VERTAISARVIOITU
KOLLEGIALT GRANSKAD
PEER-REVIEWED
www.tsv.fi/tunnus

Teuvo Antikainen, Kati Kinnunen, Niina Koivuviita, Minna Marttila-Vaara, Sami Pakarinen, Anna-Kaisa Parkkila, Johanna Liinamaa, Minna Linna ja Hanna-Mari Jauhonen

Uuden syöpälääkkeen hyväksymisprosessi ja käyttöönotto

Uuden syöpälääkkeen hyväksymis- ja käyttöönottoprosessi Suomessa on monivaiheinen ja sisältää useita arviointivaiheita, ennen kuin lääke tulee potilaiden käyttöön. Uusilta lääkkeiltä edellytetään vaikuttavuutta, turvallisuutta ja kilpailukykyistä kustannusvaikuttavuutta verrattuna olemassa oleviin hoitoihin. Koska uudet syöpälääkkeet ovat usein kalliimpia kuin vanhat, niiden kustannusvaikuttavuus on erityinen huolenaihe. Nykyinen Suomen lääkehoidon monikanavainen rahoitusjärjestelmä, jossa myös lääkkeiden arviointi ja käyttöönottosuositukset tehdään erillään avohoidossa käytettäville ja sairaalalääkkeille on monin tavoin vaativa. Tarkoituksenmukaista olisikin yhtenäistää ja uudistaa avohoidon ja sairaalalääkkeiden käyttöönottoon liittyvät arviointiprosessit ja -kriteerit. Sosiaali- ja terveysministeriö onkin nyt asettanut lääkkeiden arviointitoiminnan uudistamista valmistelevan työryhmän. Yhtenäistetty prosessi selkeyttää jatkossa myös uusien syöpälääkkeiden käyttöönottoa.

Uusilta, käyttöön otettavilta terveydenhuollon menetelmiltä ja lääkehoidoilta edellytetään Suomessa nykyisin vaikuttavuutta, turvallisuutta ja muihin hoitoihin verrattuna kilpailukykyistä kustannusvaikuttavuutta. Hoitomenetelmän tai - lääkityksen arvo riippuu sekä sen tuottamasta terveyshyödystä että hoidon kustannuksista. Uudet syöpälääkehoidot ovat lähes säännönmukaisesti kustannuksiltaan kalliimpia kuin vanhat.

Suomessa todetaan vuosittain noin 35 000 uutta syöpää. Kahdenkymmenen viime vuoden aikana syöpien ilmaantuvuus on lisääntynyt, mutta samalla kuolleisuus on puolestaan vähentynyt. Miesten yleisimmät syövät ovat eturauhas-, keuhko- sekä paksu- ja peräsuolisyövät. Naisilla yleisin syöpä on rintasyöpä, jonka ilmaantuvuus on lisääntynyt koko seurantajakson ajan, vuodesta 1960 lähtien (1). Syövän hoidossa lääkkeitä käytetään liitännäishoitona pienentämään taudin uusiutumisriskiä sekä levinneessä syövässä taudin kulkua jarruttavana hoitona.

Syöpähoidon kustannukset

Terveydenhuollon kustannukset muodostavat jo nyt viidenneksen kaikista Suomen valtion menoista. Kokonaiskustannukset nousevat kuluvan vuoden talousarvion perusteella hiukan yli 28 miljardiin (2). Lääkkeiden ja muiden lääkinnällisten kulutustavaroiden osuus on tästä vajaa 20 %. Sairaalalääkkeiden, joihin useimmat syöpälääkkeetkin kuuluvat, kustannukset ovat osa erikoissairaanhoidon kustannuksia (3).

Syövän hoidon kokonaiskustannukset olivat Suomessa noin 1,4 miljardia euroa vuonna 2021. Kasvua edellisestä vuodesta oli noin 6 %, ja kustannuskasvusta 70 % selittyy lääkekustannuksilla (4). Lääkekustannukset muodostavat jo 42 % syövän hoidon kokonaiskustannuksista. Uusien lääkkeiden kalliit hinnat aiheuttavat, varsinkin nykyisessä hyvinvointialueiden taloustilanteessa, haasteita terveydenhuollon palveluiden järjestämiselle, erityisesti potilaiden yhdenvertaisen kohtelun näkökulmasta. Kun taloudellisia resursseja käytetään uusiin kalliisiin lääkkeisiin, ne eivät ole käytettävissä mui-

hin terveyspalveluihin tai lääkkeisiin, jotka voisivat tarjota saman tai jopa suuremman hyödyn toisille potilaille (niin sanottu vaihtoehtokustannus). Lääkkeiden tutkimusnäyttöön liittyvä merkittävästi lisääntynyt epävarmuus haastaa lääkkeiden arviointitoiminnan mahdollisuudet tunnistaa ne hoidot, jotka ovat potilaille jo käytössä olevia valmisteita vaikuttavimpia.

