallin yleiskuvaus:**
 - ✓ Avohoito
 - ✓ "Takuu toimivuudesta"-tyyppinen rahoitussopimus, jossa hoidon lopullinen hinta määräytyy suhteessa hoidon kykyyn vähentää potilaiden sairaalahoidon tarvetta
- **Tekijät, joihin pyritään vaikuttamaan:**
 - ✓ Hoidon vaikuttavuus RW-olosuhteissa
 - ✓ Sairalahoidon kustannusten kasvun hillintä
- **Vaatimukset:**
 - ✓ Etukäteen määritellyt kriteerit potilaspopulaation tunnistamiselle
 - ✓ "Perusuran" eli nykyisen sairaalahoitotarpeen määrittäminen ko. potilaspopulaatiossa
 - ✓ Etukäteen määritelty vaikuttavuusindikaattori
 - ✓ Etukäteen määritelty vaikuttavuuden kynnyksarvo ja sen kriteerit
 - ✓ Pääsy asiakas- ja potilastietoaineistoihin vaikuttavuuden todentamiseksi
 - ✓ Olemassa oleva maksu- / hyvitysjärjestelmä

Pay-for-performance deal with Novartis [press release]. Wellesley, MA: Harvard Pilgrim HealthCare; June 27, 2016



Lisäarvopohjainen (value-based) rahoitusmalli

-Maksu pohjautuen hoidon vaikuttavuuteen suhteessa kilpaileviin valmisteisiin

- **Sovellusympäristö: avohoito**
- Rahoitusmallin sopijaosapuolet (2016)
 - Harvard Pilgrim (US)
 - Eli Lilly
- Vaikuttavuusperusteinen rahoitusmalli tyypin 2 diabetespotilaiden verensokeriarvojen (glukoosipitoisuuden) alentamiseen Trulicity-valmisteella (GLP-1-agonisti)
- Rahoitussopimusten perusmekanismi
 - Hoitotavoitteen (HbA1c<8%) saavuttaneiden potilaiden osuus suhteessa muilla GLP-1-agonistivalmisteilla hoitotavoitteen saavuttaneiden potilaiden osuuteen.
 - Jos hoitotavoitteen saavuttaneiden potilaiden osuus on pienempi kuin kilpailevilla valmisteilla, ostaja maksaa Trulicity-hoidosta alennetun hinnan tarjoajalle
 - Jos hoitotavoitteen saavuttaneiden potilaiden osuus on suurempi kuin kilpailevilla valmisteilla, ostaja maksaa Trulicity-hoidosta korotetun nettohinnan tarjoajalle

Rahoitusmalli tiivistetysti:

- **Mallin yleiskuvaus:**
 - ✓ **Lisäarvopohjainen (value-based) rahoitusmalli**
 - ✓ "Takuu toimivuudesta"-tyyppinen rahoitussopimus, jossa hoidon lopullinen hinta määräytyy suhteessa kilpailevien valmisteiden hoitotuloksiin
 - ✓ Rahoitussopimuksen perusmekanismi sisältää sopimusvalmisteen "hintajoustop" sekä ylös- että alaspäin
- **Epävarmuus, jota pyritään hallitsemaan:**
 - ✓ Hoidon vaikuttavuus RW-olosuhteissa suhteessa kilpaileviin valmisteisiin (comparative effectiveness)
- **Vaatimukset:**
 - ✓ Selkeästi määriteltävissä oleva potilaspopulaatio
 - ✓ Lyhyellä aikavälillä mitattavissa oleva vaikuttavuusindikaattorit
 - ✓ Pääsy potilas- ja lääkitystietoihin vaikuttavuuden todentamiseksi
 - ✓ Olemassa oleva maksu- / hyvitysjärjestelmä

https://www.harvardpilgrim.org/public/news-detail?nt=HPH_News_C&nid=1471911699289



Success Fee -esimerkki

-Maksu ainoastaan, jos asetettu hoitotavoite saavutettu

- **Sovellusympäristö: avohoito**
- Rahoitusmallin sopijaosapuolet (2013)
 - Agenzia Italiana del Farmaco AIFA (Italia)
 - InterMune / Roche
- Vaikuttavuusperusteinen rahoitusmalli lievän tai keskivaikean idiopaattisen keuhkofibroosin hoidossa Esbriet-valmisteella
- Rahoitussopimusten perusmekanismi
 - Hoidon ilmainen aloitus
 - Vaikuttavuuden todentaminen noin 6kk (165-195 päivän välillä) kohdalla hoidon aloituksesta
 - Hoito katsotaan epäonnistuneeksi, jos potilaan keuhkojen toimintakyky, mitattuna nopean vitaalikapasiteetin (FVC) perusteella, on heikentynyt enemmän kuin etukäteen määritelty kynnyсарvo 6kk hoidon jälkeen (FVC \geq 10%-yksikköä)
 - Potilaita hoitavat yksiköt ovat veloitettuja raportoimaan potilaiden vastetiedot etukäteen sovitun aikaikkunan puitteissa. Ellei näin toimita, katsotaan hoito onnistuneeksi ja potilaan lääkeshoidon kustannukset on maksettava sopimuksen mukaisesti
 - Hoitotulostietojen raportointi AIFA Web Registry Platform-järjestelmän kautta
 - Kannustin hoitotulosten kirjaamiseen ja raportointiin hoitoyksiköissä

Rahoitusmalli tiivistetysti:

- **Mallin yleiskuvaus:**
 - ✓ "Success Fee"-tyyppinen rahoitussopimus, jossa hoidosta maksetaan vain, jos asetettu hoitotulos saavutetaan
 - ✓ "Maksu saadusta hyödystä"
 - ✓ Tavoitteena sopimukseen liittyvän hallinnollisen ja tiedonkeräystaakan vähentäminen
 - ✓ Hallinnolliset piilokustannukset
- **Epävarmuus, jota pyritään hallitsemaan:**
 - ✓ Hoidon vaikuttavuus RW-olosuhteissa
- **Vaatimukset:**
 - ✓ Selkeästi määriteltävissä oleva potilaspopulaatio
 - ✓ Lyhyellä aikavälillä mitattavissa oleva yksiselitteinen vaikuttavuusindikaattori
 - ✓ Hoitoyksiköt sitoutuneet raportoimaan potilaiden hoitovastetiedot sovitussa aikaikkunassa
 - ✓ Pro forma-laskutus (näennäislaskutus) mahdollisuus
 - ✓ Lasku realisoituu hoitotuloksen perusteella

