

Uusien sairaalalääkkeiden hallitun käyttöönoton sopimukset – maksajan näkökulma

Minna Ajosenpää*

proviisori

Varsinais-Suomen lääkehuolto

Tyks sairaala-apteekki

minna.ajosenpaa@tyks.fi

Risto Huupponen

kliinisen farmakologian ja lääkehoidon professori (emeritus)

kliininen farmakologia

Turun yliopisto

Varsinais-Suomen lääkehuolto

Miia Turpeinen

tutkimus- ja arviointiyli lääkäri

Oulun yliopistollinen sairaala

professori

Oulun yliopisto

Piia Rannanheimo

lääketaloustieteilijä, proviisori

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea

*Kirjeenvaihto

Tiivistelmä

Johdanto

Markkinoille tulevien uusien lääkkeiden hinnat haastavat terveydenhuoltojärjestelmän taloudellisen kantokyvyn. Uuden lääkkeen käyttöönottoon liittyy aina epävarmuutta, kun lääkkeen käyttö siirtyy tutkimusolosuhteista todelliseen elämään. Haasteita on pyritty ratkomaan sairaanhoitopiireissä niin sanotuilla hallitun käyttöönoton sopimuksilla. Ne ovat maailmalla yleisiä ja ovat todennäköisesti yleistymässä myös Suomessa. Tämän tutkimuksen tavoitteena oli kartoittaa sopimusten nykytilannetta Suomessa, tutkia sopimukseen liittyviä maksajapuolen näkemyksiä ja tunnistaa käytännön toteutukseen liittyviä maksajapuolen tarpeita.

Menetelmät

Tutkimus toteutettiin anonyyminä kyselytutkimuksena elokuussa 2020. Kysely sisälsi sekä avoimia että strukturoituja kysymyksiä. Kohderyhmänä oli uusien kalliiden sairaalalääkkeiden käyttöönottopäätöksiin osallistuvat ammattihenkilöt Suomen yliopistosairaanhoitopiireissä. Strukturoituihin kysymyksiin saadut vastaukset koottiin aineistoa kuvaileviksi lukumäärätiedoiksi ja prosenttiosuuksiksi. Avoimiin kysymyksiin saadut vastaukset käsiteltiin soveltamalla aineistolähtöistä sisällönanalyysiä ja kvantifiointia.

Tulokset

Hallitun käyttöönoton sopimus oli käsitteenä tuttu lähes kaikille vastaajille (n = 29). Useita sopimuksia oli vastaushetkellä yliopistosairaanhoitopiireissä voimassa. Osa sopimuksista oli taloudellisia sopimuksia ja osa vaikuttavuusperusteisia sopimuksia. Eniten sopimuksia oli solmittu liittyen syöpälääkkeisiin ja immuunivasteen muuntajiin (ATC-ryhmä L). Sairaanhoitopiireissä tarvitaan sopimukseen liittyen erityistä osaamista, asiantuntijapanosta ja resursseja. Erityisesti juridisen osaamisen tarve korostui. Riskinjakosopimusten hyötynä mainittiin useimmin kustannussäästöt sekä kustannusriskin jakaminen lääkeyrityksen ja lääkettä käyttävän organisaation välillä. Negatiivisina asioina useimmin mainittiin sopimuksista maksajapuolelle aiheutuva lisätyö, sekä hintojen luottamuksellisuus ja siitä johtuva läpinäkyvyyden puute. Suurin osa vastaajista kannatti riskinjakosopimusten solmimista kansallisella tasolla pääasiassa potilaiden alueellisen tasa-arvoisuuden vuoksi. Vastaajista suurin osa piti terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston suosituksia hyödyllisinä riskinjakosopimuksista neuvoteltaessa.

Johtopäätökset

Uusien lääkkeiden riskinjakosopimukset ovat Suomessa sairaalapuolella jo arkipäivää. Parhaimmillaan sopimukset voivat hyödyttää kumpaakin osapuolta uusien kalliiden sairaalalääkkeiden käyttöönottoon liittyvän epävarmuuden hallinnassa, mutta maksajapuolen näkökulmasta sopimukseen liittyy myös monia haasteita. Sopimusneuvottelujen kehittäminen kansalliseen suuntaan on oikea tie, mutta maksajapuolen asemaa tulisi vahvistaa myös muilla tavoin. Sopimusten luottamuksellisuutta tulisi höllentää. Maksajapuolella tulisi varmistaa sopimusten hallintaan liittyvät riittävät resurssit, lisätä tavoitteellisuutta ja strategista otetta sekä kehittää tietojärjestelmiä ja tiedonhallintaa. Lisätutkimusta tarvitaan maksajapuolen näkökulmasta sopimusten todellisista hyödyistä ja tavoitteiden täyttymisestä sekä niiden suhteesta sopimusten vaatimiin resursseihin, jotta maksajapuolen resursseja voidaan kohdentaa saavutettavissa olevien hyötyjen kannalta tehokkaasti.

Avainsanat

riskinjakosopimus, hallittu käyttöönotto, sairaalalääkkeet, lääkekustannukset

Johdanto

Markkinoille tulevien uusien lääkkeiden hinnat haastavat terveydenhuoltojärjestelmän taloudellisen kantokyvyn (WHO 2020). Huolena on, ettei uusia lääkeinnovaatioita saada potilaiden käyttöön niiden hinnan takia, vaikka ne olisivat tehokkaita ja turvallisia. Uuden kalliin valmisteen käyttöönotto saattaa yhteiskunnan rajallisten resurssien vuoksi myös tarkoittaa luopumista jostain muusta väestötasolla huomattavasti enemmän terveyshyötyä tuottavasta hoidosta tai toiminnasta.

Uuden markkinoille tulleen lääkkeen käyttöönottoon liittyy aina epävarmuutta, kun lääkkeen käyttö siirtyy tutkimusolosuhteista todelliseen elämään. Nykyään osa lääkkeistä pääsee markkinoille entistä aikaisemmassa vaiheessa Euroopan lääkeviraston nopeutettujen tai ehdollisten myyntilupamenettelyjen johdosta (sosiaali- ja terveysministeriö 2019). Tämän vuoksi käyttöönottopäätöksiä tehdään yhä rajallisemman näytön perusteella ja ilman riittävän kattavaa tietoa hoidollisista ja taloudellisista vaikutuksista.