Tällöin lääkehoidon ehdollisesti myönteiset käyttöönoton suositukset hinnan alennuksineen ovat olleet keino saada uusia hoitoja potilaille aiempaa varhaisemmin.

Kahden viime vuosikymmenen aikana syöpäsairauksien lääkehoito on edistynyt. Syövän lääkehoito on edennyt solunsalpaaja- ja hormonaalisista hoidoista kohdennettuihin ja yksilöllisiin hoitoihin, immunologisiin- ja soluhoitoihin. Kehitys on ollut niin nopeaa, että tutkimusnäyttö uusien lääkkeiden vaikuttavuudesta on monesti jäänyt epävarmaksi ja uudet lääkkeet hyväksytään käyttöön joskus varsin vähäiselläkin näytöllä. Tutkimusnäytön hankkimisen kannalta hoitojen yksilöllistyminen on myös haaste tutkimusten kohdejoukkojen pienentyessä ja pirstoutuessa. Samalla kuitenkin lääkkeistä suotuisimman vasteen saavat potilaat tunnistetaan jatkuvasti paremmin, joskin tilastollisesti vahvan näytön esittäminen vaikeutuu.

EMA arvioi uuden lääkkeen tehokkuuden ja turvallisuuden myyntilupaa varten

Uuden syöpälääkkeen kehittäminen alkaa tutkimusvaiheesta. Kun potentiaalinen lääke on kehitetty, sitä testataan kliinisissä tutkimuksissa potilailla. Tutkimukset jaetaan yleensä vaiheisiin, joissa selvitetään lääkkeen turvallisuutta ja tehokkuutta. Tämä voi kokonaisuudessaan kestää useitakin vuosia. Kun kliiniset tutkimukset osoittavat, että lääke on turvallinen ja tehokas, lääkevalvontaviranomaiset, kuten Euroopan lääkevirasto (EMA), arvioivat lääkeyrityksen pyynnöstä tutkimustiedot ja antavat hyväksynnän lääkkeen markkinoille tuomiselle eli antavat myyntiluvan lääkkeelle tutkitulle potilasryhmälle. Lääkkeen valmistaja voi myös itse päättää, hakeeko se keskitetysti myyntilupaa EMAlta vai Suomeen kohdistuvaa myyntilupaa Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskukselta (Fimea) (5). Lääkettä ei voi myydä tai luovuttaa kulutukseen ennen kuin sille on saatu myyntilupa.

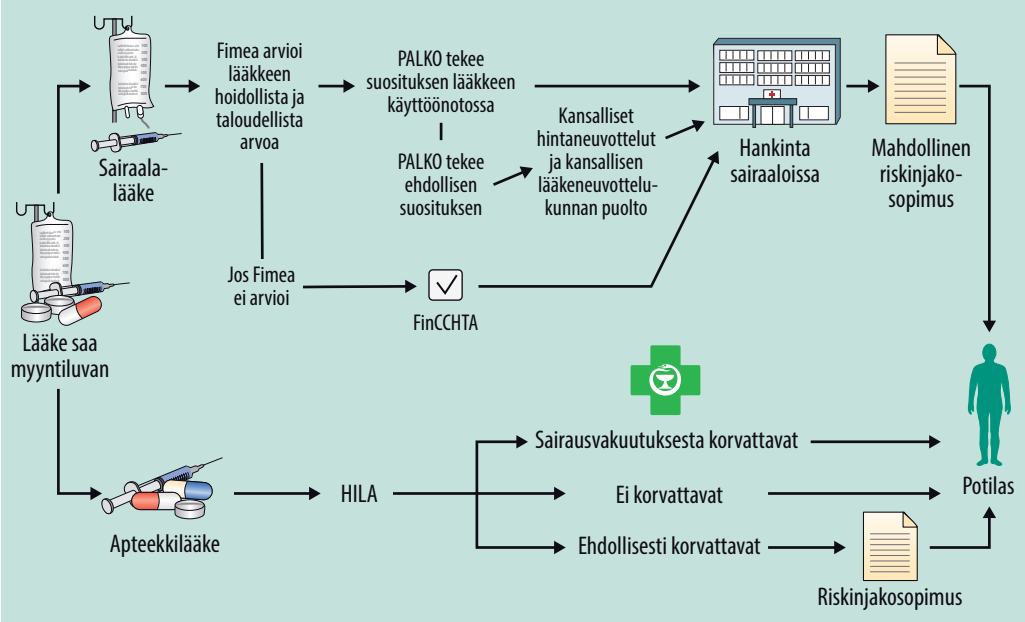
Nykyisin EMA puoltaa uusien lääkkeiden myyntilupia yhä useammin nopeutetussa prosessissa, joka lyhentää käsittelyajan 210 päivästä 150 päivään. Oletus tässä liittyy siihen, että ainakin osa uusista lääkkeistä olisi selvästi vanhoja syöpälääkkeitä tehokkaampia tai ne toisivat tarjolle kokonaan uusia hoitomahdollisuuksia. Samalla uusien lääkkeiden tyypillisestä kalleudesta huolimatta yksittäisten hoitojen kokonaiskulut voisivat vaikuttavuuden kasvun kautta jopa alentua. Myyntiluvan saanti ei kuitenkaan automaattisesti tarkoita sitä, että uusi lääkevalmiste olisi hyödyllisempi kuin jo käytössä olevat lääkkeet, koska EMA arvioi vain lääkkeen tehon ja turvallisuuden mutta ei ota kantaa lääkkeen hoidolliseen vaikuttavuuteen tai kustannusvaikuttavuuteen. Nykyisin ehdolliseen ja määräaikaiseen myyntilupaan voidaan liittää vaatimus pitkäaikaistehon, vaikuttavuuden ja turvallisuuden lisänäytöstä.