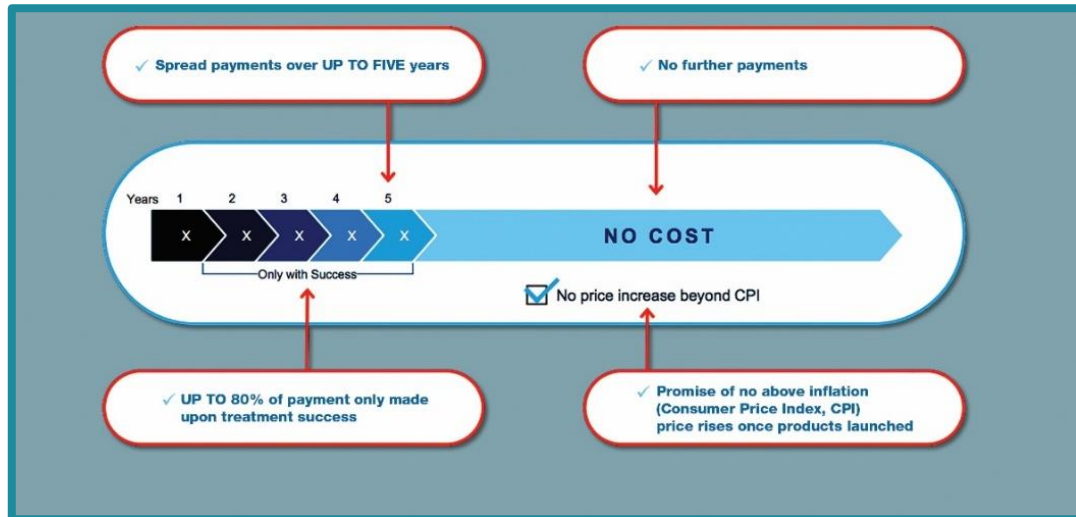
Navarria A, Drago V, Gozzo L, Longo L, Mansueto S, Pignataro G, Drago F. Do the current performance-based schemes in Italy really work? "Success fee": a novel measure for cost-containment of drug expenditure. Value Health. 2015;18(1):131-6.



Pay-for-Cure (P4C) -esimerkki

-Vaikuttavuusperusteinen annuiteettirahoitusmalli

- **Sovellusympäristö: sairaala**
- Kertahoitoinen geeniterapia
 - Kertahoitoinen Zynteglo-geeniterapia β -talassemian hoidossa
- Hoidon korkea etupainotteisen kustannuksen jakaminen tasaosuuksiin viidelle vuodelle
 - 20% / vuosi, joista 1.vuoden aloitusmaksu kiinteä (ei vaikuttavuusperusteisuutta)
 - 2.-5.vuoden aikana vuosikustannus määräytyy hoitovasteen pysyvyyden perusteella



Rahoitusmalli tiivistetysti:

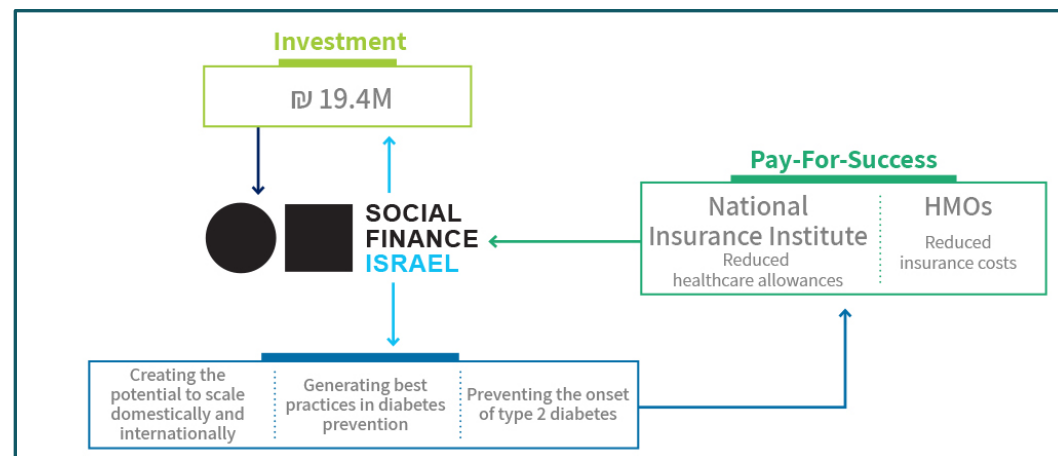
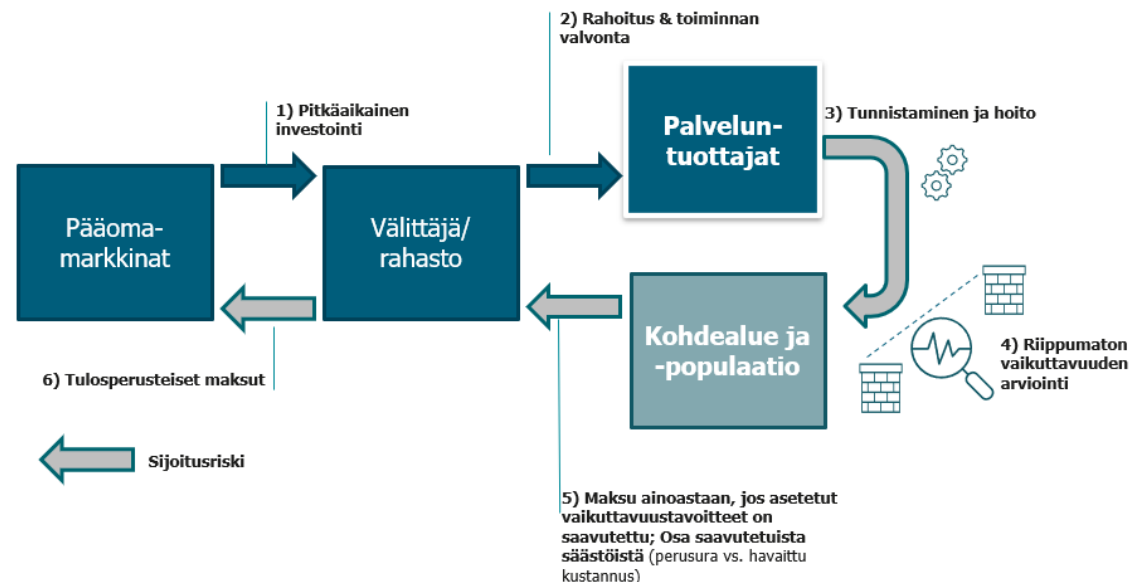
- **Mallin yleiskuvaus:**
 - ✓ Vaikuttavuusperusteinen annuiteettisopimus, jossa hoidon lopullinen (vuosi)kustannus määräytyy hoitotavoitteen saavuttamisen perusteella
 - ✓ Hybridimalli, jossa yhdistettynä budjettivaikutuksen tasaus useammalle vuodelle ja vaikuttavuusperusteisuus
- **Tekijät, jota pyritään hallitsemaan:**
 - ✓ Budjettivaikutuksen ennakoitavuuden parantaminen (maksimi vuosikustannus tiedossa)
 - ✓ Hoidon toimivuuteen liittyvät epävarmuustekijät RW-olosuhteissa
- **Vaatimukset:**
 - ✓ Pääsy asiakas- ja potilastietoaineistoihin vaikuttavuuden todentamiseksi
 - ✓ Olemassa oleva maksu- / hyvitysjärjestelmä
 - ✓ Mahdollisuus monivuotisiin sopimuksiin