Sairaalalääkkeillä tarkoitetaan pääasiallisesti julkisen terveydenhuollon sairaaloissa käytettäviä lääkkeitä, joiden pääasiallinen ostaja Suomessa on sairaala ja joiden käyttö tai käyttökuntoon saattaminen edellyttää yleensä sairaalamaisia olosuhteita (Fimea 2018). Uusien sairaalalääkkeiden käyttöönottopäätökset ja käyttölinjaukset tehdään Suomessa tällä hetkellä sairaanhoitopiiri- tai erityisvastuualuekohtaisesti (sosiaali- ja terveysministeriö 2019). Uusien lääkkeiden käyttöönottopäätöksiä tukevat Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimean tekemät kansallisen tason arvioinnit uusien sairaalalääkkeiden hoidollisesta ja taloudellisesta arvosta (Fimea 2018) sekä niiden pohjalta terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston (Palko) antamat kansalliset suositukset siitä, mitkä hoidot kuuluvat julkisen terveydenhuollon sairaaloissa annettavaan hoitoon Suomessa. Erityisesti hinnaltaan kalliiden uusien lääkkeiden kohdalla käyttöönottomennettelyjä on pyritty yhtenäistämään eri sairaanhoitopiirien välillä (Bono ym. 2018).

Uusien kalliiden lääkkeiden käyttöönottoon liittyvän epävarmuuden ja korkeiden kustannusten hallintaan on maailmalla solmittu niin sanottuja hallitun käyttöönoton sopimuksia (= managed entry agreement, MEA; Carlson ym. 2017, Wenzl ja Chapman 2019). Hallitun käyttöönoton sopimukset ovat lääkeyritysten ja maksavan tahon välisiä, erikseen neuvoteltavia sopimuksia, jotka mahdollistavat valmisteen korvaamisen aikaisemmassa vaiheessa ja huomioivat hoidon vaikutuksiin, kustannusvaikutavuuteen tai budjettivaikutuksiin liittyvää epävarmuutta tai auttavat lääkkeen käytön hallinnassa muuten. Kyseisistä sopimuksista käytetään myös lukuisia muita nimityksiä, kuten esimerkiksi riskinjakomallit tai -sopimukset (risk-sharing agreements; Stafinski ym. 2010, Antonanzas ym. 2019).

Sopimukset jaetaan usein kahteen päätyyppiin: 1) taloudelliset sopimukset (financial agreements), jotka eivät perustu hoidon (loppu)tulokseen, ja 2) vaikuttavuusperusteiset sopimukset (performance-based agreements), jotka perustuvat hoidon (loppu)tulokseen (Carlson ym. 2010, Wenzl ja Chapman 2019). Myös muunlaisia luokitteluja käytetään (Vreman ym. 2020).

Hallitun käyttöönoton sopimuksia hyödynnetään Euroopassa laajasti (Ferrario ym. 2017, Wenzl ja Chapman 2019). Sopimusten merkityksen on arvioitu edelleen laajenevan (Antonanzas ym. 2019). Toisaalta niihin liittyy myös haasteita: läpinäkyvyyden puute (Ferrario ym. 2017) ja erityisesti vaikuttavuusperusteisten sopimusten aiheuttama lisätyö (Bouvy ym. 2018). Arvioita sopimusten todellisista vaikutuksista lääkkeiden edulliseen saavutettavuuteen ei myöskään juuri ole (Vogler ym. 2017, Wenzl ja Chapman 2019).

Hallitun käyttöönoton sopimukset ovat yleistymässä myös Suomessa (Pelkonen ym. 2017). Lääkkeiden hintalautakunta (Hila) on vuoden 2017 alusta solminut useita taloudellisia sopimuksia (www.hila.fi/luettelot/ehdollinen-korvattavuus/). Sairaalalääkkeiden osalta sairaanhoitopiirit ovat tehneet hallitun käyttöönoton sopimuksia (Honkanen ym. 2019). Mielenkiintoa näihin sopimuksiin sairaaloissa lisää se, että suuri osa Palkon antamista suosituksista edellyttää sairaanhoitopiirien neuvottelemaa alennusta lääkkeen listahinnasta. Yhtenä esimerkkinä tästä on maaliskuussa 2020 annettu suositus atetsolitsumabin käytöstä paklitakselialbumiinin kanssa kolmoisnegatiivisen rintasyövän hoidossa (Palko 2020).

Tutkimuksia ulkomaisista hallitun käyttöönoton sopimuksista on saatavilla, mutta kotimaista tutkimustietoa on vasta vähän. Sopimusten yleistyessä Suomessa tarvitaan lisää niihin liittyvää tutkimustietoa, erityisesti suomalaisen julkisesti rahoitetun terveydenhuoltojärjestelmän näkökulmasta.

Tämän tutkimuksen tavoitteina olivat: 1) kartoittaa hallitun käyttöönoton sopimusten nykytilannetta Suomen yliopistosairaanhoitopiireissä, 2) tutkia lääkehoidon maksajan näkemyksiä hallitun käyttöönoton sopimusten eduista ja haitoista sekä niiden hyödynnettävyydestä ja merkityksestä uusien sairaalalääkkeiden käyttöönoton arvioinneissa ja käyttöönottopäätöksissä Suomen yliopistosairaanhoitopiireissä ja 3) tunnistaa hallitun käyttöönoton sopimusten käytännön toteutukseen liittyviä maksajapuolen tarpeita esimerkiksi osaamiseen, resursseihin ja toiminnan organisointiin liittyen.

Aineisto ja menetelmät

Määrittely

Hallitun käyttöönoton sopimuksilla/riskinjakosopimuksilla (jatkossa: riskinjakosopimuksilla) tarkoitetaan tässä tutkimuksessa lääkeyrityksen ja maksavan tahon (esim. sairaanhoitopiiri, erityisvastuualue) välisiä, erikseen neuvoteltavia sopimuksia, joilla pyritään edistämään uusien lääkkeiden käyttöönottoa hillitsemällä kustannuksia ja/tai vähentämällä käyttöönottoon liittyvää epävarmuutta.

Sopimukset jaettiin tässä tutkimuksessa 1) taloudellisiin sopimuksiin ja 2) vaikuttavuusperusteisiin sopimuksiin. Ensimmäiseen ryhmään kuuluvia ovat esimerkiksi suorat alennukset, ilmaiset aloituspakkaukset, kustannuskatot ja muut järjestelyt, jotka eivät ole riippuvaisia hoidon tuloksista. Jälkimmäiseen ryhmään kuuluvien sopimusten sisältö on sidottu hoidon tuloksiin niin, että sopimuksessa sovittu hinnanalennus riippuu tavalla tai toisella hoidon (loppu)tuloksista, esimerkiksi jälkikäteinen hyvitys, ellei lääke tehoa odotetusti.