Useissa tutkimuksissa on valitettavasti todettu, että monet uudet syöpälääkkeet eivät ole onnistuneet parantamaan syöpiä, merkittävästi lisäämään syöpäpotilaan elämänlaatua tai saavutettavissa olevaa elinaikaa. Vuosina 2003–2021 Yhdysvaltojen lääkevalvontaviranomaisen (FDA) käyttöön hyväksymien uusien syöpälääkkeiden elinaikahyödyn mediaani on ollut 2,8 kuukautta (6). Lisäksi yli puolet uusista lääkkeistä ei ole tuottanut potilaille lisähyötyä, tai hyöty on ollut vähäinen (7).

Yhä keskeisemmäksi muodostunut terveyteen liittyvän elämänlaadun mittaaminen auttaa ymmärtämään, miten hoito vaikuttaa potilaiden hyvinvointiin ja päivittäiseen toimintakykyyn. Syöpähoidon haittavaikutukset voivat usein heikentää merkittävästi potilaiden elämänlaatua. Siksi niiden seuranta on tärkeää myös vaikuttavuuden arvioinnissa.

Lääkehoitojen arviointi Suomessa

Lääkehoidot kehittyvät huimaa vauhtia, ja muun muassa aiempaa pienemmille potilasryhmille kohdennetut lääkkeet saavat myyntiluvan,



KUVA. Näin uusi lääkehoito päätyy potilaalle Suomessa.
PALKO = Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, Fimea = Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus, FinCCHTA = Finnish Center for Health Technology Assessment ja HILA = Hintalautakunta

minkä lisäksi lääkkeen ja lääkinnällisen menetelmän väliset rajat hämärtyvät. Myös avo- ja sairaalahoidon yhtymäkohdat ovat yhä vaativampia uusien, yksilöllisempien lääkehoitojen toteuttamisen kannalta. Tämä aiheuttaa vaatimuksia nykyiselle Suomen monikanavaiselle rahoitusjärjestelmälle, jossa myös lääkkeiden arviointi ja käyttöönottosuositukset tehdään erillään avohoidossa käytettäville ja sairaalalääkkeille. Suomessa lääkkeiden arviointitoiminta on hajautunut usealle eri toimijalle: Hintalautakunta (Hila), Kansaneläkelaitos (Kela), Fimea, Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto (Palko) ja Finnish Center for Health Technology Assessment (FinCCHTA (**KUVA**).

