



Merja Merikoski ja Hannes Enlund

# Biologisten lääkkeiden käyttöönotto ja käyttö Suomessa

Terveysturvan käytäntöjä ja näkökulmia





# Sosiaali- ja terveysturvan tutkimuksia 142

KELAN TUTKIMUS | HELSINKI 2016

*Merja Merikoski ja Hannes Enlund*

## ***Biologisten lääkkeiden käyttöönotto ja käyttö Suomessa***

*Terveysturvan käytäntöjä ja näkökulmia*

## **Kirjoittajat**

Merja Merikoski, TtM, tutkija

Hannes Enlund, FaT, tutkimuspäällikkö

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea  
etunimi.sukunimi@fimea.fi

Sarjan julkaisut on hyväksytty  
tieteellisessä arvioinnissa.

© Kirjoittajat ja Kela

Graafinen suunnittelu: Pekka Loiri

ISBN 978-951-669-997-7 (nid.)

ISBN 978-951-669-998-4 (pdf)

ISSN-L 1238-5050

ISSN 1238-5050 (painettu)

ISSN 2323-7724 (verkkojulkaisu)

Juvenes Print  
Tampere 2016

## Tiivistelmä

Merikoski M, Enlund H. **Biologisten lääkkeiden käyttöönotto ja käyttö Suomessa. Terveysturvan käytäntöjä ja näkökulmia.** Helsinki: Kela, Sosiaali- ja terveysturvan tutkimuksia 142, 2016. 88 s. ISBN 978-951-669-997-7 (nid.), ISBN 978-951-669-998-4 (pdf).

Uusia biologisia lääkkeitä tulee markkinoille koko ajan enemmän, ja niiden kustannukset ovat kasvaneet huomattavasti 2000-luvulla. Näihin lääkkeisiin liittyy useita hoidollisia ja yhteiskunnallisia kysymyksiä muun muassa lääkkeiden tehosta, turvallisuudesta, kohdentamisesta, kustannusvaikuttavuudesta ja hinnasta. Tässä tutkimuksessa selvitettiin biologisten lääkkeiden käyttöönottoon ja käyttöön liittyvää päätöksentekoa. Tutkimus toteutettiin vuosina 2013–2014. Tutkimuksessa haastateltiin reuma- ja syöpälääkäreitä sekä sairaala-apteekkareita eri puolilla Suomea. Lisäksi tarkasteltiin päätöksentekoon liittyviä dokumentteja ja lääkehoidon kustannuksia. Päätettäessä uuden lääkkeen käyttöönotosta arvioidaan sen asemaa sairauden hoidossa. Päätökset tehdään organisaatioissa ja jokapäiväisessä potilastyössä. Kaksikanavainen rahoitusjärjestelmä ohjaa valitsemaan korvattavia avohoitolääkkeitä lääketieteellisesti hyväksytyissä rajoissa. Kaksikanavaisuuteen liittyvät käytännöt koetaan ongelmallisina. Päätöksenteossa voidaan päätyä erilaisiin lopputuloksiin riippuen yksilöistä, organisaatioista ja paikallisista tekijöistä. Yksilöt voivat tulkita olemassa olevaa tietoa eri tavoin. Organisaatioiden linjaukset ja paikalliset tekijät, kuten sairastavuus, hoidon järjestämisen käytännöt ja resurssit, vaikuttavat päätöksenteossa. Vaikka erot päätöksenteossa eivät automaattisesti merkitse huonompia tai parempia hoitotuloksia, nousee tutkimuksen perusteella esille tarve yhtenäisille linjauksille kalliiden lääkehoitojen käytössä. Yhtenäiset linjaukset tukevat yhdenvertaisen hoidon toteutumista. Kalliita lääkkeitä koskeva päätöksenteko on yhdistelmä lääketieteellisiä, yhteiskunnallisia ja arvoihin liittyviä tekijöitä. Päätöksentekoa yhteisistä linjauksista voidaan tukea seuraamalla ja tutkimalla lääkkeiden vaikuttavuutta. Lisäksi päätöksenteossa tarvitaan tietoa eri osapuolten näkökulmista ja intresseistä. Kalliiden lääkehoitojen järkevä käyttö yksilöä hyödyttävällä, yhdenvertaisella ja yhteiskunnallisesti kestäväällä tavalla asettaa entistä suuremman haasteen päätöksentekijöille ja väestölle.

**Avainsanat:** lääkkeet, biologiset lääkkeet, uudet lääkkeet, reumalääkkeet, syöpälääkkeet, lääkehoito, käyttöönotto, terveydenhuolto, päätöksenteko, kustannukset

## Sammandrag

Merikoski M, Enlund H. **Ibruktagande och användning av biologiska läkemedel i Finland. Praxis och synvinklar inom hälso- och sjukvården.** Helsingfors: FPA, Social trygghet och hälsa: undersökningar 142, 2016. 88 s. ISBN 978-951-669-997-7 (nid.), ISBN 978-951-669-998-4 (pdf).

Nya biologiska läkemedel lanseras alltmer på marknaden och kostnaderna har ökat kraftigt under 2000-talet. Dessa läkemedel lyfter fram många medicinska och samhällliga frågor bland annat gällande effektiviteten, säkerheten, läkemedelspriserna och kostnadseffektiviteten. Denna undersökning fokuserades på beslutsfattandet i samband med ibruktagandet och användningen av biologiska läkemedel. Undersökningen genomfördes år 2013–2014. I undersökningen intervjuades reumatologer och onkologer samt sjukhusapotekare från olika områden i Finland. Därtill granskades skriftliga dokument med anknytning till beslutsfattandet och kostnadsutvecklingen av biologiska läkemedel. I beslutet om ibruktagandet bedöms det nya läkemedlets ställning i behandlingen av sjukdomen. Besluten fattas både på organisationsnivå och i det praktiska patientarbetet. Finansieringen av läkemedel som sker via två separata kanaler leder till att man väljer av FPA ersatta läkemedel inom medicinskt acceptabla ramar. Tvåkanalsfrågan upplevs på många sätt problematisk i valet av läkemedel. Beslutsfattandet kan leda till olika resultat beroende på enskilda läkare, organisationer och lokala förhållanden. Läkare kan tolka existerande information på olika sätt. Organisationernas riktlinjer och resurser för vården inverkar på beslutsfattandet. Fastän skillnaderna i beslutsfattandet inte automatiskt betyder bättre eller sämre vårdresultat visar undersökningen på behovet av enhetliga riktlinjer i användningen av dyra läkemedel. Dessa riktlinjer stöder en jämlik läkemedelsvård. Beslutsfattandet om dyra läkemedel är en kombination av medicinska, samhällliga och värderingsfrågor. Beslutsfattandet angående gemensamma riktlinjer kan stödjas med uppföljning av och forskning om läkemedlens effektivitet. Beslutsfattandet kräver också kunskap om olika parters synpunkter och intressen. En ändamålsenlig och jämlik användning av dyra läkemedel på ett samhällligt hållbart sätt ställer en allt större utmaning för beslutsfattarna och medborgarna.

**Nyckelord:** läkemedel, biologiska läkemedel, nya läkemedel, antireumatiska läkemedel, cancermediciner, läkemedelsbehandling, ibruktagande, hälso- och sjukvård, beslutsfattande, kostnader

## Abstract

Merikoski M, Enlund H. **Uptake and use of biological medicines in Finland. Health care practices and perspectives.** Helsinki: Kela, The Social Insurance Institution of Finland, Studies in social security and health 142, 2016. 88 pp. ISBN 978-951-669-997-7 (nid.), ISBN 978-951-669-998-4 (pdf).

There is an increasing number of new biological medicines being introduced on the market. The costs of these medicines have risen significantly during the last decade. Biological medicines raise several medical and societal issues such as effectiveness, safety, prices and cost effectiveness. This study focused on decision-making in the uptake of new biological medicines. The study was carried out in 2013–2014. In the study, rheumatologists, oncologists and hospital pharmacists in different parts of Finland were interviewed. In addition, documents related to decision-making and costs of biological medicines were reviewed. When deciding upon the uptake of a new medicine, the position of the medicine in the treatment of the illness is evaluated. The decisions are made both on the organizational level and in connection to daily patient care. Finnish two-tier financing of medicines (Kela, the Finnish Social Insurance Institution, for primary care and hospitals for secondary care) favors medicines funded by Kela within the limits of medical consideration. The two-tier system and the related practices are perceived to be problematic. Decision-making can end up in different outcomes, due to individual, organizational and local factors. Although different outcomes in decision-making do not automatically lead to better or worse treatment outcomes, the study shows that there is a rising need for consistent guidelines for the use of expensive medicines. Consistent guidelines support equal treatment practices. Decision-making on expensive medicines is a combination of medical, societal and value-related issues. Introduction of consistent guidelines can be supported by monitoring and research on effectiveness of new medicines. In addition, there is a need for knowledge on different views and interests in decision-making, from different parties involved. The rational use of expensive medicines in a way which is beneficial and equal for patients and sustainable for society is an increasing challenge for decision-makers and citizens.

**Keywords:** drugs, biological drugs, new drugs, antirheumatic medicines, cancer medicines, drug therapy, adoption, health care, decision-making, costs

## **ALKUSANAT**

Tässä vuosina 2013–2014 toteutetussa tutkimuksessa tarkastellaan biologisten lääkkeiden käyttöönottoon ja käyttöön liittyviä käytäntöjä, päätöksentekoa ja näkökulmia. Tutkimuksessa on hyödynnetty haastattelu-, dokumentti- ja rekisteriaineistoa.

Kiitämme Kelaä tutkimuksen rahoituksesta, yhteistyökumppaneitamme Fimeassa ja Itä-Suomen yliopistossa työhön osallistumisesta ja organisaatioita eri puolilla Suomea myönteisestä suhtautumisesta haastattelupyyntöihimme. Erityisen lämpimät kiitokset osoitamme kaikille haastatteluihin osallistuneille henkilöille.

*Kuopiossa joulukuussa 2015*

*Kirjoittajat*



## SISÄLTÖ

<b>1 JOHDANTO</b> .....	9
1.1 Uusien lääkkeiden kustannukset kasvavat .....	9
1.2 Lääkkeitä koskevan päätöksenteon rakenteet Suomessa .....	10
1.3 Biologiset lääkkeet nivelreuman ja syöpäsairauksien hoidossa .....	12
<b>2 TUTKIMUKSEN TOTEUTTAMINEN</b> .....	14
2.1 Tavoitteet ja rajaukset .....	14
2.2 Aineiston kuvaus .....	14
2.3 Haastattelujen toteuttaminen .....	16
2.4 Menetelmät ja raportointi .....	16
<b>3 VIRANOMAISTIETO JA HOITOSUOSITUKSET KÄYTTÖÖNOTOSSA</b> .....	18
3.1 Viranomaispäätökset ja hoitosuositukseset .....	18
3.2 Biologisten lääkkeiden kustannukset .....	20
<b>4 KAKSIKANAVAISUUS KÄYTÄNNÖSSÄ</b> .....	27
4.1 Valinnat ja kustannukset .....	27
4.2 Hoidon järjestämisen käytännöt .....	28
<b>5 KÄYTTÖÖNOTON PROSESSIT</b> .....	31
5.1 Sairaalalääkkeet .....	31
5.2 Sairaalalääkkeiden hankinta .....	34
5.3 Avohoitolääkkeet .....	35
5.4 Päätöksenteon erot .....	36
<b>6 KÄYTÖN OHJAUS JA SEURANTA</b> .....	38
6.1 Ohjauksen käytännöt .....	38
6.2 Seurannan käytännöt .....	40
<b>7 LÄÄKÄRIN PÄÄTÖKSENTEKO</b> .....	42
7.1 Tekijät päätöksenteon taustalla .....	42
7.2 Hyödyn ja haitan suhde .....	44
7.3 Suositukset ja linjaukset .....	44
7.4 Hinta ja kustannusten jakautuminen .....	45
7.5 Lääketeollisuus .....	46
7.6 Kokemukset, mielikuvat ja käytännöllisyys .....	47
<b>8 KLIININEN PÄÄTÖKSENTEKO REUMATAUTIEN HOIDOSSA</b> .....	49
8.1 Biologisten lääkkeiden asema .....	49
8.2 Kliinisen päätöksenteon avainkohtia .....	50

<b>9 KLIININEN PÄÄTÖKSENTEKO SYÖPÄTAUTIEN HOIDOSSA</b> .....	53
9.1 Biologisten lääkkeiden asema .....	53
9.2 Kliinisen päätöksenteon avainkohtia .....	54
<b>10 ESIMERKKILÄÄKKEET JA HOITOKÄYTÄNTÖJEN VAIHTELU</b> .....	58
10.1 Hoitokäytäntöön vakiintunut lääke .....	58
10.2 Ajan myötä muuttuneet käsitykset .....	60
10.3 Huomattavan kallis lääke .....	61
10.4 Valinta lääkeaineryhmän sisällä .....	63
10.5 Esimerkkitapaukset hoitokäytäntöerojen kuvaajina .....	64
<b>11 MUUTOKSESSA MUKANA</b> .....	66
11.1 Biosimilaarien käyttöönotto .....	66
11.2 Tiedon tarpeet ja verkostot .....	69
11.3 Hoitojen hallinta tulevaisuudessa .....	71
<b>12 YHTEENVETO</b> .....	75
12.1 Tutkimuksen asema ja merkitys .....	75
12.2 Käyttöönotto ja päätöksenteko .....	76
12.3 Kaksikanavaisuuden käytännöt .....	77
12.4 Päätöksenteon tueksi tulevaisuudessa .....	77
<b>13 JOHTOPÄÄTÖKSET</b> .....	79
<b>14 SUOSITUKSET</b> .....	80
<b>LÄHTEET</b> .....	81
<b>LIITELUETTELO</b> .....	85

## 1 JOHDANTO

Biologiset lääkkeet ovat tulleet osaksi sairauksien lääkehoitoa, ja uusien lääkkeiden kehitys on jatkuvaa. Hoitojen teho, turvallisuus ja kustannukset koskettavat niin sairaudesta kärsiviä yksilöitä kuin terveydenhuollon kulujen hallitsemiseen tähtäävää yhteiskuntaa. Eri lääkkeiden asema hoidossa ja hoitojen oikea kohdentaminen nousevat arvioitaviksi joka kerta, kun uusi lääke haastaa aiemmat hoitovaihtoehdot.

Biologisen lääkkeen käyttöönotto tarkoittaa lääkkeen ottamista yhdeksi vaihtoehdoksi sairauden hoidossa. Lääke otetaan käyttöön lääketieteen, yhteiskunnallisten järjestelmien, lääketeollisuuden, terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden muodostamassa verkostossa, jossa on erilaisia intressejä ja asioita tarkastellaan eri näkökulmista. Käytännössä uuden lääkkeen käyttöönotto toteutuu terveydenhuollon organisaatioissa ja lääkäreiden vastaanotoilla.

Tässä Kelan rahoittamassa ja Fimean toteuttamassa tutkimuksessa kartoitettiin biologisten lääkkeiden käyttöönottoon ja käyttöön liittyviä asioita julkisessa terveydenhuollossa haastatteluaineiston, kirjallisten dokumenttien ja rekisteritiedon avulla. Tutkimus toteutettiin reuma- ja syöpätautien erikoisaloilla sekä sairaala-apteeekeissa. Tutkimuksen taustalla on tarve saada käytännön tietoa biologisten lääkkeiden käyttöönottoon ja käyttöön liittyvästä päätöksenteosta.

Etsittäessä tapoja käyttää kalliita lääkehoitoja yksilöä hyödyttävällä, yhdenvertaisella ja yhteiskunnallisesti kestäväällä tavalla tarvitaan tietoa, keskustelua ja eri osapuolten näkökulmien huomioimista osana päätöksentekoa. Tässä tutkimuksessa käsitellään lääkkeitä koskevaa päätöksentekoa Suomessa terveydenhuollon organisaatioiden ja kliinisen työn näkökulmista.

### 1.1 Uusien lääkkeiden kustannukset kasvavat

Kahden viimeisen vuosikymmenen aikana lääkekustannukset ovat muutamaa poikkeusvuotta lukuun ottamatta kasvaneet vuosittain. Tämä ei koske yksinomaan Suomea vaan myös muita teollisuusmaita. Syyt kustannusten kasvuun ovat lääkkeiden lisääntynyt käyttö, ehkäisevän lääkityksen yleistyminen ja uusien, entistä kalliimpien lääkkeiden käyttöönotto (Martikainen 2012).

Uusia biologisia lääkkeitä on kehitteillä erityisesti autoimmunisairauksien ja syöpäsairauksien hoidossa. Tulevaisuudessa biologiset lääkkeet voivat yleistyä kaikilla terapeuttisilla alueilla. Näitä lääkkeitä voidaan pitää hoidollisena edistysaskeleena monissa taudeissa. Tietoa biologisten lääkkeiden vaikutuksista ja kustannusvaikutavuudesta verrattuna tavanomaisiin lääkkeisiin ja muihin uusiin lääkkeisiin on pidemmällä aikaperspektiivillä kuitenkin vielä rajallisesti.

Yhdysvalloissa biologisten lääkkeiden myynti muodostaa jo 50 prosenttia lääkkeiden kokonaisymyynnistä, kun se Euroopassa on vasta runsaat 20 prosenttia (Gabi Online 2015). Kuitenkin jo nyt Euroopan kymmenen eniten myydyin lääkkeen joukossa on kahdeksan biologista lääkettä. Biologisten lääkkeiden merkittävä osuus lääkekustannusten kasvusta johtuu korkeista yksikköhinnoista, vaikka näitä lääkkeitä käyttävien potilaiden määrä on vielä toistaiseksi suhteellisen pieni. Biologisten lääkkeiden markkinatilanteisiin vaikuttaa myös biosimilaarien eli biologisten lääkkeiden kopioiden markkinoille tulo patenttisuojausten raukeamisen myötä. Ne voivat tulevaisuudessa tuoda helpotusta kustannuspaineisiin. Biosimilaareihin liittyy tämänhetkessä keskustelussa ennakkoluuloja, sillä biosimilaari ei ole valmistusmenetelmistä johtuen täysin identtinen alkuperäislääkkeen kanssa.

Päätöksen biologisten lääkkeiden myyntiluvan myöntämisestä tekee keskitetysti Euroopan lääkevirasto EMA, eikä päätöstä tehtäessä arvioida lääkkeen yhteiskunnallista hyötyä tai oteta siihen kantaa. Myyntiluvan myöntämiseksi riittää, että valmistaja osoittaa lääkkeen tehoavan verrattuna lumelääkkeeseen ja olevan riittävän turvallinen käyttötarkoitukseensa. Uuden lääkkeen tulee myös täyttää tietyt laatuvaatimukset. Myyntilupaa myönnettäessä ei vaadita lääkkeen vertailevaa tutkimusta jo markkinoilla oleviin hoitovaihtoehtoihin. Lääkekustannusten kasvamisesta huolimatta kaikki uudet lääkkeet eivät ole tuottaneet merkittävää hoidollista lisäarvoa (Prescrire International 2014). Tällöin lopullinen yhteiskunnallinen hyöty voi jäädä vähäiseksi.

Kustannusten yhä kasvaessa kalliit lääkkeet tuovat esille kysymyksen yhteiskunnan rajallisten resurssien käytöstä parhaalla mahdollisella tavalla. Lääkkeet ovat yksi osatekijä sairauksien aiheuttamissa kokonaiskustannuksissa. Uusi lääke ei ole automaattisesti parempi kuin vanha, ja toisaalta kalliskin lääke voi olla kustannusvaikuttava kokonaisuuden kannalta. Lääkevalinnoilla voidaan vaikuttaa hoitotuloksen ohella sekä yhteiskunnan että potilaan lääkekustannuksiin. Rationaalinen lääkehoito on noussut lääkepolitiikan keskiöön kansallisella ja kansainvälisellä tasolla. Lääkkeiltä edellytetään tehoa, turvallisuutta ja kustannusvaikuttavuutta rajallisista resursseista saatavan hyödyn maksimoimiseksi. (STM 2011.)

## 1.2 Lääkkeitä koskevan päätöksenteon rakenteet Suomessa

Lääkkeen määrääjille ja käyttäjille lääkkeiden saatavuus, käytön järjestäminen ja rahoitus Suomessa näkyvät avohoitolääkkeinä, sairaalalääkkeinä ja itsehoitolääkkeinä. Lääkkeiden rahoitus on yksi esimerkki monikanavaisuudesta terveys- ja sosiaalialalla, sillä lääkkeiden kustannuksiin osallistuu monta eri tahoa, kuten sairaalat, Kela, vakuutusyhtiöt ja lääkkeiden käyttäjät. Yhtenä monikanavaisuuden ongelmana pidetään mahdollisuutta osaoptimointiin eli hoito- ja kustannusvastuun siirtämiseen toimijalta toiselle, jolloin kokonaisuus hoitojen hallinnassa ja tarkoituksenmukaisuudessa voi kärsiä (Pekurinen ym. 2011). Pirstaleisuus lääkkeiden rahoituksessa voi vaikuttaa lääkevalintoihin, lääkkeiden käyttöön ja käytön ohjaukseen. Lääkkeiden määrääminen

sairaala- ja avohoidon rajapinnassa on yksi esimerkki monikanavaisesta rahoituksesta ja siihen liittyvistä ongelmista terveydenhuollossa.

Lääkkeen korvattavuudella on keskeinen merkitys kalliin avohoitolääkkeen käyttöönotossa ja käytön yleistymisessä. Lääkkeiden korvausjärjestelmä on merkittävä lääkkeiden määräyskäytäntöä ohjaava tekijä (Martikainen 2012). Korvausjärjestelmän piiriin kuuluvien avohoitolääkkeiden hinnat hyväksytään sosiaali- ja terveysministeriön yhteydessä toimivassa lääkkeiden hintalautakunnassa (Hila), ja Kela maksaa lääkekorvaukset voimassa olevan sairausvakuutuslainsäädännön perusteella. Kelan maksamien korvausten perusteella voidaan seurata lääkkeiden käyttöä ja kohdentumista yksilö- ja ryhmätasolla.

Sairaalalääkkeiden käyttöönottopäätökset ovat pitkälti terveydenhuollon organisaatioiden omalla vastuulla. Päätöksentekijöinä ovat organisaatioiden lääkkeitä käsittelevät ryhmät ja ylilääkärit organisaatio- ja aluetasoilla. Uuden lääkkeen käyttöönotosta päätettäessä arvioidaan muun muassa saatavilla olevaa tutkimusnäyttöä, aiempia hoitovaihtoehtoja ja kustannuksia. (Karvonen 2008; Soininen 2014.) Sairaalalääkkeillä ei ole kansallisesti hyväksytyjä hintoja, vaan hankinnat tehdään kilpailutuksen perusteella alueellisissa hankintarenkaissa. Lääkkeiden kustannukset sisältyvät hoitopäivämaksuihin. Toisin kuin korvattavien avohoitolääkkeiden kohdalla, tietoa sairaalalääkkeiden käytöstä potilas- tai ryhmätasolla ei yleensä ole saatavilla muutoin kuin organisaatioiden sisäistä dokumentaatiota käyttämällä.

Sairaala-apteekeilla ei ole lupaa myydä eikä luovuttaa lääkkeitä avohoitoon muutoin kuin laissa erikseen määritellyissä tilanteissa. Sairaalassa määrätty hoito jatkuu monesti avohoidossa, mikäli potilas pystyy annostelemaan lääkkeensä itse ja lääkkeellä on maksaja, joka on käytännössä potilas itse ja Kela. Biologiset lääkkeet annetaan joko injektiona tai infuusiona. Infuusiona annettavien lääkkeiden saamiseksi potilaan on yleensä tultava sairaalaan. Lääkekehityksessä on koko ajan pyrkimys löytää ratkaisuja, joissa siirrytään infuusiolääkkeistä injektio- ja tabletti- tai kapseli- lääkkeisiin. Tämä mahdollistaa avohoidon ja säästää sairaalakustannuksia. Samalla tämä kuitenkin luo paineita lääkekorvausjärjestelmälle, sillä kustannukset siirtyvät sairaaloilta Kelalle monikanavaisen rahoitusjärjestelmän vuoksi.

Hoitava lääkäri päättää ja vastaa aina uuden lääkkeen käyttöönotosta potilastasolla. Lääkäriin päätöksentekoa ja lääkkeen määräämistä on tutkittu 1960-luvulta asti (Lilja 1976). Päätöksentekoon vaikuttavat hyvin monet eri tekijät, jotka liittyvät muun muassa sairauteen, potilaaseen, lääkkeeseen, lääkäriin ja korvauskäytäntöihin (Jacoby ym. 2003; Prosser ym. 2003; Lublóy 2014). Lääkkeiden markkinointi on tunnetusti merkittävä tekijä uusien lääkkeiden käyttöönotossa. Yhteiskunta pyrkii tukemaan lääkkeisiin liittyvää päätöksentekoa ja lääkkeiden järkevää käyttöä normiohjauksella, taloudellisella ohjauksella ja informaatio-ohjauksella.

Yhteiskunnan näkökulmasta vaatimuksina uuden lääkehoidon maksamiselle tulisi olla paremmat hoitotulokset ja turvallisemmat hoidot. Nykyään uudet lääkkeet ovat

useimmiten niin kalliita, että yksittäisellä potilaalla ei ole mahdollisuuksia hankkia niitä itse. Ne lankeavat yhteiskunnan maksettavaksi, joten paineet lääkekorvausten lisääntymiselle kasvavat koko ajan.

Kallistuvat lääkehoidot, julkisen talouden resurssit, monikanavainen lääkehuollon rahoitus ja väestön ikääntyminen haastavat terveydenhuoltoa käytännön tasolla. Hoidollisten ja taloudellisten tekijöiden yhteentörmäys päätöksenteossa aiheuttaa huolta lääkekulujen hallinnasta ja yhdenvertaisen hoidon toteutumisesta. Yhtenäiset hoitolinjaukset tukevat yhdenvertaisuutta hoitojen käytössä. Tietoon perustuva ja läpinäkyvä järjestelmä, jossa potilaiden, asiantuntijoiden ja päättäjien näkökulmat otetaan huomioon, on mahdollisuus kehittää yhtenäisiä käytäntöjä kalliiden lääkehoitojen käyttöönotossa ja käytössä tulevaisuudessa. (Jyrkkiö ym. 2013.)

### 1.3 Biologiset lääkkeet nivelreuman ja syöpäsairauksien hoidossa

Tässä tutkimuksessa tarkastellaan biologisten lääkkeiden käyttöönottoa ja päätöksentekoa käyttämällä esimerkkeinä keskeisiä reumatautiin ja syöpätautiin hoidossa käytettäviä lääkkeitä. Reumataudeissa yleisesti käytettyjä biologisia lääkkeitä ovat TNF- $\alpha$ -salpaajat, joita käytetään myös tulehduksellisten nivel-, suolisto- ja ihosairauksien hoidossa. Syövän hoidossa käytetään useita biologisia ja ei-biologisia lääkkeitä, joilla on merkittäviä kustannuksia.

Nivelreuman hoidossa suomalaiset hoitokäytännöt eroavat eurooppalaisista suosituksista (Mäkinen ym. 2013). Suomessa käytetään yleisesti perinteisten reumalääkkeiden ja kortisonin yhdistelmähoitoa, jota pidetään tehokkaana, turvallisena ja kustannusvaikuttavana (Möttönen ym. 1999; Leirisalo-Repo ym. 2013). Verrattaessa suomalaisen ja norjalaisen reumayksikön välisiä lääkehoitokäytäntöjä osoitettiin, että lääkehoidon kustannukset olivat biologisten lääkkeiden vuoksi lähes kaksi kertaa suuremmat norjalaisessa hoitoyksikössä hoitotuloksen ollessa yhtäläinen tai suomalaisessa hoitoyksikössä hieman parempi. (Sokka ym. 2013; Sokka-Isler 2014.)

Vaikka hoitokäytännöt eroavat, tavoite nivelreuman hoidossa on oireettomuus. Kustannusnäkökulmasta hyvä hoitotulos säästää yhteiskunnan kuluja, sillä sairaus aiheuttaa merkittävän työkyvyttömyysriskin (Puolakka 2005). Suurin osa nivelreumapotilaista saavuttaa hoitotavoitteet tavanomaisilla reumalääkkeillä, mutta osassa tautimuotoja riittävää vastetta ei tavoiteta. Tällöin biologinen lääke voi kalleudestaan huolimatta olla kustannusvaikuttavaa hoitoa, jos se säilyttää työ- ja toimintakykyä ja parantaa potilaan vointia. (Puolakka ja Leirisalo-Repo 2007; Hannonen ja Korpela 2010; Virkki 2014.)

Syöpäsairauksissa hoitojen mahdollisuudet, rajat ja tavoitteet vaihtelevat parantavien, kroonisten tilojen hoitojen ja elämän loppuvaiheen hoitojen jatkumolla. Jatkuvasti kallistuvat lääkkeet ovat tuoneet päätöksentekoon kysymyksen siitä, voiko lääke olla liian kallis. Valmius maksaa lääkkeestä on hinnan lisäksi arvo- ja tahtokysymys, jota

eri osapuolet määrittelevät eri intresseistä ja näkökulmista käsin. Uusien lääkkeiden kallistuvat hinnat todennäköisesti nostavat päätöksenteossa kustannusnäkökulmia esille entistä enemmän. (Kataja 2014; Soininen 2014.)

Kalliiden hoitojen käyttö on herättänyt julkista keskustelua myös lehdistössä. Tiedotusvälineissä on esitetty kysymyksiä, huolia ja näkökulmia siitä, minkä verran raha vaikuttaa syöpähoitojen käyttöön, ketä hoidetaan ja mihin asti hoitoja jatketaan. Keskustelussa tulee esille näkemyksiä hoitojen yhdenvertaisuudesta ja saatavuudesta sekä taloudellisesta eriarvoisuudesta potilaiden välillä. (Esim. Taloussanomien 25.9.2014.)

Myös lääkärit ovat kiinnittäneet huomiota sekä hoidollisiin mahdollisuuksiin että kasvaviin kustannuksiin uusien, kalliiden lääkkeiden kehittyessä ja tullessa markkinoille. Kasvat kustannukset todennäköisesti hankaloittavat kalliiden lääkkeiden laajamittaista käyttöönottoa ja käyttöä tulevaisuudessa. (Julkunen 2013.) Lääkekulujen hallinta ja huoli yhdenvertaisen hoidon toteutumisesta korostavat tarvetta yhteisille hoitolinjauksille. Uudet, kalliit lääkkeet haastavat päätöksentekijät arvioimaan niiden asemaa hoidossa entistä enemmän tulevaisuudessa.

## 2 TUTKIMUKSEN TOTEUTTAMINEN

### 2.1 Tavoitteet ja rajaukset

Tutkimuksen tavoitteena oli selvittää biologisten lääkkeiden käyttöönottoon ja päätöksentekoon liittyviä tekijöitä erityyppisiä aineistoja hyödyntämällä. Aiempaa, järjestelmällisesti kartoitettua tietoa kalliiden lääkkeiden käyttöönotosta organisaatioissa ja kliinisessä työssä Suomessa ei ole saatavilla.

Keskeiset käsitteet tässä tutkimuksessa ovat biologinen lääke, käyttöönotto, avohoitolääke ja sairaalalääke:

- Biologisella lääkkeellä tarkoitetaan lääkeainetta, joka on valmistettu bioteknologisesti elävissä soluissa.
- Käyttöönotolla tarkoitetaan hallinnollisia ja klinisiä päätöksentekoprosesseja, joissa arvioidaan lääkkeen asemaa sairauden hoidossa.
- Avohoitolääkkeellä tarkoitetaan avohoidossa käytettävää ja sairausvakuutuksella sekä käyttäjän omavastuuosuudella rahoitettavaa reseptilääkettä (L 1224/2004).
- Sairaalalääkkeellä tarkoitetaan sairaalassa käytettävää ja organisaation lääkebudjetista rahoitettavaa lääkettä (L 395/1987).

Tutkimus kohdennettiin reumatauteihin ja syöpätauteihin. Molemmilla erikoisaloilla käytetään useita biologisia lääkkeitä. Valitut erikoisalot tuovat esille sekä avohoidossa että sairaalahoidossa käytettäviä lääkkeitä ja niihin liittyvää päätöksentekoa. Myös avohoidon ja sairaalahoidon rajapintakysymykset ovat ajankohtaisia näillä erikoisaloilla. Muut, osin samoja biologisia lääkkeitä käyttävät erikoisalot rajattiin tutkimuksen ulkopuolelle.

Tutkimuksessa tarkastellaan käyttöönottoa erityisesti terveydenhuollon organisaatioiden ja lääkäreiden näkökulmista. Muut osapuolet, kuten potilaat, poliittinen päätöksenteko, avoapteekit ja lääketeollisuus, on rajattu tämän tutkimuksen ulkopuolelle.

Tutkimuksen tarkoituksena on tuoda esille tietoa ja näkökulmia biologisten lääkkeiden käyttöönotosta ja käytöstä tutkimuksen aineistojen ja rajausten pohjalta. Tutkimuksessa ei oteta kantaa yksittäisiin biologisiin lääkkeisiin, vaan kuvataan uusien biologisten lääkkeiden käyttöönottoon ja käyttöön liittyviä asioita sekä päätöksentekoa. Tuloksia voidaan jatkossa soveltaa tietopohjana kehitettäessä päätöksentekoprosesseja ja kalliiden lääkkeiden käytön ohjausta, seurantaa sekä vaikuttavuuden tutkimusta.