Kohderyhmä

Tutkimuksen kohderyhmänä oli uusien kalliiden sairaalalääkkeiden käyttöönottopäätöksiin osallistuvat ammattihenkilöt Suomen yliopistosairaanhoitopiireissä. Kutsu osallistua verkkokyselyyn lähetettiin sähköpostitse yliopistosairaanhoitopiirien sairaala-apteekkareille, sairaala-apteekeissa lääkehankintapäätöksiä valmisteleville proviisoreille ja farmaseuteille, lääkeneuvottelukuntien/lääketyöryhmien jäsenille, arviointiylilääkäreille, johtaville lääkäreille, syöpätautien, hematologian, neurologian ja lastentautien yksiköissä uusia kalliita sairaalalääkkeitä määrääville lääkäreille, infektioylilääkäreille sekä sairaanhoitopiirien hankintalakimiehille. Tutkittavien nimet kerättiin sairaanhoitopiirien verkkosivuilta tai sairaanhoitopiirien lääkehuoltoyksiköistä tiedustelemalla. Yksiköiden toimialajohtajia ja/tai ylilääkäreitä pyydettiin myös välittämään kutsua edelleen omissa yksiköissään kaikille tutkimuksen kohderyhmään kuuluville henkilöille.

Tutkimukseen kutsun saaneita henkilöitä pyydettiin osana kyselyä ilmoittamaan, mikäli joku uusien kalliiden sairaalalääkkeiden käyttöönotossa mukana oleva oleellinen sidosryhmä tai yksittäinen henkilö puuttui tutkittavien joukosta. Tällä menettelyllä pyrittiin varmistamaan, että tutkimus tavoitti kaikki asiaan kuuluvat. Vastausten perusteella kutsu tutkimukseen lähetettiin vielä sisätautien, gastroenterologian ja naistentautien yksiköihin sekä sairaanhoitopiirien johtajille ja heitä pyydettiin tässäkin yhteydessä välittämään kutsua edelleen.

Tutkimuskysymykset ja pilotointi

Tutkimuskysymykset oli jaettu kahteen osioon, joista kumpikin sisälsi sekä monivalintakysymyksiä että avoimia kysymyksiä. Osiossa 1 esitettiin riskinjakosopimusten määrään, laatuun ja resurssitarpeisiin liittyviä kysymyksiä. Niihin pyydettiin vastaukset vain sairaala-apteekkareilta, koska lääkkeiden hankinnat on sairaanhoitopiireissä keskitetty sairaala-apteekeille (Läkelaki 34§). Osion 2 kysymyksissä kysyttiin mielipiteitä ja näkemyksiä riskinjakosopimuksista ja niihin pyydettiin vastauksia kaikilta kohderyhmään kuuluvilta henkilöiltä, mukaan lukien sairaala-apteekkarit. Tutkimuskysymykset ovat **Liitteessä 1**.

Kysely pilotoitiin kolmella sairaalafarmasian tai lääketieteen ammattilaisella. Pilotointiin osallistuneet henkilöt eivät kuuluneet tutkimuksen lopulliseen kohdejoukkoon, mutta muistuttivat työtehtäviltään kohdejoukkoon kuuluvia henkilöitä. Tutkimuskysymyksiä muokattiin saatujen palautteiden pohjalta ennen niiden lähettämistä tutkimuksen kohdejoukolle.

Tutkimuksen toteutus

Tutkimus toteutettiin Webropol-kyselynä. Aineisto kerättiin elokuussa 2020. Tarvittavat tutkimusluvut oli haettu ja saatu kustakin yliopistosairaanhoidopiiristä. Kyselyyn vastaaminen tapahtui anonyymisti. Taustatietoina kysyttiin, missä sairaanhoidopiirissä vastaaja työskentelee ja mikä on hänen roolinsa uusien kalliiden lääkkeiden käyttöönottopäätöksissä. Vastausajan (kolme viikkoa) puolivälissä kohderyhmälle lähetettiin muistutusviesti. Strukturoituihin kysymyksiin saadut vastaukset koottiin aineistoa kuvaileviksi lukumäärätiedoiksi ja prosenttiosuuksiksi. Avoimiin kysymyksiin saadut vastaukset käsiteltiin soveltamalla aineistolähtöistä sisällönanalyysiä ja kvantifiointia (Tuomi ja Sarajarvi 2018).

Tulokset

Vastaajat

Kyselyyn vastasi yhteensä 29 eri henkilöä. Jokaisesta yliopistosairaanhoidopiiristä saatiin ainakin yksi vastaus (**Taulukko 1**). Lähes kaikista kohderyhmään kuuluvista henkilöryhmistä saatiin yksi tai useampi vastaus (**Taulukko 2**). Vastaajista seitsemän henkilöä ilmoitti itsellään olevan kaksi tai useampia rooleja uusien kalliiden lääkkeiden käyttöönottopäätöksissä, esimerkiksi niin, että toimialajohtaja/ylilääkäri/erikoislääkäri on jäsenenä myös lääkeneuvottelukunnassa/lääketyöryhmässä. Sairaanhoidopiirin johtajilta, johtajaylilääkäreiltä, infektioylilääkäreiltä tai sisätautien, gastroenterologian tai naistentautien yksiköiden lääkäreiltä ei saatu kyselyssä yhtään vastausta.

Vastaajista suurin osa (55 %) oli lääkäreitä. Sairaala-apteekin edustajien (sis. sairaala-apteekkarit, proviisorit ja farmaseutit) osuus kaikista vastaajista oli 24 %. Heistä kolme (3) vastaajaa oli sairaala-apteekkeita. Näin ollen sopimusten määrään, laatuun ja resurssitarpeisiin liittyviin kysymyksiin vastasi kolme Suomen viidestä yliopistosairaanhoidopiiristä.

Taulukko 1. Vastaajien jakautuminen eri yliopistosairaanhoidopiirien kesken.

Sairaanhoidopiiri	Vastaajien lukumäärä	Vastaajien osuus (%) kaikista vastaajista (n = 29)
Helsingin ja Uudenmaan sairaanhoidopiiri	1	3,5
Pirkanmaan sairaanhoidopiiri	5	17,2
Pohjois-Pohjanmaan sairaanhoidopiiri	7	24,1
Pohjois-Savon sairaanhoidopiiri	5	17,2
Varsinais-Suomen sairaanhoidopiiri	11	37,9
Yhteensä	29	100

Taulukko 2. Vastaajien roolit^a uusien kalliiden lääkkeiden käyttöönottopäätöksissä.

Rooli	Vastaajien lukumäärä
Sairaala-apteekkari	3
Lääkeneuvottelukunnan/lääketyöryhmän puheenjohtaja tai varapuheenjohtaja	1
Lääkeneuvottelukunnan/lääketyöryhmän sihteeri	2
Lääkeneuvottelukunnan/lääketyöryhmän muu jäsen	8
Arviointiyli lääkäri	2
Syöpätautien toimialajohtaja tai ylilääkäri ja/tai syöpätautien erikoislääkäri	7
Hematologian toimialajohtaja tai ylilääkäri ja/tai hematologian erikoislääkäri	6
Neurologian toimialajohtaja tai ylilääkäri ja/tai neurologian erikoislääkäri	2
Lastentautien toimialajohtaja tai ylilääkäri ja/tai lastentautien erikoislääkäri	1
Lääkehankintoja valmisteleva proviisori tai farmaseutti	5
(Hankinta)lakimies	2

^a Vastaajista (n = 29) seitsemän henkilöä ilmoitti itsellään olevan kaksi tai useampia rooleja uusien kalliiden lääkkeiden käyttöönottopäätöksissä.