Arvioinneissa huomioidaan tutkimusnäyttö lääkehoidon hyödyistä, haitoista, vaikuttavuudesta, kustannuksista ja kustannusvaikuttavuudesta muihin saman käyttöaiheen tai sairauden hoitovaihtoehtoihin verrattuna. Arviointi- ja päätöksentekoprosessit nykyisellään eroavat sen mukaan, onko kyse sairaala- vai avoterveydenhuollon lääkkeestä. Lääkehoitojen erillisen rahoituksen ja lainsäädännön vuoksi arviointiperusteet, menettelytavat ja päätöksenteko poikkeavat näissä toisistaan. Eikä jako sairaala- ja avoterveydenhuollon lääkkeisiin ole aina myöskään yksiselitteinen tai edes mielekäs ainakaan tilanteissa, joissa eri kanavien kautta toteutuva lääkehoito on potilaan sairauden kannalta yhtä jatkumoa. Hoitoon voi liittyä sekä avoterveydenhuollon- että sairaalalääke, kuten esimerkiksi lenvatinibin ja pembrolitsumabin yhdistelmähoito kohdun runko-osan syövässä. Tavoitteena tulisi jatkossa olla, että arviointia tehtäisiin mahdollisimman samoin perustein ja menetelmin ja että käyttöönottopäätöksiä tehtäisiin vastaavin kriteerein riippumatta siitä, miten lääke annetaan. Tarkoituksenmukaista olisi lähentää avo- ja sairaalalääkkeiden arviointitoimintaa ja siirtyä yksikanavaiseen rahoitusmalliin.

Avoterveydenhuollon lääkkeiden arviointi

Hila päättää, mitkä avohoidossa käytettävät lääkkeet, kliiniset ravintovalmisteet ja perusvoiteet kuuluvat sairausvakuutuksesta rahoitettavan lääkekorvausjärjestelmän piiriin, missä laajuudessa ja millä hinnalla. Kohtuullinen tukkuhinta on enimmäishinta, jolla valmistetta

saadaan myydä apteekeille. Hilan vahvistama tukkuhinta ja lääketaksan (myyntihinnat lasketaan lääketaksa-asetuksen mukaisella laskentakaavalla) perusteella määräytyvä lääkkeen vähittäismyyntihinta on sairausvakuutuksen lääkekorvauksen perusta. Myyntiluvan saanutta lääkettä voidaan myydä ilman vahvistettua tukkuhintaa, mutta silloin potilas ei saa siihen korvausta.

Kela antaa Hilalle pyydettäessä lausunnon lääkkeen korvattavuudesta, ehdotetun tukkuhinnan kohtuullisuudesta ja sairausvakuutukselle aiheutuvista kustannuksista. Kelan tehtävä on lisäksi toimeenpanna Hilan päätökset eli maksaa asiakkaille lääkekorvauksia päätösten mukaisesti. Kun Hila tekee päätöksen rajoitetusta korvattavuudesta, Kela määrittelee tarkemmin, millä lääketieteellisillä edellytyksillä asiakas kuuluu Hilan päätöksen mukaiseen potilasjoukkoon. Kela päättää myös, millaisella selvityksellä korvausoikeuden lääketieteellisten edellytysten täyttyminen osoitetaan ja kuinka pitkäksi ajaksi asiakkaalle voidaan myöntää oikeus korvaukseen.

Myös uusien avoterveydenhuollossa käytettävien syöpälääkkeiden tuloa potilaiden käyttöön on edistänyt vuonna 2017 Suomessa käyttöön otettu ehdollinen korvattavuus. Tämä on mahdollistanut erityisesti uusien syöpälääkkeiden saamisen sairausvakuutuksesta korvattavina potilaiden käyttöön. Ehdollisen korvattavuuden mahdollistavat luottamukselliset sopimukset Hilan ja lääkeyritysten välillä, joilla pyritään hallitsemaan lääkkeiden tutkimusnäyttöön liittyvää epävarmuutta ja käyttöönottoon liittyviä taloudellisia riskejä (8).

Sairaalalääkkeiden arviointi

Sairaalalääkkeille ei ole olemassa yksiselitteistä määritelmää, mutta niitä voidaan luonnehtia esimerkiksi seuraavasti. Lääke on tarkoitettu käytettäväksi pääasiallisesti julkisen terveydenhuollon sairaaloissa, sen pääasiallinen ostaja Suomessa on sairaala tai sen käyttö tai käyttökuntoon saattaminen edellyttävät yleensä sairaalamaisia olosuhteita.

Fimea. Suomessa Fimea tekee arvion sairaalassa käytettävien uusien lääkkeiden hoidollisista ja taloudellisista vaikutuksista tilanteessa, jossa lääkkeen käyttöönottoa harkitaan sairaalassa. Fimean arviointitoiminta aloitettiin vuonna 2016. Arviointi perustuu osittain eri kriteereihin kuin myyntiluvan myöntäminen. Arvioinnissa huomioidaan kliinisten vaikutusten lisäksi myös kustannukset, ja arvioinnin kohteena olevaa lääkehoitoa pyritään mahdollisuuksien mukaan vertaamaan saman käyttöaiheen muihin käytössä oleviin hoitovaihtoehtoihin. Arviointi voi käynnistyä, kun lääke on saanut myyntiluvan. Tähän mennessä näin on pystytty arvioimaan uudet lääkevalmisteet, joiden on arvioitu olevan kansallisesti merkittäviä.