<http://investor.bluebirdbio.com/static-files/8c4eb7bb-37d6-4fba-941c-1a154c8bbfd6>



Vaikuttavuusperusteinen väestötason rahoitusmalli rahoitusmahdollisuuksia lisäävänä instrumenttina

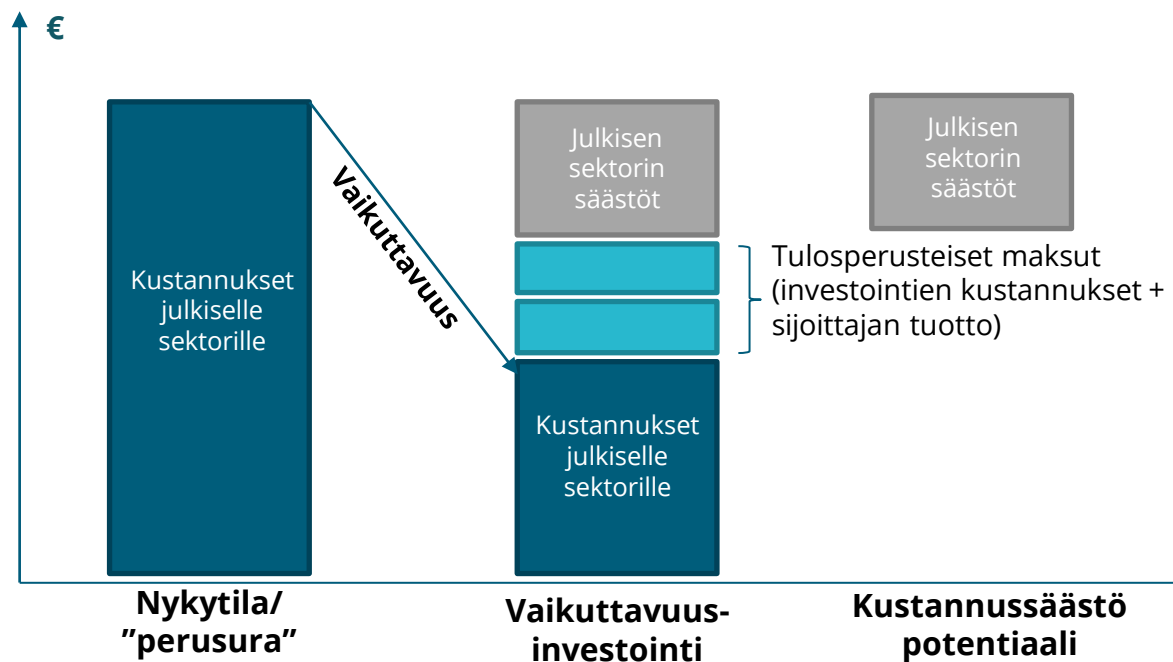
- Laajempien kansanterveyden parantamiseen (esim. sairauksien primaari- ja sekundaaripreventiot) tähtäävien toimien rahoittaminen esim. pääomamarkkinoilta saatavan pääoman avulla
 - Rahastopohjaiset vaikuttavuusinvestointimallit
 - Vaikutusten hankintarahastot
- Siirtyminen hankinnoista vaikuttavuuden hankintaan
 - Mahdollisuus pitkäjänteiseen budjettikauden ylittävään rahoitukseen*
 - Ostaja maksaa ainoastaan niistä hyödyistä, jotka toiminnalla on todennetusti saavutettu*
 - Säästönjakamismalli*, jossa syntyneet kustannussäästöt jaetaan etukäteen määriteltyjen kriteerien perusteella maksajan ja palveluekosysteemin (pääomarahaston) välillä.
 - Onnistuneiden kokeilujen jälkeen palvelut voivat siirtyä osaksi normaalia (monistettavaa) palvelutoimintaa
- Kansainvälisiä esimerkkejä
 - [Ways to Wellness](#) -ohjelma (UK NHS; elintapasairauksien ehkäisy)
 - [Preventing type 2 diabetes](#) -ohjelma (Israel; T2D:n ehkäisy)
 - [Activate](#) -ohjelma (Kanada; verenpaineen hallinta)
 - [Health Impact Bond](#) - ohjelma (Ruotsi; vaikuttavuusjoukkolaina T2D:n ehkäisyyn)