Sopimusten nykytilanne

Käsite ”hallitun käyttöönoton sopimus / riskinjakosopimus” oli tuttu lähes kaikille vastaajille (93 %). Yli puolet vastaajista (63 %) oli käynyt omassa työssään sopimukseen liittyviä keskusteluja ja/tai neuvotteluja viimeisen vuoden aikana oman organisaation sisällä ja/tai lääkeyritysten kanssa. Kyselyn osioon 1 saatujen kolmen sairaala-apteekkarin vastauksen perusteella useita sopimuksia oli vastaushetkellä voimassa kaikissa kolmessa yliopistosairaanhoidopiirissä. Osa sopimuksista oli hoidon (loppu)tuloksiin perustuvia (**Taulukko 3**).

Taulukko 3. Tietoja riskinjakosopimuksista kolmessa (3) Suomen yliopistosairaanhoidopiirissä.

Kysymys	Shp 1	Shp 2	Shp 3
Onko sairaalassanne solmittu riskinjakosopimuksia?	Kyllä	Kyllä	Kyllä
Kaikki sopimukset yhteensä (kpl, sis. jo rauenneet)	16–20	11–15	16–20
Ensimmäinen solmittu (kk/vv)	09/2017	08/2018	Ei tiedossa
Viimeisin solmittu (kk/vv)	07/2020	07/2020	07/2020
Vastaushetkellä voimassa olevat sopimukset (kpl)	6–10	11–15	6–10
Sopimuksen sisältö luottamuksellinen (%)	80–99 %	60–80 %	100 %
Hoidon (loppu)tulokseen perustuvia kaikista sopimuksista (%)	0–20 %	40–60 %	Ei vastausta
Hoidon (loppu)tulokseen perustuvia vastaushetkellä voimassa olevista (%)	0–20 %	40–60 %	60–80 %
Vuotuinen arvioitu säästö (€)	500 000–1 milj.	500 000–1 milj.	50 000–100 000

Sopimuksista eniten, eli keskimäärin yli puolet, oli solmittu ATC-ryhmässä L (syöpälääkkeet ja immuunivasteen muuntajat). L-ryhmään kuuluvien sopimusten osuus vaihteli kolmanneksesta kahteen kolmannekseen, sairaanhoitopiirittäiset osuudet olivat 66 % (Shp1), 30 % (Shp2) ja 67 % (Shp3).

Kaikissa kolmessa vastanneessa yliopistosairaanhoitopiirissä on joskus kieltäydytty riskinjakosopimuksen solmimisesta. Syyksi kieltäytymiselle mainittiin, että sopimusta ei nähty tarpeelliseksi ja/tai rahallinen hyöty arvioitiin pieneksi. Yksi kolmesta vastaajasta mainitsi syyksi, että ei ollut resursseja sopimuksen mahdollisesti vaatimaan ylimääräiseen työhön.

Edut, haitat, hyödynnettävyys ja merkitys

Riskinjakosopimusten hyötynä mainittiin useimmin kustannussäästöt (**Taulukko 4**) sekä kustannusriskin jakaminen lääkeyrityksen ja lääkettä käyttävän organisaation välillä, jolloin uusien hoitojen aloittamiseen liittyvä taloudellinen riski on sairaanhoitopiirille pienempi. Riskinjakosopimusten avulla voidaan vastaajien mukaan myös tarjota potilaille sellaista hoitoa, jota ei muuten voitaisi antaa, ja mahdollisesti myös saada uudet lääkkeet nopeammin käyttöön.

Myös sopimusten hyödynnettävyyttä arvioitaessa esille nousivat edellä kuvatun kaltaiset seikat: korkeiden lääkekustannusten hillintä ja tarve saada uusia lääkkeitä potilaiden käyttöön (**Taulukko 5**). Sopimusten hyödyntämistä helpottavina seikkoina nähtiin erityisesti TamroLink-tyyppiset järjestelmät, joiden avulla voidaan kootusti raportoida sopimuksissa sovittuja tietoja lääkeyrityksille, sekä toimiva yhteistyö ja keskustelu sairaalan sisällä kliinisten asiantuntijoiden, sairaalan johdon, juristien ja sairaala-apteekin välillä. Usea vastaaja mainitsi helpottavina seikkoina myös kansalliset hoitolinjaukset ja kansallisen sopimisen sekä sopimusten toteutuksen helppouden arjessa.

Taulukko 4. Riskinjakosopimusten hyödyt.

Hyöty	Vastausten määrä	Esimerkkejä vastauksista
Kustannussäästöt	18	"Kalliita lääkkeitä saadaan halvemmalla kokonaishinnalla."
(Kustannus)riskin jakaminen lääkeyrityksen ja lääkettä käyttävän organisaation välillä	10	"Tällä mallilla lääkkeiden kustannuksiin ja vaikuttavuuteen liittyvää epävarmuutta voidaan jakaa ja hallita tavalla, joka tyydyttää molempia osapuolia."
Uusien kalliiden lääkkeiden käytön mahdollistaminen	8	"Lääkkeen käytön mahdollistaminen, rahat ei riitä kaikkeen."
Uudet hoidot potilaiden saataville nopeammin	5	"Uusia, kalliita lääkkeitä saadaan nopeammin käyttöön."
Kokemuksen saaminen uudesta lääkkeestä	2	"Mahdollisuus saada kokemusta uusista hoitomuodoista."

Taulukko 5. Mitkä seikat helpottavat, mahdollistavat tai vaativat riskinjakosopimusten hyödyntämistä?