Koska Fimean arviointiresurssit ovat lisääntyneet toiminnan käynnistymisvaiheesta, vuonna 2023 käynnistettiin pilotti, jossa sairaalalääkkeen arviointi voi käynnistyä lääkeyrityksen ehdotuksesta (osittainen hakemusmenettely). Lisäksi Fimea on arviointiylilääkäriverkoston pyynnöstä tehnyt jo käytössä olevien lääkkeiden uusien käyttöaiheiden vaikuttavuusarviointeja käyttöönottoon liittyvän päätöksenteon tueksi (9).

Palkon tehtävänä on antaa suosituksia siitä, mitkä tutkimus-, hoito- ja kuntoutusmenetelmät kuuluvat julkisin varoin rahoitettuun terveydenhuollon palveluvalikoimaan Suomessa eli käytännössä ottaa kantaa siihen, kannattaako hoitomenetelmä ottaa käyttöön sairaalassa vai ei. Lääkkeiden osalta sen yhtenä tehtävänä on Fimean tuottaman arviointiraportin perusteella laatia sairaaloissa käytettäviksi tarkoitetusta lääkkeestä tutkimusnäyttöön perustuva suositus, jossa otetaan huomioon lääkkeen terveydellinen hyöty ja hoidollinen arvo (vaikuttavuus) sekä kustannusvaikuttavuus. Palko vertaa suosituksissaan lääkkeitä olemassa oleviin hoitovaihtoehtoihin ja ottaa kantaa terveydenhuollon eettisiin ja järjestämiseen liittyviin näkökohtiin. Suositus voi olla myönteinen, ehdollisesti myönteinen (esimerkiksi potilasryhmärajaus, hinnanalennus) tai kielteinen. Viime vuosina Palkon toiminta on keskittynyt erityisesti uusia, kalliita sairaalalääkkeitä koskeviin suosituksiin, joissa ongelmana on epävarma tutkimusnäyttö, kuten on usein uusien syöpälääkkeiden kohdalla.

Hintaneuvottelu. Mikäli Palkon suositus on ehdollinen, vaatimuksena julkista tukku-

Ydinasiat

- Uudet syöpälääkkeet tulevat usein aiempaa nopeammin ja vähäisemmällä näytöllä käyttöön.
- Lääkkeiden käyttöönottoa arvioidaan Suomessa tarkasti mutta erillään avohoidossa ja julkisen terveydenhuollon laitoksissa käytettäville lääkkeille.
- Lääkkeiden arviointi- ja päätöksentekojärjestelmää uudistetaan Suomessa yhtenäistämällä avohoidon- ja sairaalalääkkeiden käyttöönottoon liittyvät arviointiprosessit ja -kriteerit.
- On tärkeää saada uudet hyvät syöpälääkkeet nopeasti käyttöön, mutta niiden jatkuvasti kallistuva hinta rasittaa jo nyt terveydenhuollon kantokykyä.

hintaa merkittävästi alempi hinta, valmisteesta tulee käydä hintaneuvottelu myyntiluvanhaltijan kanssa. Tätä menettelyä edellytetään erityisesti tilanteissa, joissa lääkkeen kustannusvaikuttavuuteen suhteessa jo käytössä oleviin hoitovaihtoehtoihin liittyy merkittävää epävarmuutta tai kustannukset arvioidaan kohtuuttomiksi saavutettavaan terveyshyötyyn nähden. Hintaneuvottelut toteutetaan kansallisesti, ja HUS Apteekki toimii hankintarenkaiden valtuuttamana neuvottelijana lääkehankinnoissa. Kansallinen lääkeneuvottelukunta joko puoltaa ehdotetun sopimuksen hyväksymistä tai esittää sen hylkäämistä. Kansalliseen lääkeneuvottelukuntaan kuuluvat yliopistosairaaloiden johtajaylilääkärit. Lopullinen päätös näiden uusien kalliiden lääkkeiden käyttöönotosta tehdään erikseen kullakin hyvinvointialueella. Hoidollisen arvon epävarmuuksia pyritään myös hallitsemaan sairaaloiden ja myyntiluvanhaltijan välisillä riskinjakosopimuksilla, joiden perusteella lääkehoidosta maksetaan vain, jos se saavuttaa ennalta määritellyt vaikuttavuustavoitteet (10). Tiedot hoidon vaikuttavuudesta kerätään sairaaloiden potilastietojärjestelmistä sopimuksissa määriteltyinä kliinisesti merkityksellisinä ajankohtina.