### 2.2 Aineiston kuvaus

Tutkimuksessa käytettiin neljää erityyppistä aineistoa, jotka kuvataan taulukossa 1 (s. 15). Tutkimuksen keskeisin aineisto on reumalääkäreiden, syöpälääkäreiden ja sairaala-apteekkareiden haastattelut, joita tehtiin viidessä yliopistosairaalassa ja seitsemässä keskussairaalassa eri puolilla Suomea. Haastatellut lääkärit olivat ylilääkäreitä,



erikoislääkäreitä ja erikoistuvia lääkäreitä. Haastattelujen yhteydessä lääkärit täyttivät myös kyselylomakkeen eri tekijöiden merkityksestä uuden biologisen lääkkeen käyttöönotossa.

Tutkimuksen muu aineisto koostuu kirjallisista dokumenteista ja rekisteri- ja tilastoaineistoista. Kirjalliset dokumentit antavat tietoa päätöksentekoprosesseista ja biologisiin lääkkeisiin liittyvistä ohjeistuksista haastatteluaineiston rinnalla. Rekisteriaineiston avulla kuvaillaan keskeisten reuma- ja syöpätaudeissa käytettävien biologisten lääkkeiden myyntiä ja kustannuksia.

**Taulukko 1.** Tutkimuksen aineisto.

Aineisto	Aineiston kuvaus	Aineistosta saatava tieto
48 haastattelua eri puolilla Suomea	Sairaalatyyppi: 5 yliopistosairaala 7 keskussairaala  Toimipaikat: 11 reumaklinikka 8 syöpäklinikka 11 sairaala-apteekkia  Erikoisalat: 20 reumalääkärinä 17 syöpälääkärinä 11 sairaala-apteekkaria  Asema organisaatiossa: 20 ylilääkärinä 17 erikoislääkärinä tai erikoistuvaa lääkärinä 11 sairaala-apteekkaria	Päätöksenteko organisaatioiden hallinnossa ja kliinisessä työssä  Haastattelurungot ylilääkäreille, erikoislääkäreille ja sairaala-apteekkareille (liitteet 1–3 <sup>a</sup> )
Lääkäreiden täyttämä kyselylomake	Haastatellut lääkärit (n = 37)	Eri tekijöiden painoarvot uuden biologisen lääkkeen käyttöönotossa  Kyselylomake lääkäreille (liite 4 <sup>a</sup> )
Kirjalliset dokumentit	Julkisesti saatavilla oleva materiaali: Fimea Kela Hoitosuosituks Hoitoketjut  Organisaatioilta saatu materiaali: Ohjeet Päätöksentekoa kuvaavat dokumentit	Kirjalliset dokumentit osana päätöksentekoa ja hoitokäytäntöjä
Rekisteritiedot	Fimean lääkemyyntirekisteri  Kelan tilastotietokanta Kelasto	Lääkemyynti ja kustannukset

<sup>a</sup> Liitteet 1–4 ovat tämän julkaisun sähköisen version yhteydessä, ks. <http://www.kela.fi/julkaisut-tutkimus>.

## 2.3 Haastattelujen toteuttaminen

Kaikista organisaatioista, joissa haastatteluja tehtiin, pyydettiin tutkimuslupa, ja haastattelut teki sama henkilö. Haastattelut toteutettiin sekä vierailemalla paikan päällä että puhelinhaastatteluina. Lähes kaikki haastateltavat antoivat suostumuksen haastattelun nauhoittamiseen. Haastattelut litteroitiin tekstiksi ilman tunnistetietoja.

Haastatteluissa keskusteltiin biologisten lääkkeiden käyttöönotosta ja käytöstä etukäteen määriteltyjen teemojen ja kysymysrunгон avulla (liitteet 1–3). Lisäksi haastateltuja lääkäreitä pyydettiin täyttämään heille kohdistettu kyselylomake (liite 4). Haastatteluissa käytettiin esimerkkeinä reuma- ja syöpätautien hoidossa käytettäviä biologisia lääkkeitä ja syöpätautien kohdalla myös tiettyjä ei-biologisia lääkkeitä (liitetaulukot 1–3).

Ylilääkäreiltä ja sairaala-apteekkareilta kysyttiin erityisesti organisaation hallinnollisesta työstä. Erikoislääkäreiltä kysyttiin erityisesti kliinisestä hoidosta. Osa kysymyksistä oli kaikille yhteisiä. Lähes kaikki ylilääkärit tekivät haastatteluhetkellä myös kliinistä työtä, ja heidän työnkuvansa saattoi painottua potilastyöhön. Eri kysymysrunkoja sovellettiin tarvittaessa haastateltavan työnkuvan ja käytettävissä olleen ajan mukaan.

Haastateltavilla oli mahdollisuus tutustua kysymysrunkoon etukäteen. Haastattelut etenivät kysymysrunгон mukaan, mutta olivat keskustelunomaisia, jolloin haastateltavat pystyivät kertomaan ja painottamaan asioita siten kuin he kokivat ne tärkeiksi. Haastatteluiden kesto vaihteli 20 minuutista yli kahteen tuntiin ja oli yleisimmin noin 60 minuuttia. Suuri vaihtelu haastattelujen pituudessa johtui haastateltavien tavasta vastata kysymyksiin. Osa haastatteluista vastasi lyhyesti yhdellä lauseella ja osa laajemmin aiheesta keskustellen.

Haastatteluja varten tavoiteltiin lääkäreitä ja sairaala-apteekkareita sekä suoraan että organisaatioiden sisäisten verkostojen välityksellä. Sähköisten kanavien välityksellä haastattelupyynnön saaneiden määrää ei tiedetä. Arviolta 20 prosenttia tavoitelluista lääkäreistä osallistui haastatteluun. Suureen osaan haastattelupyynnöistä ei saatu vastausta lainkaan, tai lääkärit kieltäytyivät ajanpuutteen vuoksi. Tavoitelluista sairaala-apteekkareista lähes kaikki suostuivat haastatteluun.

## 2.4 Menetelmät ja raportointi

Aineistolähtöisen raportin tarkoituksena on kuvata aineistosta tehtyjä havaintoja ja tyypillisiä piirteitä. Keskeiset tulokset esitetään raportin luvuissa 3–11. Jokaisen pääluvun alussa on tiivistetty luvun keskeisimmät havainnot. Raportin luvuissa 12–14 esitetään tutkimuksen yhteenveto, johtopäätökset ja suositukset.

**Haastatteluaineistoa** on tarkasteltu sekä ennalta määriteltyjen teemojen että haastatteluissa merkittäviksi nousseiden tekijöiden kautta. Raportissa käytetään sitaatteja tukemaan aineiston kuvausta ja nostamaan esille haastateltavien näkökulmia. Sitaatit on tiivistetty ja muokattu puhekielisestä muodosta helpommin luettaviksi.

**Lääkäreille kohdistetun kyselylomakkeen** avulla tarkastellaan eri tekijöiden painoarvoa päätettäessä uuden biologisen lääkkeen käyttöönotosta. Kyselylomaketta kehitettiin palautteen myötä ensimmäisten haastattelujen jälkeen. Kohta ”Mielikuvat lääkkeestä” oli ensimmäisissä lomakkeissa muodossa ”Omat kokemukset ja mielikuvat lääkkeestä” viiden haastateltavan kohdalla. Näitä viittä vastausta ei huomioitu tätä tekijää käsiteltäessä. Kohta ”Tieto turvallisuudesta/sivuvaikutuksista” oli ensimmäisissä lomakkeissa muodossa ”Tieto sivuvaikutuksista”. Tämän tekijän osalta kaikki vastaukset pidettiin mukana aineistossa. Kohta ”Lääkenäytteet” lisättiin lomakkeeseen ja sitä koskeva vastaus puuttuu kahdelta vastaajalta.

**Kirjallisten dokumenttien** analyysi perustuu dokumenttien läpikäyntiin ja niistä tehtyihin havaintoihin. Dokumenttien asemaa päätöksenteossa tarkastellaan haastatteluaineiston rinnalla.

**Rekisteri- ja tilastotietojen** avulla kuvaillaan biologisten lääkkeiden myyntiä ja kustannuksia kansallisella ja alueellisella tasolla. Esimerkkeinä käytetään keskeisiä, haastatteluissa esillä olleita biologisia lääkkeitä reuma- ja syöpätaudeissa. Aineisto on kerätty Fimean lääkemyyntirekisteristä ja Kelan tilastotietokanta Kelastosta (Fimea 2014a; Kela 2014a).

Lisäksi tutkimuksessa tehtiin Fimean lääkemyyntirekisteriin pohjautuva farmasian pro gradu -tutkielma nivelreuman hoidossa käytettävien biologisten lääkkeiden kuluksista Suomessa (Pietikäinen 2014).

### 3 VIRANOMAISTIETO JA HOITOSUOSITUKSET KÄYTTÖNOTOSSA

#### Keskeiset havainnot

##### Viranomaispäätökset

– Viranomaispäätökset ovat kansallisen tason määrittäjiä käyttöönotossa ja sen etenemisessä.

##### Hoitosuositukset

– Asiantuntijoiden laatimat hoitosuositukset ohjaavat ja tukevat hoitokäytäntöjä.

##### Kustannukset

– Kuuden keskeisen biologisen lääkkeen myynti muodosti kahdeksan prosenttia koko lääkemyynnin arvosta vuonna 2013, mikä kuvaa biologisten lääkkeiden merkittävää osuutta lääkekustannuksissa.

– Myyntiluvut vaihtelevat verrattaessa eri sairaanhoitopiirejä keskenään. Hoitokäytäntöjen vertailu vaatii myyntilukujen lisäksi perehtymistä muun muassa alueiden väestörakenteeseen, sairastavuuteen ja hoidon järjestämiseen.

#### 3.1 Viranomaispäätökset ja hoitosuositukset

Julkisesti saatavilla oleva kirjallinen dokumentaatio kuvaa, kuinka viranomaispäätökset määrittävät lääkkeiden käyttöönottoa. Viranomaistoimijoita lääkkeiden käyttöönotossa Suomessa ovat Fimea, Kela ja lääkkeiden hintalautakunta Hila sekä Euroopan unionin tasolla Euroopan lääkevirasto EMA. Näiden tahojen dokumentaatio (Fimea 2014b; Kela 2014b; Hila 2014; EMA 2014) tuo esille lääkkeen elinkaaren kannalta merkittäviä viranomaispäätöksiä. Esimerkkejä lääkkeen käyttöönottoon ja käyttöön liittyvistä viranomaispäätöksistä ovat myyntilupa, avohoitolääkkeiden korvattavuus ja mahdollinen viitehintä.

Yhdistettäessä dokumentaatiosta ja haastatteluista saatua informaatiota voidaan biologisen lääkkeen elinkaarta kuvata tarkemmin. Käyttöönoton tausta syntyy jo tutkimusvaiheessa. Lääkärit saavat tietoa lääkkeestä kansainvälisissä kongresseissa lääkekehitysprosessin aikana. Tutkimustyön edetessä klinikka osallistuu kliiniseen tutkimukseen, jolloin lääke tulee yksikön käyttöön tutkimuksessa määritellyille tietynlaisille potilaille. Kliininen tutkimus antaa lääkäriä käyttökokemusta lääkkeestä.

Tutkimusnäytön myötä biologista lääkettä kehittävä lääkeyritys hakee lääkkeelle myyntilupaa EMA:lta niin sanotun keskitetyn myyntilupamenettelyn kautta. Lääke saa myyntiluvan tietyissä käyttöaiheissa eli indikaatioissa, ja myyntilupa liitetään usein käyttöä koskevia ehtoja. EMA:n käsittelyn myötä myyntilupapäätös tulee voimaan Euroopan Unionin alueella.

Suomessa sairausvakuutuslaki (L 1224/2004) määrittää ja säätelee avohoitolääkkeen korvattavuutta. Kalliin hinnan vuoksi korvattavuus on käytännössä ehto biologisten lääkkeiden laajemmalle käyttöönotolle ja käytölle. Uusia, kalliita sairaalalääkkeitä arvioidaan terveydenhuollon organisaatioissa hallintotasolla ennen laajamittaista käyttöönottoa. Arvioinnissa käsitellään uuden lääkkeen asemaa hoidossa, aiempia hoitovaihtoehtoja ja lääkkeen kustannuksia. Päätöksentekijät ovat lääkäreitä ja muita organisaation viranhaltijoita.

Lääkkeen elinkaari jatkuu uusien valmistemuotojen, käyttöaiheiden ja korvattavuuden muutosten myötä. Muutostilanteissa lääkäri ja potilas käyvät läpi lääkitystä ja sen järjestämistä. Yhden lääkkeen poistuminen markkinoilta tai muutos korvattavuusehdoissa voi vaikuttaa muiden lääkkeiden kulutukseen.

Uusi lääke huomioidaan myös asiantuntijoiden laatimissa hoitosuosituksissa. Hoitosuosituksilla on haastatteluiden perusteella merkittävä asema, ja niillä on vaikutusta organisaation linjauksissa sekä kliinisessä työssä. Suomessa kansallisen tason hoitosuosituksia laativat Suomalainen Lääkäriseura Duodecim ja erikoisalakohittaiset tai tietyn taudin hoitoon erikoistuneet erikoislääkäreiden yhdistykset ja ryhmät. Ilman kansallisia hoitosuosituksia tukeudutaan kansainvälisiin suosituksiin.

Kuvio 1 tiivistää biologisen lääkkeen käyttöönottoon ja käytön etenemiseen liittyvää viranomaistoimintaa ja asiantuntijatyötä. Viranomaispäätökset antavat raamit, joissa lääkkeen käyttöönotto ja käyttö mahdollistuvat. Hoitosuositukset tuovat mukaan lisää asiantuntijatyötä viranomaistyön rinnalle.

**Kuvio 1.** Viranomaistoiminta ja asiantuntijatyö biologisen lääkkeen käyttöönotossa ja käytössä.



Kokemusta lääkkeen käytöstä kertyy kliinisessä työssä, ja tieto liikkuu lääkäreiden ammatillisissa verkostoissa. Kliinisen kokemuksen ohella tietoa lääkkeestä saadaan uusista tutkimuksista sekä raporteista. Potilasjärjestöt kertovat lääkehoidon vaihtoehtoista esimerkiksi internetsivuillaan. Haastatteluissa kävi ilmi, että biologisia lääkkeitä työssään käyttävät lääkärit ovat tietoisia myös lääkkeiden kustannuksista.

Biologisen lääkkeen patenttisuojan umpeuduttua muiden lääketekneiden on mahdollista tuoda markkinoille biosimilaareja eli alkuperäisen biologisen lääkkeen kopioita. Biosimilaarien alhaisemman hinnan ja lisääntyneen kilpailun myötä saavutettavat kustannussäästöt ovat tulevaisuudessa merkittävä mahdollisuus biologisten hoitojen käytössä. Biosimilaarit aiheuttavat kuitenkin kysymyksiä kopiotuotteen ja alkuperäistuotteen vastaavuudesta toisiinsa nähden. Tämä johtuu siitä, että biologiset valmisteet tuotetaan elävissä organismeissa eivätkä valmisteet ole valmistustavasta johtuen täysin identtisiä keskenään samalla tapaa kuin kemiallisesti valmistetut geneeriset lääkkeet. Biosimilaareja otetaan käyttöön vähitellen, ja lääkärit kokevat tarvitsevänsä käyttökokemusta tutkimustiedon rinnalle.

Käytön myötä pitkäaikainen kokemus lääkkeestä lisääntyy. Tiedon, hoitosuosituksen ja kliinisen kokemuksen myötä lääkkeen asema sairauden hoidossa vakiintuu. Ajan kuluessa markkinoille tulee jälleen uusia lääkkeitä, jotka haastavat olemassa olevat lääkevaihtoehdot. Markkinatilanteet voivat muuttua, kun uusimmat lääkkeet asetuvat vaihtoehtoiksi sairauden hoidossa.

### 3.2 Biologisten lääkkeiden kustannukset

Lääkkeiden myyntiluvut kirjataan Fimean lääkemyyntirekisteriin arvonlisäverottomina tukkumyyntihintoina. Lääkkeiden kokonaismyynti Suomessa vuonna 2013 oli 2 824 miljoonaa euroa, joka arvonlisäverottomina tukkumyyntihintoina on 2 081 miljoonaa euroa (Suomen lääketilasto 2013; Fimea 2014a).

Keskeiset tutkimuksessa tarkastellut biologiset lääkkeet ovat etanersepti, adalimumabi, infliksimabi, rituksimabi, trastutsumabi ja bevasitsumabi. Etanersepti ja adalimumabi ovat avohoitolääkkeitä ja infliksimabi, rituksimabi, trastutsumabi ja bevasitsumabi ovat sairaalalääkkeitä. Näiden lääkkeiden käyttöaiheet on kuvattu liitetaulukoissa 1–2.

Tarkastellut biologiset lääkkeet kuuluvat lääkkeitä ryhmittelevän ATC-luokituksen L-ryhmään eli syöpälääkkeisiin ja immuunivasteen muuntajiin. Näistä lääkkeistä etanersepti, adalimumabi ja infliksimabi kuuluvat TNF- $\alpha$ -salpaajiin. L-ryhmään on tullut myös ei-biologisia uusia lääkkeitä, joista yksi merkittävä ryhmä ovat tabletti-muotoiset, syöpätautien hoidossa käytettävät proteiinikinaasin estäjät. Myös näitä lääkkeitä käsiteltiin haastatteluissa biologisten lääkkeiden ohella ja niiden käyttöaiheet on kuvattu liitetaulukossa 3.

Taulukossa 2 kuvataan lääkemyynnin kehittymistä Suomessa vuosina 2000–2013 tiettyjen lääkeaineryhmien ja lääkkeiden osalta. L-ryhmän osuus koko lääkemyynnistä on kasvanut 6 prosentista 20 prosenttiin vuosina 2000–2013. Tutkimuksessa tarkasteltujen kuuden keskeisen biologisen lääkkeen myynti yhteensä vuonna 2013 muodostaa 40 prosenttia L-ryhmän ja 8 prosenttia kaikkien lääkkeiden euromääräisestä myynnistä.

**Taulukko 2.** Läkemyynnin kehittyminen Suomessa 2000–2013, arvonlisäveroton tukkumyyntihinta, milj. €.

Lääkeryhmä tai lääkeaine		2000	2004	2008	2012	2013	Laitosmyynti 2013, %	Avomyynti 2013, %
Ryhmä- esimerkit	Koko lääke- myynti	1 135,1	1 615,6	1 950,7	2 027,7	2 080,5	18	82
	Syöpälääkkeet ja immuunivas- teen muuntajat (L-ryhmä)	71,6	165,3	299,4	381,6	423,2	42	58
	TNF- $\alpha$ -salpaajat	2,5	24,0	67,0	108,5	116,6	29	71
	Proteiini- kinaasin estäjät	-	6,1	20,6	36,2	38,4	11	89
Lääke- esimerkit (ensim- mäinen myynti- lupavuosi)	Etanersepti (2000)	0,5	9,9	23,2	28,1	28,5	0	100
	Adalimumabi (2003)	-	5,7	24,5	40,5	43,3	3	97
	Infliximabi (1999)	2,0	8,5	19,3	31,3	32,7	100	0
	Rituximabi (1998)	1,3	7,7	18,2	27,8	26,9	100	0
	Trastutsumabi (2000)	0,1	3,9	11,0	19,0	20,9	100	0
	Bevasitsumabi (2005)	-	-	10,4	14,7	18,3	99	1

Lähde: Fimea 2014a ja b.

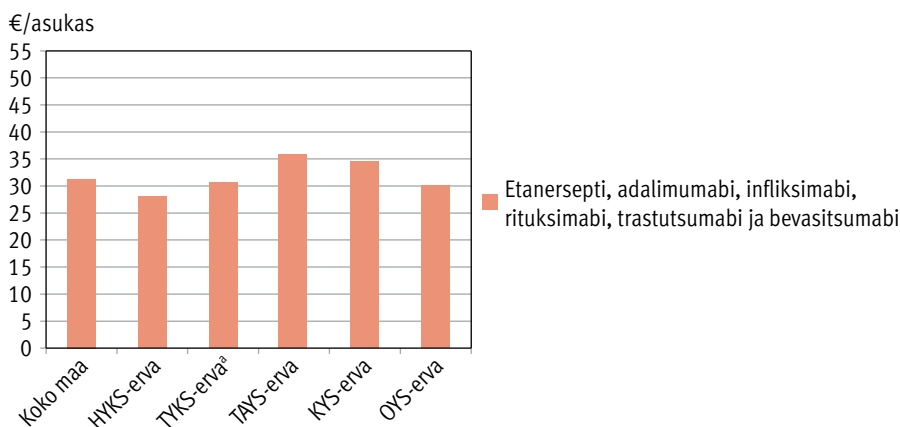
Tutkimuksen haastatteluissa tuli esille, että alueellista lääkekulutusta vertailevalle tiedolle on tarvetta. Alueellista vertailua voidaan tehdä erityisvastuu- eli erva-alueiden ja sairaanhoitopiirien avulla. Suomi on jaettu yliopistosairaaloittain viiteen eri erva-alueeseen, jotka ovat Helsingin yliopistollisen keskussairaalan (HYKS), Turun yliopistollisen keskussairaalan (TYKS), Tampereen yliopistollisen sairaalan (TAYS), Kuopion yliopistollisen sairaalan (KYS) ja Oulun yliopistollisen sairaalan (OYS) erityisvastuualueet. Lisäksi alueet jakautuvat keskussairaaloittain 20 sairaanhoitopiiriin ja Ahvenanmaahan. Erva-alueet ja sairaanhoitopiirit järjestävät alueidensa erikoissairaanhoidon. (L 1062/1989; A 812/2012.)

Kuvioissa 2 ja 3 (s. 23) kuvataan kuuden keskeisen biologisen lääkkeen yhteenlaskettu kokonaismyynti eri erva-alueilla ja sairaanhoitopiireissä asukaslukuun suhteutettuna. Kuviot 4–8 (s. 23–25) kuvaavat kuuden keskeisen biologisen lääkkeen myyntiä asukasta kohden eri erva-alueiden sairaanhoitopiireissä.

Tarkasteltaessa kuuden keskeisen biologisen lääkkeen myyntiä asukasta kohden erva-alueittain havaitaan, että TAYSin ja KYSin erva-alueilla myynti on suurempi kuin keskimäärin Suomessa. Sairaanhoitopiireittäin myyntiluvut asukasta kohden ovat suurimmat Ahvenanmaalla, Kanta-Hämeessä sekä Kymenlaaksossa ja pienimmät Itä-Savossa, Helsingissä ja Uudellamaalla (HUSissa) sekä Länsi-Pohjalla. Erva-alueiden sisällä myynnissä on vaihtelua sairaanhoitopiireittäin sekä myynnin määrässä että tarkastelussa mukana olevien kuuden lääkeaineen myynnin jakautumisessa. Sairaanhoitopiirien välillä on vaihtelua avohoitolääkkeinä käytettävien etanerseptin ja adalimumabin sekä sairaalalääkkeenä käytettävän infliksimabin myynnissä. Eroja havaitaan myös rituksimabin, trastutsumabin ja bevasitsumabin myynnissä eri sairaanhoitopiirien välillä.

Eri alueiden vertailu myyntilukujen perusteella ei kuitenkaan ole yksiselitteistä. Mitarina käytetty €/asukas suhteuttaa myyntiluvun kunkin alueen väestön määrään, mutta ei huomioi sairaanhoitopiirien väestörakenteita, eri alueiden välisiä sairastavuuseroja tai hoidon järjestämisen tapoja eri organisaatioiden kesken. Erityisesti pienissä sairaanhoitopiireissä yksittäistenkin tapausten esiintyminen voi vaikuttaa lukuihin merkittävästi. Myynnin arvo ilmoitetaan Fimean lääkemyyntirekisterissä tukkumyyntihintoina, jolloin sairaalalääkkeiden kilpailutus ja mahdolliset alennukset eivät näy luvuissa. Hoitokäytännöt ja hoitokulttuuri voivat erota toisistaan eri alueilla. Alueellisten tekijöiden tuntemus auttaa arvioimaan myyntilukuja selittäviä tekijöitä paikallisella tasolla.

**Kuvio 2.** Kuuden keskeisen biologisen lääkkeen yhteenlaskettu myynti eri erva-alueilla vuonna 2013, €/asukas, arvonlisäverottomat tukkumyyntihinnat.

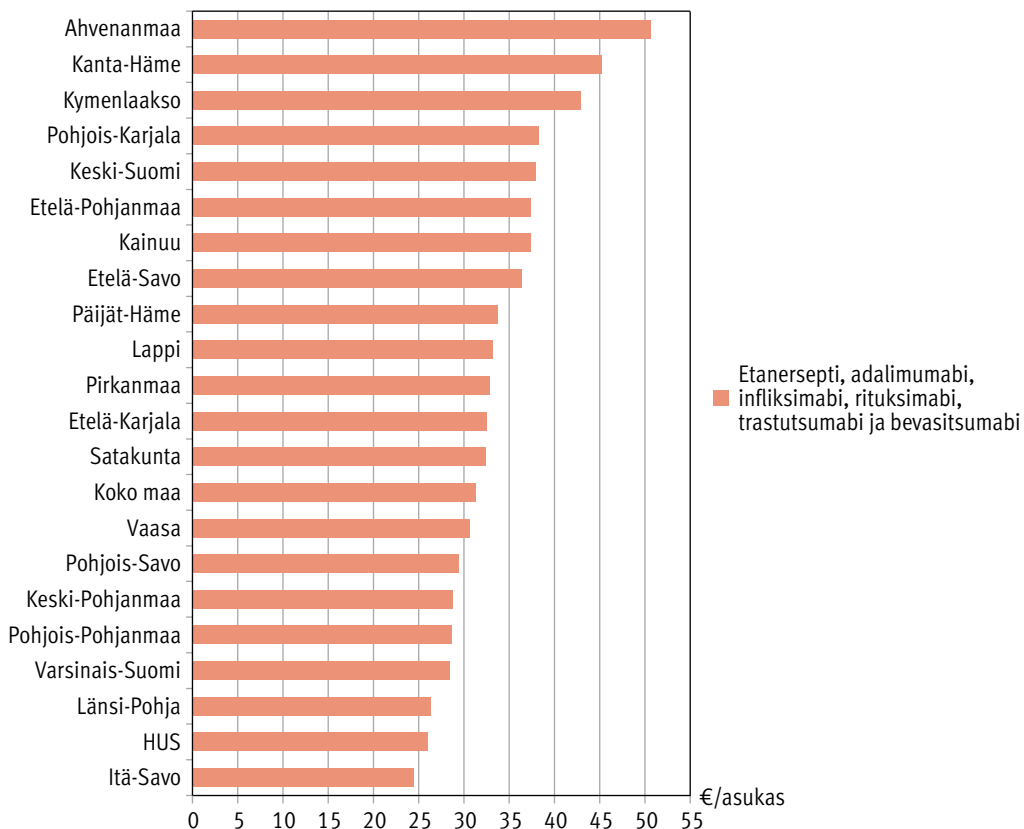


<sup>a</sup>Ahvenanmaa käsitelty osana TYKS-erva-alueetta.

Lähde: Fimea 2014a; alueiden väestömäärät Kuntaliitto 2014.

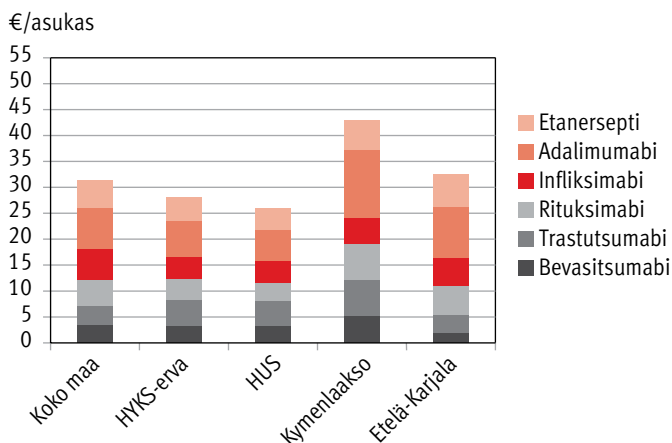


**Kuvio 3.** Kuuden keskeisen biologisen lääkkeen yhteenlaskettu myynti eri sairaanhoitopiireissä vuonna 2013, €/asukas, arvonlisäverottomat tukkumyyntihinnat.



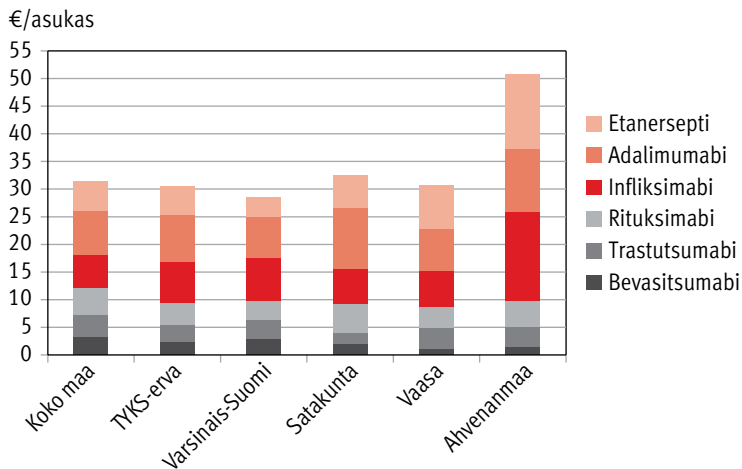
Lähde: Fimea 2014a; alueiden väestömäärät Kuntaliitto 2014.

**Kuvio 4.** Kuuden keskeisen biologisen lääkkeen kokonaismyynti asukasta kohden HYKSin erityisvastuualueen sairaanhoitopiireissä, €/asukas, arvonlisäverottomat tukkumyyntihinnat.



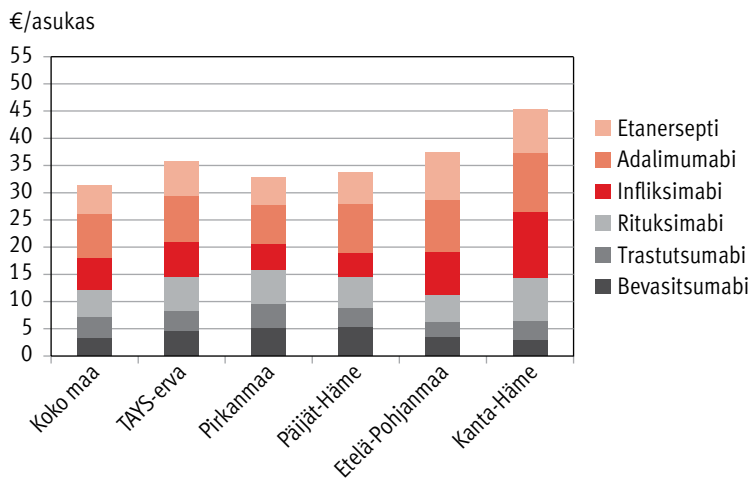
Lähde: Fimea 2014a; alueiden väestömäärät Kuntaliitto 2014.

**Kuvio 5.** Kuuden keskeisen biologisen lääkkeen kokonaismyynti asukasta kohden TYKSin erityisvastuualueen sairaanhoitopiireissä, €/asukas, arvonlisäverottomat tukkumyyntihinnat.



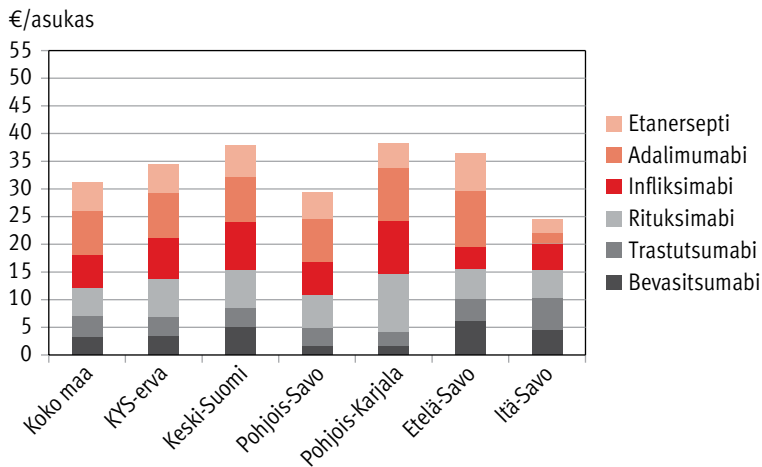
Lähde: Fimea 2014a; alueiden väestömäärät Kuntaliitto 2014.

**Kuvio 6.** Kuuden keskeisen biologisen lääkkeen kokonaismyynti asukasta kohden TAYSin erityisvastuualueen sairaanhoitopiireissä, €/asukas, arvonlisäverottomat tukkumyyntihinnat.