(www.social-finance.org.il/category/Preventing-Type-2-Diabetes)



Väestötason säästönjakamismallin perusmekanismi ja -ominaisuudet



(Barclay & Symons 2013)

Mallin toimivuuden perusedellytyksiä:



Kohdepopulaatio

- Selkeästi määriteltävissä oleva
- Selkeät sisäänotto- ja poissulkukriteerit



Vaikuttava interventio/ kokonaisratkaisu

- Interventio/ kokonaisratkaisu, joka pystyy tuomaan mitattavissa olevaa merkittävää hoidollista ja taloudellista hyötyä lyhyellä/keskipitkällä aikavälillä



Vaikuttavuuden mittaaminen

- RW-dataa intervention/ ratkaisun vaikuttavuudesta on mahdollista kerätä ja sen perusteella voidaan luotettavasti arvioida vaikuttavuutta



Taloudelliset vaikutukset ja mahdollisuus riskinjakoon

- Merkittävä taloudellinen taakka
- Investoinnin kohtuullinen riski-hyötysuhde
- Todennettujen (laskennallisten) säästöjen jakaminen osapuolten välillä (säästönjakamismalli)

Ehdotus vaikuttavuusperusteisten rahoitusmallien käyttöönotosta Suomessa



Innovatiivisten rahoitusmallien kriittisiä menestystekijöitä



Sitoutuminen ja luottamus

- Strategisten kumppanuussuhteiden rakentaminen ennakoivasti
- Näkyvien ja potentiaalisten hyötyjen osoittaminen eri sopimusosapuolille ja sidosryhmille
- Kaikkien sopimusosapuolien konkreettinen ja osoitettu sitoutuminen rahoitusmallin suunnitteluun, käyttöönottoon ja seurannan toteuttamiseen
- Yhtäläinen pääsy vaikuttavuustietoihin (vähintään aggregoitu tulostaulunäkymä) tai riippumattoman 3.osapuolen käyttö vaikuttavuuden todentamisessa



Selkeät ja yksiselitteiset vaikuttavuusmittarit

- Yhteisymmärrys vaikuttavuusmittarin ja rahoitussopimuksen kannalta kriittisten kynnsarvojen yksiselitteisestä määrittelystä
- Olemassa olevat tietojärjestelmäratkaisut vaikuttavuustietojen keräämiseen ja/tai poimintaan potilastieto- ja muista järjestelmistä (hallinnollisen taakan minimointi)

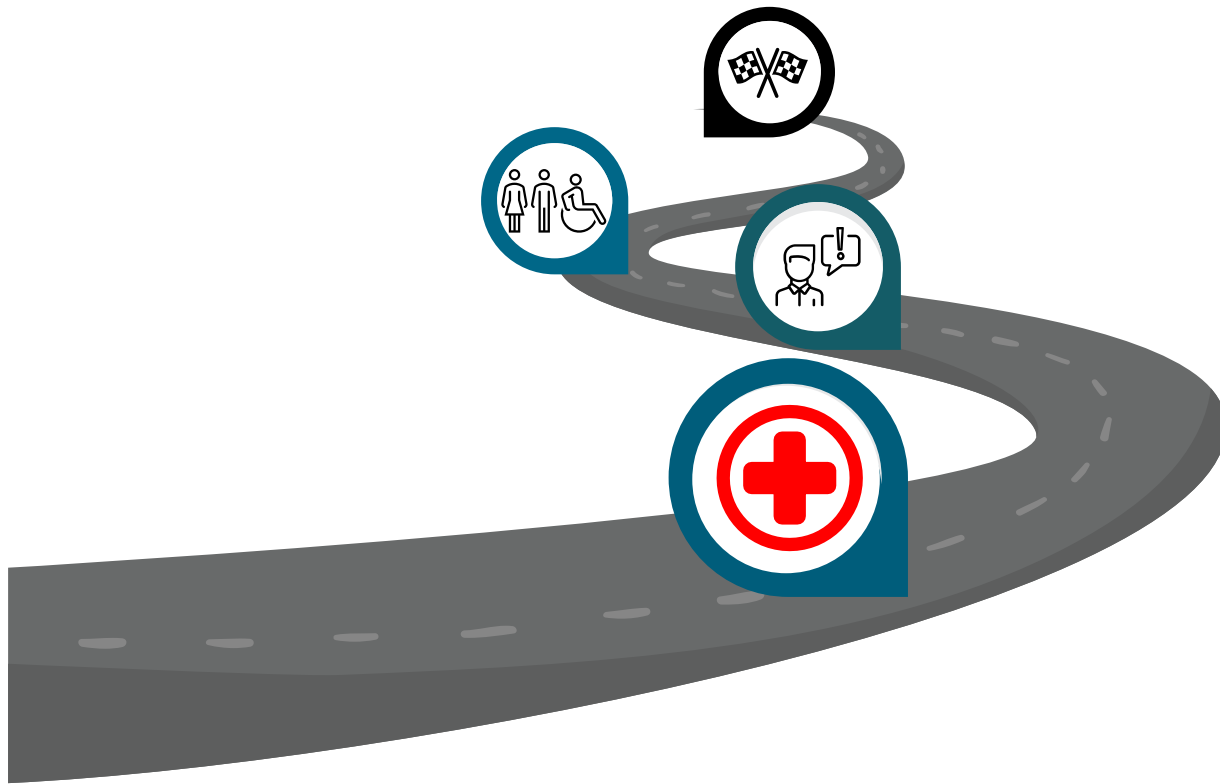


Soveltuvien terapia-alueiden ja valmisteiden valinta

- Rahoitusmalleihin soveltuvilla valmisteilla on pystyttävä määrittämään selkeät ja yksiselitteiset vaikuttavuusmittarit, joissa tapahtuvia muutoksia voidaan mitata objektiivisesti riittävän lyhyellä aikavälillä (maksimissaan <2-3 vuotta).