Sairaalatasoiset lääkearvioinnit FinCCHTA:n arviointiverkostossa

FinCCHTA on kansallinen HTA-koordinaatioyksikkö, jonka tehtävänä on koordinoida terveydenhuollon menetelmien arviointia hyvinvointialueilla. Arviointiverkoston ydinjoukon muodostavat yliopistosairaaloiden arviointiylilääkärit ja muut hyvinvointialueiden arviointitoiminnasta vastaavat henkilöt.

Sairaaloissa on sovittu uusien menetelmien, myös lääkkeiden, käyttöönotosta Mini-HTA-arviointia käyttäen. Mini-HTA on tarkistuslistamainen lomake, jossa esitetyillä kysymyksillä kartoitetaan arvioitavan menetelmän vaikuttavuutta, turvallisuutta, soveltuvuutta käyttöön ja lisäksi kustannusvaikuttavuutta. Vertailu tehdään käytettävissä oleviin hoitomuotoihin. Arviointeja tehdään pääasiassa sellaisista sairaalalääkkeistä, joista Fimea ei tee arviointia, mutta myös lääkkeiden virallisesta käyttöaiheesta poikkeavasta (off-label) käytöstä, avohoidon lääkkeiden sairaalakäytöstä ja käytöstä luopumisesta. Yliopistosairaaloissa on säännöllisesti kokoontuvat lääketyöryhmät tai -neuvottelukunnat, jotka käsittelevät yksittäisen kliinikon tekemän ehdotuksen ja arviointiylilääkärin tekemään koosteen perusteella, onko kyseinen valmiste mahdollista ottaa valikoimaan mukaan. Arvioista tiedotetaan arviointiylilääkäriverkostoa, usein myös valmistellaan yhteinen kanta arvioitavaan lääkkeeseen ennen lääketyöryhmien kokousta. Yksittäistä potilasta koskeva potilaskohtaisen käyttöluvan hakeminen sairaalan sisäisellä potilaskohtaisella mini-HTA-arviolla on myös mahdollinen toimintamalli (11).

Uusien syöpälääkkeiden käyttöönoton jälkeisen seurannan ja arvioinnin tulevaisuus

Jatkuvalla arviointitoiminnan kehitystyöllä pyritään uusille innovatiivisille sairaalalääkkeille tekemään hallittu, ennustettavissa oleva ja läpinäkyvä prosessi, jonka lopputuloksena potilaat saisivat parhaan mahdollisen ja myös yhteiskunnan kannalta kustannusvaikuttavan hoidon. Suomi on ollut uusien lääkkeiden ar-

vioinnissa ja suosituksen valmistelussa usein liikkeellä varhain ja tavoitteena on ollut nopea päätöksenteko.

Uusien syöpälääkkeiden tyypillisesti kalliit hinnat, kokonaiskustannusten jatkuva kasvu ja yhteiskunnan kantokyky on otettava huomioon myös syöpälääkkeiden hyväksymisprosesseissa ja käyttöönotoissa. Suurin haaste uusien syöpälääkkeiden käyttöönotossa on epävarmuus näiden usein erittäin kalliiden lääkkeiden vaikuttavuudesta ja lisäarvosta nykyhoitoon verrattuna. Lääkkeiden käytön systemoidut seurantamekanismit ovat vasta kehittymässä, ja on ollut vaikeaa varmentaa, mikä on lääkehoitojen todellinen kliininen hyöty potilaille. Ratkaisuksi toivotaan lähes reaaliaikaista arkivaikuttavuustietoa (RWE; Real World Evidence), mutta toistaiseksi tietojärjestelmät eivät ole riittävän kehittyneitä tällaisen vaikuttavuustiedon tuottamiseen. RWE-tiedoilla voisi siis kerätä lisänäyttöä hoidon tehosta, vaikuttavuudesta, haittavaikutuksista ja turvallisuudesta. Julkisten sairaaloiden mahdollisuus tuottaa kattavaa tietoa syövän hoidon arkivaikuttavuudesta on vielä varsin rajallinen, varsinkin, kun potilaskertomuksien tiedot eivät sisällä riittävästi arkivaikuttavuusarviointiin tarvittavia rakenteisesti kirjattuja kliinisiä hoidon lopputuloksia (mittareita).