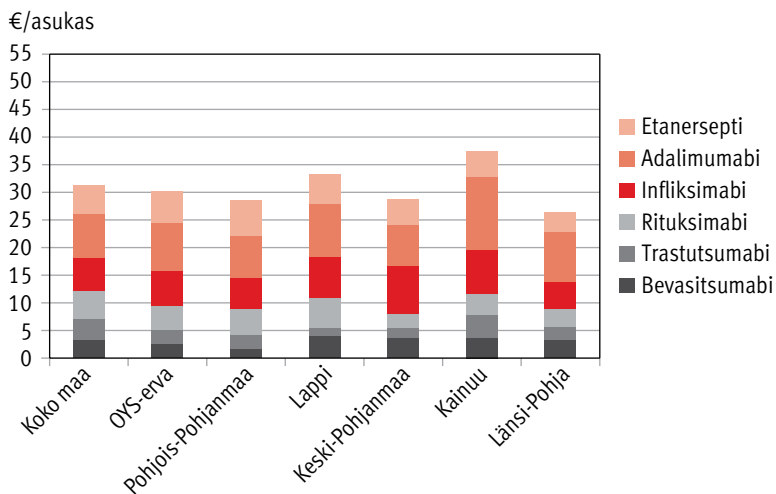
Lähde: Fimea 2014a; alueiden väestömäärät Kuntaliitto 2014.

**Kuvio 7.** Kuuden keskeisen biologisen lääkkeen kokonaismyynti asukasta kohden KYSin erityisvastuualueen sairaanhoitopiireissä, €/asukas, arvonlisäverottomat tukkumyyntihinnat.



Lähde: Fimea 2014a; alueiden väestömäärät Kuntaliitto 2014.

**Kuvio 8.** Kuuden keskeisen biologisen lääkkeen kokonaismyynti asukasta kohden OYSin erityisvastuualueen sairaanhoitopiireissä, €/asukas, arvonlisäverottomat tukkumyyntihinnat.



Lähde: Fimea 2014a; alueiden väestömäärät Kuntaliitto 2014.

Tukkumyyntin arvon lisäksi avohoidossa käytetyistä korvattavista lääkkeistä tiedetään korvauksen saajien lukumäärä, kustannukset ja maksetut lääkekorvaukset. Avohoitolääkkeen kustannuksilla tarkoitetaan lääkkeen hintaa ennen sairausvakuutuskorvauksen vähentämistä. Tutkimuksessa käsitellyistä keskeisistä biologisista lääkkeistä etanersepti ja adalimumabi ovat tietyin ehdoin korvattavia avohoitolääkkeitä.

Vuonna 2013 etanerseptista sai korvauksia 3 315 henkilöä ja adalimumabista 4 133 henkilöä. Etanerseptin kustannukset olivat 36,2 miljoonaa euroa, josta korvauksia maksettiin 34,2 miljoonaa euroa. Adalimumabin kustannukset olivat 53,7 miljoonaa euroa, josta korvauksia maksettiin 51,0 miljoonaa euroa. Näiden lukujen perusteella keskimääräinen vuosikustannus korvauksen saajaa kohden oli etanerseptin osalta 10 920 euroa ja adalimumabin osalta 12 993 euroa. (Kela 2014a.)

Biologisten lääkkeiden kasvavat kustannukset näkyvät tukkumyyntiluvuissa 2000-luvulla. Tasapainoilu lääkkeiden kohoavien hintojen kanssa ei kuitenkaan ole uutta. ”En minä sellaista aikaa muistakaan – olen tätä työtä tehnyt yli 20 vuotta – enkä minä sellaista aikaa muistakaan, etteikö tästä olisi aina puhuttu, miten lääkkeet ovat kalliita”, totesi eräs lääkäri keskusteltaessa lääkekustannuksista haastattelussa. Haastatteluaineisto seuraavissa luvuissa kuvaa sitä, miten kalliiden lääkkeiden käyttöönotto ja käyttö käytännössä tapahtuvat.

## 4 KAKSIKANAVAISSUUS KÄYTÄNNÖSSÄ

### Keskeiset havainnot

#### Lääketieteellinen päätöksenteko yhteiskunnallisessa kontekstissa

- Kaksikanavainen rahoitusjärjestelmä ohjaa valitsemaan avohoitolääkkeen sairaalalääkkeen sijaan lääketieteellisesti hyväksytyissä rajoissa.
- Hoidon järjestämiseen voi liittyä vaihtelevia käytäntöjä muun muassa silloin, kun potilaalla ei ole varaa maksaa avohoitolääkkeen omavastuuosuutta, kun käytetään kalliita ei-korvattavia lääkkeitä tai kun korvattavuuden ehdot eivät toteudu yksilötasolla.

#### Kaksikanavaisuutta kritisoidaan

- Kaksikanavaisuus koetaan ongelmallisena. Se voi vaikeuttaa kokonaiskustannusten hallintaa ja luoda epätarkoituksenmukaisia hoidon järjestämisen käytäntöjä.

### 4.1 Valinnat ja kustannukset

Käytännön tasolla kaksikanavaisuus tarkoittaa lääketieteellisen päätöksen sijoittamista yhteiskunnalliseen kontekstiin lääkkeiden rahoituksen kautta. Suurin osa haastatelluista esitti kritiikkiä lääkkeiden rahoituksen kaksikanavaisuutta kohtaan. Heidän mukaansa järjestelmä ohjaa valitsemaan avohoitolääkkeitä sairaalalääkkeiden sijaan lääketieteellisesti hyväksytyissä rajoissa. Lisäksi lääkärit ratkovat säännöllisesti hoidon järjestämiseen ja rahoitukseen liittyviä tilanteita. Pienellä osalla haastatelluista ei ollut kantaa kaksikanavaisuuteen tai he kokivat sen neutraalina.

Kaksikanavaisuus konkretisoituu potilaan hoitoa valittaessa, jos lääketieteellisesti arvioiden on mahdollista käyttää sekä avohoidon- että sairaalalääkkeitä. Päätöksenteon keskiössä on lääketieteellinen arvio potilaan tilanteesta ja häntä hyödyttävästä hoidosta. Avohoitolääkkeet helpottavat sairaalan lääkebudjetissa pysymistä ja hoidon järjestämiseen vaadittavaa työvoimaresurssitilannetta sairaalassa. Avohoidon lääkkeiden valintaa puoltaa usein myös lääkkeen käytettävyyden potilaan kannalta. Avohoitolääkkeiden painotuksesta hoitovalinnoissa ei ole olemassa hallinnollisia päätöksiä, mutta käytäntö on lääkäreille selkeä toimintaa ohjaava kehys.

Biologisia lääkkeitä työssään käyttävät lääkärit ovat tietoisia sekä sairaalan lääkebudjetista että avohoidon kasvavista kustannuksista. Kallit lääkkeet korostavat lääketieteellisen päätöksenteon ja yhteiskunnallisen lääkkeiden rahoitusjärjestelmän välisiä rajapintoja. Päätökset halutaan tehdä lääketieteellisin perustein, ja kustannusten hallinnassa tulee esille kokonaisuus. Kaksikanavaisuus altistaa käytännöille, joissa yhteiskunnalliset kokonaiskustannukset voivat olla suuremmat kuin hoidon järjestäminen edullisimmalla tavalla.

”Se olisi mielestäni ilman muuta tärkeää, että nämä lääkkeet saataisiin sillä lailla samalle viivalle, että hoito voitaisiin toteuttaa lääketieteellisin perustein, ettei tulisi tällaista osaoptimointia niin kuin käytetään termiä tästä. Että Kela haluaisi, että käytetään iv-lääkkeitä ja sairaalat haluaisi, että käytetään subkutaanilääkkeitä.” (Ylilääkäri, reumataudit, keskussairaala)

”Vähän turhan harvoin ajatellaan sitä koko yhteiskunnan kustannushommaa. Kela puhuu kustannusten vähentämispaineista ja tekee omia ratkaisuja sen puoleen, sairaanhoitopiirit puhuvat lääkerekulujen karsimispaineista ja tekevät sitten taas omia ratkaisujaan. Kukaan ei tunnu kauheasti miettivän sitä, että miten se kaiken kaikkiaan yhteiskunnalle tulisi edullisemmaksi se asia järjestää.” (Sairaala-apteekkari, keskussairaala)

”Sairaala-apteekkien lääkerekuluissa puhutaan tukkuhinnoista ja useimmiten kilpailutuksen ansiosta ne voi olla vielä alle tukkuhintojen. Jos yhteiskunta maksaa sellaisen lääkkeen, niin se tulee yhteiskunnalle halvemmaksi kuin se, että se maksaa sellaisen lääkkeen jossa on tukkuhinnan lisäksi vielä vähittäismyyntiportaan kate ja jonka tukkuhintakaan ei ole alennettu vaan on se normaali. Mielestäni on aika selvä juttu, että tietyissä tilanteissa olisi yhteiskunnan kannalta parempi, että ne ihan rehellisesti – – hallita lääkkeitä, toimittaa täältä. Tietysti taas sitten noiden avoapteekkien jakeluverkosto on erittäin laaja ja se olisi tärkeätä pitääkin laajana. Jos sieltä joku tällainen hyvin kallis segmentti viedään pois, niin sitten se taas vaarantaa kaiken muun lääkehuollon. Kun se ei pelkkää Buranaa ja penisilliiniä myymällä sitten kuitenkaan pysy pystyssä se apteekki, siellä tarvitaan näitä tällaisia, isompiakin kerralla.” (Sairaala-apteekkari, keskussairaala)

#### 4.2 Hoidon järjestämisen käytännöt

Kaksikanavaisuuteen liittyy erityyppisiä tilanteita, jotka koetaan välillä epätarkoituksenmukaisina. Näitä ovat muun muassa hoidon järjestäminen silloin, kun potilas ei pysty maksamaan lääkkeen omavastuusuutta, kalliiden ei-korvattavien avohoito-lääkkeiden käyttö ja korvattavuuden ehdot yksilöllisissä tilanteissa.

Potilaan sosiaalinen tilanne ja maksukyky sijoittuvat lääketieteellisen päätöksen rinnalle, kun hoito pyritään järjestämään kaksikanavaisessa järjestelmässä. Reumalääkärit kertoivat kohtaavansa säännöllisesti vastaanotolla potilaita, joille Kelan omavastuusuus, hieman yli 600 euroa vuodessa, on liian paljon kerralla maksettavaksi. Syöpälääkärit toivat esille, että sairauteen liittyvien maksujen omavastuusuudet voivat tulla maksettaviksi samaan aikaan ja taloudellisia ongelmia voi korostaa pitkäaikainen työkyvyttömyys.

Potilaan maksukykyyn liittyviä ongelmia ratkotaan haastateltavien mukaan eri tavoin. Näkemykset siitä, mille taholle lääkeshoidon järjestäminen maksuvaikeustilanteissa kuuluu, vaihtelevat terveydenhuollon ja sosiaalihuollon välillä. Vaikeus maksaa

omavastuuta voi puoltaa sairaalalääkkeen valintaa. Toisaalta potilaat voidaan ohjata sosiaalihuollon piiriin. Maksukyvyttömyyteen liittyvät seikat ovat usein käytännön tasolla vaikeita asioita potilaalle. ”Onhan se monelle aika nöyryyttävä, sanotaan ensimmäiseksi, että myy auto pois ensin, että saat lääkkeeseen rahaa”, kuvasi eräs reumalääkäri lääkkeiden rahoituksen järjestämistä sosiaalihuollon avulla.

Lääkkeiden vuotuinen omavastuuosuus on sidottu kalenterivuoteen. Jos esimerkiksi reumapotilaalla todetaan biologisen lääkityksen tarve vuoden viimeisinä kuukausina, pyritään hoidon aloitusta usein siirtämään seuraavan vuoden alkuun. Tällöin potilaan ei tarvitse maksaa omavastuuosuutta kahta kertaa lyhyen ajan sisällä. Toinen mahdollisuus näissä tilanteissa on käyttää lääkenäytteitä, joilla selvitetään aika vuoden alkuun asti.

Syöpätaudeissa rahoituksen ongelmat korostuvat erityisesti silloin, kun uudella, kalliilla avohoitolääkkeellä ei ole korvattavuutta ja eletään aikaa myyntiluvan ja korvattavuuspäätöksen välissä. Haastatteluissa esimerkkeinä näistä lääkkeistä oli uusia, tablettimuotoisia proteiinikinaasin estäjiä. Ongelmat konkretisoituvat jo lainsäädännöllisistä syistä, sillä lain mukaan potilaalle ei saa antaa sairaalasta lääkkeitä avohoidossa käytettäväksi kuin tietyissä, erikseen määritellyissä tilanteissa. Kalliita, ei-korvattavia avohoitolääkkeitä ei ole paljon eikä asia koske vielä suuria potilasryhmiä. Tilanteita, joissa potilaan arvioidaan tarvitsevan tällaista lääkettä, syntyy kuitenkin säännöllisesti. Läkettä on jo markkinoilla ja lääkäreiden määrättävissä, mutta sen hinta ilman korvattavuutta on potilaalle erittäin korkea ja usein saavuttamattomissa.

Kalliiden, ei-korvattavien avohoitolääkkeiden käytössä vaikuttaa olevan alueellisia eroja. Haastateltavat kuvasivat tilanteita, joissa sairaalasta on annettu potilaalle kalliita, ei-korvattavia lääkkeitä avohoidossa käytettäväksi. Toisaalta he kertoivat kuulleensa tai tietävänsä, että osassa paikkoja näitä lääkkeitä ei anneta avohoittoon. Joissain tilanteissa hoitoa näillä lääkkeillä voidaan pitää osana potilaan hoitojaksoa sairaalassa. Lääkkeiden antamisen perusteena ovat hoidolliset syyt. Samalla lainsäädännön raameista ollaan tietoisia ja tilanne koetaan ongelmallisena, sillä lakia ei haluttaisi tietoisesti rikkoa.

”Nyt ollaan oikeasti siinä tilanteessa, että on sairaaloita, jotka ei anna lääkkeitä ja toiset antaa. Ja lainsäädäntö on ristiriitainen. Potilaslaki velvoittaa, että potilasta pitää hoitaa ja sitten taas tämä lääkkeiden toimittamiseen ja korvattavuuteen liittyvä lainsäädäntö kieltää, että ei saisi. Se on ristiriidassa.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Jos ei ole mitään korvattavuutta, niin sitten tosiaan, siinä on sen sairaalan tai työpisteen armoilla, että voiko sitä lääkettä sitten käyttää.” (Erikoislääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Niissä tilanteissa me ohjataan ja muistutellaan, että missä raja kulkee. Viime kädessä osasto tekee niitä ratkaisuja, että miten he sen tilanteen järjestävät, tuleeko

potilas tänne sairaalaan sitten. – – Potilaan hoitaminen on tärkeintä. Siinä mennään sitten jo näihin tilanteisiin, että kun se on superkallis lääke ja ei korvausta ja asiakas sanoo, että hänellä ei ole varaa sitä ostaa, niin hoito keskeytyy. Sitten voi olla ohjausta sosiaalihuoltoon, sielläkin on joitain tilanteita, että jostakin syystä ei saakaan rahoitusta, tai tällaista viestiä on tullut takaisin. Voi myös olla, että ihminen ei lähde sinne sosiaalitoimistoon tekemälläkään. Nämä on ne hankalat. Jos on varallisuutta ostaa, mutta kun käytetyn auton saa sillä samalla hinnalla. Se on todella hankala tilanne. Onneksi ei arkipäivää, mutta vuosittain aina tulee sellainen tilanne eteen, että miten tämä ratkaistaan. Todella hankalia.” (Sairaala-apteekkari, keskussairaala)

”Eihän me voida, me ei voida eriarvoistaa ihmisiä tällä lailla. Sitten me joudutaan antamaan sairaalasta. Se on kyllä erittäin iso vääristymä. Näkisin, että jos indikaatio annetaan ja hinta, niin sitten se korvattavuus täytyy tulla kyllä ihan samassa rysäyksessä. – – Se tilanne, että lääke on saanut indikaation ja hinnan, ja Kela ei anna sitä korvattavuutta kuin vasta yli puolen vuoden päästä, niin sen puolen vuoden aikana potilaat ovat täysin eriarvoisessa asemassa. Osa menee privaatasta hakemaan sen lääkkeen. Ja ne, joilla ei ole rahaa, niin saavat kuolla pois. Se on tosi räikeä tilanne. Ja tietysti pelko, että jos julkiselle sektorille ei anneta riittävästi varoja käyttää järkevästi näitä kaikkia lääkkeitä, niin silloin ne joilla on rahaa saa, ja joilla ei ole, niin ei saa.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Kaksikanavaisuuteen voi liittyä ongelmia myös silloin, kun lääkkeellä on korvattavuus, mutta korvattavuuden ehdot eivät potilaan tilanteessa täyty. Kliinisen työn näkökulmasta ehtoja on joskus epätarkoituksenmukaista, vaikeaa tai jopa mahdollonta toteuttaa. Joissain tilanteissa potilaalle määrätään korvauksen ehtona olevaa, edeltävää lääkitystä hetkeksi, jotta muodollinen ehto täytyisi. ”Tuntuu ihan pölhöltä kirjoittaa ihmisille jotain sellaista lääkettä, mistä melkein tietää, että ei tästä nyt kyllä tule mitään”, kuvasi eräs reumalääkäri tämäntyyppistä tilannetta.

Kaksikanavaisen rahoitusjärjestelmään kohdistui paljon kritiikkiä haastatteluissa. ”Jos jotain minun haastattelusta jää, niin tämä kaksikanavaisuus täytyy poistaa”, totesi eräs syöpälääkäri. Järjestelmän muuttaminen nähtiin toisaalta välttämättömänä, toisaalta poliittisesti hankalana asiana. Viime kädessä merkitystä on hoidon toteuttamisella. ”Hoitotulos on se, mikä ratkaisee”, totesi eräs reumalääkäri.



## 5 KÄYTTÖNOTON PROSESSIT

### Keskeiset havainnot

#### Käyttöönottopäätös

- Käyttöönottopäätöksessä arvioidaan uuden lääkkeen asemaa hoidossa, lääkkeen tehoa ja turvallisuutta, aiempia hoitovaihtoehtoja sekä kustannuksia.

#### Sairaalalääkkeet

- Sairaalalääkkeiden käyttöönoton taustalla on organisaatiossa määritetty hallinnollinen prosessi. Päätökset tehdään kussakin organisaatiossa itsenäisesti. Lääkärin asema päätöksenteossa on merkittävä.

#### Sairaalalääkkeiden hankinta

- Sairaalalääkkeiden kilpailutuksissa ja hankinnoissa tehdään alueellista yhteistyötä hankintarenkaiden sisällä.

#### Avohoitolääkkeet

- Avohoitolääkkeiden käyttöönotto etenee potilastyössä ilman toimipaikan hallinnollista päätöksentekoa. Kalliiden avohoitolääkkeiden laajamittainen käyttöönotto ei ole mahdollista ilman korvattavuutta.

#### Päätöksenteon erot

- Eroja päätöksenteossa voivat aiheuttaa yksittäiseen lääkäriin liittyvät tekijät, taloudelliset seikat, organisaation linjaukset ja paikalliset piirteet.

### 5.1 Sairaalalääkkeet

Käyttöönottopäätöksessä arvioidaan uuden lääkkeen asemaa sairauden hoidossa. Sairaalalääkkeiden käyttöönottoon liittyvästä päätöksenteosta saatiin tietoa erityisesti ylilääkäreiden ja sairaala-apteekkarien haastatteluissa. Myös erikoislääkäreiden haastatteluissa saatiin tietoa uusiin lääkkeisiin ja päätöksentekoon liittyvistä käytännöistä potilaan hoidossa. Lisäksi osasta sairaaloita saatiin organisaation päätöksentekoa kuvailevia kirjallisia dokumentteja.

Haastatteluaineiston perusteella kaikki organisaatiot joutuvat arvioimaan kalliiden sairaalalääkkeiden käyttöönottoa tavalla tai toisella korkeiden kustannusten vuoksi. Päätökset tehdään organisaatioiden hallinnollisissa prosesseissa, lääkkeistä päättävissä ryhmissä sekä johtavien lääkäreiden toimesta. Haastatteluaineiston perusteella päätöksentekijä on käytännössä usein erikoisalansa asioita organisaatiossa hoitava ylilääkäri, vaikka päätöksentekijän rooli jakautuisikin usealle taholle, kuten ylilääkärille, johtavalle lääkärille, lääkkeistä päättävälle ryhmälle ja sairaala-apteekille.

”Sairaala-apteekissa ja varmasti myös tuossa lääkeneuvottelukunnassa hyvin merkittävässä asemassa on kyllä se esittelevä ylilääkäri, millä hän perustelee. Sitten me käydään keskustelua siitä asiasta lääkeneuvottelukunnassa ja jos siinä tulee jotakin, sellaista näkökulmaa että me emme ehkä sitten pysty sitä ratkaisemaan tai siinä jokin asia häiritsee meitä, niin me ollaan uudelleen yhteyksissä sitten tähän ylilääkäriin ja pyydetään lisäselvitystä.” (Sairaala-apteekki, keskussairaala)

Lääkkeen käyttöönoton arviointi voi tulla ajankohtaiseksi heti lääkkeen tultua markkinoille tai edetä potilastapausten kautta. Käyttöönotto voi olla lääkkeen ottamista organisaation peruslääkevalikoimaan tai lääkkeen käyttämistä yksittäisille potilaille peruslääkevalikoiman ulkopuolelta. Peruslääkevalikoiman ulkopuolisen lääkkeen käyttö on useimmiten mahdollista, mutta vaatii yleensä aktiivisuutta, perusteluja sekä erityyppisiä hyväksymiskäytäntöjä organisaatioissa.

Joissain organisaatioissa on asetettu euromääräisiä rajoja, jotka määrittelevät kalliin lääkkeen ja nostavat sen starkemman arvioinnin kohteeksi. Lääke voidaan määritellä kalliiksi esimerkiksi hoidon annoskohtaisen, hoitajakohtaisen, potilaskohtaisen tai potilasryhmäkohtaisen hinnan perusteella. Haastateltavat kertoivat, että käytännössä kaikki uudet biologiset lääkkeet määrittyvät kalliiksi niissä organisaatioissa, joissa rajoja on asetettu.

Päätöksenteossa tarkastellaan erityisesti tutkimustuloksia, lääkkeen tehoa, turvallisuutta, hyötyä, kustannuksia ja aiempia hoitovaihtoehtoja. Puoltavia tekijöitä uusien sairaalalääkkeiden käyttöönotossa on tutkimustuloksilla perusteltu teho erityisesti silloin, kun kyseiseen sairauteen ei ole ollut hyviä hoitovaihtoehtoja tai jos uusi lääke arvioidaan merkittävästi paremmaksi kuin aiemmat hoidot. Rajoittavat tekijät liittyvät hoidosta saatavan hyödyn ja kustannusten suhteeseen ja muiden hoitovaihtoehtojen olemassaoloon. Kallis hinta vähäisellä lisähyödyllä ja rinnakkaisen hoitomenetelmän ohella on rajoittava tekijä käyttöönotolle.

Ylilääkäreiden haastatteluissa käyttöönottoon liittyvä päätöksenteko näkyy joko muodollisena tai ei-muodollisena prosessina (haastattelijan antamat termit) eri organisaatioissa. Muodollinen käyttöönottoprosessi on strukturoitu hallinnollinen käsittely, joka etenee vaihe vaiheelta. Ei-muodollinen käyttöönottoprosessi on johdon, sairaala-apteekin ja lääkäreiden välillä muovautunut toimintatapa. Myös ei-muodollisten prosessien taustalla on samankaltaisia hallinnollisia menettelytapoja kuin muodollisissa prosesseissa.

**Muodollisissa käyttöönottoprosesseissa** laaditaan perusteltu esitys käyttöönotolle. Perustelun laajuus vaihtelee yksityiskohtaisesta selvityksestä suppeampaan kuvaukseen, ja sitä määrittää usein kirjallinen lomake. Usein kartoitetaan muiden sairaaloiden tekemiä päätöksiä. Lääkkeestä voidaan pyytää myös asiantuntijalausunto. Käyttöönottoa arvioidaan eri henkilöiden toimesta ja lääkkeistä päättävässä ryhmässä, esimerkiksi lääkeneuvottelukunnassa. Kiireellisissä tapauksissa muodollista prosessia ei aina ehditä viemään läpi. Tällöin lääkkeen hankinnasta päätetään käytännön

sanelemin ehdoin, esimerkiksi ylilääkärin, toimialueen johdon ja sairaala-apteekin kesken. Myös tällöin tieto käytetystä lääkkeestä pyritään viemään tiedoksi lääkkeiden käyttöönottoa ja käyttöä seuraavaan ryhmään.

”Esitys uuden lääkevalmisteen käyttöönotosta [näyttää lomaketta]. On vastuuhenkilöitä, jotka ovat siis meidän erikoislääkäreitä, jotka ovat erityisesti perehtyneet siihen tautiryhmään, niin he tavallisesti tekevät sen esityksen. Siinä on, että mistä lääkkeestä on kyse, mikä on se käyttötarkoitus, mikä on tarkka annostelu, kulutusarvio per vuosi täytyy tehdä, yksikköhinta hyvin tarkkaan, arvioida kustannukset per vuosi. Ja sitten, onko se sellainen valmiste, joka korvaa toisen valmisteen, miten se vaikuttaa kustannuksiin, käytetäänkö sitä jonkin toisen valmisteen rinnalla tai onko se sellainen, joka ei vaikuta muihin mitään. Siis mikä se vaikutus on tällä uudella lääkkeellä. Ja sitten perusteet, tutkimuksista, siis täällä on ihan artikkelit mukana, evidence, minkä perusteella se esitys on tehty. [Kuvaa eri vaiheita ja porrastusta päätöksenteossa.] Tässä on monta steppiä, jonka tällainen asia kulkee. Tällainen on meidän tapa uusissa lääkkeissä. Koskee erityisesti kaikkia kalliita lääkkeitä ja nämähän on nyt niitä kalliita lääkkeitä.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

**Ei-muodollisissa käyttöönottoprosesseissa** päätöksenteon painopiste on hoitoyksiköissä ja päätöksentekijänä on esimerkiksi yksikön ylilääkäri. Ne eivät ole samaan tapaan strukturoituja kuin muodolliset prosessit, vaikka päätöksentekoon voi liittyä samankaltaista harkintaa tai teknisesti samantyyppinen hallinnollinen prosessi päätöksenteon taustalla. Lääkärin erikoisalan asiantuntemusta ei kiistetä, ja lääkärin kustannustietoisuuteen luotetaan. Pienissä yksiköissä käyttöönottopäätös voi käytännössä olla yksittäisen lääkärin vastuulla ja edetä potilastapausten kautta.

Ei-muodollisessa käyttöönottoprosessissa yksikössä tehdään periaatteellinen päätös lääkkeen käyttöönotosta. Lääke voidaan tilata suoraan apteekista. Isoja potilasryhmiä koskevien lääkkeiden käyttöönotossa organisaation johto, lääkkeistä päättävä ryhmä ja sairaala-apteekki ovat tietoisia käyttöönotosta. Lääkärit eivät välttämättä tunne niitä hallinnollisia prosesseja, joita lääkkeiden käyttöönottoon liittyy myös ei-muodollisten prosessien takana. Lääkäri saattoi kuvata ottavansa yhteyttä apteekkiin tai ilmoittavansa johdolle asiasta. Sen sijaan saman organisaation sairaala-apteekkari kuvasi hallinnollista prosessia, johon liittyi esitys käyttöönotosta lääkärin tekemänä, lääkkeistä päättävä ryhmä, sairaala-apteekin käytännöt uuden lääkkeen käyttöönotossa ja johtavan ylilääkärin hyväksyntä. Hallinnollinen prosessi tapahtuu käyttöönoton taustalla eikä välttämättä tule näkyväksi hoitoyksiköissä.

”Pääsääntöisesti näiden kalliiden uusien lääkkeiden käyttöönotto tapahtuu siis lääketieteellisen harkinnan perusteella. Yleensä se tapahtuu niin, että meillä kokoonnutaan lääkäri-meetingissä ja otetaan asia esille siellä ja porukassa harkitaan sitä ja mietitään. Ja me ilmoitamme yleensä tuonne talon hallintoon ja johtajaylilääkärille siitä, että nyt on tällainen uusi lääke tässä indikaatiossa tullut käyttöön ja että me käytetään tätä harkiten tietyille potilasryhmälle ja sitten arvioidaan siinä myös, että

kuinka monta potilasta niitä per vuosi voisi olla. Että se tieto menee tuonne myös, että sitten ei tule budjetissa yllätyksiä.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Ei siihen tällaisessa sairaalassa, joka on näin pieni ja vähän hallintoa, niin ei siihen liity oikeastaan – Me ollaan otettu näitä aikaisempia biologisia infusoitavia reumalääkkeitä käyttöön tässä ilman mitään sen kummempaa byrokratiaa. Sitten kun on julkaisuista todettu, että tällainen valmiste on olemassa ja sillä on ne vaikutukset ja se on saatavissa, niin sitten sitä on otettu käyttöön. Koska reumapotilaathan vastaavat näihin hoitoihin hyvin yksilöllisesti ja aina löytyy sellaisia potilailta, joilla on vaikka jo kaikki aikaisemmat lääkkeet käyty läpi, että tavallaan on indikaatioita niille uusimmillekin hoidoille. Sillä tavalla se tulee sitten käyttöön.” (Ylilääkäri, reumataudit, keskussairaala)

Yhteistä kuvauksille päätöksenteosta muodollisissa ja ei-muodollisissa prosesseissa on lääkärin aseman painottuminen päätöksentekijänä. Eroja on siinä, millä lailla päätöksentekoa määrittäviä prosesseja sovelletaan käytännössä ja miten lääkärit ovat niistä tietoisia. Käyttöönoton toteuttaminen jatkuu klinikoiden sisäisenä työnä. Lääke voidaan osoittaa aluksi rajattuun käyttöön tai sille voidaan tehdä käyttökokeilu. Tällöin sitä käytetään jonkin aikaa tiettyjen potilaiden tai potilasryhmien hoidossa ja siitä saadut tulokset käydään läpi. Kalliin lääkkeen käyttöä seurataan ja ohjataan klinikoissa erityyppisillä toimintatavoilla.

## 5.2 Sairaalalääkkeiden hankinta

Uusien biologisten sairaalalääkkeiden käyttöönotto tapahtuu erikoissairaanhoidon yksiköissä sairaaloissa ja poliklinikoilla. Sairaala-apteekit hankintarenkaineen kilpailuttavat tietyllä alueella ostettavat lääkkeet, ja organisaatiot tekevät valintoja tämän perusteella. Lääkkeiden yhteiset kilpailutukset ja hankintapäätökset tuovat yhteistyötä erä-alueille ja hankintarenkaiden sisälle, vaikka päätökset tehdään organisaatioissa itsenäisesti. Erä-tasoinen lääkkeiden hankinta ja organisaatiokohtaiset päätökset sallivat reagoinnin paikallisiin olosuhteisiin. Paikallinen päätöksenteko voi olla myös sujuvampaa verrattuna valtakunnallisten päätösten odottamiseen, mikäli asioista ei ole yksimielisyyttä kansallisella tasolla.

Lääkkeiden kilpailutus ja hankintasopimukset tehdään hankintakausittain. Näissä prosesseissa lääketeollisuus ja sairaaloiden päätöksenteko kohtaavat. Lääkkeiden hintoja määrittävät hankintoihin liittyvät sopimukset, joiden ehtoihin organisaatio on sitoutunut. Sairaala-apteekkareiden haastatteluissa erä-tasoinen lääkkeiden kilpailutus ja hankinta nähtiin kohtalaisen toimivina eikä koko maata koskevaa yhteistä peruslääkevalikoimaa pidetty todennäköisenä tai mahdollisena.

Yliopistosairaaloihin kohdistuu odotuksia uusien lääkkeiden ensimmäisinä käyttöönottajina ja käytäntöjen muovaajina, varsinkin uusien, erityisen kalliiden ja hoidollisesti vaativien sairaalalääkkeiden osalta. Keskussairaalat seuraavat yliopistosairaala-

loiden linjauksia ja konsultoivat yliopistosairaaloita tarvittaessa. Uusien lääkkeiden käyttöönotossa, käyttöönoton aikatauluissa ja näkemyksissä voi kuitenkin olla eroja organisaatioiden välillä. ”Ei olisi saanut ikinä käyttöön mitään valmistetta, jos olisi odottanut”, kuvasi eräs keskussairaalassa työskentelevä syöpälääkäri yliopistosairaalan päätöksentekoa. ”Keskussairaaloilla on kyllä aika vapaat kädet, että me ei voida niitä hallita kuitenkaan”, totesi eräs yliopistosairaalassa työskentelevä syöpälääkäri.

Organisaation tiukka linja käyttöönotossa voi rajoittaa, viivästyttää tai estää uuden lääkkeen käyttöä. Haastateltavien mukaan osa sairaaloista ottaa käyttöön uusia hoitoja useita kuukausia aiemmin kuin toiset sairaalat. Tiukka linja lääkkeiden käyttöönotossa saattaa aiheuttaa paineita hoitopäätöksiä tekevää lääkäriä kohtaan. Osa haastateltavista koki huolta hoidon yhdenvertaisuudesta. Esimerkiksi yksilölliset erot aktiivisuudessa hankkia käyttöön kalliita, peruslääkevalikoimaan kuulumattomia lääkkeitä voivat johtaa erilaisiin hoitokäytäntöihin lääkäristä ja organisaatiosta riippuen.

### 5.3 Avohoitolääkkeet

Avohoidossa käytettäviä lääkkeitä ei sairaaloissa käsitellä hallinnollisesti sairaalalääkkeiden tavoin, vaan lääkkeen aseman arviointi ja käyttöönotto tapahtuvat potilas työn, korvattavuuden ja tiedon leviämisen myötä. Lääkkeen teho ja turvallisuus ovat arvioinnin keskiössä myös avohoitolääkkeissä ja käyttöönoton etenemistä määrittää korvattavuus.