Riskinjakosopimusten hyödyntämistä helpottava, mahdollistava tai vaativa seikka	Vastausten määrä	Esimerkkejä vastauksista

TamroLink-tyyppiset järjestelmät	6	"Käytännössä vaaditaan esim. TamroLink tai vastaava, jolla voidaan hallita sopimuksia ja maksujen palautuksia. Manuaalinen toiminta ei ole enää mahdollista."
Maksajapuolen toimijoiden hyvä yhteistyö, avoin keskustelu, selkeät menettelyt	5	"Avoin keskustelu ja yhteistyö osapuolten välillä liittyen uusien valmisteiden/hoitomuotojen arviointiin ja mahd käyttöönottoon. Olemassa oleva talon sisäinen malli uusien sopimusten luomiseksi. Selkeä ohjeistus osapuolten välillä missä tilanteissa riskinjakomallia kannattaa lähteä suunnittelemaan."
Kustannuksia pyrittävä hillitsemään	4	"Lääkekustannukset ovat korkeita ja kaikkia keinoja hintojen laskemiseksi pitäisi pohtia. Riskinjakomalli on yksi tapa reagoida kustannuspaineeseen."
Tarve saada uusia lääkkeitä potilaiden käyttöön	3	"Yksittäisten potilaiden hoito voi olla hyvin kallista, jolloin edellytys kalliin lääkkeen aloitukselle riskinjakosopimus."
Kansalliset neuvottelut ja linjaukset	3	"Tilannetta voisi helpottaa, jos sopimuksia tehtäisiin ammattimaisesti kansallisella tasolla tai ainakin hankintarenkaissa."
Toteutuksen helppous arjessa	3	"Tärkeää myös, että riskinjakomallin käytännön toteutus riittävän helppoa arjessa."
Muut	4	Tavoitteet ja seuranta, osastofarmaseutti, lainsäädännön joustavuus, koulutus

Riskinjakosopimusten haitat, riskit ja hyödyntämistä heikentävät tekijät on esitetty kootusti **Taulukossa 6**. Useimmin tässä yhteydessä mainittiin sopimuksista maksajapuolelle aiheutuva lisätyö sekä hintojen luottamuksellisuus ja siitä johtuva läpinäkyvyyden puute. Salattujen hintojen nähtiin muun muassa olevan ristiriidassa viranomaistyön avoimuuden ja läpinäkyvyyden kanssa ja hintojen salauksen nähtiin myös heikentävän hintojen vertailumahdollisuuksia esimerkiksi eri sairaanhoitopiirien kesken. Sopimusten nähtiin aiheuttavan sairaaloille lisätyötä useassa vaiheessa: neuvottelut ovat usein pitkiä ja työläitä, ja sopimusten voimassa ollessa niihin liittyy usein erillistä raportointi- ja laskutustyötä sairaalassa, mihin puolestaan voi liittyä erilaisia käytännön haasteita. Riskinä on turha työ ilman merkittävää hyötyä.

Taulukko 6. Riskinjakosopimusten haitat, riskit ja niiden hyödyntämistä heikentävät tekijät.

Haitta, riski tai hyödynnettävyyttä heikentävä tekijä	Kommenttien määrä	Esimerkkikommentit
Maksajapuolelle aiheutuva lisätyö	24	"Alennukset pyrkivät olemaan aika vähäisiä, työllistävät runsaasti erilaisten kirjaamisten muodossa." "Sopimusten teko on tavattoman pitkä prosessi ja vaatii rutkasti energiaa." "Suurin riski lienee se, että teetetään turhaa työtä eikä säästöjä synny." "Sopimuksen teko vaatii hirvittävästi työtä, mihin ei kyllä ole varattu yhtään aikaa." "Sopimuksen edellyttämä kirjanpito ja mahdollinen raportointi sekä laskutus on kankeaa, ja edellyttää lisätyötä/resursseja sekä kliniseen lääkehoidon yksikköön että apteekkiin." "Riskinjakosopimusten piiriin kuuluvien potilaiden kirjaamisen muistaminen on ollut ongelmallista."

Sopimusten luottamuksellisuus, salaiset hinnat, läpinäkyvyyden puute	22	<p>"Viranomaisten toiminta perustuu avoimuuteen ja läpinäkyvyyteen. Näihin sopimuksiin taas liittyy yritysten voimakas liikesalaisuuksien salassapito-intressi. Näiden yhteensovittaminen on haastavaa."</p> <p>"Luottamuksellisuus, joka vaikeuttaa valmisteista keskustelua esim. toisten sairaanhoitopiirien kanssa"</p> <p>"Viranomaistoimintaa ja sen kustannuksia tulee voida arvioida läpinäkyvästi ja avoimesti. Salassa pidettäviä sopimuksia tulee hyödyntää siten, että ne eivät perusteettomasti rajoita sen kriittistä arviointia, mihin verorahoja käytetään."</p>
Sopimukset markkinointikeinona, lääkkeiden käytön epätarkoituksenmukainen ohjautuminen	19	<p>"Lääke saattaa saada vääränlaista jalansijaa. Käytön tulee aina perustua näyttöön, ei siihen, että on "helppo" aloittaa kun talousriski laskee."</p> <p>"Verovaraja menee hukkaan kalliisiin syöpähoitoihin, jotka eivät potilaan elinaikaa pidennä eikä elämänlaatua paranna."</p>
Alueellinen epätasa-arvo	7	<p>"Ovatko potilaat tasa-arvoisessa asemassa eri sairaanhoitopiireissä, mikäli päätöksiä käyttöönotosta tehdään näiden perusteella."</p> <p>"Neuvottelut voivat olla hankalia eikä tasa-arvo esim. eri valtioiden välillä toteudu" "Koko Suomen kattavien hoitolinjausten puute"</p>
Yksipuolisuus; hyödyttävät vain teollisuutta	6	<p>"Riskinjakosopimuksen sisältö pitäisi olla tarkkaan mietitty molemmin puolin, jotta tavoitteet saavutettaisiin. Nyt sopimukset olleet enemmän teollisuuden yksipuolisesti määrittelemiä. Sairaaloiden asemaa heikentää se, kun olemme yksittäisinä toimijoina pieniä, jolloin sairaala joutuu "ota tai jätä" tilanteeseen eikä todellista mahdollisuutta vaikuttaa sopimuksen sisältöön ole."</p> <p>"Sairaalalla ei ole ollut mahdollisuutta käytännössä vaikuttaa riskinjakosopimusten sisältöön, ne toimivat periaatteella ota tai jätä. Hyöty voi jäädä hyvin vähäiseksi, sitä ei ole ollenkaan tai sopimuksesta voi olla jopa haittaa."</p>
Sopimusten monimutkaisuus ja monimuotoisuus	6	<p>"Liian monimutkaiset alennuskuviot."</p> <p>"Eri indikaatioille eri hinta erittäin vaikeaa."</p>
Tietosuojariskit, luottamuksellisten tietojen joutuminen väärin käsiin	5	<p>"Riski potilaiden henkilötietojen suojalle"</p> <p>"Riski liikesalaisuuksien paljastumiselle"</p> <p>"Miten huolehditaan tietosuojasta? Riskinjakosopimukseen liittyvä raportointi ja kirjaaminen voi olla henkilötietojen käsittelyä. Onko tähän riittävät perusteet?"</p>
Tietojärjestelmät eivät tue	3	<p>"Viranomaisten tietojärjestelmiä ei ole rakennettu siten, että kustannus- ja hintatietoja käsiteltäisiin salassa pidettävänä"</p> <p>"Sopimusten kautta tulevien hyvitysten palauttaminen oikealle toimintayksikölle haastavaa puutteellisten tietojärjestelmien takia"</p>
Kustannusten ennustamisen ja vertailun vaikeus	3	<p>"Lääkepäättöksiä tehdessä (Palko) vaikea arvioida oikeita kustannuksia"</p>
Osaamisen ja kulttuurin puute	3	<p>"Tiedon puute, osaamisen puute"</p>
Ohituskaista virallisille reiteille	2	<p>"Toisaalta vaarana on, että ne luovat pysyvemmän ohivuodon perusteelliseen arviointiin ja korvausjärjestelmään."</p> <p>"Käytetäänkö lääkekilpailutusten ohituskaistana?"</p>
Riski hintojen nousulle	2	<p>"Johtaako pidemmällä aikavälillä kilpailutettujen lääkkeiden hintojen nousuun?"</p>