Koska lääkearviointiprosessin päätösten tueksi tutkimusnäytön lisäksi tarvitaan jatkossa riittävän vahvaa RWE-näyttöä, on sitä varten kehitetty terveystietojen tietomalli, OMOP (Observational Medical Outcomes Partnership) -dataharmonisointi (12). Se mahdollistaa tietoturvallisen, hajautetun eli federoidun tietoanalyysin anonymisoiduilla potilastiedoilla ilman, että potilaskohtaisia tietoja täytyy yhdistää, jolloin tietoturvaan ja tietosuojalainsäädäntöön liittyvät rajoitukset vältetään. Uuden lääkkeen käyttöönoton jälkeen hoidon kliinisten vaikutusten seurantaan voidaan tuottaa harmonisoitua tietoa ja toteuttaa jatkuvaa arviointia lääkkeen turvallisuudesta ja vaikuttavuudesta. OMOP:n dataharmonisaatio auttaa siis standardoimaan ja muuntamaan erilaisia terveysdataformaatteja yhdenmukaisiksi tietorakenteiksi. Tämä helpottaa terveysdatan analysointia ja yhdistämistä eri tietolähteiden välillä. Kun terveysdata on harmonisoitu OMOP-standardien mukaisesti, on mahdollista tehdä laajoja analyyseja ja arvioida lääkkeiden tehokkuutta ja turvallisuutta (PASS ja PAES-tutkimukset) (5).

EMA ja Euroopan lääkevalvontaverkosto (European medicines regulatory network) ovat yhdessä perustaneet DARWIN EU -koordinaatiokeskuksen ja verkoston, jonka tehtävänä on tuottaa ajantasaista ja luotettavaa OMOP-harmonisoitua tietoa lääkkeiden käytöstä, turvallisuudesta ja vaikuttavuudesta (5). Suomesta FinOMOP vastaa Euroopan lääkevirastolta DARWIN-verkostolle tuleviin tietopyyntöihin sovitusti OMOP-tietomallin mukaisesti.

RWE-tieto auttaa terveydenhuollon päätöksentekijöitä varmentamaan syöpälääkkeiden käyttöönoton päätöksien ja korvattavuuksien mielekkyyden sekä auttaa näiden päätösten uudelleenarviointia kuin myös päätöstä lääkkeiden käytöstä poistamisesta. Oleellista on myös se, että sekä lääkeyritys että terveydenhuollon palvelun tarjoajat saavuttavat yksimielisyyden lääkkeen tosiasiallisen vaikututtavuuden mittaamisesta sekä lopulta sen vaikutuksesta lääkkeen hinnoitteluun. RWE-tiedon lisääntyvää käyttöä puoltaa se, että etenkin uusimmista lääkkeistä on pitkän aikavälin vaikuttavuustietoa vasta vähän ja esiin ovat vasta myös piirtymässä ne geneettiset ja muut yksilöivät piirteet, jotka liittyvät hyvään hoitovasteeseen.

Lopuksi

Lääkehoidot kehittyvät ja uudistuvat. Nykyinen monta eri toimijaa käsittävä arviointijärjestelmä kaipaa uudistamista. Tavoitteena tulisi olla, että arviointia tehtäisiin mahdollisimman samoin perustein ja menetelmin sekä käyttöönottopäätöksiä vastaavin kriteerein täysin riippumatta siitä, miten lääke annetaan. Tarkoituksenmukaista olisi yhtenäistää ja uudistaa avohoidon ja sairaalalääkkeiden käyttöönottoon liittyvät arviointiprosessit ja -kriteerit ja rahoitusmallit. Sosiaali- ja terveysministeriö onkin asettanut lääkkeiden arviointitoiminnan uudistamista valmistelevan työryhmän toimikaudeksi 13.5.2024–30.9.2025. ■