Kela-korvaus vaikuttaa voimakkaasti mahdollisuuteen käyttää biologisia avohoitovalmisteita. Kalliiden avohoitolääkkeiden laajamittainen käyttöönotto ei ole käytännössä mahdollista ilman korvattavuutta, sillä potilaat eivät pysty maksamaan hoitoa itse. Organisaation käytännöt voivat painottaa avohoitolääkkeen valintaa sairaalalääkkeen sijaan lääketieteellisesti hyväksytyissä rajoissa, sillä se helpottaa organisaation lääkebudjetissa pysymistä.

”Jos ei ole korvattavuutta, ei voi käyttää ollenkaan.” (Ylilääkäri, reumataudit, keskussairaala)

”Ajattelin, että se valtakunnallinen päätös on se, jos se saa jonkin korvattavuuden.” (Ylilääkäri, reumataudit, yliopistosairaala)

Käyttöönoton ja käytön myötä lääkärit saavat kliinistä kokemusta lääkkeistä ja käytökokemukset leviävät erikoisalan sisällä. Kliininen kokemus nousee merkittäväksi tekijäksi tutkimustiedon rinnalle sekä avohoit- että sairaalalääkkeissä, kun lääkkeen käyttöönotto ja käyttö etenevät.

#### 5.4 Päätöksenteon erot

Eri lääkärit ja organisaatiot voivat päätyä erilaisiin ratkaisuihin lääkkeiden käyttöönotossa ja käytössä. Haastatteluisa arviot hoitojen yhdenmukaisuudesta tai erilaisuudesta eri puolilla Suomea vaihtelivat. Osa piti käytäntöjä melko yhdenmukaisina, kun taas osa arvioi, että alueellisia eroja on olemassa.

Lääkäreihin liittyvät tekijät mainittiin usein ensimmäisenä asiana, kun haastatteluisa keskusteltiin päätöksenteosta ja mahdollisista alueellisista eroista. Muita mainittuja seikkoja olivat organisaatioihin liittyvät käytännöt ja alueen paikalliset piirteet, kuten sairastavuus, taloudelliset tekijät ja hoitokulttuuri. Alueelliset erot eivät liittyneet vain lääkkeiden valintaan ja käyttöön, vaan niitä arvioitiin olevan myös esimerkiksi hoitoon pääsyssä, sen nopeudessa sekä lääkäriresursseissa. Lääkkeen valintaan vaikuttavat myös potilaaseen liittyvät tekijät, esimerkiksi lääkkeen soveltuvuus potilaan arkeen.

Lääkäri toimii sosiaalisessa verkostossa sekä omassa organisaatiossaan että erikoisalallaan. Isommissa sairaaloissa samassa yksikössä työskentelee useampia erikoislääkäreitä, kun taas pienemmissä yksiköissä erikoislääkäri voi olla ainoa oman alansa edustaja. Koko maan tasolla erityisesti pienillä erikoisaloilla erikoislääkärit tuntevat toisensa ja toimintatavoista ja käytännöistä ollaan usein tietoisia.

Haastateltavat kertoivat, että yksittäiset lääkärit tulkitsevat ja soveltavat hoitosuosituksia ja tutkimustuloksia eri tavoin. Lääkäriin persoona, kliininen kokemus, erityinen perehtyneisyys sekä kiinnostuksen kohteet, esimerkiksi tutkimusyhteistyö, voivat vaikuttaa siihen, minkälaisia päätöksiä käytännössä tehdään. Käyttöönottoon voi liittyä erilaisia asenteita ja suhtautumista yksilö- ja organisaatiotasolla. Haastateltavat saattoivat kuvailla itseään ja organisaatiotaan esimerkiksi ”rohkeaksi ja innokkaaksi” verrattuna ”aika konservatiiviseen” uusien lääkkeiden käyttöönotosta keskusteltaessa.

”On tällaisia perin inhimillisiä temperamenttieroja. On lääkäreitä, jotka ovat hyvin innokkaina ottamassa kaikennäköisiä uusia lääkkeitä käyttöön ja kantapään kautta sitten joskus huomaavat, että oli hyvä päätös tai huono päätös. Sitten on konservatiiveja, jotka ensin vähän aikaa odottaa, että miten mennään. Tällaisistakin asioista varmaan voi saada dramaattisen oloisia, mutta mielestäni se on inhimillistä. Siinä voi aina perustella kumminkin päin sitä asiaa. Konservatiivi pelkää uusiin lääkkeisiin liittyviä haittoja ja sitten tämä taas, joka on innokkaana ottamassa, niin ajattelee, että hän oikeasti yrittää hyödyttää näitä potilaitansa.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Kyllähän ne aika pitkälti varmaan johtuu nimenomaan lääkäreistä yksilöinä. Vaikka meillä on käytössä se sama tieto, julkaistu tieto, niin ne tulkinnat ovat erilaisia. Ja lääkäritkin ovat tietenkin ihmisiä. Osa sitten haluaa paljon matalammalla kynnyksellä, hyvää tarkoittaen, aloittaa aktiivisen hoidon, vaikka siihen usein, ihan realistisesti katsottuna liittyisi pelkkää toiveajattelua. Mutta tällaistaahan tämä

on, niin kauan kuin ihmiset tätä hommaa tekevät, ei tätä voi muuten tehdäkään.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Kyllä se varmaan mielestäni johtuu ihan niistä lääkäreistä ja varsinkin niistä osaston ylilääkäreistä. Kyllä kai he sen linjauksen vetävät, että mitä siellä yksikössä suositaan ja käytetään. Ja sitten heidän oppi-isänsä, -äitinsä, niin jotenkin ne vaan menee sitä kautta.” (Sairaala-apteekkari, keskussairaala)

Organisaatioiden taloudelliset resurssit tulivat esille erojen mahdollisina taustatekijöinä. Organisaatioiden tavat linjata lääkkeiden käyttöä voivat vaihdella. Lääkkeiden käyttöä voidaan ohjata sekä seurata tarkasti. Kalliiden lääkkeiden kohdalla taloudelliset tekijät voivat korostua.

”H: Mistä tällaiset alueelliset erot sinun mielestäsi johtuvat?

V: Ohjauksesta. Juuri tämä [sairaala x] on hyvä esimerkki, että siellä yritetään ohjata hirveästi sitä käyttöä. Siellä on rajoituksia hyvin paljon. Ne on aika paljon hoitoon perustuvia, mutta sielläkin on viime vuosi ohjattu rankasti, siellä on budjettilähtöisesti ohjattu sitä.” (V = Ylilääkäri, syöpätaudit, keskussairaala; H = Haastattelija)

”Tiesin, että [sairaalassa x] en saa yhtään tiputettavaa lääkettä määrätä, että kysyn esimieheltä tai on ollut tällainen jokin kollegio, joka päättää. – – Ylempi johto oli määrännyt sen, että kuinka monta kappaletta sai vuodessa, että sitten ei ostettu tippaakaan.” (Ylilääkäri, reumatoidit, keskussairaala)

Lisäksi muut paikalliset tekijät, kuten sairastavuus, maantieteelliset välimatkat, lääkärityövoiman vähäisyys ja hoitokulttuuri, voivat olla haastateltavien mukaan osatekijöitä alueellisten erojen syntymisessä. Hoitokäytännöt toteutuvat yksilöiden kautta, eri maantieteellisillä alueilla vallitsevissa olosuhteissa. Muodostuu tapa käyttää lääkkeitä, joka muokkautuu yksilöiden, organisaatioiden ja alueellisten tekijöiden myötä paikallisen tason käytännöksi.

”Maantiede vaikuttaa, Ruotsin läheisyys. Sitten kyllä jonkin verran on alueellisia eroja myös sairastavuudessa. Itä-Suomessa on enemmän reumaa kuin Länsi-Suomen rannikolla. – – Ja sitten, ihan varmasti on niin, että jossain köyhässä maakunnassa, reumalääkäritkin ovat kovin varovaisia ainakin iv-lääkkeitä määräämään. Ja sitten taas jossakin rikkaammassa ehkä helpommin.” (Ylilääkäri, reumatoidit, keskussairaala)

”En osaa sanoa siihen mitään muuta kuin että se johtuu siitä lääkepolitiikasta, mitä sillä alueella harjoitetaan. Se on syntynyt sitten eri syistä. Siinä on voinut olla kustannussyitä, sillä voi olla konservatiivista. Yleensä konservatiivinen hoitoperinne, esimerkiksi se voi henkilöityä joihinkin vaikuttajayksilöihin, jotka lanseeraavat tai ovat olleet tutkimassa mukana ja jotka on muuten vaikuttajia. Eli se on sellaista, ei mikro- eikä makrotason, sellaista välitason lääkepolitiikkaa. Siitä minä sanoisin sen johtuvan.” (Sairaala-apteekkari, yliopistosairaala)

## 6 KÄYTÖN OHJAUS JA SEURANTA

### Keskeiset havainnot

#### Ohjaukset käytännöt yksiköiden sisällä

- Biologisten sairaalalääkkeiden käyttöä ohjataan organisaatioissa. Myös biologisiin avohoitolääkkeisiin voi liittyä ohjausta.
- Ohjaus toteutuu esimerkiksi ylilääkärin toimintana, päätöksentekona ryhmässä ja yhteisten linjausten kautta. Ohjaus voi olla näkyvää, valvovaa ja konkreettista. Ohjaus voi olla myös keskustelua, tiedonvaihtoa ja koulutusta.

#### Budjettivaikutukset tiedossa

- Budjettivaikutuksia seurataan organisaatioissa säännöllisesti.

#### Vaikuttavuus ja pitkän aikavälin seuranta

- Organisaatioissa ei useinkaan ole mahdollisuutta seurata hoidollisia vaikutuksia systemaattisesti potilasryhmätasolla. Vaikuttavuuden, tehon ja turvallisuuden seuranta pitkällä aikavälillä koetaan tärkeäksi ja tarpeelliseksi.

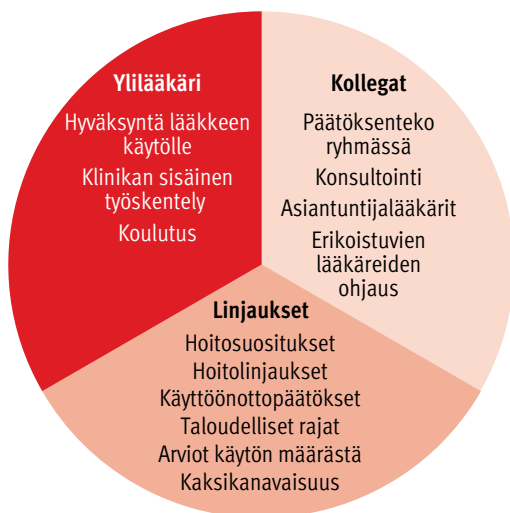
### 6.1 Ohjauksen käytännöt

On yleistä, että biologisten lääkkeiden käyttöä ohjataan erityyppisillä työhön sisältyvillä toimintatavoilla. Ohjauksen syitä ovat kalliiden lääkkeiden vaikutukset organisaation lääkibudjettiin, osaamista vaativa hoito ja lääkkeiden yhteiskunnallinen kustannus. Erityisesti kalliiden sairaalalääkkeiden käyttö on ohjattua. Myös avohoitolääkkeisiin voi liittyä ohjaukset käytäntöjä. Kuviossa 9 (s. 39) on sijoitettu haastattelujen pohjalta tunnistettuja ohjauksen käytäntöjä kolmen keskeisen määrittäjän alle (ylilääkäri, kollegat ja linjaukset).

Hoitoyksikön **ylilääkärillä** on keskeinen rooli ohjauksessa. Ylilääkärin käsitykset ohjauksesta, toimintatapa ja persoona muovaavat ohjaukset käytäntöjä hoitoyksiköissä. Ylilääkäri voi valvoa biologisten lääkkeiden käyttöä klinikassa ja ottaa kantaa tehtyihin hoitoratkaisuihin. Ylilääkäri voi organisoida klinikan sisäistä työskentelyä esimerkiksi palaveritoiminnalla.

**Kollegoiden** yhteinen päätöksenteko tapahtuu sekä ylilääkärin ohjaamien palaverikäytäntöjen että konsultaatioiden ja epävirallisempien keskustelujen kautta. Hoitopäätöksiä voidaan tehdä säännöllisissä lääkehoitoa ja potilastapauksia käsittelevissä palavereissa. Lisäksi organisaatioissa käsitellään hoitolinjoja. Ryhmässä tapahtuva päätöksenteko ja muut hoitolinjoja koskevat palaverit ovat tapa pitää hoitolinjoja yhdenmukaisina ja keino hallita budjettia. Yhteisellä päätöksenteolla on myös koulutuksellinen ulottuvuus.



**Kuvio 9.** Tyypillisiä ohjauskäytäntöjä.

Hoitoyksiköt ovat erikokoisia ja vaihtelevat yliopistosairaaloitten suurista hoitoyksiköistä pieniin, yhden lääkärin muodostamiin keskussairaaloitten hoitoyksiköihin. Suurissa yksiköissä säännöllinen palaveritoiminta on mahdollista, kun taas pienissä yksiköissä kollegoitten näkemyksiä voidaan saada konsultaatioilla ja erikoisalan sisäistä keskustelua seuraamalla. Pienissä yksiköissä päätökset voivat olla pitkälti yksittäisten lääkäreiden vastuulla.

Erikoislääkärit päättävät usein itsenäisesti biologisten lääkkeiden käytöstä selkeissä tilanteissa, joissa yhteiset linjat ovat olemassa, tosin ylilääkäri voi edellyttää hyväksymiskäytäntöä sairaalalääkkeille. Harvinaisissa, hankalissa tai epätyypillisissä tapauksissa sekä harvoin käytössä olevien lääkkeiden kohdalla ryhmässä tapahtuva päätöksenteko yleistyy. Tiettyjen lääkkeiden ohjaaminen asiantuntijalääkärille tuli esille joidenkin syöpälääkäreiden haastatteluissa ja liittyi erityisesti yliopistosairaalakontekstiin. Keskussairaaloitten käytäntönä voi olla yliopistoklinikan konsultointi.

Erikoistuvien lääkäreiden päätöksentekoa biologisten lääkkeiden aloittamisessa on usein rajattu siten, että erikoistuvan lääkärin täytyy hyväksyttää hoitopäätös erikoislääkärillä tai potilastapauksia käsittelevässä palaverissa. Tämä koskee sekä sairaalalääkkeiden että avohoitolääkkeiden aloituspäätöksiä. Yhteinen päätöksenteko on osa erikoistuvan lääkärin koulutusta.

**Linjaukset** ovat esimerkiksi hoitosuosituksia ja hoitolinjauksia. Hoitosuositus on kansallinen tai kansainvälinen ohjeistus sairauden hoidosta. Sillä on usein lähes virallinen kannanottoa vastaava asema. Hoitolinjaus on organisaatioissa laadittu ohjeistus sairauden hoidosta ja lääkkeiden käytöstä. Se pohjautuu kansallisiin ja kansainvälisiin hoitosuosituksiin. Linjauksen tavoin toimii myös lääkkeiden kaksikanavainen rahoitusjärjestelmä.

Haastatteluiden perusteella eri organisaatioiden ohjauk käytännöllä on paljon yhteistä. Käsitukset ohjauksesta voivat kuitenkin vaihdella. Ohjaus voi olla näkyvää, valvovaa ja konkreettista tai se voi perustua keskusteluun, tiedonvaihtoon ja koulutukseen. Usein nämä erityyppiset orientaatiot esiintyvät rinnakkain ja yhdistelminä.

Ohjauksen käytännöt näkyvät toimintatapoina työssä ja organisaatiossa. Ylilääkärin toimintatavat ohjauksessa korostavat ohjauksen yksilöllistä ja persoonallista ulottuvuutta. Kollegat ja ryhmäpäätöksenteko kuvastavat yhteisöllistä ulottuvuutta organisaation ja erikoisalan sisällä. Linjaukset ovat suosituksia, käytäntöjä ja rakenteita, joilla voi olla merkittävä asema päätöksenteossa ja jotka muodostuvat paikallisten, kansallisten ja kansainvälisten kanavien kautta.

## 6.2 Seurannan käytännöt

Biologisten lääkkeiden käyttöä seurataan yksittäisen potilaan hoidon lisäksi erityisesti kustannusten näkökulmasta. Haastatteluun osallistuneiden organisaatioiden ”top 10 -listalla” eli eniten kustannuksia aiheuttavissa lääkkeissä on useita biologisia lääkeaineita.

Biologisia lääkkeitä käyttävillä erikoisaloilla sairaalalääkkeiden kustannuksia seurataan säännöllisesti ja lääkebudjetista ollaan tietoisia. Kalliiden lääkkeiden käyttöön liittyy harkintaa, jossa hyötyä puntaroidaan. ”Syöpäpuolella on aika tiukka ryhmäkuri, siellä mietitään ihan oikeasti näitä ryhmissä”, kuvasi eräs sairaala-apteekkari päätöksentekoa.

Hoitoa seurataan yksilötasolla, ja potilastyön kautta uusista lääkkeistä saadaan kokemusta. Sen sijaan hoidollisten vaikutusten seurantaan potilasryhmätasolla ei ole sairaalan arjessa useinkaan mahdollisuutta. Uutta lääkettä voidaan arvioida esimerkiksi käyttökokeilujen avulla sekä klinikan sisäisenä työnä. Pääasiallisesti hoidollisten vaikutusten ja vaikuttavuuden tutkimus potilasryhmätasolla on kuitenkin sairaalan ulkopuolista työtä.

Lääkkeiden vaikuttavuuden seuranta ja tutkimusta ryhmätasolla vaikeuttavat rajallisten työvoimaresurssien lisäksi erilaiset tietojärjestelmät. Nykymuodossaan ne eivät useinkaan mahdollista nopeaa tiedonkeruuta ja eri tietojen, kuten sairauden, lääkityksen ja hoitovasteen, yhdistämistä tutkimustyön edellyttämällä tavalla. Hoidollisten vaikutusten seuraamiseen on sekä kehitteillä että osin jo otettu käyttöön käytettävyydeltään parempia sähköisiä järjestelmiä.

Budjettivaikutusten ja hoidollisten vaikutusten rinnalla lääkärit nostivat esille haittavaikutustiedon tärkeyden. Haastatteluissa toivottiin, että lääkärit raportoisivat haittavaikutuksista kattavasti ja viranomaiset tiedottaisivat haitoista yleisen tiedotuksen lisäksi tarvittaessa hoitoyksikköön asti. Säännöllinen lääkkeiden turvallisuudesta

tiedottaminen koetaan tärkeäksi käytännön työssä. Lisäksi seurantatieto uusien lääkehoitojen turvallisuudesta pitkäaikaisessa käytössä nähdään tärkeänä.

Haastatteluissa peräänkuulutettiin laaja-alaisuutta hoitojen vaikuttavuuden tarkastelussa pitkällä aikavälillä. Lääkkeen hyöty ja hinta suhteessa potilaan terveydentilaan, työkykyyn, toimintakykyyn ja elämänlaatuun voivat vaatia useita erityyppisiä mittareita ja erilaisia lähestymistapoja.

## 7 LÄÄKÄRIN PÄÄTÖKSENTEKO

### Keskeiset havainnot

#### Hyödyn ja haitan suhde

- Keskeistä uuden lääkkeen käyttöönotossa ovat teho, turvallisuus ja sivuvaikutukset sekä tutkimustulokset.

#### Suosituksien ja linjaukset

- Suositukset ja linjaukset vaikuttavat päätöksentekoon.

#### Hinta ja kustannusten jakautuminen

- Hinta ja kustannusten jakautuminen ovat osa päätöksentekoa ja vaikuttavat hoidon valintaan ja toteuttamiseen.

#### Kliininen kokemus

- Lääkäri saa kokemuksesta tietoa ja tuntumaa lääkkeeseen käyttäessään sitä potilastyössä. Tällä tiedolla on merkitystä tutkimustulosten rinnalla.

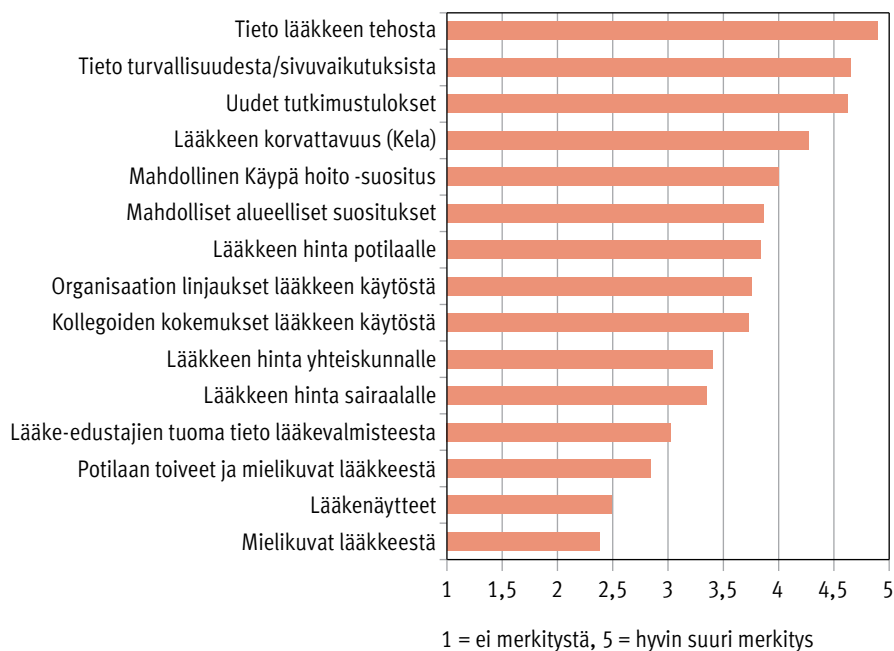
### 7.1 Tekijät päätöksenteon taustalla

Haastattelujen yhteydessä lääkärit (n = 37) täyttivät heille kohdistetun kyselylomakkeen (liite 4). Sen avulla tarkastellaan eri tekijöiden merkitystä päätöksenteossa silloin, kun lääkäri ottaa käyttöön uuden biologisen lääkkeen. Moni haastateltava tarkensi vastauksiaan sanallisesti kyselylomaketta täyttäessään, ja samoja teemoja käsiteltiin haastatteluissa myös muissa yhteyksissä.

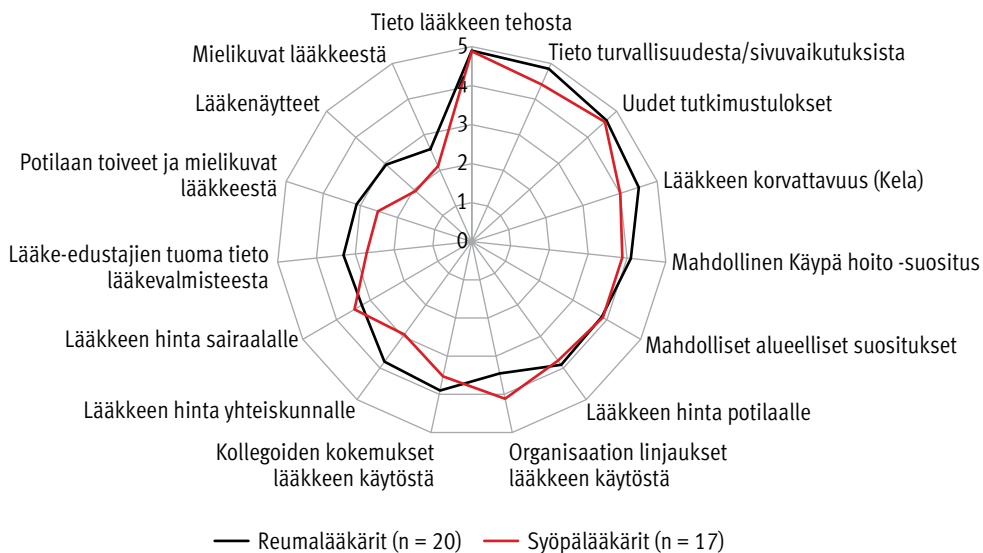
Kuviossa 10 (s. 43) näkyvät eri tekijöiden kyselyssä saamat painoarvot. Eniten painoarvoa on tiedolla lääkkeen tehosta, tiedolla turvallisuudesta/sivuvaikutuksista ja uusilla tutkimustuloksilla. Vähiten merkitystä lomakkeessa mainituista tekijöistä on mielikuvilla lääkkeestä, lääkenäytteillä sekä potilaan toiveilla ja mielikuvilla lääkkeestä. Eniten ja vähiten painoarvoa saaneet kolme tekijää olivat samat reumalääkäreillä ja syöpälääkäreillä.

Kuvio 11 (s. 43) kuvaa tekijöiden painottumista reuma- ja syöpälääkäreiden päätöksenteossa. Lääkäriryhmien vastaukset olivat yhdenmukaisimmat arvioitaessa lääkkeen tehon, alueellisten suositusten, uusien tutkimustulosten ja potilaan maksettavaksi jäävien kustannuksien merkitystä. Ryhmien välillä oli pieniä eroja arvioitaessa lääkenäytteiden, organisaation linjauksien ja lääkkeen yhteiskunnallisen hinnan merkitystä. Erot erikoisalojen välillä voivat johtua käytettävien lääkkeiden asemasta avohoito- tai sairaalalääkkeinä.

**Kuvio 10.** Uuden biologisen lääkkeen käyttöönotto, eri tekijöiden painotukset päätöksenteossa lääkärien mukaan (n = 37).



**Kuvio 11.** Päätöksentekoon vaikuttavien tekijöiden painotukset reumalääkäreillä ja syöpälääkäreillä.



## 7.2 Hyödyn ja haitan suhde

Tieto lääkkeen tehosta ja uusien tutkimustulosten merkitys painottuivat vahvasti sekä reumalääkäreiden että syöpälääkäreiden vastauksissa. Yhdessä teho, turvallisuus ja tutkimustulokset muodostavat kokonaisuuden, joka on keskeisessä osassa punnittaessa hoidon hyötyjä ja haittoja, potilaan tilanteeseen sovellettuna.

Tieto turvallisuudesta ja sivuvaikutuksista painottui hieman enemmän reumalääkäreiden vastauksissa. Tämä voi selittyä sairauksien ja hoitojen erilaisilla luonteilla. Reumasairauksissa hoitoja saatetaan käyttää vuosia, jolloin hoidon pitkäaikaiset hyöty- ja haittavaikutukset voivat korostua. Syöpäsairauksissa sairauden luonne, lääkkeiden ominaisuudet ja hoidon tavoitteet sekä mahdollisuudet vaikuttavat punnittaessa turvallisuutta ja sivuvaikutuksia. Syöpälääkärit eivät kuitenkaan pidä sivuvaikutuksia ja turvallisuutta vähäpätöisenä asiana. Hoitojen haitat ja elämänlaatu tulivat esille erityisesti pohdinnoissa elämän loppuvaiheen hoidosta silloin, kun sairautta ei voi parantaa ja odotettavissa oleva elinikä on lyhyt.

## 7.3 Suositukset ja linjaukset

Organisaation linjauksilla on selkeä ohjaava merkitys. Linjaukset saattavat olla virallisesti laadittuja, sairauden hoitoa koskevia ohjeita tai epävirallisia, kaikkien tiedossa olevia käytäntöjä, kuten kaksikanavaisuuteen liittyvät valinnat. Eräs lääkäri totesi kuvaavasti, että organisaation linjaukset ”on pakko ottaa huomioon”. Syöpälääkärit arvioivat organisaation linjausten merkityksen hieman suuremmaksi kuin reumalääkärit. Tämä johtuu todennäköisesti siitä, että syövän hoidossa käytetään paljon sairaalalääkkeitä, kun taas reumasairauksissa lääkehoito on usein avohoitopainotteista.

Käypä hoito -suosituksilla ja muilla erikoisalakohteisilla hoitosuosituksilla on painoarvoa, ja niitä pidetään kansallisena linjanvetona Suomessa. Uusimpien lääkkeiden osalta lääkkeen aseman määrittely ja hoitosuositusten päivittäminen vaativat aikaa ja resursseja, eikä hoitosuosituksia ole saatavilla käyttöönoton alkuvaiheessa. Kansallisten hoitosuositusten lisäksi molemmilla erikoisaloilla seurataan kansainvälisiä hoitosuosituksia. Haastatteluihin kuvastuu organisaatioiden ja lääkäreiden tarve saada nopeita, huolelliseen arvioon ja kliiniseen asiantuntemukseen perustuvia linjauksia uusien lääkkeiden asemasta sairauden hoidossa.

”Kun ajattelee kansainvälisiä hoitosuosituksia onkologialla, niin nehän päivitetään vuosittain super-asiantuntijoiden voimin. Suomalaisia suosituksia ei kannata jäädä odottamaan, kellään ei ole aikaa niitä tehdä. Mutta me toimimme aika pitkälti kansainvälisten suositusten mukaan, niissä puitteissa mitä Suomessa on mahdollista.”  
(Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Alueelliseksi suosituksiksi käsitettiin esimerkiksi yliopistosairaaloitten linjaukset hoitojen käytössä. Hoitosuositukset olivat myös alueellisten suositusten taustalla.

Kyselyssä alueellisten suositusten käsite ei hahmottunut täysin selkeänä vastaajille, vaan suositukset ja linjaukset olivat haastateltaville kansainvälisiä, kansallisia ja organisaatiokohtaisia.

#### 7.4 Hinta ja kustannusten jakautuminen

Lääkkeen Kela-korvattavuus sai eniten painoarvoa sekä reumalääkäreiden että syöpälääkäreiden vastauksissa, kun tarkastellaan neljää kyselyssä mainittua hintaa ja kustannusten jakautumista koskevaa tekijää. Reumasairauksien hoidossa merkittävä osa biologisista lääkkeistä on avohoitolääkkeitä. Syöpälääkärit mainitsivat Kela-korvauksen yhteydessä erityisesti uudet tablettimuotoiset, avohoitokäyttöön soveltuvat syöpälääkkeet. Ilman Kela-korvausta biologisten ja muiden kalliiden avohoitolääkkeiden käyttö on käytännössä mahdotonta. Eräs haastateltava tiivistä korvattavuuden ”on/off-asiaksi”. Ilman korvattavuutta lääkettä ei voi määrätä eikä käyttää, koska potilas ei pysty maksamaan hoitoa itse.

Hinta potilaalle on merkittävä painoarvoa saanut tekijä. Reumalääkärit kertoivat tapaavansa säännöllisesti potilaita, joilla ei ole varaa maksaa korvattavan avohoitolääkkeen omavastuuosuutta. Tällöin voidaan etsiä rahoitusta sosiaalitoimen kautta tai valita sairaalassa annettava lääke. Syöpälääkärit ottivat esille lääkehoidon ohella muut sairauteen liittyvät taloudelliset rasitteet, esimerkiksi matkakulut ja pitkäaikaisen työkyvyttömyyden.

Lääkkeen hinnalla sairaalalle on merkitystä, mutta mikäli syy käyttää lääkettä on perusteltu, lääkäreiden mukaan hoito on voitu toistaiseksi järjestää. Hinnalla sairaalalle voi olla kuitenkin suuri merkitys lääkkeiden käytössä ja määräämisessä. Esimerkkinä tästä on avohoitolääkkeen valinta sairaalalääkkeen sijaan silloin, kun se on lääketieteellisesti mahdollista.

Lääkkeen hinta yhteiskunnalle on merkittäväksi arvioitu tekijä, joka tiedostetaan kalliita hoitoja käytettäessä. Lääkärit kuvasivat potilaan edun olevan ensisijaisesti arvioitava asia, mutta kokonaisuutena he kiinnittivät paljon huomiota myös hoitojen yhteiskunnalliseen hintaan. Kyselyn vastauksissa reumalääkärit arvioivat yhteiskunnallisen hinnan hieman merkittävämmäksi tekijäksi päätöksenteossa kuin syöpälääkärit. Avohoitolääkkeiden kustannukset saatettiin hahmottaa enemmän yhteiskunnallisiin kuluihin liittyväksi kuin organisaatioiden kulut, vaikka haastateltavat totesivatkin kokonaiskustannusten menevän joka tapauksessa veronmaksajien maksettavaksi.

Molemmilla erikoisaloilla ollaan huolissaan hoitojen kustannuksista ja niiden kasvamisesta tulevaisuudessa. Kustannustietoisuus on tullut osaksi sekä reumalääkäreiden että syöpälääkäreiden työtä. ”Reumalääkärit tietävät olevansa kalliita lääkäreitä”, totesi eräs haastateltava. Toinen reumalääkäri kuvasi ajatustaan yhteiskunnallisesta ulottuvuudesta kalliiden hoitojen käytössä seuraavasti: ”Ymmärrän sen tai ajattelen,

että tietysti vielä jos on yllilääkärinä, niin on tietynlainen tällainen yhteiskunnallinen, kustannusvastuullinenkin ilman muuta.”

Kalliisiin hoitoihin liittyy useita näkökulmia, arvoja ja asenteita. Syöpälääkäreillä kysymykset hoitojen kustannuksista ovat osin eri tavoin esillä kuin reumalääkäreillä, todennäköisesti sairauksien erilaisen luonteen vuoksi. Reumataudeissa kallista lääkehoitoa voidaan perustella kokonaisedulla myös kustannusnäkökulmasta, usein vuosien päähän. Syöpätaudeissa hoidolla voi olla eri tavoitteita ja mahdollisuuksia, kuten syövän parantaminen, kroonistuneen syövän etenemisen estäminen tai täysin palliatiivinen, oireita lievittävä hoito. Se, millä lailla kalliit lääkkeet sijoittuvat eri tilanteisiin, muodostaa resurssien, arvojen ja näkemysten kentän, jossa valintoja tehdään.

