

**Atte Rahkonen**  
Farmaseutti  
Korkeakouluharjoittelija, Fimea

**Ulla Härkönen**  
LL  
Tutkijalääkäri, Fimea

**Vesa Kiviniemi**  
FL  
Arviointipäällikkö, Fimea

# Yksilöllistetyn lääkehoidon kehitystrendit

Yksilöllistettyyn lääkehoitoon liittyvä tutkimusnäyttö on usein vähäistä, ja hoidot tulevat Euroopassa saataville viiveellä. Hoitojen käyttöönotto on lisännyt merkittävästi lääkekustannuksia.

Uusille lääkkeille myönnettävien myyntilupien määrä on tuplaantunut 2010-luvulla, ja samalla myös harvinaislääkkeiden suhteellinen osuus on kaksinkertaistunut (**taulukko 1**). Vuonna 2018 EU:n alueella keskitetyn menettelyn kautta myyntiluvan sai 65 uutta lääkevalmistetta (pl. geneeriset valmisteet ja biosimilaarit). Näistä valmisteista noin kolmannes oli harvinaislääkkeitä. Kehittyneitä terapioida (ATMP) oli neljä. Näillä kehitystrendeillä on useita vaikutuksia lääkealaan.

## Yksilöllistetty lääkehoito hyväksytään Euroopassa viiveellä

Myyntilupien myöntämisen ajankohdat Euroopan lääkeviraston (EMA) ja Yhdysvaltain elintarvike- ja lääkeviraston (FDA) välillä poikkeavat jonkin verran. Vuonna 2018 FDA myönsi lääkkeiden myyntiluvat tyypillisesti ennen EMAA. Viiveen mediaani EMAn ja FDAn välillä oli 4,7 kuukautta, harvinaislääkkeiden osalta 7,5 kuukautta ja ATMP-valmisteiden osalta 10–12 kuukautta. Viiveen muodostumiseen voivat vaikuttaa esimerkiksi myynti-

luvan haltijan lanseeraus suunnitelma ja markkina-alueiden ominaispiirteet.

## Vähäisempi tutkimusnäyttö

Yksi kehitystrendi on, että lääkkeet tulevat markkinoille yhä vähäisemmällä tutkimusnäytöllä. Tämä voi

tarkoittaa muun muassa sitä, että lääke tulee markkinoille ilman vaiheen III tutkimusta tai tutkimuksen koeasetelma on yksihaarainen ilman vertailuryhmää. Näiden ohella kliinisen tutkimuksen potilasmäärä voi olla pienempi. Esimerkiksi vuoden 2018 aikana uusille lääkeaineille myönne-

Taulukko 1. Uusille lääkkeille myönnetty myyntiluvat ja harvinaislääkkeiden osuus näistä vuosina 2010–2018. Lähde: EMA 2019

Vuosi	Hyväksytyt uudet lääkeaineet (lkm)	Harvinaislääkkeet (lkm)	Osuus (%)
2010	27	4	15%
2011	38	5	13%
2012	37	8	22%
2013	53	6	11%
2014	57	12	21%
2015	63	13	21%
2016	52	12	23%
2017	57	15	26%
2018	65	21	32%

tyistä myyntiluvista 46 % perustui tutkimusaineistoon, jonka potilasmäärä oli alle 500.

Ilman vaiheen III tutkimusta hyväksytyjen uusien myyntilupien osuus on jokseenkin kolminkertaistunut (kuvio 1) viimeisen 10 vuoden aikana. Tämä johtuu pääasiassa harvinaislääkkeiden yleistymisestä. Muilla kuin harvinaislääkkeillä tyypillisesti edellytetään vähintään yhtä vaiheen III tutkimusta.