KIRJALLISUUTTA

1. Seppä K, Tanskanen T, Heikkinen S, ym. Syöpä 2021. Tilastoraportti Suomen syöpätilanteesta. Helsinki: Suomen Syöpärekisteri 2023. https://syoparekisteri.fi/assets/files/2023/05/Syopa_2021_final_31052023.pdf.
2. TutkiHallintoa.fi. www.tutkihallintoa.fi.
3. Terveydenhuollon menot ja rahoitus 2020. Helsinki: THL 2023. www.julkari.fi/handle/10024/146539.
4. Syövän kustannukset Suomessa. Nordic Healthcare Group ja Syöpäsäätiö. https://syopa.azurewebsites.net/home/run?reportid=96b30451-1be3-42a8-9b75-62248531b428&groupid=bbae2e7e-5577-4070-a901-bd5456df5629.
5. European Medicines Agency. www.ema.europa.eu.
6. Michaeli D, Michaeli T. Overall survival, progression-free survival, and tumor response benefit supporting initial US Food and Drug Administration approval and indication extension of new cancer drugs, 2003–2021. J Clin Oncol 2022;40:4095–106.
7. Brinkuis F, Goettsch W, Mantel-Teeuwisse A, ym. Added benefit and revenues of oncology drugs approved by the European Medicines Agency between 1995 and 2020: retrospective cohort study. BMJ 2024;384:e077391.
8. Lääkkeiden hintalautakunta. www.hila.fi.
9. Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus. www.fimea.fi.
10. Terveydenhuollon palveluvalikoima. www.palveluvalikoima.fi.
11. FinCCHTA. Kansallinen HTA-koordinaatioyksikkö. www.oys.fi/fincchta.
12. Laitinen T, Virkki A, Porkka K. FinOMOP: terveystietojen kansainvälinen harmonisointi. Duodecim 2022;138:1761–3.

TEUVO ANTIKAINEN, LT, dosentti, gastroenterologisen kirurgian ja lastenkirurgian erikoislääkäri, arviointiylilääkäri
HYVAKS

KATI KINNUNEN, dosentti, silmätautien erikoislääkäri, arviointiylilääkäri
PSHVA

NIINA KOIVUVIITA, dosentti, nefrologian erikoislääkäri, arviointiylilääkäri
VARHA

MINNA MARTTILA-VAARA, dosentti, sisätautien ja infektiosairauksien erikoislääkäri, arviointiylilääkäri
VARHA

SAMI PAKARINEN, LT, sisätautien ja kardiologian erikoislääkäri, arviointiylilääkäri
HUS

ANNA-KAISA PARKKILA, dosentti neurologian erikoislääkäri, arviointiylilääkäri
PIRHA

JOHANNA LIINAMAA, dosentti, silmätautien erikoislääkäri, arviointiylilääkäri
POHDE

MINNA LINNA, LL, neurologian erikoislääkäri, eMBA, vaikuttavuuslääkäri
EKHVA

HANNA-MARI JAUHONEN, dosentti, silmätautien erikoislääkäri, pääsihteeri
PALKO

TEEMAN TOIMITTAJAT
Pauliina Kitti, Annika Pasanen ja Riikka Nevala

SIDONNAISUUDET

Teuvo Antikainen: Luentopalkkio/asiantuntijapalkkio (Lääkäriseura Duodecim), korvaukset koulutus- ja kongressikuluista (Lääkäriseura Duodecim), luottamustoimet (PALKO, FinCCHTA, THL, NASCE/ UEMS), hankkeet (PALKO)

Kati Kinnunen: Luottamustoimet (Terveyspoliittisen valiokunnan jäsen, Pohjois-Savon YTA, Lääkäriliitto), luottamustoimet (PALKO), muut sidonnaisuudet (Visionit Oy (2078666-1), tarjoaa silmälääkäripalveluita, 50 % omistusosuus)

Niina Koivuviita: Luottamustoimet (Puheenjohtaja, Suomen Lääkäriliitto Varapuheenjohtaja, Suomen Nefrologiyhdistys Valtuuskunnan jäsen, Suomen Erikoislääkäriyhdistys

Minna Marttila-Vaara: Ei ilmoitusta sidonnaisuuksista

Sami Pakarinen: Luottamustoimet (Palveluvalikoimaneuvoston lääkejaoksen jäsenyys)

Anna-Kaisa Parkkila: Luottamustoimet (Palveluvalikoimaneuvoston lääkejaoksen jäsenyys; Kela, Sosiaalilääketieteellisen neuvottelukunnan asiantuntijajäsen, lääkejaoksen jäsen; THL, laaturekisteriohjausryhmän jäsen)

Johanna Liinamaa: Luottamustoimet (Oulun Lääketieteellinen tutkimussäätiö, varapuheenjohtaja), korvaukset koulutus- ja kongressikuluista (Santen (luentopalkkio), Thea (koulutusmatka)), hankkeet (STM, Hyvän työn ohjelma, selvityshenkilö)

Minna Linna: Luottamustoimet (Aivoliitto ry, hallituksen puheenjohtaja 2022–23, hallituksen jäsen 2024–)

Hanna-Mari Jauhonen: Hankkeet (Kansallinen palvelureformi, STM, Lääkkeet ja apteekkitalous hanke, STM)