## 7.5 Lääketeollisuus

Biologisten lääkkeiden lääkemerkkinointia kuvataan erittäin aktiiviseksi. Lääke-edustajien tarjoama tieto uusista valmisteista ja tutkimustuloksista on merkittävässä osassa tiedonvälitystä, mutta lääkärit kertoivat suhtautuvansa tietoon kriittisesti ja arvioiden. ”On tärkeää, että saa tietoa, mutta ei ratkaisevaa, minkä perusteella aletaan käyttämään”, kuvasi eräs syöpälääkäri lääke-edustajilta saamansa tiedon asemaa päätöksenteossa.

Lääkäreiden näkemykset lääkemerkkinoinnista ja lääketeollisuudesta vaihtelevat. Haastatteluaineistossa lääke-edustaja nähtiin tiedon tuojana, jonka antamasta informaatiosta pyritään suodattamaan oleelliset seikat. Toisaalta lääke-edustajaa saatettiin kuvata ensisijaisesti myyntityötä tekevänä ”kaupparatsuna” tai ”agenttina”. Lääkärit pyrkivät suhtautumaan lääke-edustajien tuomaan tietoon objektiivisesti, mutta toteavat, että ovat inhimilliseen tapaan alttiita markkinoinnille. Eräs haastateltava totesi osuvasti: ”Yritän väittää, että ei tärkeä”. Tieto ja markkinointi tulevat usein rinnakkain lääkäreille:

”Sitten yksi sellainen asia, johon varmasti liittyy hyvin monenlaisia sävyjä, on lääketieteellisuuden hyvin aktiivinen markkinointi. Uuden lääkkeen tullessa yhteistyö lääketieteellisuuden kanssa on tietenkin välttämätöntä, koska siellä on se suurin kokemus sen lääkkeen käytöstä. Ja totta kai silloin pitää kuunnella tarkasti, mitä se lääketieteellisuus omasta lääkkeestään sanoo. Mutta kyllä se markkinointi on yksipuolista. Kyllä se oma tuote aina osataan esittää sellaisessa valossa, että se on paljon parempaa kuin ennen ja parempaa kuin muiden, vaikka ikään kuin objektiivista tietoa pitää antaa.” (Yllilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Lääkenäytteitä ei ole suuria määriä lääkäreiden saatavilla. Niiden avulla voidaan aloittaa hoito tai kokeilla, sopiiko lääke potilaalle. Osa reumalääkäreistä kertoi, että lääkenäytteillä voi olla merkitystä, jos biologinen lääkehoito halutaan aloittaa loppuvuodesta. Lääkenäytteiden avulla potilaan ei tarvitse maksaa omavastuuosuutta



kahdesti lyhyen aikavälin sisällä eli sekä loppuvuodesta että heti alkuvuodesta. Eräs haastateltava kertoi ”korjaavansa monikanavaista rahoitusongelmaa” lääkenäyttäjien avulla. Syöpälääkärit kertoivat, että lääkenäyttäjien merkitys syöpätautien hoidossa on vähäinen. Uusimpia hoitoja voidaan saada käyttöön tutkimusaktiivisuuden myötä.

Haastateltavat tiedostivat markkinatalouden lainalaisuudet ja lääkeyritysten intressit taloudellisen voiton tavoittelussa sekä lääkekehittelyn vaatimat suuret kustannukset. Hinnoittelussa toivottiin kuitenkin kohtuullisuutta. Lääketeollisuus lääkkeiden hintojen takana on osa globaalia markkinataloutta, jota eräs syöpälääkäri kuvasi seuraavasti:

”Lääketeollisuus hinnoittelee nämä patenttilääkkeensä nyt hyvin korkealle ja se hinnoittelu on aika tuulesta temmattua. Eli nyt näyttää siltä, että koko ajan uuden lääkkeen hinta nousee pikku hiljaa ja ikään kuin teollisuus testaa sitä, mikä on yhteiskuntien sietokyky. Ja se ei varsinaisesti ole tullut vastaan. New Yorkissa on sentään kerran koettu se, että kliinikot sanoivat, että ei tule mitään, ja lääketieteellinen reagoi siihen, että hinta laski. Suomi on niin pieni markkina, että jos täällä jokin syöpäkeskustyypinen sanoo, että me ei oteta tätä lääkettä käyttöön kun on niin kallis, niin veikkaan, että sillä ei ole mitään vaikutusta, ne vaan toteaa, että aha. Nämä on niin globaaleja nämä lääketieteellisyfirmat, että niille tällaisten yksittäisten kansallisvaltioiden päätökset on kuitenkin aika pieniä. Ja nyt sellaista mitään kansainvälistä mekanismeja tämän lääketieteellisuuden hintapolitiikan ohjaukseksi ei ole. Euroopan Unioni ensisijaisesti on kauppaunioni, jonka tavoite on mieluumminkin tuottaa lisää lääketieteellisuutta ja uusia lääkkeitä markkinoille, joissa olisi hyvä hinta, joita kovaan hintaan myytäisi amerikkalaisille ja aasialaisille. Tämä hinnoittelumaailma on ihan omanlaisensa ja luulen, että meillä on Suomessa hyvin vähän mahdollisuuksia vaikuttaa siihen.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

## 7.6 Kokemukset, mielikuvat ja käytännöllisyys

Potilaan toiveet ja mielikuvat saivat melko vähän painoarvoa päätöksenteon ratkaisevana tekijänä, mutta ne kuitenkin huomioidaan osana päätöksentekoa. Lääkärin omat mielikuvat lääkkeestä oli kyselyssä tekijä, jonka moni haastateltava koki hankalaksi vastata eikä se saanut päätöksenteossa suurta merkitystä. Lääkäreiden mukaan päätöksenteko pyritään perustamaan tiedolle, vaikka markkinoinnilla voi olla osuutta myös mielikuvien luomisessa.

Kollegoiden kokemusten merkitystä päätöksenteossa arvioitiin vaihtelevasti sekä vähäiseksi että suureksi. Jos kysymyksessä on uusi lääke, kokemusperäistä tietoa ei ole heti saatavilla. Käyttöönoton edetessä tällä tiedolla on kuitenkin paljon merkitystä tutkimustulosten rinnalla. Joissain organisaatioissa voidaan tehdä ennen laajempaa käyttöönottoa käyttökokeilu. Myös tutkimuksissa mukana olo tuo käyttökokeilusta lääkkeitä.

Kyselyn vastauksissa ja haastatteluissa tuli esille myös muita päätöksenteossa huomioitavia tekijöitä, jotka usein olivat sidoksissa hoidon toteuttamiseen käytännössä. Käytäntöön liittyviä tekijöitä ovat muun muassa hoidon pituus, hoidon toteuttamiseen tarvittavat työvoimaresurssit ja maantieteelliset välimatkat. Hoitomyöntyvyys ja hoitoon sitoutuminen mainittiin muun muassa reumatautien pitkäkestoisissa hoidoissa.

## 8 KLIININEN PÄÄTÖSENTEKO REUMATAUTIEN HOIDOSSA

### Keskeiset havainnot

#### Biologisten lääkkeiden kohdentuminen

- Biologiset lääkkeet ovat lisänneet reumatautien hoitomahdollisuuksia.
- Nivelreuman hoidossa perinteisillä lääkkeillä toteutettavan yhdistelmähoidon asema on vahva. Biologiset hoidot kohdentuvat niihin potilaisiin, joille yhdistelmähoito ei tuota riittävää vastetta.
- Työ- ja toimintakyvyn näkökulmasta tehokas lääkehoito reumasairauksissa on kustannusvaikuttavaa.

#### Reumalääkäriresurssit

- Sekä yhdistelmähoito että biologinen hoito vaativat seurantaa ja lääkäriresursseja.

#### Reumalääkäreiden ammatillinen verkosto

- Suomen Reumatologinen Yhdistys vaikuttaa hoitokäytäntöihin koulutuksen ja erikoisalakohtaisen keskustelun myötä. Käypä hoito -suositus on yleislinjaus nivelreuman hoidossa.

### 8.1 Biologisten lääkkeiden asema

Haastatteluissa reumalääkärit kuvasivat sekä perinteisillä reumalääkkeillä toteutettavan yhdistelmähoidon että biologisten lääkkeiden tuloa erittäin merkittävänä edistysaskeleina reumasairauksien hoidossa. He kertoivat, että hoidon pääpaino ja tavoitteet ovat muuttuneet. Lääkehoitojen avulla potilaiden työ- ja toimintakykyyn voidaan vaikuttaa merkittävästi ja reumakirurgian tarve on vähentynyt. Reumasairaus ei tarkoita enää samanlaista invalidisoitumista kuin aikaisemmin.

”Nykytilanne on uskomaton. Ennen reuma eteni kuin juna, mutta nyt ei enää samalla tavalla. Vielä on pieni prosentti, joilla tauti etenee uusista lääkkeistä huolimatta, mutta näitä potilaita on enää vähän. Suurimmalla osalla menee hyvin. Ennen oli paljon reuman kirurgista hoitoa ja toistuvia leikkauksia potilailla, sitten tuli yhdistelmähoito ja nyt nämä biologiset lääkkeet. Aiemmin ei voinut kuvitellakaan, että reumaan voidaan vaikuttaa tällä tavoin.” (Erikoislääkäri, reumataudit, yliopistosairaala)

”Nythän jo on tapahtunut ihan ihmeitä. Olen itse tehnyt reumalääkäriin työtä yli 20 vuotta, niin tänä aikana on ihan mahtava ihme tapahtunut potilaiden hoidossa. Nämä hoidot on niin paljon tehostuneet ja kyllähän se biologisten lääkkeiden kehitys antaa toiveen siitä, että kehittyy vielä.” (Ylilääkäri, reumataudit, keskussairaala)

Reumatautien lääkehoidoissa avohoitolääkkeiden ja sairaalalääkkeiden valinnat ovat arkipäivää. Hoitopäätökset tehdään lääketieteellisin perustein, mutta kaksikanavaisen rahoitusjärjestelmän ohjaamina. Reumataudit ovat myös esimerkki tilanteesta, jossa kalliiden lääkkeiden käyttöä voidaan perustella sairauden kokonaiskustannusten näkökulmasta melko helposti. Potilaan työkyvyn säilyminen kalliillakin lääkehoidolla

on reumalääkärien mukaan erittäin kustannustehokasta. Lisäksi säästöjä syntyy esimerkiksi sairaalahoitopäivien ja reumakirurgian tarpeen vähenemisestä. Onnistunut reuman hoito vaikuttaa potilaan työ- ja toimintakyvyn ohella elämänlaatuun.

Yhdistelmähoito ja biologiset lääkkeet ovat parantaneet reumatautien hoitotuloksia huomattavasti. Tulevaisuudessa kaivataan lisää seurantatietoa biologisten lääkkeiden pitkäaikaiskäytöstä ja sen mahdollisista riskeistä.

## 8.2 Kliinisen päätöksenteon avainkohtia

Haastatteluissa keskusteltiin erityisesti nivelreuman ja selkärankareuman hoidosta. Haastatteluissa käsitellyt biologiset lääkkeet on kuvattu liitetaulukossa 1.

Suomessa perinteisillä reumalääkkeillä toteutettava nivelreuman yhdistelmähoito on ensisijainen hoitokäytäntö. Reumalääkäreiden mukaan hyvä hoitotulos saavutetaan yksilöllisesti räätälöidyllä yhdistelmähoidolla suuressa osassa tapauksia. Sekä yhdistelmähoito että biologinen lääkehoito vaativat osaamista, työvoimaresursseja ja säännöllistä seurantaa. Lisäksi potilaan hoitomyöntyvyys ja hoitoon sitoutuminen on tärkeä tekijä hoidon onnistumisessa.

Biologisen hoidon **aloituskynnys nivelreumassa** ylittyy tyypillisesti silloin, kun yhdistelmähoito on ollut käytössä vähintään puoli vuotta, mutta tauti on silti aktiivinen tai perinteiset reumalääkkeet eivät sovi potilaalle, eikä biologiselle hoidolle ole vasta-aiheita. Biologinen lääkehoito on parantanut merkittävästi niiden potilaiden tilannetta, jotka eivät saa yhdistelmähoidosta riittävää vastetta. Pieni osa nivelreumapotilaista ei saa riittävää tehoa nykyisistäkään biologisista lääkkeistä.

Biologisen hoidon tyypillinen **aloituskynnys selkärankareumassa** määrittyy potilaan oireiden, tulehdusarvojen ja magneettikuvissa näkyvän tulehdusreaktion perusteella. Lääkäreiden mukaan selkärankareuman hoidossa perinteisillä reumalääkkeillä ei läheskään aina ole riittävää tehoa. Usein potilaan oireilu sekä hoito tulehduskipulääkkeillä ovat jatkuneet vuosia ennen erikoissairaanhoidon arvioon lähettämistä. Lääkäreiden kokemuksen mukaan selkärankareumassa biologiset lääkkeet voivat toimia erittäin hyvin ja vaste tulla nopeammin kuin nivelreumassa. Diagnoosin, oireiden ja hoidon valinnan arviointi muuttuu hankalammaksi silloin, kun muutokset eivät näy kuvantamistutkimuksissa tai selässä on muita sairauksia tulehdussellisen prosessin lisäksi.

Biologisen lääkeaineen **valintaan** vaikuttaa useita tekijöitä. Näitä ovat muun muassa tutkimustieto, taudin ominaisuudet, lääkärin kliininen kokemus ja tottumus käyttää lääkettä, lääkkeen soveltuvuus potilaan arkeen ja lääkkeen rahoitus. Tyypillinen valinta on itsepistettävä TNF- $\alpha$ -salpaaja. Biologisen lääkkeen vaihtamisen syynä on yleensä tehon puute tai haittavaikutukset. Uudet lääkkeet otetaan käyttöön erityisesti niillä potilailla, joille aiemmista hoidoista ei ole ollut apua.

Biologisen lääkehoidon **tehon arviointi** perustuu kliiniseen tutkimukseen, laboratoriotuloksiin, standardoituihin kyselymittareihin sekä potilaan tuntemuksiin. Tehon puute tai haittavaikutus voi johtaa lääkkeen vaihtamiseen. Osassa hoitoyksiköitä on käytössä hoidon arviointia ja seurantaa varten suunniteltu sähköinen ohjelmisto tai tutkimus- ja seurantatietoa keräävän ROB-FIN-rekisterin lomakkeet.

Biologisen lääkehoidon **lopettaminen** koettiin usein hankalaksi kysymykseksi, erään haastateltavan sanoin ”harmaaksi alueeksi”, josta ei ole saatavilla selkeää tietoa tai ohjeita. Biologisen lääkkeen vähentämistä ja lopettamista ohjaa usein lääkärin kliininen kokemus, eikä lopputulosta voi tietää etukäteen. Joillakin potilailla biologista lääkitystä pystytään vähentämään tai lääke lopettamaan jossain vaiheessa, kun taudinkuva on vakiintunut oireettomaksi. Joillain potilailla puolestaan taudin oireet palaavat, jos lääkitykseen tehdään muutoksia.

Biologisten lääkkeiden **haitoista** mainittiin erityisesti infektiokerkyys. Lisäksi tuotiin esille biologisten lääkkeiden pitkäaikaiskäytön mahdolliset riskit, kuten pahanlaatuisten sairauksien riskin lisääntyminen. Pitkäaikaisen käytön mahdollisista riskeistä kaivattiin lisää tutkimustietoa. Kokonaisuudessaan sekä perinteisiä reumalääkkeitä että biologisia lääkkeitä pidettiin tehokkaina ja hyvin siedettyinä.

Taulukoihin 3 ja 4 (s. 52) on kerätty haastatteluaineistosta tyypillisiä vastaanotolla arvioitavia piirteitä, joiden perusteella biologisen lääkehoidon käyttämistä on helppoa tai vaikeaa perustella. Helposti syntyvässä päätöksessä tyypillistä on selkeä diagnoosi ja perinteisten reumalääkkeiden riittämätön teho. Vaikeassa päätöksessä tyypillistä on, että hoitovalintoja joudutaan arvioimaan erityyppisissä ja vaihtelevissa tilanteissa. Lääketieteellisen arvioinnin ohella hoitovalinnoissa vaikuttaa lääkehoidon rahoitus.

Reumasairauksien hoitoon on laadittu sekä kansallisia että kansainvälisiä hoitosuosituksia. Suomen Reumatologinen Yhdistys on aktiivinen ammatillinen verkosto, joka vaikuttaa hoitokäytäntöihin koulutuksen ja erikoisalakohtaisen keskustelun myötä. Lisäksi yleislinjaus nivelreuman hoidossa on Käypä hoito -suositus (Käypä hoito 2009). Reumalääkärit osallistuvat säännöllisesti myös EULARin eli eurooppalaisen reumalääkäreiden verkoston toimintaan. EULARin linjauksia ei täysin sovelleta kansallisiin hoitokäytäntöihin suomalaisen yhdistelmähoidon vahvan aseman vuoksi.

Osa sairaanhoitopiireistä on laatinut hoitoketjuja kuvaamaan reumasairautta sairastavan henkilön diagnosointia ja hoitoa alueellaan. Hoitoketjut määrittävät hoidon kulkua ja porrastusta perus- ja erikoissairaanhoidossa. Hoitoketjukuvauksia on saatavilla muun muassa Terveysportti-palvelussa. Kuvaukset vaihtelevat rakenteeltaan sen suhteen, minkä verran ja minkälaista tietoa ne tarjoavat. Suppeimmillaan hoitoketjussa luetellaan alueen eri hoitoyksiköt ja tehtävänjako. Laajempina kokonaisuutena hoitoketju antaa lisäksi tietoa hoidon päälinjoista.

**Taulukko 3.** *Biologisia lääkkeitä koskevan päätöksenteon tyypillisiä piirteitä nivelreuman hoidossa.*

Helpon päätöksen piirteitä nivelreumassa	Hankalan päätöksen piirteitä nivelreumassa
<ul style="list-style-type: none"> <li>– Yhdistelmälääkitys ja kortisoni ovat olleet käytössä vähintään puoli vuotta, annostukset säädetty yksilöllisesti, tauti yhä aktiivinen.</li> <li>– Useita turvonneita niveliä.</li> <li>– Tulehtunut nivel työkyvyn kannalta merkittävä.</li> <li>– Työ- ja toimintakyky laskeneet.</li> <li>– Ei vasta-aiheita lääkitykselle.</li> <li>– Tauti erosoiva eli aiheuttaa syöpymiä niveliin.</li> <li>– Tauti etenee radiologisesti.</li> <li>– Palautumattomia muutoksia ei vielä kovin paljon.</li> <li>– Nuori potilas.</li> <li>– Potilas ei siedä perinteisiä reumalääkkeitä.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>– Vain yhden nivelen tulehdus.</li> <li>– Oireiden aaltoilu – potilas voi pitkään hyvin, mutta tauti aktivoituu välillä.</li> <li>– Kipu oireena, mutta ei muita selkeitä löydöksiä. Kipu voi johtua muusta kuin tulehduksellisesta sairaudesta, mutta on myös yksi tulehduksen indikaattori.</li> <li>– Potilaan toive biologisesta lääkityksestä, mutta ei selkeitä löydöksiä lääkärin näkökulmasta.</li> <li>– Infektioherkkyys.</li> <li>– Paljon muita sairauksia.</li> <li>– Läkäs potilas: hyödyn ja haitan suhde.</li> <li>– Pitkälle edenneet nivelmuutokset: miten paljon lääke voi auttaa?</li> <li>– Taloudellisten tekijöiden vaikutus hoidon valinnassa: omavastuuosuus, lääkkeen korvattavuus, sairaalalääkkeen valinta.</li> </ul>

**Taulukko 4.** *Biologisia lääkkeitä koskevan päätöksenteon tyypillisiä piirteitä selkärangan reumasairauksien hoidossa.*

Helpon päätöksen piirteitä selkärangan reumasairauksissa	Hankalan päätöksen piirteitä selkärangan reumasairauksissa
<ul style="list-style-type: none"> <li>– Varma diagnoosi (magneettitutkimuksessa näkyvä tulehdus, kohonneet tulehdusarvot).</li> <li>– Tulehduskipulääkkeet ja perinteiset reumalääkkeet eivät tehoa.</li> <li>– Aktiivinen tulehdus ja kova kipuoireisto.</li> <li>– Nuori potilas.</li> <li>– Potilas ei siedä perinteisiä reumalääkkeitä.</li> <li>– Tauti jatkunut kauan ja kipulääkkeitä kokeiltu, ennen kuin potilas on lähetetty erikoissairaanhoidon arvioon.</li> <li>– Kliininen kokemus: perinteiset reumalääkkeet eivät useinkaan auta, ellei taudinkuvassa ole oireita myös muualla elimistössä, esim. nivelissä tai silmissä.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>– Selässä tulehduksellisen sairauden lisäksi esimerkiksi kulumaa ja välilevyongelmia. Vaikea määrittää, mistä oireet johtuvat.</li> <li>– Diagnosoinnin vaikeus joissakin tilanteissa: esim. selkärangan tulehduksellinen reumasairaus, jossa muutokset eivät ole nähtävissä kuvantamistutkimuksissa.</li> <li>– Subjektiiiviset oireet, mutta vähän löydöksiä lääkärin näkökulmasta, vaikeus määrittää oireiden syitä ja valita hoitoa.</li> <li>– Kipu oireena, mutta ei muita selkeitä löydöksiä. Kipu voi johtua muusta kuin tulehduksellisesta sairaudesta, mutta on myös yksi tulehduksen indikaattori.</li> <li>– Voi olla vaikeampi päättää kuin nivelreumassa. Toisaalta selkärankareumapotilaat hyötyvät biologisesta lääkkeestä usein nopeasti ja selkeästi.</li> <li>– Taloudellisten tekijöiden vaikutus hoidon valinnassa: omavastuuosuus, lääkkeen korvattavuus, sairaalalääkkeen valinta.</li> </ul>

## 9 KLIININEN PÄÄTÖKSENTEKO SYÖPÄTAUTIEN HOIDOSSA

### Keskeiset havainnot

#### Hyöty ja haitta yksilöllisessä tilanteessa

- Kliininen päätöksenteko perustuu hyödyn ja haitan arviointiin, hoitosuosituksiin ja hoitolinjauksiin sekä potilaan kokonaistilanteen huomioimiseen.

#### Hoitosuositukset ja hoitolinjaukset

- Kansalliset ja kansainväliset hoitosuositukset sekä tutkimustulokset ovat päätöksenteon ja hoitolinjausten tukena.

#### Monimutkaistuvat ja kallistuvat hoidot

- Osa biologisista lääkkeistä on parantanut hoitoa merkittävästi. Osa on jäänyt merkitykseltään odotuksia vähäisemmäksi.
- Uusilta, kalliilta lääkkeiltä toivotaan yhä enemmän kliinistä vaikuttavuutta eli selkeää parannusta potilaiden voinnissa ja ennusteissa tutkimustulosten rinnalla.
- Hoitojen monimuotoisuuden hallinta sekä alati kasvavat kustannukset korostavat tarvetta kansallisille, yhtenäisille hoitolinjauksille Suomessa.

### 9.1 Biologisten lääkkeiden asema

Biologiset lääkkeet ovat merkinneet edistysaskelta syöpätautiin tutkimuksessa ja hoidoissa. Jotkin biologiset lääkkeet ovat lunastaneet paikkansa ja mullistaneet tiettyjen syöpäsairauksien hoidon sekä ennusteet. Aina uudet lääkkeet eivät kuitenkaan ole vastanneet odotuksia. Syöpälääkäreiden haastatteluissa tuli esille, että uudelta lääkkeeltä halutaan yhä enemmän kliinistä vaikuttavuutta lääketutkimusten tilastollisten tulosten rinnalla. Tämä tarkoittaa selkeää parannusta potilaiden voinnissa ja ennusteissa aiempiin hoitomahdollisuuksiin verrattuna.

”Kyllähän osa potilaista elää tosi kauan näillä biologisilla lääkkeillä. Meillä ei ollut pitkään aikaan mitään muuta kuin sytostaatit. Työtähän ne teettävät ja maksavat tälle yhteiskunnalle paljon. Mutta tietyllä tavalla, kun ajatellaan syövän hoidon kehitystä, niin onhan niillä kuitenkin merkittävä asema, että on tällaisia hoitoja. Itse olen niin pitkältä ajalta nähnyt, kun olen yli 20 vuotta täällä pyörinyt, kun ei ollut mitään biologista lääkettä. Mutta kyllähän siinä sitten täytyy miettiä, että kuka todellisuudessa hyötyy.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Toisaalta täytyy sanoa, että nyt nämä tämäntyyppiset lääkkeet, joita tähän asti on tullut, niin hoitovasteet ovat sen verran vaatimattomia, että ilman muuta kliinikon näkökulma on se, että paljon järeämpiä työvälineitä tarvittaisiin, jos ajateltaisiin, että oikeasti, ratkaisevasti parannettaisiin vielä potilaiden hoitotuloksia.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Syöpälääkärit ovat huolissaan kasvavista kustannuksista. Uusien lääkkeiden aseman arviointi, kustannukset, hoitoihin liittyvät valinnat ja yhdenvertaisuus asettavat haasteita päätöksenteolle. Haastateltavat arvioivat, että syövän hoito kehittyy sekä biologisten että muiden uusien lääkkeiden myötä, mutta sekä kustannukset että monimutkaistuvat hoidot vaativat yhä enemmän taloudellisia resursseja, työvoimaa ja osaamista. Kustannukset, hoitovalinnat ja yhdenvertaisuuteen liittyvät kysymykset nousevat entistäkin konkreettisemmin esille päätöksenteossa.

Haastatteluissa syöpälääkärit toivoivat kansallisia, yhtenäisiä linjauksia uusien lääkkeiden käyttöönotosta ja niiden asemasta hoidossa. Toiveita kohdistui suunnitteilla olevaan Kansalliseen Syöpäkeskukseen (STM 2014). Lääkärit toivoivat nopeasti annettavia ja kliinisen asiantuntemuksen huomioivia linjauksia, joita voidaan soveltaa potilaiden yksilöllisiin tilanteisiin. Yhtenäiset linjaukset ovat tärkeitä yhdenvertaisen hoidon takaamiseksi yksittäisten lääkäreiden, organisaatioiden ja alueiden välillä. Jos hoitokäytännöistä ei ole yksimielisyyttä, asioita tulkitaan yksilöllisesti ja organisaatiot linjaavat lääkehoitoja erilaisissa taloudellisissa tilanteissa, jolloin voi syntyä hoitojen ja potilaiden eriarvoisuutta. Lääkekorvauksien osalta tuotiin esille huoli siitä, pysyykö järjestelmä mukana uusien lääkkeiden nopeassa kehityksessä ja miten pienten potilasryhmien asema lääkekorvauksissa huomioidaan.

”Biologisten kanssa se ongelma tulee olemaan se hinta. – – Olen aika huolestunut siitä. Siinä voi hyvin nopealla tahdilla käydä, että nämä uudet lääkkeet tulee yksinkertaisesti liian kalliiksi. (Ylilääkäri, syöpätaudit, keskussairaala)

”Sitten myös se, että jos korvattavuuksia ei myönnetä, niin sekin asettaa ihmiset ihan hirveän eriarvoiseen asemaan, koska varsinkin tällä seudulla Suomea ihmisillä ei ole oikeasti rahaa. Eivät he voi ajatella, että he menevät ja ostavat jotakin tähtitieteellisiä summia maksavia lääkkeitä. Kun sitten taas joku toisella puolella maata voi hyvinkin siihen pystyä. Monimutkaista.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, keskussairaala)

## 9.2 Kliinisen päätöksenteon avainkohtia

Haastatteluissa käsitellyt biologiset lääkkeet on kuvattu liitetaulukossa 2 ja ei-biologiset lääkkeet liitetaulukossa 3. Syöpätaudeissa biologisen hoidon **aloitus** ja lääkkeiden **valinta** ovat helposti perusteltavissa erityisesti silloin, kun lääkkeen käyttöä on linjattu hoitosuosituksissa, lääkkeen käyttöaihe on selkeä ja hoito soveltuu potilaan tilanteeseen. Syöpähoidoissa puhutaan taudin eri vaiheiden hoidosta hoitolinjoittain, esimerkiksi ensimmäisen, toisen ja kolmannen linjan hoidoista. Biologiset lääkkeet sijoittuvat muiden lääkkeiden ja lääkeyhdistelmien tapaan näiden linjojen sisälle.

Syöpälääkäreiden mukaan **hyödyn** ja **haitan** punnitseminen on päätöksenteon keskiössä. Potilaan edun käsite tulee esille haastatteluaineistossa. Tämä on syöpälääkärin näkökulmasta lääketieteellisiin perusteisiin pohjautuvaa päätöksentekoa sekä hoidon räätälöintiä potilaan kokonaistilanteen mukaan. Syöpätaudeissa potilaiden tilanteet



voivat olla hyvinkin erilaisia, ja hoidon tavoitteet sekä potilaan toiveet ja tahto ovat osa tilanteen arviointia. Hoidon jatkumolla on parantuminen syövästä, kroonisen taudin hallinta ja etenemisen hidastaminen ja täysin palliatiivinen, oireita lievittävä hoito.

**Tehon ja siedettävyyden** arviointi perustuu kuvantamis- ja laboratoriolöydöksiin, potilaan oireisiin ja yleiskuntoon sekä kliiniseen kokemukseen. Tilanteesta riippuen biologisen lääkkeen osuutta monen lääkkeen yhdistelmähoidossa voi olla vaikea määrittää. Joissain tilanteissa yksittäisen lääkkeen vaikutuksen voi havaita selkeämmin.

Biologisten lääkkeiden **haitat** ovat erilaisia kuin perinteisillä syöpälääkkeillä. Biologiset lääkkeet ovat keskimäärin paremmin siedettyjä kuin perinteiset syöpälääkkeet, mutta osa haitoista voi olla hankalia. Joidenkin lääkkeiden kohdalla vakavien haittojen riskin vuoksi hoidon aloittamista arvioidaan myös siltä kannalta, kestääkö potilas mahdollisen haittavaikutuksen. Tieto lääkkeen haitoista ja kliininen kokemus auttavat hoitojen hallinnassa.

Lääkärit kertoivat, että lääke **vaihdetaan** toiseen tai **lopetetaan**, jos tehoa ei ole tai haitat ovat liian suuret. Osassa sairauksia hoitokäytännöt ovat vakiintuneita ja etenevät hoitosuosituksen sekä linjausten mukaan. Jos potilas hyötyy lääkkeestä eikä lääkkeellä ole merkittäviä haittoja, sen käyttöä usein jatketaan. Lääkkeen ominaisuuksien tunteminen ja tieto siitä, missä ajassa vaste yleensä tulee, tukevat päätöksentekoa.

Päätökset lääkkeen lopettamisesta eivät ole aina helppoja. Tutkimustietoa siitä, miten kauan lääkkeen käyttöä kannattaa jatkaa, ei ole välttämättä saatavilla. Ilman tutkimustietoa lopettaminen on vaikeaa esimerkiksi tilanteessa, jossa levinnyt tauti on pysynyt hallinnassa lääkkeen käytön aikana ja potilas on sietänyt lääkettä hyvin. Joissain tilanteissa lääkettä voidaan tauottaa. Monien syöpien hoidossa on päästy tilanteeseen, jossa potilaat elävät vuosia syövänsä kanssa. ”Niin sanotuista ylläpitohoidoista tarvitaan lisää tietoa”, totesi eräs syöpälääkäri haastattelussa.

Taulukkoon 5 (s. 56) on kerätty haastatteluaineistosta tyypillisiä vastaanotolla arvioitavia piirteitä, joiden perusteella biologisen lääkehoidon käyttöä on helppoa tai vaikeaa perustella. Helpossa päätöksessä lääke on kansallisesti hyväksytyssä hoitosuosituksessa ja hoitokäytäntöä pidetään vakiintuneena. Vaikeissa tilanteissa uuden lääkkeen asemaa sairauden hoidossa ei ole yleisesti linjattu. Vaikeisiin päätöksentekotilanteisiin liittyy usein myös potilaskohtaisia tekijöitä, joita vasten hyötyä ja haittaa arvioidaan.

Syöpätautien hoidossa hoitosuositukset tukevat päätöksentekoa. Hoitosuositukset ovat sekä kansallisia että kansainvälisiä. Organisaatioissa tehdään hoitosuosituksen ja tutkimustiedon pohjalta hoitolinjauksia, joita määrittävät kuinka hoito etenee, tarvittaessa potilaan tilanteen mukaan soveltaen.