Vaiheistusehdotus vaikuttavuusperusteisten rahoitusmallien käyttöönottamiseksi Suomessa



Kansallinen sairaalalääkkeiden hankintamenettely

Vaikuttavuusperusteisten rahoitussopimusten neuvotteluprosessin luominen osaksi kansallista hankintarenkaiden sopimusmenettelyä

Vaikuttavuusperusteinen ehdollinen korvattavuus

Vaikuttavuusperusteinen ehdollinen korvattavuuden käyttöönotto avohoidossa käytettäville lääkkeille

Vaikuttavuusperusteiset väestötason rahoitusmallien kokeilut

Valmisteluvaihe vaikuttavuusperusteisille väestötason rahoitusmallien kokeiluille hyvinvointialueilla



Kansallinen sairaalalääkkeiden hankintamenettely

- Tausta:

- Suomessa ollaan ottamassa käyttöön kansallista sairaalalääkkeiden hankintamenettelyä, minkä tavoitteena on parantaa rationaalisen lääkehoidon toteutumista ja edistää lääkehoidon yhdenvertaista toteutumista sekä hillitä lääkemenojen hallitsematonta kasvua (FinCCHTA:n tiedote 8.9.2020).
- Kansallisesti RW-dataa saatavilla jo paljon mutta hyödyntäminen vielä rajallista ja pääosin alueellista.
- Harvinaislääkkeiden ja muiden pienten potilasjoukkojen HTA-arviointeihin liittyvät PLEG-vaatimukset (Post Launch Evidence Generation) ovat lisääntymässä (esim. FINOSE:n Zynteglo-arvioinnissa mukana PLEG-osio).
- Kansalliset toimintatavat ja työnjako RWD:n hyödyntämiseksi esim. HTA-arviointien sekä päätöksenteon osana lääkkeen elinkaaren aikana (käyttöönoton jälkeen) kehittymättömiä.

- Toimenpide-ehdotukset:

- **Luodaan vaikuttavuusperusteisten rahoitussopimusten neuvotteluprosessi osaksi kansallista hankintamenettelyä.**
- **Edistetään RW-datan hyödyntämistä vaikuttavuuden todentamisessa ja päätöksenteossa.**
 - Keskeisten "kipupisteiden" tunnistaminen ja ratkaiseminen (esim. yhtenäiset toimintatavat, lainsäädännön näkökulmat).
 - Kansallisten verkostojen (FINBB, FICAN, Neurokeskus) ja sairaaloiden tietoaaltaiden hyödyntäminen (Findatan vaatimukset huomioiden) RWD-lähteinä.
 - Kansalliset toimintatavat PLEG-tyyppisessä RWD-tuotannossa ja sen hyödyntämisessä päätöksenteon tukena lääkkeiden elinkaaren eri vaiheissa.
 - Selvitetään pohjoismaisen yhteistyön synergiamahdollisuudet PLEG-RWD:n keräämisessä, kuten esim. [RWE4Decisions](#).
- **Toteutetaan vaikuttavuusperusteisia sopimuskokeiluja yliopistosairaaloissa.**
 - Luodaan kokeiluiden (esim. harvinais-, syöpä- ja/tai geenihoito) avulla kokemusta toimivista käytänteistä ja toimintatavoista, joiden pohjalta voidaan rakentaa toimintaohjeita ja -suosituksia sopimusosapuolille.
- **Varmistetaan riittävä resurssointi ja osaaminen**

Myyntilupa uudelle sairaalaläkkeelle

Fimean HTA-arviointi

PALKO:n kannanotto
(ehdollinen päätös)

Hankintarengas
(HUS Apteekki)

Kansallisen lääkeneuvottelukunnan
päätös käyttöönotosta



Vaikuttavuusperusteinen ehdollinen korvattavuus

- Tausta:

- Ehdolliseen korvattavuuteen liittyvät sopimukset tällä hetkellä käytännössä taloudellisia sopimuksia.
- Sopimukseen liittyvien palautusten määrittäminen tapahtuu kerran vuodessa.
- Nykyinen lainsäädäntö mahdollistaa kuitenkin jo nykyisellään myös vaikuttavuusperusteiset riskinjakosopimukset.
- Kokemusta toimintamalleista sopimusten seurantaan, toteutumisen arviointiin, palautusmaksuihin ja sopimusten uusintaan sekä lopettamiseen liittyen on jo olemassa.
- Hyvinvointialueiden mahdollinen rahoitusvastuu (avoterveydenhuollon lääkehoidosta ja matkakustannuksista) vielä täsmentymättä
 - *Kannustimet seurata hoitoprosesseja (sisältäen lääkkeitä) ja niiden (kokonais)vaikuttavuutta?*
 - *Lääkekorvaukset myös jatkossa sairausvakuutusrahaston kautta?*
 - *Hyvinvointialueiden rahoitukseen liittyvät kustannusten kasvun rajoittimien pidemmän aikavälin vaikutukset lääkkeiden rahoituksen riittävyyteen?*

- Toimenpide-ehdotukset:

- **Selvitetään Kelan tilastojen laajemmat hyödyntämismahdollisuudet vaikuttavuusperusteisen ehdollisen korvattavuuden toteuttamisen tukena**
 - Tietotuotanto esim. määriteltyjen hoitotavoitetasojen saavuttaneiden potilaiden määrästä (esim. B-lausuntoperusteisuus), maksetut etuisuudet eri potilas- ja diagnoosiryhmissä (toiminta- ja työkyvyn näkökulma), lääke- ja käyttöaihekohtaiset korvausnumerot jne.
- **Selvitetään muut kansallisen tason vaikuttavuuden seurannan mahdollisuudet avohoidossa käytettävien lääkkeiden osalta esim.**
 - Kansalliset verkostot, kuten FINBB, FICAN, Neurokeskus.
 - Kansallisten laatu- ja vaikuttavuusrekisterit (sisältäen myös PROM-mittausdataa) RW-datan lähteenä.
 - Lääkkeiden vaikuttavuuden seurannan kehittäminen osana "*kansallinen lääkityslista*"- kokonaisuutta (Kela/Reseptikeskus; 2024-).
- **Varmistetaan riittävä resurssointi ja osaaminen**



Vaikuttavuusperusteiset väestötason rahoitusmallien kokeilut

- Tausta:

- Preventiivisten hoitojen haasteena kustannusten ja terveyshyötyjen eri aikaisuus suhteessa päätöksenteon aikahorisonttiin.
- Vaikuttavuusperusteisilla väestötason säästönjakamisrahoitusmalleilla voidaan toteuttaa pitkäjänteisiä (budjettikauden ylittäviä) preventiointerventioita.
- Rahoitusmallissa maksaja maksaa ainoastaan aikaansaadusta vaikuttavuudesta/ terveyshyödystä ja jakaa osan syntyneistä laskennallisista kustannussäästöistä etukäteen määriteltyjen kriteerien perusteella sopimusosapuolten välillä (*säästönjakamismalli*)
- Alueellisia/ paikallisia (ei lääkkeisiin liittyviä) vaikuttavuusinvestointihankkeita käynnissä myös jo Suomessa

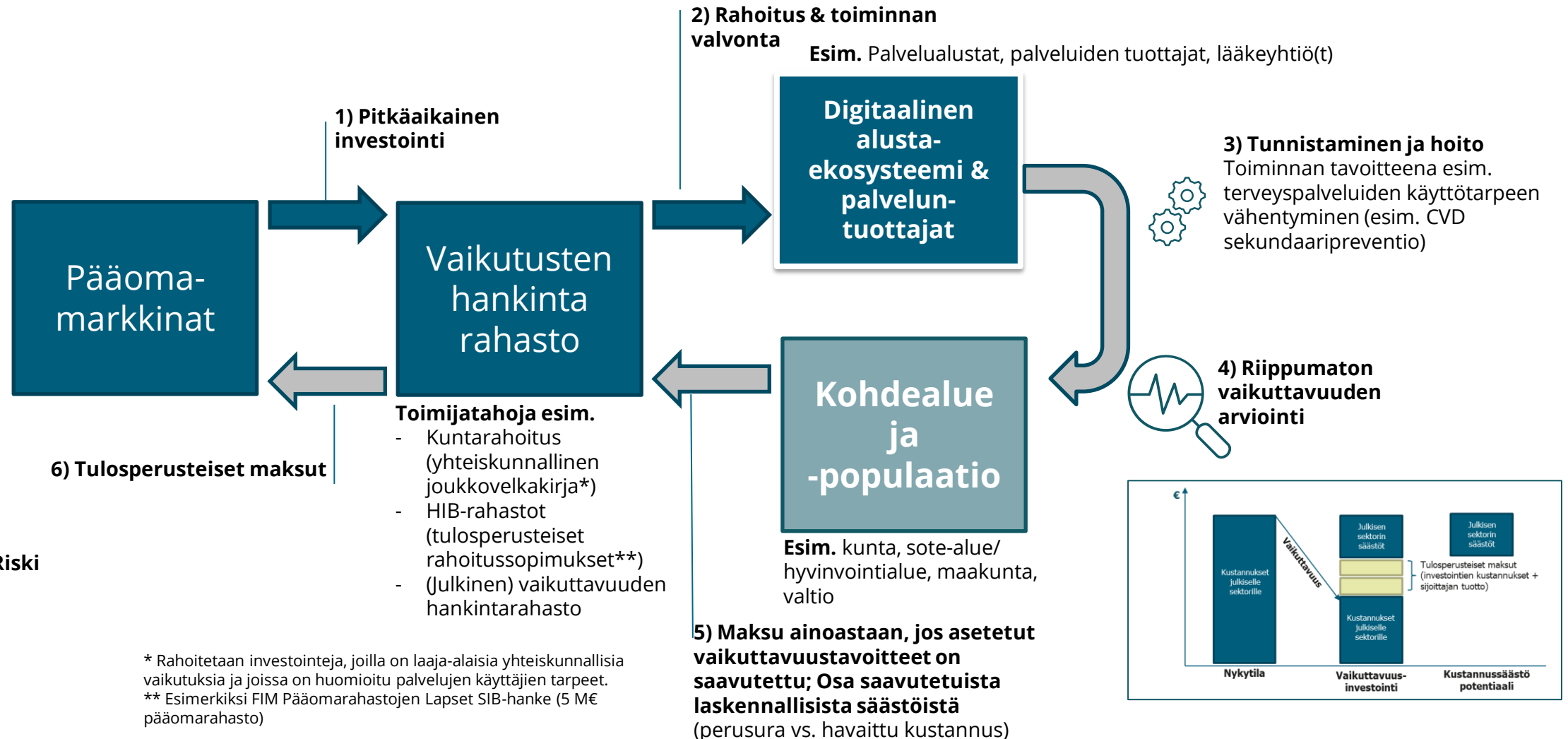
- Toimenpide-ehdotukset:

- **Toteutetaan valmisteluvaihe, jossa selvitetään mahdollisuudet (rahastopohjaisten) tulosperusteisten rahoitussopimuksien kokeiluille rajatuilla alueilla (esim. tietyt hyvinvointialueet, joilla käytössä alueelliset asiakas- ja potilastietojärjestelmät vaikuttavuuden seurantaan)**
 - Tunnistetaan soveltuvat digitaaliset alustaekosysteemit (avainteknologiat, RWD-virrat ja -varannot toiminnanohjaukseen ja vaikuttavuuden todentamiseen)
 - Kokeiluille sopivia terapia-alueita ovat esim. sydän- ja verisuonisairauksien sekundaaripreventiot, joissa potilasmäärät ovat suuria, sairauden aiheuttama taakka on kansanterveydellisesti ja -taloudellisesti merkittävä ja hoitojen vaikuttavuus voidaan todentaa suhteellisen lyhyellä aikavälillä (2-3 vuotta)
- **Selvitetään erilaisten vaikuttavuusinvestointi- ja vaikutusten hankintarahastojen toimintaedellytyksiä.**
 - Yhteistyö TEM:n alaisen vaikuttavuusinvestoimisen osaamiskeskuksen kanssa.
 - Yhteiskunnalliset joukkovelkakirjat (esim. Kuntarahaus) ja Health Impact Bond (HIB)-rahastot.
 - Kansallinen / hyvinvointialueiden vaikutusten hankintarahasto.
 - Hyvinvointialueiden osakkuudet rahastossa (pääomittaminen esim. syntyneiden säästöjen avulla), jolloin preventiivisiä toimijoita voidaan toteuttaa pitkäjänteisesti.
- **Ehdotus (rahastopohjaisesta) vaikuttavuusperusteisesta säästönjakamisrahoitusmallista seuraavalla kalvolla.**



Lääkehoitojen rahoitusmahdollisuuksien lisääminen väestötason vaikuttavuusperusteisten rahoitusmallien avulla

- Esimerkkinä rahastopohjainen säästönjakamismalli





Selvityksen keskeiset havainnot (1)

- **Erilaiset (tieto)tarpeet ja niihin liittyvät epävarmuustekijät vaikuttavat uusien lääkehoitojen käyttöönottoon ja käytön laajuuteen**
 - Vaikuttavuuteen ja kustannuksiin liittyvät epävarmuustekijät hidastavat uusien lääkkeiden käyttöönottoa ja/tai niiden käytön laajuutta, mistä seuraa vaihtoehtoiskustannuksina mm. potentiaalisten elinvuosien (PYLL) menetystä.
- **Vaikuttavuusperusteisilla rahoitusmalleilla voidaan tukea uusien lääkehoitojen hallittua käyttöönottoa jakamalla epävarmuustekijöiden aiheuttamaan riskiä sopimosapuolten kesken.**
 - Vaikuttavuusperusteisten rahoitusmallien tarkka luokittelu ei ole mielekästä, koska malleja rakennetaan ja varioidaan tällä hetkellä käyttötärpeen mukaan hyvin laajasti.
 - Kansainvälinen tilanne
 - Euroopassa Italia on pisimmillä vaikuttavuusperusteisten rahoitusmallien käytössä uusien lääkehoitojen käyttöönoton yhteydessä. Erillisrekistereiden avulla tapahtuva vaikuttavuuden todentaminen vaatii kuitenkin merkittävää resurssointia ja infrastruktuurin ylläpitoa (ks. *Montilla et al. Monitoring registries at Italian medicines agency: fostering access, guaranteeing sustainability. Int J Tech Ass in Health Care 2015;31:210-213*).
 - Suomen tilanne
 - Sairaalavalmisteiden osalta Suomessa mahdollisuudet kokeiluille ovat hyvät.
 - Kokeiluilla toimintamallit sopimiseen ja vaikuttavuuden todentamiseen
 - Vaikuttavuusperusteisia rahoitusmalleja jo käytössä tietyissä sairaaloissa
 - Potilaiden hoito- ja seuranta tapahtuu pääosin sairaaloissa, jolloin asiakas- ja potilastietojärjestelmien toissijainen käyttö mahdollistaa RW-datapoiminnat ja hoitojen vaikuttavuuden todentamisen
 - Avohoidon lääkkeiden vaikuttavuusperusteisen ehdollisen korvattavuuden käytön merkittävimpana esteenä on vaikuttavuuden todentamisessa tarvittavan RWD-infrastruktuurin kypsyysaste, jossa on merkittäviä alueellisia eroja vaikeuttaen kansallisen tason RW-datan keräämistä.
 - Kansallisten RWD-lähteiden (esim. THL:n laaturekistereiden) hyödyntäminen vaikuttavuuden todentamisessa voisi tarjota luotettavan ja taloudellisen tavan avohoidon lääkkeiden vaikuttavuusperusteisten rahoitusmallien käyttöönotolle Suomessa.
 - Huomioimalla muutokset Kelan maksamissa sairauspoissaoloihin liittyvissä etuisuuksissa (etuisuustilastot) voitaisiin vaikuttavuuden arviointia laajentaa koskemaan myös potilaiden toiminta- ja työkykyä ja tätä kautta yhteiskunnallisia tuottavuuskustannuksia.

