

Vastaus kirjalliseen kysymykseen KKV 83/2018 vp

Vastaus kirjalliseen kysymykseen harvinaisten sairauksien hoidosta ja lääkityksestä

Eduskunnan puhemiehelle

Eduskunnan työjärjestyksen 27 §:ssä mainitussa tarkoituksessa Te, Arvoisa puhemies, olette toimittanut asianomaisen ministerin vastattavaksi kansanedustaja Mia Laihon /kok näin kuuluvan kirjallisen kysymyksen KKV 83/2018 vp:

Miten hallitus edistää harvinaisten sairauksien hoidon järjestämistä ja

miten hallitus aikoo varmistaa, että Suomi ei jää jälkeen muista EU-maista uusien harvinaisten lääkkeiden käyttöönotossa esimerkiksi nusinerseeni-lääkityksen osalta?

Vastauksena kysymykseen esitän seuraavaa:

Harvinaissairaudella tarkoitetaan EU:n harvinaislääkeasetuksen mukaan sairautta, joka on enintään viidellä ihmisellä kymmenestä tuhannesta. Arviolta yli 300 000 suomalaisella on jokin harvinainen sairaus, vamma, oireyhtymä tai epämuodostuma. Väestöstä heitä on noin kuusi prosenttia ja terveydenhuollon palveluiden käyttäjistä merkittävästi tätä suurempi osa. Harvinaislääkkeitä koskeva asetus tuli voimaan EU:ssa huhtikuussa 2000. Asetuksen mukaisesti Euroopan lääkevirasto EMA myöntää hakemuksesta harvinaislääkestatuksia valmistajille, joista kehitetään lääkkeitä harvinaissairauksien hoitoon.

Vuoden 2018 alusta voimaan tulleen valtioneuvoston asetuksen erikoissairaanhoidon työnjaosta ja eräiden tehtävien keskittämisestä (582/2017) nojalla harvinaissairauksien ehkäisy, diagnostiikka, hoito ja kuntoutus on keskitetty viiteen yliopistolliseen sairaalaan. Lisäksi asetus sisältää monien yksittäisten harvinaissairauksien hoidon järjestämistä koskevia säännöksiä, joilla on tarkoitus riittävä osaaminen ja voimavarojen tehokas käyttö ja siten parantaa hoidon laatua ja potilasturvallisuutta. EU:n potilasdirektiivillä on luotu edellytykset perustaa vapaaehtoisia eurooppalaisia osaamisverkostoja erityisesti harvinaissairauksien alalle. Verkostot aloittivat toimintansa viime vuonna ja ensimmäisessä vaiheessa Suomesta niihin osallistuu 11 eri yksikköä. Lisäksi direktiivi edistää harvinaissairauksiin liittyvän tiedon leviämistä muun muassa Orphanet-tietokannan avulla.

Uusien lääkkeiden korkea hinta on noussut ongelmaksi kaikissa korkean elintason maissa. Tällöin joudutaan hakemaan tasapainoa uusien lääkkeiden nopean käyttöönsä saamisen ja terveydenhuollon kustannusten hallinnan välillä. Kaikki uudet lääkkeet eivät tarjoa merkittävää lisähyötyä aiempiin hoitomenetelmiin nähden.

Harvinaislääkkeet ovat usein sairaalalääkkeitä eli niiden anto edellyttää sairaalaolosuhteita. Tällä hetkellä Suomessa kunnat, sairaanhoitopiirit tai niiden muodostamat hankintarenkaat neuvottelevat tosiasiallisen hankintahinnan valmistajan kanssa. Menettelyyn sovelletaan julkisia

Vastaus kirjalliseen kysymykseen KKV 83/2018 vp

hankintoja koskevaa sääntelyä. Kun lääke on patenttisuojan piirissä, lääkevalmistajan halukkuus alentaa hintaa voi olla rajallinen. Toistaiseksi ei ole ratkaistu, miten sairaalaolosuhteissa käytettävien lääkkeiden hankinta ja kustannusten kohdistuminen toteutetaan sote-uudistuksen jälkeen.

Korkean hinnan lisäksi päätöksiä uusien lääkkeiden käyttöönotosta vaikeuttaa se, että tiedot lääkkeen vaikuttavuudesta ja turvallisuudesta voivat heti myyntiluvan myöntämisen jälkeen olla rajalliset. Lääkkeen ostajan näkökulmasta tästä johtuvaa riskiä hallitsemaan on eri maissa kehitetty riskinjakosopimuksia eli hallitun käyttöönoton sopimuksia, joissa lääkkeestä viime kädessä maksettu hinta voidaan sopia riippuvaiseksi lääkehoidon vaikuttavuudesta tai turvallisuudesta. Tällöin myös lääkkeen markkinoija kantaa osan taloudellisesta riskistä.

Avohoidon lääkkeiden osalta toteutettiin vuoden 2017 alusta lakimuutos, jonka mukaan Lääkkeiden hintalautakunta Hila voi hyväksyä uudelle lääkehoidolle korvattavuuden ja tukkuhinnan ehdollisena, jos hoidolle on osoitettu erityinen lääketieteellinen tarve, mutta esimerkiksi lääkevalmisteen käytön kustannusvaikuttavuutta ei vielä voida ennakoida riittävän hyvin. Ehdollista korvattavuutta koskevan päätöksen osana on Hilan ja lääkevalmisteen myyntiluvan haltijan keskinäinen sopimus, jossa on määritelty epävarmuustekijöihin liittyvä vastuunjako.

Sosiaali- ja terveysministeriö on päättänyt toteuttaa vuoden aikana 2018 selvityksen siitä, minkälainen riskinjakosopimusmalli voisi sopia sairaalalääkkeille ja edellyttäisikö se säädösmuutoksia. EU:ssa, OECD:ssä ja WHO:ssa on vireillä selvityksiä ja hankkeita, joilla pyritään edistämään uusien lääkkeiden saamista markkinoille kohtuullisiin hintoihin. Suomi seuraa kansainvälisten toimijoiden hankkeita ja osallistuu niihin tarpeen mukaan. Periaatteet, joiden perusteella kukin maa päättää lääkkeen tarjoamisesta julkisessa terveydenhuollossa, päätetään kuitenkin kansallisesti ja ne vaihtelevat maittain.

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto (Palko) antaa suosituksia siitä kuuluuko jokin terveydenhuollon menetelmä julkisesti rahoitetun terveydenhuollon piiriin. Palko antoi 15.3.2018 suosituksen, jonka mukaan SMA-taudin hoidossa käytettävä nusinerseeni-lääke voisi kuulua terveydenhuollon palveluvalikoimaan lääketieteellisesti määritellyllä potilasjoukolla, mikäli sen todellinen hankintahinta saadaan neuvotteluissa huomattavasti ns. listahintaa matalammaksi.

Eri maiden nusinerseenia koskevissa ratkaisuissa on nähtävissä tavoite saada lääke käyttöön rajatusti määritellylle potilasjoukolle, mutta kohtuullisella hinnalla. Esimerkiksi Alankomaat suosittelee lääkkeelle 85 %:n hinnanalennusta. On tärkeää, että Suomessakin pystytään luomaan menettelyt, joiden avulla pystytään hallitsemaan uusien lääkkeiden käyttöönottoon liittyviä taloudellisia epävarmuuksia ja joiden avulla lääkkeistä tosiasiaassa maksettava hinta voidaan suhteuttaa niistä saatavaan terveyshyötyyn.

Helsingissä 29.3.2018

Vastaus kirjalliseen kysymykseen KKV 83/2018 vp

Perhe- ja peruspalveluministeri Annika Saarikko