Syöpätautien laaja kirjo ja eri hoitovaihtoehdot tekevät päätöksenteosta haastavaa. Kansallisia suosituksia ei välttämättä ole ja organisaatioiden linjaukset voivat vaihdella. Lisäksi eri lääkärit voivat tulkita tutkimustuloksia ja hoitosuosituksia eri ta-

**Taulukko 5.** *Biologisia lääkkeitä koskevan päätöksenteon tyypillisiä piirteitä syöpätautien hoidossa.*

Helpon päätöksen piirteitä syöpätaudeissa	Hankalan päätöksen piirteitä syöpätaudeissa
<ul style="list-style-type: none"> <li>– Hoitosuosituksat, vakiintunut hoitokäytäntö, rutiinihoito.</li> <li>– Lääkkeen käyttöön liittyy tietty geenitutkimuksella osoitettava mutaatio.</li> <li>– Kasvaimen ominaisuuksia ja käyttäytymistä voidaan kartoittaa merkkiaineilla.</li> <li>– Ei vasta-aiheita lääkitykselle. Potilaan kunto mahdollistaa lääkkeen käytön.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>– Ei kansallisen tason hoitosuosituksia.</li> <li>– Uudet lääkkeet, joiden käytössä vakiintuneita käytäntöjä ei ole muodostunut.</li> <li>– Yhdistelmät seuraavista tekijöistä: <ul style="list-style-type: none"> <li>– saavutettavissa oleva hyöty todennäköisesti vähäinen</li> <li>– lääkkeen hinta korkea</li> <li>– käyttökokemuksia rajoitetusti</li> <li>– haittojen mahdollisuus suuri</li> <li>– ikä, kunto ja muut sairaudet – kestäkö potilas hoidon</li> <li>– ei laboratorio- tai muuta markkeria, jonka avulla voisi etukäteen arvioida, hyötyykö potilas lääkkeestä.</li> </ul> </li> <li>– Potilas saanut paljon hoitoja, parantavia hoitoja ei ole ja odotettavissa oleva elinaika on lyhyt.</li> <li>– Avohoitolääke, jolla ei ole korvattavuutta.</li> </ul>

voin. Organisaation hoitolinjaukset voivat määritellä voimakkaasti hoitojen käyttöä. Hoitolinjoista poikkeaminen ja uusimpien lääkkeiden käyttö yksittäisille potilaille arvioitiin yleensä mahdolliseksi, mutta se vaati lääkäriltä aktiivisuutta, yhteistä päätöksentekoa ja erilaisia hyväksymiskäytäntöjä.

Suomessa syöpätaudeista on olemassa Käypä hoito -suosituksia, mutta ne ovat usein liian yleisellä tasolla kliinisten tilanteiden päätöksentekoa varten. Erikoisala- tai tautikohtaiset ryhmät laativat yksityiskohtaisempia hoitosuosituksia, jotka tavoittavat lääkärit erikoisalaverkostojen kautta. Eurooppalainen syövän hoitoon perehtynyt ESMO-järjestö on yksi kansainvälisiä hoitosuosituksia laativa taho.

Kalliit lääkkeet tuovat korostetusti esille hoitojen kohdentamiseen ja rajaamiseen liittyviä kysymyksiä myös taloudellisista näkökulmista käsin, hoidollisen arvioinnin lisäksi. Kun lääke otetaan käyttöön kliinisessä potilastyössä, joudutaan tutkimusnäyttöä arvioimaan ja soveltamaan käytännössä eivätkä potilaat ole samanlaisia kuin tietyin kriteerein valitut tutkimuspotilaat. ”Meidän pitää hoitaa kaikki, jotka tulevat ovesta sisään, emme voi valita potilaita”, kuvasi eräs syöpälääkäri tutkimusnäytön ja kliinisen työn välistä suhdetta. Erityyppiset päätöksenteon tuen välineet sekä hoitojen vaikuttavuuden seuranta antavat lisää tietoa uusista lääkkeistä. Syöpätaudeissa sähköisiä hoidon valintaa tukevia ja seurantaa mahdollistavia työvälineitä on jo otettu tai ollaan ottamassa käyttöön.

Biologiset hoidot ja uudet teknologiat ovat entistä monimuotoisempia ja yksilöllisempiä. Niihin liittyy erityyppisiä yksityiskohtia ja haittoja perinteisiin lääkkeisiin verrattuna. Lääkkeiden moninaisuuden ja niihin liittyvän tiedon hallinta eri sairauksissa

muuttuu yhä vaikeammaksi. Tulevaisuuden haasteet päätöksenteossa ovat yhdistelmä hoitojen monimutkaistumista, mahdollisuuksia, kustannuksia, valintoja ja arvoja.

”Kyllä se vaikeata on ja kyllä tämä on hirveän haasteellista. Aivan hirvittävän haasteellista, kun jatkuvasti lyödään uusia molekyyliä ja aina tulee tuloksia ja pitäisi pysyä mukana ja pitäisi miettiä ketä hoidetaan.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”[Kasvat kustannukset] on varmaan ongelma, mutta jos halutaan mennä eteenpäin, niin kai ne on pakko ne kustannukset jostain ottaa ja kattaa. Se on varmaan arvostuskysymys, mitä ihmiset lopulta haluaa sitten.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, keskussairaala)

## 10 ESIMERKKILÄÄKKEET JA HOITOKÄYTÄNTÖJEN VAIHTELU

### Keskeiset havainnot

#### Hoitokäytännöt voivat vaihdella

- Hoitokäytäntöeroja voi syntyä sekä asemaltaan vakiintuneiden että paikkaansa hakevien lääkkeiden käytössä.

#### Esimerkkilääkkeet vaihtelun syntyä kuvaamassa

- Kansalliset ja kansainväliset hoitosuosituksen sekä tutkimustulokset ovat päätöksenteon ja hoitolinjausten tukena.

#### Monimutkaistuvat ja kallistuvat hoidot

- Trastutsumabi: erot tutkimustulosten ja hoitosuosituksen tulkitsemisessa sekä soveltamisessa käytäntöön.
- Bevasitsumabi: kliinisen kokemuksen myötä tapahtuva lääkkeen käytön muuttuminen.
- Ipilimumabi: huomattavan kalliin hinnan merkitys käyttöönotossa ja käytössä.
- TNF- $\alpha$ -salpaajat: valinta saman lääkeaineryhmän sisällä yksilöllisten, alueellisten ja kaksikanavaisuuteen liittyvien tekijöiden ohjaamana.

### 10.1 Hoitokäytäntöön vakiintunut lääke

Trastutsumabi on esimerkki lääkkeestä, joka on asemaltaan vakiintunut, hoitosuosituksissa mainittu ja rutiinikäytössä oleva biologinen lääke. Ensimmäinen valmiste trastutsumabista, Herceptin, sai myyntiluvan Suomessa elokuussa 2000 (Fimea 2014b). Trastutsumabi on infuusiona annettava lääkeaine, jonka käyttöaiheita Suomessa ovat tällä hetkellä her-2-positiivinen rintasyöpä ja mahasyöpä. (Duodecim lääketietokanta 2014.) Trastutsumabista oli haastatteluiden ajankohtana kehitteillä myös ihon alle annosteltava lääkemuoto sekä biosimilaarivalmisteita.

Trastutsumabin kokonaisyhteinen myynti Suomessa on kasvanut 0,1 miljoonasta eurosta 20,9 miljoonaan euroon vuosina 2000–2013 (Fimea 2014a). Suomen Rintasyöpäryhmä pitää yllä haastattelujen ajankohtana Suomessa käytössä ollutta hoitosuositusta (Rintasyövän valtakunnallinen diagnostiikka- ja hoitosuositus 2013). Rintasyövästä on ollut käytössä myös Käypä hoito -suositus (Käypä hoito 2007). Trastutsumabi on merkinnyt suurta edistysaskelta tietäntyyppisten rintasyöpien hoidossa.

”Ne ovat muuttaneet kaikki hoitokäytännöt ja näiden potilaiden ennusteet. On aika ennen Herceptiniä ja Herceptinin jälkeen. Puhutaan Herceptin-aikakaudesta ja muusta, mikä on täysin perusteltua.” (Erikoislääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Trastutsumabi arvioitiin alusta asti merkittäväksi lääkkeeksi ja se otettiin käyttöön nopeasti lupaavien tutkimustulosten myötä. Haastatteluissa saadun tiedon perusteella

eri sairaaloissa esiintyi kuitenkin eroja käyttöönoton aikatauluissa useiden kuukausien verran. Eräs syöpälääkäri kuvasi kahden eri organisaation, tässä tapauksessa yliopistosairaalan ja keskussairaalan, päätöksentekoa ja nosti esille niitä ongelmia, joita päätöksenteon eriaikaisuus voi aiheuttaa:

”Herceptinistä kun tuli ne kaksi isoa tutkimusta, se oli vielä kesäkuun alussa, kongressissa tuli tieto, että niissä on huikea elinaikaetu. Niin 10 päivää, niin meillä alkoi Herceptin-hoidot. 9 kuukaudesta, niin [keskussairaala x] ei ollut vielä aloittanut. Niin eihän tällaista variaatiota saisi olla. Eli jonkinasteinen valtakunnallinen guideline ja board, joka reagoi nopeasti. – – Kyllä se päätösten teon nopeus on ihan ehdoton. Se eriarvoistaa niin valtavasti ihmisiä, jos me ei saada nopeita päätöksiä. Ennemmin jos sitten tulee hylky niin tulkoot, mutta tulisi nopeasti. Ja sitten saman tien ne jotka hyväksytään, niin hyväksytään nopeasti. Koska se realiteetti on juuri tämä mitä sanoin Herceptin-trastutsumabista. Kun se kansainvälisessä kongressissa lanseerattiin, tuhansien potilaiden trialit, jossa kuolleisuusero, joka kylläkin sitten vähän pieneni, mutta kun taudin etenemisero oli 15 %, Herceptin versus ei. Niin ei me nyt voida jäädä 9 kuukaudeksi odottelemaan, että jospa nyt Kela käsittelisi tämän asian. Lehdistöhän, kaikki maailman ykköslehdet oli täynnä kirjoituksia, joka paikka. Niin eihän me voida vaan pyöritellä peukaloita ja ne, joilla on rahaa, hakee privaattista, ja ne joilla ei ole rahaa, niin mikä se henkinen paine niille ihmisille ladataan. He rupeavat myymään asuntojaan, autojaan, mökkejään, menee ihan kaaokseen. Niin se ei ole vaan kestävää politiikkaa. Asioiden käsittelynopeutta pitää ehdottomasti parantaa.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Trastutsumabista saatu näyttö, lääkkeen asema ja merkitys kuvastuvat haastatteluissa kiistattomana, mutta hoitokäytäntöihin liittyy kuitenkin eroja hoidon pituudessa. Tutkimuksia on tehty eripituisilla ajanjaksoilla, esimerkiksi vuoden hoitona ja yhdeksän viikon hoitona. Tutkimustulosten ja hoitosuosittelujen soveltaminen käytäntöön tapahtuu organisaatioissa ja vastaanotoilla.

”Kyllä meillä varmaan jonkin verran alueellisia eroja on. – – En tiedä siis, kukaan maailmassa ei tiedä, että onko se 9 viikon huonompi vai onko se vuoden hoito parempi. Mutta tutkimusnäyttö on enempi siitä vuoden hoidosta ja se on se suositeltu. Mutta siis Suomessa jossakin paikassa ei anneta sitä vuoden hoitoa.” (Erikoislääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Myös potilaat ja väestö voivat olla erilaisia. Hoitojen käyttöön ja hoitokäytäntöjen vaihteluun voivat vaikuttaa esimerkiksi potilaan muut sairaudet sekä väestön piirteet tietyllä alueella. Eräs syöpälääkäri mietti väestön piirteitä yhtenä selityksenä hoitokäytäntöjen taustalla:

”Toisaalta luulen, että niissä on myös – itäsuomalainen ja länsisuomalainen potilas ei ole samanlainen potilas – että mikä on vaikkapa jonkin Herceptininkin käyttö. Käytetäänkö Länsi-Suomessa hyväkuntoisille, sydänterveille ihmisille todellakin pitkää Herceptin-hoitoa vaikkapa liitännäishoitona. Vai suositaanko sitten Itä-Suomessa

vähän enemmän sydänsairauksia omaavien potilaiden joukossa enemmän lyhyempiä hoitoja.” (Erikoislääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Trastutsumabista oli tulossa avohoitoon soveltuva, ihon alle pistettävä valmiste ja biosimilaarivalmisteita haastattelujen ajankohtana. Ne voivat edelleen muuttaa ison potilasryhmän hoitokäytäntöjä ja vaikuttaa kustannuksiin sekä kustannusten jakautumiseen. Lisäksi uudet, markkinoille tulevat lääkkeet hakevat asemaansa rintasyövän hoidossa.

Esimerkkitapauksena trastutsumabi kuvastaa asemaltaan vakiintuneen, hyvätehoksi arvioidun ja hoitosuosituksissa olevan biologisen lääkkeen käyttöönottoon ja käyttöön liittyvää vaihtelua. Kuvaus trastutsumabin käyttöönoton aikatauluista kuvaa sitä, että lääkärit joutuvat tekemään päätökset omissa organisaatioissaan ja myös yksilötasolla, jos kansallisia linjauksia ei saada nopeasti. Trastutsumabihoidon pituuteen liittyvät käytännöt kertovat, että asemaltaan vakiintuneenkin lääkkeen käyttöön voi liittyä eri sovelluksia ja tulkintoja. Lisäksi trastutsumabi on esimerkki muutoksista, joita biologisten lääkkeiden kehityskaassa tapahtuu, muun muassa ihon alle pistettävien valmisteiden, biosimilaarien ja uusien lääkkeiden myötä.

## 10.2 Ajan myötä muuttuneet käsitykset

Bevasitsumabi on esimerkki lääkkeestä, jonka asema kliinisessä työssä on haastattelujen perusteella muuttumassa. Ensimmäinen bevasitsumabivalmiste on saanut Suomessa myyntiluvan tammikuussa 2005 (Fimea 2014a). Bevasitsumabi on sairaalassa annettava infuusiolääke, jonka käyttöaiheita Suomessa ovat paksu- ja peräsuolisyöpä, ei-pienisolainen keuhkosyöpä, munuaissyöpä, gynekologiset syövät, rintasyöpä ja vatsakalvon syöpä. (Duodecim lääketietokanta 2014.) Euroopasta poiketen Yhdysvalloissa bevasitsumabin käyttöaiheena mainitaan myös aivosyöpä (FDA 2013).

Bevasitsumabin kokonaisymyynti Suomessa on kasvanut 1,7 miljoonasta eurosta 18,3 miljoonaan euroon vuosina 2005–2013 (Fimea 2014a). Bevasitsumabista löytyy mainintoja suomalaisissa Käypä hoito -suosituksissa esimerkiksi keuhkosyövän ja munasarjasyövän hoidossa (Käypä hoito 2008 ja 2012). Suomen Rintasyöpäryhmän hoitosuosituksessa bevasitsumabia ei mainita osana rintasyövän hoitoa (Rintasyövän valtakunnallinen diagnostiikka- ja hoitosuositus 2013).

Haastateltavat kuvasivat bevasitsumabia lääkkeenä, joka tuli markkinoille suurin odotuksin ja jolla on useita eri käyttöaiheita. Ajan myötä sen käyttö eri käyttöaiheissa on kuitenkin noussut uudelleen arvioitavaksi.

”Sehän on sellainen isojen kohujen lääke tavallaan, että jo 70-luvulla tutkittiin näitä verisuoniasioita syövässä ja on odotettu niin kuin kuuta nousevaa sitä verisuonikasvutekijä-estäjää. Sitten kun tämä tuli, niin se tuli suuren kohun kanssa ja tähän oli näitä ensimmäisiä vasta-aineita, joita sitten tälle sektorille tuli.

Siinä vaiheessa kolorektaalisyövässä vaihtoehtoja ei kovin paljoa ollut, että se oli valtava haloo silloin kun se lääke tuli. Ensimmäiset tutkimustuloksethan oli aika lupaavia, mutta sen jälkeen sitten tutkimuksetkin ovat olleet vaatimattomampia tuloksiltaan ja sen lääkkeen merkitys on tosiaan pienentynyt.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Haastatteluaineiston mukaan bevasitsumabin käyttö on alkanut ohjautua entistä tarkemmin tiettyihin käyttöaiheisiin. Samalla uudet lääkkeet haastavat bevasitsumabin asemaa eri sairauksien hoidossa. Haastatellut lääkärit kertoivat käyttävänsä bevasitsumabia pääasiassa suolistosyöpien hoidossa. Haastatteluissa ei ollut mukana gynekologisia syöpiä hoitavia lääkäreitä.

Bevasitsumabin lääkemarkkinointia kuvailtiin haastatteluissa aktiiviseksi, jopa aggressiiviseksi. Käsitysten muuttuminen, erilaiset näkemykset lääkkeen tehosta eri käyttöaiheissa, lääkemarkkinointi ja mahdolliset alueelliset erot tulivat esille haastatteluissa ja asiaa kuvattiin myös värikkäästi:

”Tuulinen lääke, kyllä, näyttöä on suuntaan jos toiseen ja tutkimustulokset ovat vaihdelleet ja markkinointi on erittäin aggressiivista. Ja selkeästi markkinointi joissain paikoissa menee läpi erilailla kuin toisissa, hyvinkin ymmärrän että lääkkeen käyttö vaihtelee. – – Se on ehkä, hoitojen linja on lääkärin oma usko tutkimustuloksiin ja linjaus, ehkä hänen aiemmat tutkimusyhteistyönsä, jotka selittävät näitä eroja.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Vedenjakajalääke on varmasti. Sohiti ampiaispesää.” (Erikoislääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Bevasitsumabi on oikeastaan aika hyvä esimerkki siitä, missä syntyy isoja alueellisia eroja ja siinä korostuu nimenomaan eräällä tavalla nämä henkilökohtaiset mieltymykset ja erittäin raskas, kova markkinointi.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Bevasitsumabiin liittyvä muutostilanne heijastuu lääkäreiden puheissa ja asenteissa, tosin haastattelut kattoivat vain osan syöpätautien kentästä. Esimerkkitapauksena bevasitsumabi kertoo paljon toiveita herättäneestä lääkkeestä, johon liittyvät käsitykset ovat alkaneet muuttua ja jonka käyttö alkaa kohdentua yhä tarkemmin lääkärinkunnan sisältä lähtöisin olevana prosessina. Lisäksi bevasitsumabi on esimerkki lääkkeestä, jota markkinoidaan lääkärrien mukaan voimakkaasti. Tällä epäillään olevan vaikutusta mahdollisiin yksilöllisiin ja alueellisiin eroihin lääkkeen käytössä.

### 10.3 Huomattavan kallis lääke

Ipilimumabi on esimerkki huomattavan kalliista lääkkeestä ja siihen liittyvästä päätoksenteosta. Ipilimumabi on saanut myyntiluvan heinäkuussa 2011 (Fimea 2014b), ja

sen käyttöaihe on melanooman hoito. Ipilimumabihoito koostuu neljästä annoksesta, jotka annetaan kolmen viikon välein, mikäli potilas sietää hoidon. Vastetta suositellaan arvioitavaksi vasta tämän hoitajakson jälkeen. Haastattelujen ajankohtana yksi annos ipilimumabia maksaa noin 20 000 euroa, jolloin neljän annoksen hinnaksi tulee noin 80 000 euroa. (Duodecim lääketietokanta 2014.)

Ipilimumabia myytiin 0,3 miljoonalla eurolla vuonna 2013 (Fimea 2014a). Haastatteluiden perusteella ipilimumabin käyttö on tarkkaan harkittua. Sitä kuvailtiin haastatteluissa huomattavan kalliina ja hoidollisesti vaativana lääkkeenä, johon voi liittyä hankaliakin haittoja mutta toisaalta mahdollisuus hyvään vasteeseen.

”Ipilimumabi on todella haasteellinen lääke, ei missään nimessä joka potilaalle käytettävissä oleva lääke. – – Meillä se on niin tiettyjen lääkäreiden käsissä, mutta niitä pohdintoja olen kuullut moneen kertaan, että olisiko tämä sitten ipilimumabikandidaatti vai ei. Se on iso kysymys. Se on ehdottomasti vaikea, varmasti.” (Erikoislääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Se on niin kallis. Sen kohdalla juuri on se hankaluus. Kun on nähnyt erittäin hyvän vasteen melanoomaan, niin erittäin vaikean päätöksen eteen tulee, kun tulee melanoomapotilas, jossa ajattelisi, että hän hyötyisi tästä. Se on se hankaluus, se on hankala.” (Erikoislääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Ipilimumabihoitojen ohjaus yksiköiden sisällä on tiukkaa. Ohjaus- ja säätelykeinoja ovat muun muassa hoitojen keskittäminen asiantuntijalääkärille, yhteinen päätöksenteko, yllilääkärin hyväksyntä ja yliopistosairaalan konsultointi keskussairaalaan käsin. Ipilimumabin käyttöönottoa ja kustannuksia voidaan pyrkiä hallitsemaan arvioimalla etukäteen potilaiden määrää ja kohdentamalla hoito erityisen tarkkaan niihin potilaisiin, jotka saatavilla olevan tutkimustiedon mukaan hyötyvät hoidosta.

”Esimerkiksi ipilimumabissa me ollaan sovittu, että me hoidetaan max [x] potilasta vuodessa. Eli indikaatiot on sitä luokkaa tiukat, että meidän arvion mukaan me ei tulla hoitamaan enempää ja me on saatu siihen niin sanotusti lupa. – – Mutta eihän se nyt sillä lailla mene, että jos sattuisi tulemaan ne [x] potilasta ja tulisikin seuraava, niin jätettäisiin hoitamatta. Hoidettaisi, mutta sitten me käytäisiin uudestaan läpi, että onko meillä indikaatiot kohdallaan vai pitääkö vielä tiukentaa vai onko vaan totuus, että näitä potilaita on enemmän.” (Yllilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Esimerkkitapauksena ipilimumabi kertoo huomattavan kalliin ja hoidollisesti vaativan lääkkeen käyttöönotosta. Käyttöön liittyy tarkkaa kohdentamista ja lääketieteellistä harkintaa. Ipilimumabin kohdalla lääkärit ja organisaatiot joutuvat ottamaan konkreettisesti kantaa rahaan hoitojen tarjoamisessa. Se osoittaa päätöksenteon vaativuutta tilanteissa, joissa lääkkeen hinta, hyöty ja haitta ovat erityisen selkeästi esillä päätöksenteossa.



#### 10.4 Valinta lääkeaineryhmän sisällä

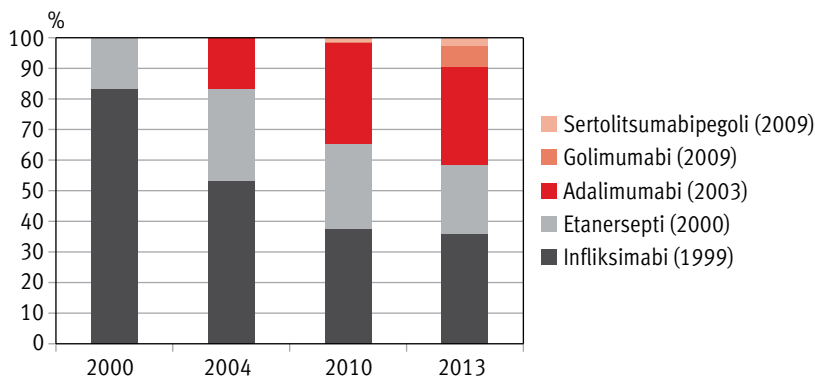
TNF- $\alpha$ -salpaajat ovat esimerkki tilanteesta, jossa samassa lääkeaineryhmässä on valittavana useita eri valmisteita samoihin käyttöaiheisiin. Ne kuvaavat myös uusien valmisteiden tulon vaikutusta aiempien valmisteiden asemaan ja kulutukseen. Viidestä TNF- $\alpha$ -salpaajasta infliksimabi on sairaalassa käytettävä infuusiovalmiste ja neljä muuta lääkeainetta – etanersepti, adalimumabi, golimumabi ja sertolitsumabipegoli – ovat itse pistettäviä avohoitovalmisteita. Eri TNF- $\alpha$ -salpaajilla on käyttöaiheita nivelreuman ja muiden autoimmunisairauksien hoidossa.

TNF- $\alpha$ -salpaajien myynti on kasvanut 2,5 miljoonasta eurosta 116,6 miljoonaan euroon vuosien 2000 ja 2013 välillä (Fimea 2014a). Tänä aikana markkinoille on tullut uusia lääkeaineita ja valmistemuotoja (Fimea 2014b). Lääkkeet ovat saaneet uusia käyttöaiheita, ja niistä on tehty korvattavuuspäätöksiä (Kela 2014b).

Kun sairauden hoitoon on useita vaihtoehtoja, voivat valintatilanteet ja niihin liittyvä päätöksenteko aiheuttaa alueellisia eroja lääkekulutuksen profiilissa. TNF- $\alpha$ -salpaajien kohdalla eron syntyminen liittyy todennäköisesti kaksikanavaisen rahoituksen ohjauvaan vaikutukseen eli sairaalalääkkeen käyttö vähenee ja avohoitolääkkeiden käyttö kasvaa lääketieteellisesti sallituissa rajoissa, kun vaihtoehtoja on saatavilla.

Kuviossa 12 näkyy eri TNF- $\alpha$ -salpaajien suhteellinen kulutus vuosien 2000–2013 välisenä aikana. Kulutuksen mittarina käytetty yksikkö on DDD (defined daily dose)/1 000 asukasta/vuorokausi, joka ilmoittaa kulutuksen vuorokausiannoksina väestöön ja aikaan suhteutettuna (Fimea 2014c). Kuvio osoittaa, kuinka infliksimabin suhteellinen osuus TNF- $\alpha$ -salpaajien kulutuksessa on pienentynyt ja kuinka uudet TNF- $\alpha$ -salpaajat saavat markkinaosuutta käyttöönoton edetessä. TNF- $\alpha$ -salpaajien myyntiä ja kulutusta on käsitelty tarkemmin tutkimuksen yhteydessä tehdyssä pro gradu -tutkimuksessa (Pietikäinen 2014).

**Kuvio 12.** TNF- $\alpha$ -salpaajien kulutus (DDD/1 000 as/vrk) lääkeaineittain (%) vuosina 2000–2013. Ensimmäinen myyntilupavuosi ilmoitettu suluissa.



Lähde: Fimea 2014a ja b.

TNF- $\alpha$ -salpaajien kohdalla reumalääkärit kertoivat, että yksittäiselle potilaalle parasta mahdollista lääkeainetta ei voi etukäteen tietää. Hoito alkaa yhden lääkeaineen valinnasta ja vasteen seurannasta. Lääkkeen valinta ja määrääminen on laaja kokonaisuus, jossa vaikuttaa useita eri tekijöitä. Eräs reumalääkäri kuvasi päätöksenteon taustaa näin:

”Varmaan tavat ja tottumukset on yksi, että muotoutuu jokin tapa toimia. Ja sitten, joskus voi olla lääkäriresurssit, sellainen peruslääkkeellä hoidon titraaminen ja runsaat paikallishoidot niveliin sitoo lääkäriytyövoimaa kuitenkin enemmän. Se on potilaalle myös kuormittavampi, joutuu käymään useammin vastaanotolla. Ja se saattaa sitten vaikuttaa, että vaikka lopputulos olisi hoidon kannalta sama, niin biologisilla lääkkehoidoilla saatetaan päästä nopeammin tyydyttävään lopputulokseen, vaikka se hintalappu on korkeampi. Ja sitten jos miettii biologisten lääkkeiden sisällä, niin siinä kyllä näkyy alueellista vaihtelua vähän sen mukaan, mikä on talon käytäntö, onko sairaalan budjetissa laadittu kuinka tiukalle nyörit. Ja kyllä luulen, että lääkäreiden välillä on eroja sillä tavalla, että jotkut on tiukempia kuin toiset. En tiedä, miten, näkykö siinä sitten yksityispuoli versus julkinen puoli.” (Erikoistuva lääkäri, reumataudit, yliopistosairaala)

Esimerkkitapauksena TNF- $\alpha$ -salpaajat tuovat esille tilanteen, jossa lääkekulutuslukuihin ja kulutuksen profiiliin johtaa monta eri tekijää, reittiä ja mekanisme. Valintaan liittyy lääkärikohtaisia, potilaskohtaisia, organisaatiokohtaisia ja aluekohtaisia tekijöitä sekä lääkkeiden kaksikanavainen rahoitus. Valinnat eri lääkeaineiden välillä ovat kokonaisuuksia, joiden taustalla on useita erityyppisiä tekijöitä sisältävä päätöksentekoprosessi.

### 10.5 Esimerkkitapaukset hoitokäytäntöerojen kuvaajina

Esimerkkitapaukset lääkkeistä, niihin liittyvistä käytännöistä ja kokemuksista paljastavat, että alueellisen vaihtelun syntyprosessit voivat olla monisyisiä. Samoin ne kuvaavat, että eroja voi olla niin asemaltaan vakiintuneiden kuin paikkaansa hakevien lääkkeiden kohdalla. Taulukkoon 6 (s. 65) on koottu yhteen tekijöitä, joita esimerkiksi lääkkeiden tarkastelu toi esille.

Esimerkkitapaukset paljastavat eri lääkkeiden ja tilanteiden taustalla vaikuttavia tekijöitä, jotka voivat johtaa erilaisiin hoitokäytäntöihin yksittäisten lääkäreiden, organisaatioiden ja alueiden välillä. Erot hoitokäytännöissä ja päätöksenteossa syntyvät todennäköisesti monen asian summana. Vaihtelu ei aina tarkoita eroja hoitotuloksissa, mutta voi altistaa ongelmille yhdenvertaisen hoidon toteutumisessa. Eri alueiden vertailu vaatii alueiden tuntemusta sekä käytäntöjen ja päätöksenteon tarkastelua, jotta erojen syntyprosesseja ja syitä voidaan ymmärtää.

**Taulukko 6.** Esimerkkilääkkeet päätöksenteon ja lääkkeen käyttöön liittyvien erojen kuvaajina.

Lähtökohta	Tarkasteltavat tilanteet	Esimerkkilääke	Havaitut ilmiöt
Hoitokäytäntöön vakiintunut lääke	Lääke on mukana hoitosuosituksissa ja sitä käytetään rutiininomaisesti	Trastutsumabi rintasyövän hoidossa	Erilaiset tutkimukset, suositukset ja niiden soveltaminen käytäntöön  Hoitokäytäntöjen muutokset uusien valmistemuotojen, biosimilaarien ja uusien lääkkeiden myötä
Ajan myötä muuttuneet käsitykset lääkkeestä	Lääkkeellä on useita käyttöaiheita, mutta käsitykset lääkkeen hyödystä ovat muuttuneet	Bevasitsumabi eri käyttöaiheissa	Lääkkeen käytön ohjautuminen kliinisen kokemuksen kautta  Markkinointi
Huomattavan kallis lääke	Lääke on poikkeuksellisen kallis, mutta sitä pidetään edistysaskeleena hankalasti hoidettavan sairauden hoidossa	Ipilimumabi melanooman hoidossa	Päätöksenteko, lääkkeen käyttö, käytön ohjaus ja kohdentaminen silloin, kun lääke on huomattavan kallis ja hoidollisesti vaativa  Vaikeat valinnat tehoa, haittoja ja hintaa arvioitaessa
Valinta saman lääkeaineryhmän sisällä	Sairautta voidaan hoitaa sekä sairaalassa annosteltavalla lääkkeellä että Kela-korvatuilla lääkkeillä	TNF- $\alpha$ -salpaajat nivelreuman hoidossa	Sairaalalääke ja avohoitolääke rinnakkain: avohoitolääkkeen painotus sairaalalääkkeen sijaan lääketieteellisesti hyväksytyissä rajoissa  Eri valmisteen markkinaosuuksien keskinäiset suhteet

## 11 MUUTOKSESSA MUKANA

### Keskeiset havainnot

#### Biosimilaarit

- Biosimilaarien käyttöönottoon liittyy toisistaan eroavia näkemyksiä verrattaessa alkuperäistuotetta ja biosimilaaria keskenään. Kustannussyyt puoltavat käyttöönottoa, mutta tuotteilta edellytetään vastaavaa tehoa, turvallisuutta ja laatua kuin alkuperäistuotteelta.

#### Tiedon verkostot

- Lääkärit saavat tietoa biologisista lääkkeistä kongresseista, tieteellisistä julkaisuista, lääketeollisuudelta, koulutuksista, erikoisalayhdistyksistä ja lääkärikollegoilta. Kliininen kokemus on tärkeää tutkimustiedon rinnalla.

#### Vaikuttavuus

- Kalliiden lääkehoitojen vaikuttavuudesta ja turvallisuudesta kaivataan useilla eri lääketieteellisillä, yhteiskunnallisilla ja elämänlaadullisilla mittareilla kerättyä tietoa pitkällä aikavälillä.

#### Yhdenvertaisuus ja arvokysymykset päätöksenteossa

- Yhdenvertaisuus hoitojen käytössä koetaan tärkeäksi. Eri näkökulmat, valinnat ja arvokysymykset korostuvat kalliita lääkkeitä koskevassa päätöksenteossa.

### 11.1 Biosimilaarien käyttöönotto

Haastatteluja tehtäessä reumatautien ja syöpätautien erikoisaloilla biosimilaarivalmisteita oli käytössä syöpätautien tukihoidoissa ja ensimmäinen biosimilaarivalmiste monoklonaliselle vasta-aineelle oli ajankohtainen. Osassa organisaatioita oltiin käsittelemässä biosimilaareihin liittyviä tarjouksia ja uusia biosimilaarivalmisteita odotettiin tuleviksi lähivuosina.

Haastatteluissa biosimilaareista välittyi ajankohtainen, muutoksessa oleva tilanne. Biosimilaarien markkinoille tulo etenee, ja päätöksentekijät ottavat kantaa niiden käyttöönottoon. Haastatteluaineistosta välittyy halu ottaa biosimilaarit vastaan erityisesti kustannussäästöjen saavuttamiseksi, mutta vain jos niiden tehoon, turvallisuuteen ja laatuun voidaan luottaa.