Mahdolliset ristiriidat hankintalainsäädännön kanssa	2	<i>"Mahdollinen hankintalainsäädännön rikkominen"</i>
Hankinta- ja tietosuojalainsäädäntö	2	<i>"Tietosuojaa ja julkisia hankintoja koskeva lainsäädäntö"</i>
Rinnakkaistuonti	2	<i>"Rinnakkaistuonti, mahdollisuus poistuu jos rinnakkaistuoja tulee valituksi."</i>
Muut	5	<i>Määräaikaisuus, hankala sovittaa yhteen kilpailutusten kanssa, byrokratia ja ohjeistusten puute, hyötyjen ennakoinnin vaikeus, uusi lääke riski potilaalle</i>

Noin kolmanneksen (10/29) mielestä riskinjakosopimukset eivät laajentaneet sairaalassa hoidon piirin tulevien potilaiden määrää, viisi vastaajaa katsoi sen sijaan sopimusten vaikuttaneen piiriä laajentavasti. Noin puolet vastaajista (14/29) ei osannut arvioida, oliko sopimuksilla ollut potilasvalinnan laajuuteen kohdistuvia vaikutuksia. Viiden vastaajan arvion mukaan riskinjakosopimusten piirissä olevat lääkkeet olisi otettu käyttöön ilman sopimustakin, neljä vastaajaa oli päinvastaista mieltä. Ehkä-vaihtoehtoa kannatti kymmenen vastaajaa, ja yhdeksän vastaajaa ei osannut ottaa tähän asiaan kantaa.

Maksajapuolen osaamis- ja resurssitarpeet sekä toiminnan organisointi

Kyselyyn vastanneiden sairaala-apteekkareiden mukaan riskinjakosopimusneuvotteluihin osallistuu yliopistosairaanhoidopiireissä useita eri asiantuntijoita: sairaala-apteekkarit, sopimuksen kohteena olevan lääkkeen mukaisen erikoisalan lääkärinedustajat, lääkehankintoja valmistelevat proviisorit ja farmaseutit, hankintalakimiehet tai muut lakiasiantuntijat ja sairaalan johtavat lääkärit. Sopimukseen liittyen tarvitaan sairaanhoidopiireissä erityistä osaamista ja resursseja: juridista osaamista, aikaa ja panostusta asiaan, apteekin ja klinikan välistä hyvää yhteistyötä sekä erityisosaamista sopimusten käytäntöön saattamisessa. Erityisesti juridisen osaamisen tarve korostui. Kyselyyn vastanneista sairaala-apteekkareista (n = 3) vain yhden mielestä omassa sairaanhoidopiirissä on riittävästi tarvittavaa osaamista ja resursseja. Yksi sairaala-apteekkareista toivoi erityisesti apteekkiin resursseja sopimusten hallinnointiin ja yksi toivoi sairaanhoidopiiriin erityisesti terveystaloustieteen asiantuntijaa.

Suurin osa (21/28) vastaajista kannatti riskinjakosopimusten solmimista kansallisella tasolla tai tapauksesta riippuen joko kansallisella tai alueellisella tasolla (kolme vastaajaa). Kansallista sopimista perusteltiin useimmiten (17 vastaajaa) potilaiden hoidon alueellisella tasa-arvoisuudella, eli potilailla tulisi olla samanlaiset mahdollisuudet saada hoitoa asuinpaikasta riippumatta. Muita kansallisen tason kohdalla mainittuja perusteluja olivat päällekkäisen työn vähentäminen (kaksi vastaajaa), vahvempi neuvotteluasema (kaksi vastaajaa) ja mahdollisuus käsitellä sopimuksia ylilääkäriverkostoissa (yksi vastaaja). Tapauksesta riippuvaa kansallisen ja alueellisen tason yhdistelmää kannattaneetkin olivat ensisijaisesti kansallisen solmimisen kannalla (tasa-arvoisuus), mutta heidän mukaansa alueelliseen sopimiseen voi olla tarvetta, mikäli lääkettä käytetään vain paikallisesti tai jos lääkkeestä on olemassa jo alueellisia, mahdollisesti toisistaan eroavia hankintasopimuksia. Lisäksi yksi vastaaja mainitsi, että kansallisessa "monopoliratkaisussa" on riskinsä, ja piti sen vuoksi kansallisen ja alueellisen tason yhdistelmää

parhaana vaihtoehtona. Pelkkää alueellista tasoa kannatti vain yksi vastaaja, ja hän perusteli vastaustaan jo olemassa olevilla alueellisilla käytännöillä, budjettien paikallisuudella sekä sillä, että kansalliset neuvottelut vievät paljon aikaa eikä niissä välttämättä päästä yhteisymmärrykseen. Kolme vastaajaa ei osannut sanoa, millä tasolla riskinjakosopimukset tulisi solmia.

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston merkitys riskinjakosopimusneuvotteluissa

Vastaajista lähes kaikki (27/29) ilmoittivat olevansa tietoisia Palkon lääkkeitä koskevista suosituksista. 21 vastaajaa ilmoitti, että uutta kallista lääkettä käyttöön otettaessa Palkon suositus huomioidaan yleensä aina ja yleensä aina toimitaan sen mukaan. Käytännössä usein odotetaan Palkon suositusta ennen riskinjakosopimuksen solmimista ja toimitaan sitten suosituksen mukaisesti. Sopimus saatetaan siis jättää solmimatta, mikäli sopimus ei ole Palkon suosituksen mukainen.

Vastaajista 20/29 henkilöä piti Palkon suosituksia hyödyllisinä riskinjakosopimuksista neuvoteltaessa. Tärkeimpänä hyötynä pidettiin suositusten tietoon perustuvaa ja puolueetonta kansallista yleissuositusluonnetta, jonka katsottiin edistävän ja selkeyttävän yhtenäisiä linjauksia uusien lääkkeiden käytössä koko Suomessa ja lisäävän alueellista tasa-arvoa. Toisena hyötynä pidettiin suosituksissa olevia hintaan liittyviä kannanottoja, jotka toimivat sopimusneuvotteluissa tärkeänä tukena.