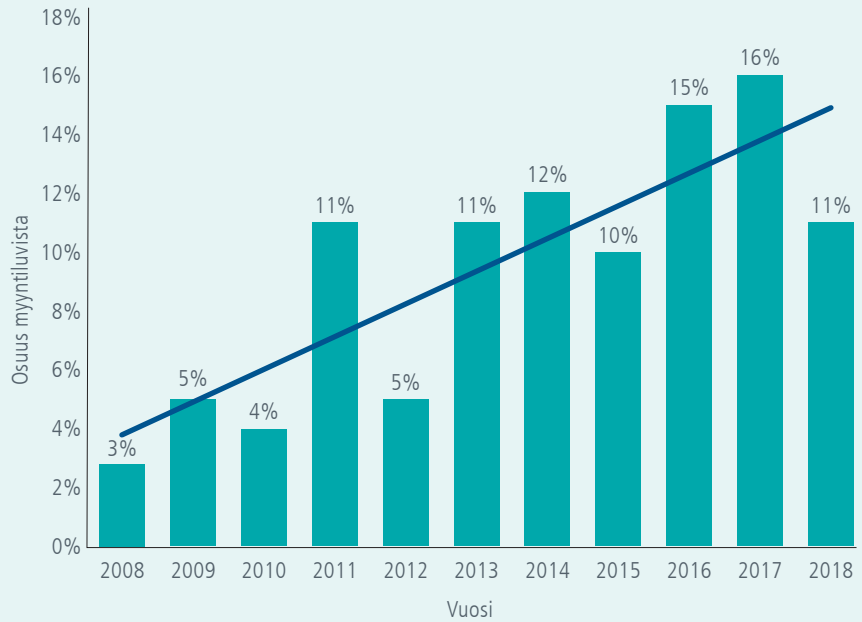
### Yhä useampi potilas saa kallista lääkettä

Kalliilla lääkkeellä ei ole tarkkaa määritelmää. Kalliilla lääkkeellä voidaan tarkoittaa esimerkiksi lääkettä, jonka vuotuiset kustannukset yhtä Kela-korvauksen saanutta henkilöä kohden ovat keskimäärin 30 000 euroa tai enemmän.

Vuonna 2008 tällaisia avohoidon lääkevalmisteita oli seitsemän ja vuonna 2018 niitä oli 31. Vuonna 2018 kalliiden lääkkeiden kustannukset olivat yhteensä 119 miljoonaa euroa, ja korvausten saajia oli 2 033 henkilöä (kuvio 2).

Uusien lääkkeiden käyttöaiheet kohdentuvat entistä tarkemmin rajatun potilasjoukon hoitoon. Potilaskohtaiset lääkeshoidon kustannukset nousevat korkeiksi, vaikka hoidon vaikuttavuuteen ja turvallisuuteen liittyy epävarmuutta enenevässä määrin.

Kuvio 1. Uusille vaikuttaville aineille ilman vaiheen III tutkimusta myönnettyjen myyntilupien osuus kaikista myyntiluvista vuosina 2008–2018. Kuvion viiva kuvastaa keskimääräistä trendiä. Lähde: EMA 2019 ja Clinical Trials -tietokanta



Jotta uudet hoitovaihtoehdot olisi-  
vat jatkossakin kansalaisten saata-  
villa, tarvitaan merkittäviä uudistuk-  
sia päätöksenteon prosesseihin sekä  
lääkkeiden hankinta- ja hinnoittelu-  
käytäntöihin. Esimerkiksi riskinjak-  
osopimusten avulla (Autti-Rämö,  
ym., tässä numerossa) voidaan jakaa  
tutkimusnäytön epävarmuudesta ja  
korkeista kustannuksista maksajalle  
aiheutuvaa riskiä lääkeyrityksen kans-  
sa. Harvinaislääkkeiden osalta yhtenä  
vaihtoehtona voisi olla pohjoismai-  
nen yhteistyö lääkehankinnoissa ja  
hintaneuvotteluissa. ●

### KIRJALLISUUTTA

- FDA 2019. FDA approved drug products. [www.accessdata.fda.gov](http://www.accessdata.fda.gov)
- IQVIA 2019. The changing landscape of research and development. Innovation, drivers of change, and evolution of clinical trial productivity. [www.iqvia.com](http://www.iqvia.com)



Kuvio 2. Kalliiden lääkkeiden (yli 30 000 euroa/henkilövuosi) vuotuiset kustannukset ja näistä lääkeshoidon Kela-korvauksia saaneiden henkilöiden määrät. Lähde: Kelasto 2019