”Pientä sellaista epävarmuutta on, mutta kyllä lähtökohtaisesti ajattelisin, että ihan hyvä juttu.” (Ylilääkäri, reumataudit, yliopistosairaala)

”Otan kaikki vastaan, halvat lääkkeet tai biologiset lääkkeet ja toivon, että ne budjettia laskevat ja yhteiskunta voi paremmin, mutta en sitä, että ne ovat jotenkin epävarmoja.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Biosimilaari on alkuperäisen biologisen lääkeaineen kopio, mutta ei täysin identtinen alkuperäislääkkeen kanssa monimutkaisen valmistustavan vuoksi. Todennäköisesti tästä syystä biosimilaareista tuotiin esille toisistaan eroavia näkökulmia. Osa haastateltavista piti biosimilaareja eri lääkkeinä, osa puolestaan arvioi ne vastaaviksi kuin alkuperäislääkkeet. Osa näki biosimilaarit vaihtokelpoisiksi, kun taas osa epäili biosimilaarien tehoa ja turvallisuutta. Monet kommentit olivat varovaisia, lisätietoa ja käytännön kokemusta odottavia.

”Minulla on kovin vähän kokemusta biosimilaareista, mutta niin kuin se nimikin sanoo, ne eivät ole ihan, ne eivät ole samoja lääkkeitä vaan ne ovat samankaltaisia.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Ne eivät ole sillä tavalla niin kuin rinnakkaislääkkeet siinä mielessä helppoja, kun ne ovat biologisia lääkkeitä. Eli ne ovat täysin ihan eri lääkkeitä, erilaisia, kun se on kuitenkin tällainen tehtyvästävä-aine tai vastaava.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, keskussairaala)

”Näyttää siltä, että ne ovat turvallisia ja tehokkaita ja useimmiten myös vaihtokelpoisia, mutta ne ovat kuitenkin periaatteessa eri aineita.” (Ylilääkäri, reumataudit, keskussairaala)

”Ne on ihan suoraan vaihtokelpoisia, olen kyllä hyvin tutustunut biosimilaarikehitykseen.” (Ylilääkäri, reumataudit, yliopistosairaala)

”Kyllähän se näin varmaan on, että minkä tahansa uuden lääkkeen kohdalla, niin tämä todellisuus paljastuu vasta sitten käytön myötä.” (Ylilääkäri, reumataudit, keskussairaala)

Samankaltaisuus, vaihtokelpoisuus, laatu ja kustannussäästöt ovat biosimilaarien käyttöönotossa arvioitavia keskeisiä tekijöitä. Merkittävimmät toiveet liittyivät kustannussäästöihin ja suurimmat uhkakuvat tuotteen ”viallisuuteen” ja hoidon epäonnistumiseen. Epäilyksiä liittyi tuotteiden tutkimus- ja valmistusprosesseihin, valmistusmaihin ja laatuun.

”Kyllä pidän niitä tervetulleina, kun patenttisuojat menevät umpeen. Se lisää kilpailua ja laskee kustannuspaineita. Se tulee kaikkien eduksi sitten kuitenkin.” (Ylilääkäri, reumataudit, keskussairaala)

”Se mikä minua ehkä huolestuttaa eniten näissä biosimilaareissa, niin kuin yleensäkin geneerisissä valmisteissa, on se, että kun niitä voi valmistaa käytännössä kuka tahansa, joka täyttää tietyt kriteerit. Niin ovatko ne todellakin kaikki ihan samanlaisia sitten, yhtä turvallisia, yhtä tehokkaita. Ovatko ne koostumukseltaan kaikki sitten niin, että ne olisivat edes similaareja. Laatu on se mikä huolestuttaa ehkä pikkuisen siinä. Niitä kyllä toivoisi sitten ainakin jokaiselta, että jos niitä markkinoidaan ja myydään, niin niiden pitäisi pystyä osoittamaan ihan luotettava tutkimuksellinen teho ja haitta -data.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Osa haastateltavista luotti viranomaisiin biosimilaarien valvonnassa. Laadunarviointiin ja valvontaan liittyvien tehtävien koetaan olevan viranomaisen vastuulla ja toimialueella. Tällöin viranomaisen päätöstä antaa tuotteelle myyntilupa pidetään takeena siitä, että tuote on tehokas ja turvallinen. Viranomaisilta toivotaan myös aktiivista häirtavaikutusraportointia.

”Kyllä me on lääkeneuvottelukunnassa otettu kanta, että jos viranomaiset ovat hyväksyneet, niin kyllä mekin se hyväksytään. Että ei me kyseenalaisteta biosimilaareja.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Palaisin siihen myyntiluvan myöntämisprosessiin. Kun viranomainen myöntää myyntiluvan jollekin lääkevalmisteelle niin kyllä ajattelen näin, että viranomainen ei myönnä ensimmäisen toisen ja kolmannen luokan turvallisuutta omaavia myyntilupia. – – Jos se täyttää ne kriteerit, se saa myyntiluvan, jos ei se täytä niin se ei saa sitä myyntilupaa.” (Sairaala-apteekkari, yliopistosairaala)

Moni haastateltava koki saaneensa tietoa biosimilaareista kohtalaisen vähän. Osa haastateltavista oli etsinyt tietoa aktiivisesti. Koulutus koetaan erittäin tarpeelliseksi, samoin aiheeseen liittyvä keskustelu ja käytännön kokemusten jakaminen. Puolueetonta tietoa kaivataan kattavasti niin biosimilaareihin liittyvistä perusasioista kuin tutkimustuloksista. Tiedon tarpeet ovat kytköksissä biosimilaarien markkinoille tulon ajankohtaiseen tilanteeseen. Organisaatiot saavat kilpailutusten myötä tarjouksia biosimilaareista, ja käyttöönottopäätökset tulevat eteen organisaatioissa ja kliinisessä työssä.

Sekä biosimilaarien että alkuperäisten biologisten lääkkeiden lääkemarkkinointia kuvattiin aktiiviseksi. Markkinoinnissa nähdään kilpailutilanne, jossa alkuperäislääkkeiden ja biosimilaarien valmistajat pyrkivät tuomaan esille omien tuotteidensa etuja ja informaatio on osin vastakkaista alkuperäislääkkeiden ja biosimilaarien välillä.

”Lääketeollisuus on ollut kohtuullisen aktiivinen niin, että tietenkin nämä alkuperäislääkkeitä tuottavat firmat puhuvat alkuperäislääkkeiden puolesta ja biosimilaareja tuovien lääkefirmojen ihmiset puhuvat biosimilaarien puolesta.” (Ylilääkäri, reumataudit, keskussairaala)

Erittäin merkittäväksi tutkimustiedon rinnalla koettiin käyttökokemukset ja niihin liittyvä kliinisen tuntuman saaminen. Haastateltavat ottivat esille, että lopulta vasta käytännön kliininen kokemus kertoo biosimilaarien toimivuudesta. He kuvasivat, että myös geneerisiä lääkkeitä käytettäessä käyttöön voi liittyä eroja alkuperäislääkkeeseen verrattuna. Kun käyttökokemus kasvaa, näihin eroihin osataan varautua.

Syöpälääkärit arvioivat, että tämänhetkiset syövän tukihoidona käytettävät biosimilaarit ovat toimineet asianmukaisesti, mutta osa suhtautui syövän hoitoon käytettävien monoklonaalisten vasta-aineiden tuleviin biosimilaareihin epäilevästi. Myös osa reumatologeista oli varauksellisia monoklonaalisten vasta-aineiden biosimilaareja kohtaan.

”Kyllähän se näin varmaan on, että minkä tahansa uuden lääkkeen kohdalla, niin tämä todellisuus paljastuu vasta sitten käytön myötä.” (Ylilääkäri, reumataudit, keskussairaala)

”Siis ihan se, että vaihdetaan rinnakkaisvalmisteeseen, niin niistähän on tietysti tullut joitain ongelmia, kun on eri apuaineet. Niin en usko, että biosimilaarin vaihto tulee olemaan yhtään sen hankalampaa. Kyllä niissä tulee pieniä eroja ainakin rinnakkaispuolella. Ja ainahan se on, kun valmiste vaihdetaan, niin kyllähän se on käyttäjille aina stressi. Siinä aina se tutustuminen siihen uuteen valmisteeseen vie vähän aikaa.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Toki sitten nyt kun ensimmäinen vasta-aine tulee, niin onneksi se menee reumapuolelle niin vähän saa kokemusta ja kaikupohjaa siihen. Astetta vaativampi toki se tilanne tulee vasta-aineilla olemaan kuin ihan näillä kasvutekijöiden biosimilaareilla.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Biosimilaareja ehdotettiin yhdeksi vaihtoehdoksi alkuperäisten biologisten lääkkeiden rinnalle, varsinkin ennen kuin käyttökokemusta biosimilaareista saadaan. Osa organisaatioista halusi ohjata biosimilaarien käyttöön aina kun se arvioidaan kliinisesti mahdolliseksi. Sairaalalääkkeitä koskevat isot linjanvedot tehdään usein hallintotasolla. Yksittäisellä lääkärillä ei ole välttämättä roolia käyttöönottopäätöksissä, mutta tiedon tarve on olemassa. ”Se tulee enemmän yleisen päätöksenteon ja rahan kautta, että se lääke tulee tilalle. Toivoisin tietenkin, että siitä tulisi enemmän tietoa sekä vaikutuksesta että haitoista”, kuvasi eräs syöpälääkäri ajatuksiaan lääkkeitä koskevasta päätöksenteosta ja tarvittavasta tiedosta.

## 11.2 Tiedon tarpeet ja verkostot

Tieto on haastatteluiden mukaan päätöksenteon perusta. Kolme yleisintä tiedonlähdetä uusista biologisista lääkkeistä ovat haastateltujen lääkäreiden mukaan kansainväliset kongressit, tieteelliset alan julkaisut ja lääke-edustajat. Muita tietolähteitä ovat koulutukset, kokoukset, erikoisalayhdistykset ja lääkärikollegat. Kliininen kokemus ja uudesta lääkkeestä tuleva käyttökokemus ovat tärkeitä tutkimustulosten rinnalla.

”Nämä meidän kansainväliset kongressithan on sellaiset, missä on yleensä uusin tieto, se on ehkä ensimmäinen paikka, missä niistä kuulee. Ja sitten on meidän reuma-alan lehdet, kansainväliset lehdet, jotka käsittelee näitä keskeisiä uutuuksia. Ja sitten jos meillä on lääke saanut indikaation ja jopa korvattavuuden, niin kyllä sitten on lääketieteellisuuden edustajat varsin aktiivisia siinä vaiheessa tuomaan sitä tietoa.” (Ylilääkäri, reumataudit, keskussairaala)

”Tietysti nyt yrittää jonkin verran seurata alan kirjallisuutta, julkaisuja ja kongresseissa ja koulutuksissa pyrin käymään. Ja sitten kollegoiden kautta, se on tietysti hirveän tärkeä lähde. Ja toki nyt myös lääke-esittelijät tuo sitten oman näkemyksensä

asiaan. Kyllähän sekin varmasti ihan tärkeätä on, koska ei aina ehdi kuitenkaan itse joka paikkaan, niin kyllä sekin on ihan tärkeä lähde. Tietysti heidän informaationsa otetaan sitten sillä lailla kuin se otetaan, että se on mainosta samalla kuin se on informaatiota.” (Erikoislääkäri, syöpätaudit, keskussairaala)

Kongressit ovat arvostettuja tietolähteitä, sillä niissä seurataan uusien lääkkeiden kehitystä jo ennen niiden markkinoille tuloa, osana erikoisalan tutkimusta ja kehitystä. Kongressit mahdollistavat parhaimmillaan monipuolisen tiedon saannin, tutkimusten vertailun ja asiantuntijoiden välisen keskustelun. Erikoisalakohdaiset, kansainväliset lehdet ovat ajankohtaisia kanavia, joiden kautta tutkimustulokset leviävät. Tutkimustuloksilla on paljon merkitystä päätöksenteossa. Esimerkiksi sairaalalääkkeiden käyttöönottoprosesseissa tutkimustulokset ovat yksi osa-alue, jota päätöksenteossa arvioidaan.

Lääke-edustajat ovat merkittävä tiedon lähde. He tuovat lääkäreille tietoa uusista tutkimustuloksista, käyttöaiheista ja korvattavuuspäätöksistä. Lääkärit totesivat, että ilman lääkemarkkinointia tiedon saanti jäisi vähäisemmäksi kuin se tällä hetkellä on. Lääketeollisuuden antamaan tietoon pyritään suhtautumaan kriittisesti ja arvioiden.

Lääketeollisuus on mukana tiedon välittämisessä myös muulla tavoin kuin lääke-edustajien kautta. Lääketeollisuus kustantaa osan koulutuksista ja kongressimatkoista. Haastatteluissa tuli esille, että ilman lääketeollisuuden kustantamia koulutuksia mahdollisuudet osallistua koulutuksiin olisivat huomattavasti vähäisempiä. ”Jos koulutusmatkojen mahdollisuus lääketeollisuuden tukemana lopetettaisiin, niin meiltä loppuisi koulutusmatkat, meillä on niin pienet koulutusmäärärahat sairaaloissa. Kysyn vaan, että kuka potilas haluaa tulla sellaisen lääkärin vastaanotolle, joka ei käy koulutuksissa ja kongresseissa”, totesi eräs syöpälääkäri.

Erikoislääkäriyhdistyksillä voi olla paljon merkitystä erikoisalan sisällä. Erikoislääkäriyhdistykset ovat yksi ammatillisen verkostoitumisen tapa, joka mahdollistaa koulutuksen, keskustelun ja kokemusten vaihdon. Erikoislääkäriyhdistykset voivat myös linjata hoitokäytäntöjä ja uusien lääkkeiden käyttöä.

Tietoa voidaan antaa myös päätöksentekoa tukevien painettujen ja sähköisten dokumenttien avulla. Lääkäreiden käytössä on painetussa muodossa olevia hoito-ohjeita, sekä sähköisessä muodossa olevia työvälineitä, kuten tietokantoja. Haastatteluissa tiettyjä kehyksiä päätöksenteolle pidettiin hyvinä, mutta tarkkojen ”keittokirjaohjeiden” laatiminen nähtiin mahdottomana sekä jatkuvan, nopean muutoksen että yksilöllisten tilanteiden vaihtelun vuoksi. Päätöksenteko perustuu erikoisalan osamiseen, jossa sopiva päätöksenteon tuen väline on käytettävyydeltään hyvä ja vastaa kliinisen työn tarpeisiin.

Haastatteluissa lääkärit toivat esille taloudellisesti riippumattoman ja puolueettoman tiedon merkityksen. He kokivat, että tiedon yhdistäminen eri lähteistä voi olla yksi tapa pienentää lääkemarkkinoinnin vaikutusta. Myös viranomaisiin yleisesti luote-



taan puolueettoman tiedon lähteenä. Viranomaistieto on kuitenkin usein liian hitaasti saatavissa, eikä kaikki viranomaistieto tavoita lääkäreitä.

Tutkimuksessa käytiin läpi hoitosuosituksia ja hoitoketjuja. Nämä ohjeet osaltaan ohjaavat sairauden hoitoa, lääkkeiden käyttöä ja hoidon järjestämistä. Uusimmat biologiset lääkkeet eivät useinkaan päivity hoitoa ohjaaviin dokumentteihin siinä tahdissa kuin niiden käyttöönotto etenee. Sähköisissä lähteissä dokumentin päatekstin lisäksi tietoa tarjotaan viitteiden ja linkkien avulla. Myös näiden päivitys ja ajan tasalla pitäminen on usein jäljessä, kun käyttöönotto etenee ja tiedon määrä kasvaa.

Tieto liikkuu tapaamisissa sekä erilaisten viestintävälineiden välityksellä. Lääkärit kokivat, että tämänhetkiset tiedonvälityksen tavat ovat toimivia, mutta tiedon läpikäymiseen tarvittaisiin enemmän aikaa. Tietoa kuitenkin halutaan ottaa vastaan, ja viranomaisilta toivotaan puolueetonta sekä tiedottavaa otetta viestinnässä. Lääkäreiden kuvaamat aikataulupaineet ja tiedon nopea lisääntyminen viestittävät tiedonhallinnan ja sen huomioimisen tarpeista tiedonvälityksessä.

### 11.3 Hoitojen hallinta tulevaisuudessa

Uusien, kalliiden lääkkeiden myötä nousee esille niin taloudellisiin resursseihin kuin arvokysymyksiin liittyviä asioita, jotka päätöksentekijät ja yhteiskunta kohtaavat päätöksenteossa. Haastattelujen pohjalta kuvioon 13 on nostettu esille teemoja, jotka liittyvät hoitojen hallintaan tulevaisuudessa.

**Yhdenvertaisuus** nousi haastatteluissa esille terveydenhuollon keskeisenä arvona. Yhdenvertaisuutta kuvataan lääkärin mahdollisuutena valita ja potilaan mahdollisuutena saada eri hoitovaihtoehtoja tasapuolisesti. Yhdenvertaisuuteen voidaan vaikuttaa kansallisesti hyväksytyillä, yhtenäisillä hoitolinjauksilla. Tällöin hoidon

**Kuvio 13.** Tarpeita biologisten hoitojen käyttöönoton ja käytön hallinnassa tulevaisuudessa.

Yhdenvertaisuus	Uusien lääkkeiden arviointi	Vaikuttavuus ja arvot
<ul style="list-style-type: none"> <li>• Kansallisesti hyväksytyt hoitolinjaukset</li> <li>• Hoitojen yhdenvertaisuus yksittäisten lääkäreiden, organisaatioiden ja alueiden välillä</li> <li>• Eri sairauksia sairastavien potilaiden yhdenvertaisuus yhteiskunnassa</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Nopeus uusien lääkkeiden arvioinnissa ja korvattavuuspäätöksissä</li> <li>• Kliinisen asiantuntemuksen vahva rooli hoitojen arvioinnissa</li> <li>• Organisaatioissa tehtävän päällekkäisen työn muuttaminen kansalliseksi työksi uusien lääkkeiden arvioinnissa</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Vaikuttavuuden ja turvallisuuden arviointi useilla eri mittareilla ja pitkällä aikavälillä</li> <li>• Arvokysymykset ja eri osapuolten näkemykset sekä intressit päätöksenteossa</li> </ul>

käyttö ei riippuisi yksittäisen lääkärin aktiivisuudesta, organisaatioiden päätöksistä tai alueellisista käytännöistä.

Yhdenvertaisuuteen vaikuttavat myös lääkkeiden korvauskäytännöt. Haastatteluissa ajatuksia herättivät muun muassa eri sairausryhmät lääkekorvausten saajina ja pienten potilasryhmien asema lääkekorvausjärjestelmässä.

Lääkärit pitivät eriarvoistumista uhkana, joka tulee näkyväksi kalliiden lääkkeiden käytössä. Eriarvoistuminen voi liittyä ihmisten taloudelliseen asemaan tai olla sidoksissa organisaatioiden tapoihin käyttää kalliita lääkkeitä. ”Eihän se voi olla näin, että olet [paikkakunnalla x], saat, olet [paikkakunnalla y], et saa”, kuvasi eräs lääkäri keskusteltaessa yhdenvertaisesta hoidosta. Ajatuksia herättivät lisäksi julkisen ja yksityisen sektorin käytännöt ja mahdolliset erot hoitojen tarjoajana ja järjestäjänä.

Myös **uusien lääkkeiden aseman arviointiin** kaivataan kansallisia, yhtenäisiä linjauksia, jotka antavat kehykset hoidolle, mutta jättävät tilaa kliiniselle, yksilön tilanteen huomioivalle päätöksenteolle. ”Nyt se jää tällä hetkellä näiden eri sairaaloissa toimivien lääkäreiden tai erilaisten meetinkien tai jonkin tietyn nimetyn ryhmän päätettäväksi. Tämä on hirveän heterogeeninen tällä hetkellä tämä käytäntö”, kuvasi eräs syöpälääkäri nykytilannetta uusien lääkkeiden käyttöönotossa.

Syöpälääkärit toivovat yhtenäisyyttä, nopeutta ja vahvaa kliinistä asiantuntemusta uusien lääkkeiden arvioinnissa sekä hoitolinjausten asettamisessa. Eri organisaatioiden päätöksentekoprosessit selvityksineen aiheuttavat päällekkäistä työtä. Lisäksi päätöksenteko tapahtuu eri aikatauluissa, ja siinä voidaan päätyä erilaisiin lopputuloksiin. Erikoisalan sisällä ei välttämättä ole konsensusta lääkkeen asemasta, eikä yhden organisaation päätöstä hyväksyttyä toisessa organisaatiossa. Haastatteluissa joistain organisaatioista puhuttiin ”konservatiivisina” tai ”nihilistisinä” toisiin organisaatioihin verrattuna.

Vertailevaa tietoa hoitokäytännöistä ei ole saatavilla, vaan tieto kulkee muita verkostoja pitkin. Vertaileva tieto ”auttaisi näkemään sitä kokonaisuutta ja hälventämään eroja”, totesi eräs syöpälääkäri. Erilaiset linjanvedot ja pienten ryhmien tekemät päätökset aiheuttavat kysymyksiä päätöksenteon kulusta ja siihen liittyvistä tekijöistä.

”Mielestäni siinä Suomi nyt menee väärälle tielle. Me haetaan tällaisia komiteapäätöksiä ja komiteat tehdään hirveän hutiloiden. Ne pitäisi olla sellaisia komiteoita, joissa on sitten arvovaltaa, tietoa ja todella, että siellä on siitä lääkkeestä ne parhaat tiedot. Nyt on hirveän vaikea, että näihin komiteapäätöksiin ei voi oikein luottaa. – – Nämä kaikki farmakoekonomiset jutut pitäisi avata. Ja meidän pitäisi pyrkiä valtakunnallisiin arviointeihin. Nämä on onnettomia nämä arviot. Mielestäni ne ovat potilaiden suhteen eriarvoistavia, ne on huonosti tehtyjä, voisi sanoa jopa ammattitaidottomia. Mielestäni se ei ole kyllä sivistysvaltion tapa toimia. Että jos on rahapula, laitetaan komitea, joka rajaa lääkkeet pois sieltä.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, keskussairaala)

Viranomaistoiminnalta odotetaan joustavuutta ja nopeutta. ”Samaan prosessiin joutuu kaikki lääkkeet, sellaisetkin, jotka olisivat kliinisesti äärimmäisen käyttökelpoisia ja potilaalle hyödyllisiä. Eräällä tavalla tulee vaan sellainen tuntu, että kyse on säästötoimenpiteestä eikä mistään muusta, pyritään siirtämään kustannuksia tulevaisuuteen”, totesi eräs syöpälääkäri kuvatessaan uusia lääkkeitä koskevia korvattavuuspäätöksiä ja niihin kuluva aikaa. Toinen syöpälääkäri kertoi ”viranomaistoiminnan lisänsen työtä suunnattomasti” viitaten erityyppisiin lausuntokäytäntöihin. Korvattavuuspäätökset, niiden ehdot ja ehtojen muutokset heijastuvat nopeasti lääkäreiden vastaanotoille ja organisaatioihin.

Haastatteluissa tuotiin esille tarve tutkia hoitojen **vaikuttavuutta** monipuolisesti käyttämällä erityyppisiä lääketieteellisiä, yhteiskunnallisia ja elämänlaadullisia mittareita. Pitkällä aikavälillä kerätty tieto kertoo myös lääkkeiden turvallisuudesta. Järjestelmällinen kalliiden lääkehoitojen seuranta ja tutkimus koetaan yhteiskunnallisesti kannattavaksi ja tarpeelliseksi.

”Meillä ei ole niitä resursseja, että me voisimme tehdä tällaista kokonaisvaltaista tuotettuun terveyshyötyyn liittyvää terveystaloudellista tutkimusta. Niiden lääkkeiden hintojen seulominen ja vatvominen on niin paljon helpompaa, sitä tehdään, mutta ei sitten niitä kokonaisprosesseja, koska se olisi niin paljon enemmän resursseja ja aikaa vaativaa. Sitä tietoa meillä ei ole.” (Sairaala-apteekkari, yliopistosairaala)

”Me seurataan tällaista potilas-hoito-vastetta eli me seurataan sitä, että onko potilaan polvi edelleen turvonnut tai senkka parantunut tai crp parantunut, mutta mehän ei seurata siinä potilaan työkykyä. Eikä jotain tällaisia yhteiskunnallisesti merkittäviä vastauksia, ellei sitten joku tutkija päättää, että nyt tällainen selvitetään. Mutta jos se olisi tällainen yhteiskunnallinen rekisteri, joka automaattisesti voisi päivittyä yhteen vaikka Kelan sairaslomarekisterien kanssa, niin silloin siitä tulisi ihan oikeasti sellaista vaikuttavuustietoa, jota yhteiskunta tarvitsee. Mutta tällä hetkellä, kun sitä ei ole yhteiskunta katsonut tarpeelliseksi järjestää, niin sitten sitä ei ole.” (Ylilääkäri, reumataudit, keskussairaala)

”Me seurataan terveydenhuollon kuluja käytimmärien perusteella. Meidän keskeinen hoidon tavoitehan on terveyden lisääminen. Mutta meillä ei tällä hetkellä järjestelmät eikä lainsäädäntö tue sitä, että meillä tutkittaisiin, mikä on se terveyden tilan lisäys, jota me saadaan aikaiseksi.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

Kalliit lääkkeet ja hoito ovat myös **arvokysymyksiä**, joissa eri osapuolten näkemykset ja intressit vaihtelevat. Osa haastatelluista totesi, että arvovalintojen ja niihin liittyvän vastuun on oltava ylemmällä, poliittisella tasolla. Osa piti priorisointia yhtenä osana lääkärin ammattitaitoa. Haastatteluiden antamat näkökulmat rahaan, päätöksentekoon, priorisointiin ja arvoihin ovat moniäänisiä:

”Se on kyllä hirveän vaikea tehdä tällaisia yhteiskunnallisia rajoja. Mistä sinä sanot, että tälle ei saa aloittaa enää tätä. Minullekin on sanottu, että sinun pitää

sitten, jos ei ole resursseja, niin rajata, ketä et hoida, niin sen minä haluan mustaa valkoisella. Että minä en sellaiseen rupea. Ei nämä ole mitään helppoja päätöksiä, mutta se, että miksi en hoida jotakin potilasta sitten täällä, sehän perustuu siihen potilaan yleiskuntoon ja siihen, että häntä ei voi enää hoitaa. Kyllä nämä minusta ovat lääkärin, meidän lääkäreiden täytyisi vain olla sitten sen verran järkeviä, että mieltii. Voihan sitä sanoa, että ei kannata antaa neljättä hoitolinjaa, mutta joku potilas saattaa sitten hyötyä.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Kyllä me ollaan menossa siihen, että en ihan potilaita pysty hoitamaan sillä lailla mitä toivoisin. Se on lääkärille mielestäni vaikea asia, että nämä taloudelliset asiat tulevat tähän priorisointiin. Että ne lääketieteelliset asiat eivät ehkä ratkaise sitä, vaan ne taloudelliset asiat. Se on sellainen, että ei voi ajatella, mikä on paras mahdollinen hoito, vaan pitää ajatella sitä taloudellista puolta. Tämä on pikkuhiljaa tullut.” (Erikoislääkäri, syöpätaudit, yliopistosairaala)

”Minun mielestäni se on oikein, että jos jokin lääke minulta täällä kielletään, niin tulkoon sitten se joka kieltää, niin hoitamaan ja selittämään potilaalle, että miksi en hoida.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, keskussairaala)

”Kyllä se, jonkun ne on joskus määriteltävä ennemmin tai myöhemmin mitä mikäkin hoito saa maksaa. Joko sen määrittelee yhteiskunta, poliitikot tai sitten jos se menee firmojen hoidettavaksi nämä hommat, niin firmat määrittelevät ihan varmasti sitten. Tai sitten ei sillä rahalla ole väliä.” (Sairaala-apteekkari, keskussairaala)

”Kyllähän, prioriteettiahan tehdään, mutta mielestäni se täytyy lääkärin tehdä itse. Se ei ole sellainen, jota voi tehdä toisen puolesta.” (Ylilääkäri, syöpätaudit, keskussairaala)

”Niin, tämä on sellainen ongelmallinen tilanne, että valintojahan joudutaan tekemään ja karu tosiasiahan on, että missään vaiheessa poliittiset päättäjät eivät tule sanomaan tätä asiaa lääkäreille. Kyllä se täytyy meidän arvoista lähteä ja täällä joudutaan tekemään ne päätökset. – – Mielestäni se on sitten meidän alan ammattilaisten kuitenkin tehtävä sitä priorisointia, mitä kaikessa hiljaisuudessa tehdään jatkuvasti.” (Ylilääkäri, reumatoidit, keskussairaala)

Lääkäreiden mukaan kalliitakin lääkehoitoja on pystytty toistaiseksi antamaan silloin, kun hoito on ollut perusteltua. Tulevaisuudessa kysymykset hoidon ja hinnan yhdistämisestä voivat realisoitua entistä enemmän. Päätöksenteko vaatii tietoa, keskustelua, eri osapuolten näkökulmien ja intressien tarkastelua sekä yhteensovittamista. Tietoa ja näkökulmia asiasta voivat antaa muun muassa potilaat, väestö, terveydenhuollon ammattilaiset, apteekit, viranomaiset, poliittiset päättäjät ja lääketieteellisyys.

## 12 YHTEENVETO

Tutkimuksessa lähdettiin tarkastelemaan biologisten lääkkeiden käyttöönottoon ja käyttöön liittyviä päätöksentekoprosesseja keskelle terveydenhuollon organisaatioiden ja vastaanottojen todellisuutta. Tutkimuksen taustalla on tieto biologisten lääkkeiden kasvavista kustannuksista. Kustannus- ja kulutusluvut realisoituvat terveydenhuollon organisaatioiden hallinnollisissa päätöksissä ja potilastyössä.

Tutkimus lisää ymmärrystä siitä, kuinka lääketieteellinen päätöksenteko sijoittuu yhteiskunnalliseen kontekstiin olemassaolevissa terveydenhuollon rakenteissa ja rahoitusjärjestelmässä. Kalliiden lääkehoitojen järkevä käyttö vaatii lisää tietoa vaikeuttavuudesta ja arviota lääkkeiden rahoittamisesta parhaalla mahdollisella tavalla. Lisäksi kalliiden lääkkeiden yhdenvertainen ja järkevä käyttö vaatii yhteistyötä ja eri osapuolten näkemysten huomioimista päätöksenteossa, kun etsitään kestäviä ja yhtenäisiä tapoja hyödyntää kalliita lääkehoitoja tulevaisuudessa.

### 12.1 Tutkimuksen asema ja merkitys

Tutkimuksen johtava ajatus oli tarkastella biologisten lääkkeiden käyttöönottoon ja käyttöön liittyviä päätöksentekoprosesseja sekä organisaatio- että yksilötasolla käytännössä. Tutkimus antaa tietoa ja lisää ymmärrystä biologisiin lääkkeisiin liittyvästä päätöksenteosta terveydenhuollon toimijoiden silmin.

Tarkastelun pohjalla on tieto biologisten lääkkeiden käytön yleistymisestä ja lääkekustannusten kasvusta. Toisaalta on myös näyttöä siitä, että osa biologisista lääkkeistä tarjoaa uusia mahdollisuuksia hoitaa sairauksia, joihin ei aikaisemmin ole ollut saatavilla tehokkaita hoitoja. Uusien lääkkeiden korkeat yksikköhinnat nostavat esille kysymyksen yksilöiden, organisaatioiden ja yhteiskunnan taloudellisista resursseista ja niiden rajoista. Biosimilaarivalmisteista odotetaan ainakin osaratkaisua kustannusongelmiin. Biosimilaarien käyttöönotto ja siihen liittyvät tekijät tulevat yhä enenevässä määrin ajankohtaisiksi lähivuosina, kun uusia biosimilaareja tulee markkinoille.

Tähän tutkimukseen ei sisällynyt eri lääkkeiden kliinisen ja yhteiskunnallisen vaikeuttavuuden arviointia. Tutkimus rajattiin reuma- ja syöpätautien erikoisaloille, mutta moni tutkimuksessa esille tulleista ilmiöistä lienee yleistettävissä muillekin erikoisaloille. Näitä ovat muun muassa kalliisiin lääkkeisiin liittyvä hallinnollinen päätöksenteko sekä kaksikanavaisen rahoituksen vaikutus lääkkeen määräämisessä.

Asioiden tasapainoinen tarkastelu vaatii lisää tutkimustietoa uusien lääkkeiden hyödyistä ja haitoista suhteessa aiempiin hoitoihin. Lisäksi on tarpeen tarkastella kriittisesti niitä hallinnollisia ratkaisuja, jotka johtavat epätarkoituksenmukaisiin käytäntöihin ja lääkkeiden käyttöön. Lääkkeiden kaksikanavainen rahoitus on tästä esimerkki. Vaikuttavuuden tutkimuksen ja kalliiden lääkkeiden rahoitusjärjestelmän arvioinnin lisäksi tarvitaan eri osapuolten näkökulmien huomioimista ja yhteenso-

vittamista päätöksenteossa, jossa on mukana hoitoon, rahaan ja arvokysymyksiin liittyviä tekijöitä.