Vastaajista 5/29 koki puolestaan Palkon suosituksista olevan sopimusneuvotteluissa haittaa. Haittoina mainittiin, että suositukset ovat joskus ympäröityjä ja tulkinnanvaraisia. Lisäksi haittana mainittiin se, että suositukselle vastakkaisia ratkaisuja on vaikea tehdä, vaikka itse näkisi tilanteen toisin. Hintaneuvotteluja ja käyttöönottopäätöksiä helpottavina elementteinä 5/12 vastaajaa toivoi Palkon suosituksiin tarkempaa hintatietoa tai hintahaarukkaa, jolla hoito olisi hyväksyttävissä tai suositeltavissa.

Hieman yli puolet vastaajista (15/29) ei osannut sanoa, tulisiko Palkon suositus antaa ennen vai jälkeen sopimusneuvottelujen. Lähes puolet (13/29) oli kuitenkin sitä mieltä, että suositus tulisi antaa mieluummin ennen kuin jälkeen hintaneuvottelujen. Tätä perusteltiin sillä, että suositukset ovat tärkeä tuki (hinta)neuvotteluissa muun muassa kustannusvaikuttavuutta arvioitaessa. Lisäksi lääketieteellisen näytön arviointia ennen neuvotteluja pidettiin tärkeänä, jotta käyttöönottopäätökset eivät perustuisi vain hintaan. *”Neuvotteluja on turha käydä, mikäli lääketieteelliset näytöt eivät tue käyttöönottoa. Edullistakaan ei kannata käyttää, jos siihen ei ole lääketieteellisiä perusteita.”*

Pohdinta

Riskinjakosopimukset ovat yleistyneet Suomessa sairaalapuolella nopeasti. Käytössä on sekä talous- että vaikuttavuusperusteisia sopimuksia. Niiden katsotaan hyödyttävän maksajapuolta erityisesti kustannussäästöjen muodossa. Niiden tärkeinä etuina pidetään myös uuden lääkkeen käyttöönottoon liittyvää riskinjakoa lääkeyrityksen ja maksajaosapuolen välillä sekä uusien kalliiden lääkkeiden saamista potilaiden käyttöön.

Sopimukseen liittyy maksajapuolen näkökulmasta kuitenkin myös lukuisia haasteita. Tärkein niistä on lisätyö, joka on tunnistettu lukuisissa aiemmissakin tutkimuksissa (Carlson ym. 2014, Morgan ym. 2017, Honkanen ym. 2019, Lorente ym. 2019). Mikäli sopimuksia halutaan maksajapuolella hyödyntää, niiden hallintaan tulisi varmistaa riittävät asiantuntijaresurssit. Erityisesti juridiselle osaamiselle on tämän tutkimuksen mukaan tarvetta. Kansallinen yhteistyö sairaalalääkkeiden hankinnassa ja käyttöönottopäätöksissä (Turpeinen 2020) tulee todennäköisesti helpottamaan sopimusneuvotteluihin ja sopimusten hallintaan liittyvää lisätyötä, sillä se vähentää sopimusneuvotteluihin liittyvää päällekkäistä asiantuntijatyötä yksittäisissä sairaanhoitopiireissä. Sopimusten toteuttamiseen liittyvä mahdollinen erillinen raportointityö jäänee silti edelleen sairaanhoitopiirien tehtäväksi. Sähköisiä raportointijärjestelmiä, kuten TamroLink, on käytettävissä ja ne koetaankin sopimusten hallinnassa jopa välttämättömiksi. Raportointi itsessään on kuitenkin erillinen, usein muistinvarainen lisätyövaihe. Ellei raportointi toteudu sopimuksen mukaisesti, vaarana on, että sopimukseen liittyvät taloudelliset hyödyt jäävät maksajapuolelta saamatta. Ideaalitulanteessa raportointi tapahtuisi automaattisesti, osana rutiinikirjauksia. Aika näyttää, miten real world -dataa (RWD) pystytään tässä hyödyntämään.

Toisena sopimukseen liittyvänä merkittävimpana haasteena tässä tutkimuksessa erottuivat sopimusten luottamuksellisuus ja siihen liittyvät salaiset hinnat. Ne on todettu sopimukseen liittyvinä negatiivisina asioina myös aiemmissa tutkimuksissa (Ferrario ym. 2017, Morgan ym. 2017, Honkanen ym. 2019). Yksittäisen sopimuksen luottamuksellisuus voi yksittäiselle maksajaosapuolelle (sairaala, sairaanhoitopiiri) näyttäytyä etuna paremman hinnan muodossa (Morgan ym. 2017), mutta laajemmassa tarkastelussa tämä ei kuitenkaan välttämättä ole eduksi. Viranomaistyön ja verovarojen käytön läpinäkyvyyden puutteen lisäksi julkisista listahinnoista poikkeavat salaiset alennushinnat tekevät todellisen hintavertailun eri maksajaosapuolien kesken mahdottomaksi. Lisäksi se voi vaikeuttaa esimerkiksi eri maiden välisiä viitehintakäytäntöjä (Dabbous ym. 2020). Sopimusten luottamuksellisuus estää niihin liittyvien tietojen, kokemusten ja käytäntöjen jakamisen eri maksajaosapuolien kesken. Tietojen jakamisesta voisi olla maksajaosapuolille hyötyä, esimerkiksi vertaisoppimisen ja päällekkäisen työn välttämisen muodossa (Wenzl ja Chapman 2019). Sopimusten luottamuksellisuuden höllentämisestä näyttäisi olevan maksajapuolelle monestakin syystä merkittävää etua, ja siihen tulisi tulevaisuudessa pyrkiä (Wenzl ja Chapman 2019, WHO 2020). Esimerkiksi vaikuttavuusperusteisilla sopimuksilla muut kuin suoraan kaupalliset ehdot voisivat olla julkisia, jolloin esimerkiksi se, millä tavoin vaikuttavuutta mitataan ja minkälaisia tuloksia on saatu, olisi mahdollista jakaa eri maksajaosapuolien kesken (Wenzl ja Chapman 2019).

Yritysten intressinä on useimmiten maksimoida uusista lääkkeistä saatava tuotto (Scannell 2015), joten riskinjakosopimuksilla on väistämättä myös voimakkaasti markkinoiva luonne. Maksajapuolella sopimusten pelätään ohjaavan uusien lääkkeiden käyttöä epätarkoituksenmukaiseen suuntaan, esimerkiksi johtavan ilman riittävää näyttöä tai kustannusvaikuttavuutta olevien valmisteiden käyttöön tai uuden kalliin valmisteeseen käyttöön tarpeettoman laajalle potilasjoukolla. Tämä puolestaan voi johtaa kustannusten turhaan nousuun. Riski tähän on olemassa; pohjimmiltaan myös lääkemarkkinoita ja lääkkeiden hintoja ohjaavat markkinatalouden lainalaisuudet ja globaalit mekanismit (Scannell 2015).