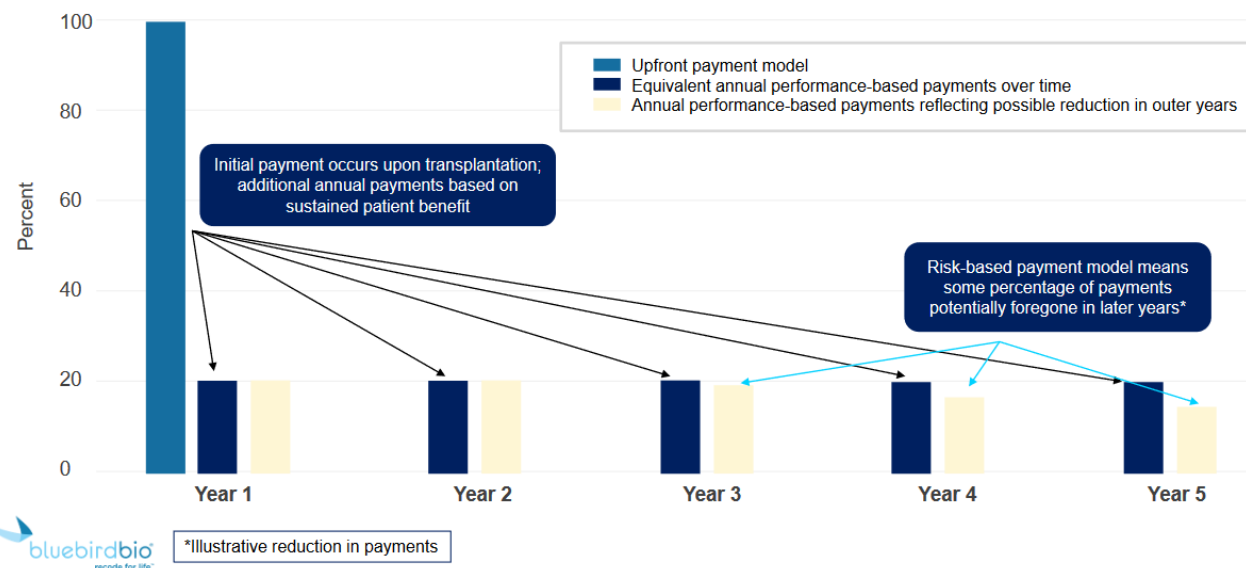


Selvityksen keskeiset havainnot (2)

- Suomen tilanne
 - Suomessa on käytettävissä RW-datalähteitä runsaasti mutta niiden hyödyntämisessä tarvittavan infrastruktuurin ja osaamiskompetenssin kehittämiseen (esim. RW-datan hallinta- ja analytiikkaosaaminen vaikuttavuuden mittaamiseen liittyen) tarvitaan systemaattista työtä eri sidosryhmien välisenä yhteistyönä.
 - Uusien lääkkeiden hallittua käyttöönottoa voidaan tukea lisäämällä RW-näytön tuottamista nykyisten jo käytössä olevien hoitojen vaikuttavuudesta ja kustannuksista, jolloin vertailupohjan luotettavuus osana päätöksentekoa (esim. pelkkiin asiantuntija-arvioihin verrattuna) kasvaa merkittävästi.

- **Uusien geeniterapioiden ja muiden (ultra)harvinaisten lääkkeiden käyttöönoton aiheuttamaa etupainotteista kustannustaakkaa ja käyttöönottoon liittyviä epävarmuustekijöitä voidaan hallita vaikuttavuusperusteisilla annuiteettimalleilla.**

- Rahoitussopimus sisältää tyypillisesti hoidon 1.vuoden kiinteän aloituskustannuksen ja vaikuttavuusperusteisen osan, jossa toteutuva vuosimaksu on ehdollinen potilaan saamalle hoitovasteelle suhteessa etukäteen määritellyille hoitotavoitteille.
- Budjettivaikutusten ennakoitavuuden parantuminen maksimikustannuksen ollessa tiedossa jo etukäteen.
 - Hoidon lopullinen kokonaiskustannus määräytyy hoitovasteen perusteella (maksimikustannus, jos hoitovaste 100%).



<http://investor.bluebirdbio.com/static-files/8c4eb7bb-37d6-4fba-941c-1a154c8bbfd6>



Selvityksen keskeiset havainnot (3)

- **Vaikuttavuusperusteiset väestötason rahoitusmallien kokeilut**
 - Potentiaalinen instrumentti rahoitusmahdollisuuksien laajentamiseen (budjettikauden ylittävien) ehkäisevien interventioiden (sisältäen lääkeshoidot) toteuttamiseksi rajatuissa kohdeväestöissä
 - Yksityiset ja julkiset pääomasijoitukset rahoituksen lähteenä
 - Kansainvälisesti kiinnostus tällä hetkellä vahvaa mutta kokemukset lääkehoidoista sisältävistä Health Impact Bond-hankkeista vielä rajallisia
 - Lääkehoidot osana kokonaisratkaisua optimaalisessa riskin tunnistamisessa ja hoidon toteutuksessa (ns. "Predict & Prevent"-lähestymistapa)
 - Alueelliset kokeilut oppimisympäristöinä
 - Liikkeelle lähtö alueellisilla kokeiluilla digitaalisia alustaratkaisuja hyödyntäen, jolloin mahdollisuus vaikuttavaksi todettujen toimintojen skaalaamiseen alueellisesti ja/tai kansallisesti.
 - Kokeiluille sopivia terapia-alueita ovat esim. sydän- ja verisuonisairauksien sekundaaripreventiot, joissa potilasmäärät ovat suuria, sairauden aiheuttama taakka on kansanterveydellisesti ja -taloudellisesti merkittävä ja hoitojen vaikuttavuus voidaan todentaa suhteellisen lyhyellä aikavälillä (2-3 vuotta).
 - Kansallisella vaikutusten hankintainstrumentilla voitaisiin varmistaa kannustimet kokonaistaloudelliseen tarkasteluun, jolloin myös esim. muutokset kohdeväestön toiminta- ja työkyvyssä (tuottavuuskustannuksissa) tulisivat huomioiduksi osana kokonaisvaltaista vaikuttavuuden tarkastelua.
 - Alueellisilta toimijoilta ei välttämättä suoraa kannustimia esim. toiminta- ja työkykyyn liittyvien tuottavuuskustannusten huomiointiin vaikuttavuuden mittaamisen yhteydessä.
 - Kansallisten rekisteritietojen hyödyntäminen (esim. Kelan etuisuusmaksut) osaksi vaikuttavuuden arviointia.
- **Systemiseen muutokseen kohti vaikuttavuusperusteista terveydenhuoltoa tarvitaan samanaikaisia toimintoja eri tasoilla aina yhteiskunnallisten laajojen muutosajureiden tunnistamisesta (nykyjärjestelmän vakiintuneita käytäntöjä haastaviin) paikallisiin kokeiluihin.**



Lisätiedot selvitykseen liittyen




Janne Martikainen

professori (lääketaloustiede)

Farmasian laitos

Itä-Suomen yliopisto

 janne.martikainen@uef.fi

 +358 40 355 2600