## 12.2 Käyttöönotto ja päätöksenteko

Biologisten lääkkeiden kustannukset ovat kasvaneet 2000-luvulla Suomessa. Käyttöönoton ja käytön eteneminen näkyvät tukkumyyntiluvuissa ja avohoidon lääkekorvauksissa. Kustannusten suuruusluokkaa vuonna 2013 kuvastaa kuuden keskeisen biologisen lääkkeen (etanersepti, adalimumabi, infliksimabi, rituksimabi, trastutsumabi ja bevasitsumabi) yhteenlaskettu tukkuhintoihin perustuva kokonaismyynti, joka oli arvonlisäverottomina tukkuviitehintoina laskettuna 170,6 miljoonaa euroa. Tämä oli 40 prosenttia syöpälääkkeiden ja immuunivasteen muuntajien lääkeaineryhmän (L-ryhmä) myynnistä ja 8 prosenttia koko lääkemyynnistä.

Käyttöönottopäätöstä tehtäessä arvioidaan uuden lääkkeen asemaa sairauden hoidossa. Arviointi tulee ajankohtaiseksi aina, kun uusi lääke tulee saataville. Sairaalalääkkeiden käyttöönottopäätökset tehdään organisaatioissa itsenäisesti. Avohoitolääkkeiden käyttöönottoa määrittää korvattavuuspäätös. Käyttöönotosta päätettäessä arvioidaan tehoa, turvallisuutta, tutkimustuloksia, aiempia hoitovaihtoehtoja ja kustannuksia.

Päätöksenteko on yksilöllisiä ja yhteisöllisiä valintoja, jotka tapahtuvat tutkimustiedon, organisaation resurssien, toimintatapojen ja ammatillisen verkoston ympäröiminä. Lääkkeiden kaksikanavainen rahoitusjärjestelmä osaltaan ohjaa lääkkeiden käyttöä ja avohoitolääkkeiden korvattavuuspäätöksillä on suuri merkitys kalliiden avohoitolääkkeiden käyttöönotolle. Biologisia lääkkeitä työssään käyttävät lääkärit ovat kustannustietoisia ja haluavat käyttää kalliita lääkehoitoja kohdennetusti ja yhdenvertaisesti. Tällöin niillä voidaan toteuttaa yksilöä hyödyttäviä lääkehoitoja ja saavuttaa yhteiskunnallisia etuja sairauksien kokonaiskustannusten näkökulmasta.

Reumataudit ja syöpätaudit erikoisaloina tuovat esille erityyppisiä asioita kalliiden hoitojen käytössä. Reumataudeissa kalliiden lääkkeiden kustannuksia pystytään perustelemaan työ- ja toimintakyvyn säilymisellä muiden hoidollisten arvojen ohella. Syöpätaudeissa kalliit lääkkeet tuovat esille hoidollisia ja taloudellisia tekijöitä sekä arvokysymyksiä erityisesti vähän elinikää pidentävissä, kalliissa ja mahdollisesti paljon haittoja aiheuttavissa hoidoissa.

Päätöksenteossa voidaan päätyä eri lopputuloksiin. Eroja voi syntyä yksittäisten lääkäreiden, ryhmien, organisaatioiden ja alueiden välille. Myös päätöksenteon aikataulut voivat erota. Päätöksenteon, hoitokäytäntöjen ja lääkkeiden käytön eroihin voivat johtaa esimerkiksi erot tutkimustulosten ja hoitosuosituksen tulkinnassa sekä soveltamisessa. Muita erojen syitä voivat olla alueelliset tekijät ja ominaispiirteet kuten väestörakenne, sairastavuus, talous, työvoimaresurssit ja hoidon järjestäminen. Lisäksi biologisten lääkkeiden lääkemarkkinointi on aktiivista.

Erot päätöksenteossa eivät automaattisesti tarkoita parempia tai huonompia hoitotuloksia, eikä eri alueita voi suoraan verrata toisiinsa tuntematta alueellisia tekijöitä ja ominaispiirteitä. Ne kuitenkin herättävät kysymyksiä siitä, miten yhdenvertaisen hoidon toteutumiseen Suomessa voidaan vaikuttaa. Tutkimus osoittaa tarpeen kansallisille, yhtenäisille hoitolinjauksille ja uusien lääkkeiden nopealle arvioinnille niiden markkinoille tulon myötä. Linjausten tulisi antaa kehykset hoitojen käytölle, mutta jättää tilaa yksilölliselle, potilaan tilanteen huomioivalle kliiniselle päätöksenteolle.

### 12.3 Kaksikanavaisuuden käytännöt

Lääkkeitä koskevat päätökset tehdään lääketieteen, terveydenhuollon järjestämisen ja lääkkeiden yhteiskunnallisen rahoitusjärjestelmän kontekstissa. Tämän tutkimuksen aineistosta näkyy, kuinka lääkkeiden kaksikanavainen rahoitus ja jako sairaala- ja avohoitolääkkeisiin läpäisevät koko tutkimuksen ja sen käsittelemät ilmiöt.

Kaksikanavaisuus ohjaa valitsemaan avohoitolääkkeitä sairaalalääkkeiden sijaan lääketieteellisesti hyväksytyissä rajoissa. Hoidon järjestämisessä kaksikanavaisuus luo erilaisia ja osin epätarkoituksenmukaisia käytäntöjä, jotka vaikuttavat päätöksentekoon. Näitä tilanteita syntyy esimerkiksi silloin, kun potilaalla ei ole varaa maksaa korvattavan avohoitolääkkeen omavastuuosuutta, kun käytetään ei-korvattavia kalta avohoitolääkkeitä tai kun korvattavuuden ehdot eivät täyty yksilötasolla.

Kalliit lääkkeet korostavat rajapintaa lääketieteellisen päätöksen ja yhteiskunnallisten rakenteiden välillä. Kaksikanavaisen rahoitusjärjestelmän taitekohdassa jaetaan kustannuksia yksilön, organisaation ja yhteiskunnan kesken. Tämä jako ei tuota aina parasta, halvinta tai käytännöllisintä tulosta, vaan järjestelmän ohjaava vaikutus lääkkeiden valinnassa voi olla ongelmallinen.

Kaksikanavaisuus koetaan keinotekoisena hallinnollisena järjestelmänä, joka ohjaa päätöksentekoa, mahdollisesti lisää kokonaiskustannuksia ja hankaloittaa niiden hallintaa. Lääkekulujen siirtämistä sairaaloilta Kelalle tai päinvastoin ei pidetä järkevänä toimintatapana, vaan kustannusten nähdään joka tapauksessa tulevan yhteiskunnan maksettaviksi. Valinnat haluttaisiin tehdä lääketieteellisin perustein, ja kustannusten siirto toimijalta toiselle voi aiheuttaa epätarkoituksenmukaisia käytäntöjä ja lisätä sekä työtä että kokonaiskustannuksia. Kalliiden lääkkeiden järkevän, kohdennetun käytön lisäksi säästöjä voi olla mahdollista löytää myös rahoitusjärjestelmän rakenteista.

### 12.4 Päätöksenteon tueksi tulevaisuudessa

Kansallisten, yhtenäisten lääkkeiden käyttöä koskevien linjausten merkitys korostuu, kun uusia, kalliita lääkkeitä tulee markkinoille. Kansallisten linjausten olemassaolo voi yhtenäistää hoitokäytäntöjä, taata yhdenvertaista hoitoa ja vähentää eri orga-

nisaatioissa tehtävää päällekkäistä työtä käyttöönottopäätöksissä. Vahvaa kliinistä asiantuntemusta pidetään tärkeänä uusien lääkkeiden aseman arvioinnissa.

Erot päätöksenteossa ja tutkimustulosten soveltamisessa osoittavat, että saatavilla oleva tieto ei ole yksiselitteistä. Yhtenäiset linjaukset vaativat tuekseen lääkehoitojen vaikuttavuuden tutkimusta, jotta perusteltuja päätöksiä voidaan tehdä. Vaikuttavuutta tulisi tutkia monipuolisesti ja pitkällä aikavälillä käyttäen useita eri lääketieteellisiä, yhteiskunnallisia ja elämänlaadullisia mittareita. Lisäksi päätöksentekoon ja keskusteluun kalliista lääkehoidoista liittyy arvoja ja intressejä, jotka eri osapuolilla voivat olla erilaisia. Kestävä päätöksenteko edellyttää eri näkökulmien huomioimista osana päätöksentekoa.

Lääkkeiden kulutuksesta kansallisella tasolla on olemassa Fimean ja Kelan rekisteritiedot. Fimean tilastoima tieto perustuu lääkkeiden tukkumyyntiin. Kela tilastoi korvatuista avohoitolääkkeistä käyttäjien määrän, kustannukset ja lääkekorvaukset. Sairaalalääkkeiden käyttäjien määrästä ja lääkehoitojen kohdentumisesta eri potilasryhmille ei ole kansallisella tasolla saatavaa rekisteritietoa. Myynti-, kulutus- ja lääkekorvausluvut osoittavat kustannusten kasvun, mutta eivät kerro lääkkeillä saavutetuista hyödyistä eivätkä korkeidenkaan lääkekustannusten merkityksestä sairauksien kokonaiskustannuksissa.

Kalliiden lääkehoitojen vaikuttavuus korostuu tulevaisuudessa kasvavien kustannusten myötä. Tieto vaikuttavuudesta on tärkeää sekä yksilön että yhteiskunnan kannalta. Vaikuttavuuden tutkimuksessa tarvitaan seurantamenetelmiä, joissa rekisteröidään pitkällä aikavälillä tietoa lääkkeiden käytöstä, saavutetuista terveyshyödyistä, elämänlaadusta, työ- ja toimintakyvystä sekä turvallisuudesta. Tätä tietoa tarvitaan, kun arvioidaan kalliiden lääkkeiden asemaa ja käyttöä sairauksien hoidon kokonaisuudessa.



### 13 JOHTOPÄÄTÖKSET

Tutkimuksen tavoitteena oli selvittää biologisten lääkkeiden käyttöönottoon ja päätöksentekoon liittyviä tekijöitä erityyppisiä aineistoja hyödyntämällä. Tutkimuksessa haastateltiin reuma- ja syöpälääkäreitä sekä sairaala-apteekkareita, käytiin läpi kirjallisia dokumentteja osana päätöksentekoa sekä tarkasteltiin biologisiin lääkkeisiin liittyviä kustannuksia. Tutkimuksen keskeiset johtopäätökset ovat seuraavat:

- Hoidollisesti biologiset lääkkeet ovat merkinneet huomattaviakin parannuksia sairauksien hoidossa. Taloudellisesti biologisten lääkkeiden kustannukset ja osuus lääkkeiden kokonaiskustannuksista ovat kasvaneet merkittävästi viime vuosikymmenen aikana. Hoidolliset ja taloudelliset tekijät ovat esillä sekä hallinnollisessa että kliinisessä päätöksenteossa.
- Käyttöönottopäätöksessä arvioidaan uuden lääkkeen asemaa sairauden hoidossa. Päätöksenteossa arvioidaan tutkimustuloksia, tehoa, turvallisuutta, aiempia hoitovaihtoehtoja ja kustannuksia. Käyttöönoton alkuvaiheessa vertailevaa tietoa ja pitkän aikavälin kokemusta ei kuitenkaan ole saatavilla.
- Päätöksenteossa eri yksilöiden, organisaatioiden ja alueiden välillä voi olla eroja. Kansallisille, yhtenäisille linjauksille on tarvetta, jotta hoitokäytännöt olisivat yhdenvertaisia ja hoitoja voitaisiin hallita tulevaisuudessa.
- Lääkkeiden kaksikanavainen rahoitusjärjestelmä ohjaa valitsemaan korvattavia avohoitolääkkeitä sairaalalääkkeiden sijaan lääketieteellisesti hyväksytyissä rajoissa. Kaksikanavaisuus koetaan ongelmallisena.
- Kalliiden lääkkeiden vaikuttavuudesta tarvitaan lisää tietoa. Tämä edellyttää käytön seurantaan pitkällä aikavälillä sekä erityyppisten lääketieteellisten, yhteiskunnallisten ja elämänlaadullisten mittareiden käyttöä tarkasteltaessa lääkkeiden tehoa, turvallisuutta ja asemaa sairauksien hoidon kokonaisuudessa.
- Tulevaisuuden haasteena on etsiä tapoja käyttää kalliita lääkehoitoja yksilöä hyödyttävällä, yhdenvertaisella ja yhteiskunnallisesti kestäväällä tavalla. Päätöksenteossa tarvitaan tietoa lääkkeiden vaikuttavuudesta ja eri osapuolten näkökulmien, arvojen ja intressien huomioimista sekä yhteensovittamista osana päätöksentekoa.

## 14 SUOSITUKSET

Tutkimuksen ja siitä tehtyjen johtopäätösten perusteella voidaan nostaa esille kaksi keskeistä suositusta, joiden avulla voidaan vaikuttaa kalliiden lääkehoitojen järkevään käyttöön tulevaisuudessa.

Vaikuttavuuden tutkimus ja käytön seuranta

Vertailevaa tietoa eri hoitovaihtoehdoista ja hoitojen vaikuttavuudesta pitkällä aikavälillä ei ole saatavilla käyttöönoton alkuvaiheessa. Tällaisella tiedolla olisi kuitenkin paljon merkitystä sekä klinisen että yhteiskunnallisen päätöksenteon tukena.

Jotta tämäntyyppistä tietoa olisi mahdollista käyttää, suositellaan kalliiden lääkkeiden käytön, hoidollisten vaikutusten, turvallisuuden ja kustannusten järjestelmällistä, monipuolista seurantaa. Tämä tulisi toteuttaa pitkällä aikavälillä erityyppisiä lääketieteellisiä, yhteiskunnallisia ja elämänlaadullisia mittareita käyttäen.

Vaikuttavuustieto auttaa arvioimaan eri lääkkeiden asemaa hoitovaihtoehtoina ja osana sairauksien hoidon kokonaisuutta.

Käytön seurannan avulla on myös mahdollista vaikuttaa yhtenäisten ja yhdenvertaisten hoitolinjausten toteutumiseen lääkäreiden, organisaatioiden ja alueiden välillä.

Kalliiden lääkkeiden rahoitusjärjestelmä

Kaksikanavainen rahoitusjärjestelmä ohjaa lääkkeiden valintaa, ja siihen liittyvät ongelmat korostuvat kalliiden lääkkeiden käytössä. Kaksikanavaisuus koetaan yleisesti ongelmallisena.

Kalliiden lääkkeiden rahoitusjärjestelmää tulisi kehittää siten, että järjestelmä tukisi paremmin hyviä hoitokäytäntöjä, yhdenvertaisuutta ja kokonaiskustannusten hallintaa.

## LÄHTEET

A 812/2012. Valtioneuvoston asetus erityistason sairaanhoidon erityisvastuualueista.

Duodecim lääketietokanta. Helsinki: Duodecim, 2014. Saatavissa: <[http://www.terveysportti.fi/terveysportti/dlr\\_laake.koti](http://www.terveysportti.fi/terveysportti/dlr_laake.koti)>. Viitattu 3/2014–11/2014.

EMA. Search for medicines -haku. Lontoo: EMA, 2014. Saatavissa: <<http://www.ema.europa.eu/ema>>. Viitattu 3/2014–11/2014.

FDA. Drugs@FDA Database. Label approved for Avastin on 12/16/2013. BLA 125085. Saatavissa: <[http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/label/2013/125085s285lbl.pdf](http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2013/125085s285lbl.pdf)>. Viitattu 9/2014.

Fimea. Lääkemyyntirekisteri. Helsinki: Fimea, 2014a. [Ei julkisesti saatavilla.]

Fimea. Lääkehaku. Helsinki: Fimea, 2014b. Saatavissa: <[http://www.fimea.fi/laakehaut\\_ ja\\_luettelot/laakehaku](http://www.fimea.fi/laakehaut_ ja_luettelot/laakehaku)>. Viitattu 3/2014–11/2014.

Fimea. Kulustiedot. Helsinki: Fimea, 2014c. Saatavissa: <[http://www.fimea.fi/laakehaut\\_ ja\\_luettelot/kulustiedot](http://www.fimea.fi/laakehaut_ ja_luettelot/kulustiedot)>. Viitattu 9/2014.

GaBI Online. The global biologicals market. Mol: GaBI, 2014. Saatavissa: <<http://www.gabionline.net>>. Viitattu 4/2015.

Hannonen P, Korpela M. Biologiset lääkkeet nivelreuman hoidossa. Milloin, mahdollisuudet, vaarat? Duodecim 2010; 126: 1451–1453.

Hila. Lääkkeiden hintalautakunnan tiedotteet. Saatavissa: <<http://www.stm.fi/stm/neuvottelukunnat/hila/tiedotteet>>. Viitattu 9/2014.

Jacoby A, Smith M, Eccles M. A qualitative study to explore influences on general practitioners' decisions to prescribe new drugs. British Journal of General Practice 2003; 53: 120–125.

Julkunen H. Perinteiset totunnaiset ja biologiset lääkkeet autoimmuunitaudeissa. Erikoislääkäri 2013; 23: 13–19.

Jyrkkiö S, Hietanen P, Kellokumpu-Lehtinen P-L. Hoitoja on annettava oikeudenmukaisesti. Suomen Lääkärilehti 2013; 68: 1623.

Karvonen J. Uudet kalliit lääkkeet hallitusti käyttöön. Suomen Lääkärilehti 2008; 63: 715.

Kataja V. Onko uusi syöpälääke aina hintansa arvoinen? Duodecim 2014; 130: 196–197.

Kela. Tilastotietokanta Kelasto. Helsinki: Kela, 2014a. Saatavissa: <<http://www.kela.fi/kelasto>>. Viitattu 3/2014–11/2014.

Kela. Rajoitetun korvattavuuden alkamisajankohdat ja korvattavuuden edellytyksissä tapahtuneet muutokset lääkeaineittain. Helsinki: Kela, 2014b. Saatavissa: <[http://www.kela.fi/laakkeet-ja-laakekorvaukset\\_rajoitetun-korvattavuuden-alkamisajat](http://www.kela.fi/laakkeet-ja-laakekorvaukset_rajoitetun-korvattavuuden-alkamisajat)>. Viitattu 3/2014–11/2014.

Kuntaliitto. Sairaanhoidopiirit. Helsinki: Kuntaliitto, 2014. Saatavissa: <<http://www.kunnat.net/fi/kunnat/sairaanhoidopiirit/Sivut/default.aspx>>. Viitattu 9/2014.

Käypä hoito. Rintasyövän hoito ja seuranta. Suomalaisen Lääkäriseuran Duodecimin ja Suomen Rintasyöpäryhmä ry:n asettama työryhmä 2007 [Laadittu 1997, päivitetty 2007, poistettu käytöstä 2013]. Saatavissa: <<http://www.terveyskirjasto.fi/xmedia/hoi/hoi25001.pdf>>. Viitattu 9/2014.

Käypä hoito. Keuhkosityöpä. Suomalaisen Lääkäriseuran Duodecimin, Suomen Keuhkolääkäriyhdistys ry:n ja Suomen Onkologiyhdistys ry:n asettama työryhmä 2008 [päivityksessä]. Saatavissa: <<http://www.kaypahoito.fi/web/kh/suosituks>>. Viitattu 9/2014.

Käypä hoito. Nivelreuma. Suomalaisen Lääkäriseuran Duodecimin ja Suomen Reumatologisen yhdistyksen asettama työryhmä 2009 [päivityksessä]. Saatavissa: <<http://www.kaypahoito.fi/web/kh/suosituks>>. Viitattu 9/2014.

Käypä hoito. Munasarjasyöpä. Suomalaisen Lääkäriseuran Duodecimin ja Suomen Gynekologiyhdistyksen asettama työryhmä 2012 [voimassa]. Saatavissa: <<http://www.kaypahoito.fi/web/kh/suosituks>>. Viitattu 9/2014.

Leirisalo-Repo M, Kautiainen H, Laasonen L ym. Infliximab for 6 months added on combination therapy in early rheumatoid arthritis. 2-year results from an investigator-initiated, randomised, double-blind, placebo-controlled study (the NEO-RACo Study). *Annals of the Rheumatic Diseases* 2013; 72: 851–857.

Lilja J. How physicians choose their drugs. *Social Science & Medicine* 1976; 10: 363–365.

Lublóy Á. Factors affecting the uptake of new medicines. A systematic literature review. *BMC Health Services Research* 2014; 14: 469. Saatavissa: <<http://www.biomedcentral.com/bmchealthservres/content>>.

L 395/1987. Lääkelaki.

L 1062/1989. Erikoissairaanhoitolaki.

L 1224/2004. Sairausvakuutuslaki.

Martikainen J. Uusien lääkkeiden markkinoille tulo ja lääkekustannuksiin vaikuttaminen. Helsinki: Kela, Sosiaali- ja terveysturvan tutkimuksia 119, 2012.

Mäkinen H, Rantalaiho V, Pirilä L ym. Miten tuoretta nivelreumaa hoidetaan Suomessa? *Suomen Lääkärelehti* 2013; 68: 2833–2838.

Möttönen T, Hannonen P, Leirisalo-Repo M ym. Comparison of combination therapy with single-drug therapy in early rheumatoid arthritis. A randomised trial. *Lancet* 1999; 353: 1568–1573.

Pekurinen M, Erhola M, Häkkinen U ym. Sosiaali- ja terveydenhuollon monikanavaisen rahoituksen edut, haitat ja kehittämistarpeet. Helsinki: THL, Raportti 4, 2011.

Pietikäinen H. Biologisten reumalääkkeiden kulutus Suomessa. Kuopio: Itä-Suomen yliopisto, 2014.

Prescrire International. Prescrire's ratings of new products and indications over the last 10 years (a). *Prescrire International* 2014; 23: 109.

Prosser H, Almond S, Walley T. Influences on GP's decision to prescribe new drugs. The importance of who says what. *Family Practice* 2003; 20: 61–68.

Puolakka K. Work capacity and productivity costs in early rheumatoid arthritis. A five-year prospective study. Helsinki: University of Helsinki, 2005. Saatavissa: <<http://urn.fi/URN:ISBN:952-10-2700-2>>.

Puolakka K, Leirisalo-Repo M. Varhainen remissio nivelreuman lääkehoidon tavoitteeksi. *Duodecim* 2007; 123: 375–378.

Rintasyövän valtakunnallinen diagnostiikka- ja hoitosuositus 2013. Suomen Rintasyöpäryhmä ry. Saatavissa: <<http://rintasyoparyhma.yhdistysavain.fi>>. Viitattu 9/2014.

Seppälä T, Pekurinen M, toim. Sosiaali- ja terveydenhuollon keskeiset rahavirrat. Helsinki: THL, Raportti 22, 2014.

Soininen M. Voiko syöpälääke olla liian kallis? *Suomen Lääkärilehti* 2014; 69: 1623.

Sokka T, Haugeberg G, Asikainen J ym. Similar clinical outcomes in rheumatoid arthritis with more versus less expensive treatment strategies. Observational data from two rheumatology clinics. *Clinical and Experimental Rheumatology* 2013; 31: 409–414.

Sokka-Isler T. Nivelreuman hoito. Visiosta remissioon. *Sic!-verkkolehti* 2014; (2). Saatavissa: <[http://sic.fimea.fi/etusivu/2\\_2014](http://sic.fimea.fi/etusivu/2_2014)>.

STM. Lääkepolitiikka 2020. Kohti tehokasta, turvallista, tarkoituksenmukaista ja taloudellista lääkkeiden käyttöä. Helsinki: STM, Sosiaali- ja terveysministeriön julkaisu 2, 2011.

STM. Kansallinen syöpäkeskus – Comprehensive Cancer Center Finland (FICAN). Kansallisen syöpäkeskuksen perustamista selvittäneen työryhmän loppuraportti. Helsinki: STM, Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 13, 2014.

Suomen lääketilasto 2013. Helsinki: Fimea ja Kela, 2014. Saatavissa: <<http://www.fimea.fi/laaketieto/julkaisut>>.

Taloussanomat. Kaksi sairasta – kumman syöpähoitoon rahat riittävät? 25.9.2014. Saatavissa: <[http://www.taloussanomat.fi/sivu.php?page\\_id=1?](http://www.taloussanomat.fi/sivu.php?page_id=1?)>. Viitattu 2.10.2014.

Virkki L. A clinical and health economical observational study of anti-tumor necrosis factor therapy in the treatment of rheumatoid arthritis in Finland. Helsinki: University of Helsinki, 2014. Saatavissa: <<http://urn.fi/URN:ISBN:978-951-51-0011-5>>.

## LIITELUETTELO

**Liitetaulukko 1.** Haastatteluissa käsitellyt biologiset lääkkeet reumatautien hoidossa

**Liitetaulukko 2.** Haastatteluissa käsitellyt biologiset lääkkeet syöpätautien hoidossa

**Liitetaulukko 3.** Haastatteluissa käsitellyt ei-biologiset lääkkeet syöpätautien hoidossa

**Liite 1.** Haastattelukysymykset ja teemat ylilääkäreille

**Liite 2.** Haastattelukysymykset ja teemat erikoislääkäreille

**Liite 3.** Haastattelukysymykset ja teemat sairaala-apteekkareille

**Liite 4.** Lääkärien täyttämä kyselylomake

Liitteet 1–4 ovat tämän julkaisun sähköisen version yhteydessä, ks. <http://www.kela.fi/julkaisut-tutkimus>.

**Liitetaulukko 1.** Haastatteluissa käsitellyt biologiset lääkkeet reumatautien hoidossa.

Lääkeaine	Haastatteluissa käytetty kauppanimi	Käyttöaiheet
Infliximabi	Remicade	Nivelreuma Crohnin tauti aikuisilla Crohnin tauti lapsilla Haavainen koliitti aikuisilla Haavainen koliitti lapsilla Selkärankareuma Nivelpsoriaasi Psoriaasi
Etanersepti	Enbrel	Nivelreuma Juveniili idiopaattinen artriitti Psoriaasiartriitti Selkärankareuma Läiskäpsoriaasi Läiskäpsoriaasi lapsilla
Adalimumabi	Humira	Nivelreuma Juveniili idiopaattinen polyartriitti Aksiaalinen spondylartriitti Selkärankareuma Aksiaalinen spondylartriitti ilman radiografista näyttöä selkärankareumasta Nivelpsoriaasi Psoriaasi Crohnin tauti aikuisilla Crohnin tauti lapsilla Ulseratiivinen koliitti
Golimumabi	Simponi	Nivelreuma Nivelpsoriaasi Selkärankareuma Ulseratiivinen koliitti
Sertolitsumabipegoli	Cimzia	Nivelreuma Aksiaalinen spondylartriitti Selkärankareuma Aksiaalinen spondylartriitti ilman radiografista näyttöä selkärankareumasta Nivelpsoriaasi
Rituksimabi	Mabthera	Non-Hodgkin-lymfooma Krooninen lymfaattinen leukemia Granulomatoottinen polyangiitti Mikroskooppinen polyangiitti Nivelreuma
Anakinra	Kineret	Nivelreuma
Abatasepti	Orencia	Nivelreuma Juveniili idiopaattinen polyartriitti
Tosilitsumabi	Roactemra	Nivelreuma Lastenreuma Lasten polyartriitti

Lähde: Duodecim lääketietokanta, viitattu 8/2014.



**Liitetaulukko 2.** Haastatteluissa käsitellyt biologiset lääkkeet syöpätautien hoidossa.

Lääkeaine	Haastatteluissa käytetty kauppanimi	Käyttöaiheet
Rituksimabi	Mabthera	Non-Hodgkin-lymfooma Krooninen lymfaattinen leukemia Granulomatoottinen polyangiitti Mikroskooppinen polyangiitti Nivelreuma
Trastutsumabi	Herceptin	Rintasyöpä Mahasyöpä
Setuksimabi	Erbitux	Kolorektaalisyöpä
Bevasitsumabi	Avastin	Kolorektaalisyöpä Rintasyöpä Ei-pienisolainen keuhkisyöpä Munuaissyöpä Epiteliaalinen munasarjasyöpä Munanjohtimen syöpä Primaari peritoneaalinen syöpä
Panitumumabi	Vectibix	Kolorektaalisyöpä
Katumaksomabi	Removab	Malignin askitekseen intraperitoneaalinen hoito
Ofatumumabi	Arzerra	Krooninen lymfaattinen leukemia
Denosumabi	Prolia, Xgeva	Osteoporoosi Eturauhassyövän hormonihoitoon liittyvän luun haurastumisen hoito Luustotapahtumien ehkäisy potilailla, joilla on kiinteiden kasvainten luustoetäpesäkkeitä
Ipilimumabi	Yervoy	Melanooma
Pertutsumabi	Perjeta	Rintasyöpä

Lähde: Duodecim lääketietokanta, viitattu 8/2014.

**Liitetaulukko 3.** Haastatteluissa käsitellyt ei-biologiset lääkkeet syöpätautien hoidossa.

Lääkeaine	Haastatteluissa käytetty kauppanimi	Käyttöaiheet
Imatinibi	Glivec	Krooninen myeloinen leukemia Akuutti lymfaattinen leukemia Myelodysplastinen oireyhtymä Myeloproliferatiivinen sairaus Hypereosinofiilinen oireyhtymä Krooninen eosinofiilinen leukemia GIST (ruuansulatuskanavan stroomakasvain) Dermatofibrosarcoma protuberans
Erlotinibi	Tarceva	Ei-pienisolainen keuhkosityöpä Haimasyöpä
Sorafenibi	Nexavar	Hepatosellulaarinen karsinooma Munuaissyöpä Eriäistunut kilpirauhaskarsinooma
Sunitinibi	Sutent	GIST (ruuansulatuskanavan stroomakasvain) Munuaissolukarsinooma Haiman neuroendokriiniset kasvaimet
Dasatinibi	Sprycel	Krooninen myeloinen leukemia Akuutti lymfaattinen leukemia
Nilotinibi	Tasigna	Krooninen myeloinen leukemia
Lapatinibi	Tyverb	Rintasyöpä
Gefitinibi	Iressa	Ei-pienisolainen keuhkosityöpä
Patsopanibi	Votrient	Munuaissyöpä Pehmytkudossarkooma
Vandetanibi	Caprelsa	Medullaarinen kilpirauhaskarsinooma
Vemurafenibi	Zelboraf	Melanooma
Ruksolitinibi	Jakavi	Myelofibroosi, splenomegalia
Aksitinibi	Inlyta	Munuaissolukarsinooma
Kritsotinibi	Xalkori	Ei-pienisolainen keuhkosityöpä

Lähde: Duodecim lääketietokanta, viitattu 8/2014.

## VIIMEISIMMÄT KELAN SOSIAALI- JA TERVEYSTURVAN TUTKIMUKSET

- 141 Seppänen-Järvelä R, Syrjä V, Juvonen-Posti P, Pesonen S, Laaksonen M, Tuusa M, Savinainen M, Henriksson M.** Yhteistoimintaa ja yksilöllisiä valintoja kuntoutumisen polulla. Kelan työhönkuntoutuksen kehittämishankkeen tapaustutkimus. 2015. 200 s. ISBN 978-951-669-991-5 (nid.), 978-951-669-992-2 (pdf).
- 140 Pyöriä O, Reunanen M, Nyrkkö H, Kautiainen H, Pieninkeroinen I, Tapiola T, Lohikoski P.** Aktiivisuutta ja osallistumista tukeva fysioterapia aivoverenkiertohäiriöön sairastuneiden alkuvaiheen kuntoutuksessa. Satunnaistettu seurantatutkimus. 2015. ISBN 978-951-669-989-2 (nid.), ISBN 978-951-669-990-8 (pdf).
- 139 Seppänen-Järvelä R, Aalto A-M, Juvonen-Posti P, Laaksonen M, Tuusa M.** Yksilöllisesti räätälöity ja työhön kytketty. Kelan työhönkuntoutuksen kehittämishankkeen arviointitutkimus. 2015. ISBN 978-951-669-985-4 (nid.), ISBN 978-951-669-986-1 (pdf).
- 138 Tuulio-Henriksson A, Appelqvist-Schmidlechner K, Salmelainen U.** AMI-kuntoutus. Ryhmäpainotteinen kuntoutusmalli työelämässä oleville masennuskuntoutujille. 2015. ISBN 978-951-669-983-0 (nid.), ISBN 978-951-669-984-7 (pdf).
- 137 Paltamaa J, Perttinen P, toim.** Toimintakyvyn arviointi. ICF teoriasta käytäntöön. 2015. ISBN 978-951-669-979-3 (nid.), ISBN 978-951-980-9 (pdf).
- 136 Hirvilampi T.** Kestävän hyvinvoinnin jäljillä. Ekologisten kysymysten integroiminen hyvinvointitutkimukseen. 2015. ISBN 978-951-669-970-0 (nid.), ISBN 978-951-669-971-7 (pdf).
- 135 Hakala P, Toikka T, Paturi M, Autti-Rämö I.** Ravitsemuskuntoutuksen toteutuminen Kelan järjestämillä kuntoutuskursseilla. 2015. ISBN 978-951-669-966-3 (nid.), ISBN 978-951-669-967-0 (pdf).
- 134 Hinkka K, Aalto L, Toikka T.** Uudenlaiseen Kelan työhönkuntoutukseen? Viiden kuntoutusmallin arvioinnin tuloksia. 2015. ISBN 978-951-669-964-9 (nid.), ISBN 978-951-669-965-6 (pdf).
- 133 Ekholm E, Teittinen A.** Vammaiset nuoret ja työntekijäkansalaisuus. Osallistumisen esteitä ja edellytyksiä. 2014. ISBN 978-951-669-951-9 (nid.), ISBN 978-951-669-952-6 (pdf).