Tämän tutkimuksen mukaan sopimusten ehtoja yrityspuoleen verrattuna ei maksajapuolella aina pidetä riittävän edullisina. Silti sopimuksia kuitenkin solmitaan – ehkä siksi, että parempaakaan vaihtoehtoa esimerkiksi kustannusten hillintään ei ole tarjolla. Maksajapuolen neuvottelumahdollisuudet molempia osapuolia tasapuolisesti hyödyttävään sopimukseen voivatkin jo lähtökohtaisesti olla heikommat kuin yrityspuolella, koska maksajapuolella ei ehkä aina ole todellista mahdollisuutta jättää uutta kallista lääkettä hankkimatta. Lähitulevaisuudessa käynnistyvät sairaalalääkkeiden hintoja ja käyttöönottoa koskevat kansalliset yhteisneuvottelut tulevat todennäköisesti vahvistamaan maksajapuolen asemaa yhtenäisenä neuvotteluosapuolena (Turpeinen 2020). Yhteisneuvotteluja ohjaavat kansallisen terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto Palkon ehdolliset suositukset. Tavoitteena on, että maksajapuolella pystytään tulevaisuudessa käyttämään yhteiskunnan rajallisia resursseja entistä tarkoituksenmukaisemmin ja tasapuolisemmin.

Maksajapuolella olisi hyvä myös painottaa sopimusten hallinnassa ja solmimisessa tavoitteellisuutta ja strategista otetta, jotka on tässä tarkoituksessa havaittu hyväksi käytännöiksi (Wenzl ja Chapman 2019). Hyötyä voisi olla myös uuden lääkkeen hallitun käyttöönoton ja riskin jaon selkeästä raamittamisesta yrityspuolen ja yhteiskunnan välillä erillisellä valtakunnallisella järjestelmällä silloin, kun myyntiluvan saaneeseen uuteen lääkkeeseen kohdistuu vielä merkittävää tutkimustarvetta, samaan tapaan kuin Iso-Britanniassa käytössä olevan Cancer Drug Fundin avulla tehdään (<https://www.england.nhs.uk/cancer/cdf/>).

Tutkimuksessa tuli esille myös huoli sopimusten aiheuttamasta mahdollisesta potilaiden alueellisesta epätasa-arvosta. Sairaalalääkkeitä koskevat kansalliset yhteisneuvottelut ja kansallinen lääkeneuvottelukunta tuonevat myös tähän asiaan merkittävää helpotusta Suomessa, kun uusi lääke saadaan samanaikaisesti samoilla ehdoilla käyttöön koko maassa (Turpeinen 2020). Myös potilaiden tietosuojaan liittyvät kysymykset huolestuttivat. Käytännössä sopimukseen liittyvissä tiedonkeruissa ja henkilötietojen käsittelyssä sekä lääkeyritysten tiedonsaannissa noudatetaan lainsäädännön mukaisia tietosuojaperiaatteita.

Vaikka eri sidosryhmien käsitykset sopimuksista ovat usein suotuisia, ja niiden eduiksi usein arvioidaan kustannussäästöt ja uusien lääkkeiden nopeampi saatavuus potilaille, niin tutkimustietoa sopimuksilla todellisuudessa saavutetuista taloudellisista tai kliinisistä tuloksista tai niille asetettujen tavoitteiden saavuttamisesta on vain vähän (Antonanzas 2019, Lorente ym. 2019). Ehdollinen hinnoittelu on haastavaa (Makady ym. 2019), ja on mahdollista, että todelliset hyödyt jäävät vähäisiksi verrattuna hallinnolliseen taakkaan ja lisätööhön (Antonanzas 2019). EU:ssa näyttäisikin tällä hetkellä yleisesti olevan trendinä taloudellisten sopimusten kasvun jatkuminen ja vaikuttavuusperusteisten sopimusten hiipuminen niiden monimutkaisuuteen liittyvien haasteiden

vuoksi (Dabbous ym. 2020). Tässäkin tutkimuksessa sopimusten liika monimutkaisuus ja monimuotoisuus erottuivat niiden hyödyntämistä vaikeuttavana seikkana.

Sopimusten taustalla olevat haasteet (yhteiskunnan rajalliset resurssit vs. uusien lääkkeiden jatkuvasti nousevat kustannukset ja uuden lääkkeen markkinoille tuloon liittyvät epävarmuustekijät) ovat todennäköisesti tulleet jäädäkseen. Sopimukseen kohdistuu siten odotuksia jatkossakin. Esimerkiksi vaikuttavuusperusteisten sopimusten/rahoitusmallien hyödyntämistä entistä systemaattisemmin Suomessa on vastikään ehdotettu (Martikainen 2021). Yhtenä sopimustyyppinä ehdotuksessa on mainittu riskinjaon yhdistäminen kustannusten ajalliseen tasaamiseen (esim. ns. annuiteettimallit). Tällaiset sopimusmallit ovat kiinnostavia esimerkiksi jatkuvasti kehittyvien solu- ja geeniterapioiden näkökulmasta.

Lisätutkimusta tarvitaan maksajapuolen näkökulmasta sopimusten todellisista hyödyistä ja tavoitteiden täyttymisestä sekä niiden suhteesta sopimusten vaatimiin resursseihin, jotta maksajapuolen resursseja sopimusten hallinnassa voidaan kohdentaa saavutettavissa olevien hyötyjen kannalta tehokkaasti. Tässä työssä kattavat kansalliset ja kansainväliset tietokannat voisivat olla avuksi (Antonanzas ym. 2019), mutta sellaisia ei ainakaan Suomessa vielä ole.

Tutkimuksen rajoitteet

Koska uusia kalliita sairaalalääkkeitä määrävien lääkäreiden nimitietoja ei ollut mahdollista selvittää kattavasti etukäteen, kohderyhmään kuuluvia toimialajohtajia ja/tai ylilääkäreitä pyydettiin kutsuviestissä välittämään kutsua eteenpäin omissa yksiköissään kaikille tutkimuksen kohderyhmään kuuluville henkilöille. Riskinä on, että viesti ei syystä tai toisesta välittynyt eteenpäin, jolloin kutsu ei tavoittanut kaikkia kohderyhmään kuuluvia henkilöitä.

Vastaajien joukossa Varsinais-Suomen sairaanhoitopiiri oli yliedustettuna, mutta Helsingin ja Uudenmaan sairaanhoitopiiri taas aliedustettuna.

Johtopäätökset

Uusien lääkkeiden riskinjakosopimukset ovat Suomessa yleistyneet sairaalalääkkeissä nopeasti ja ne ovat sairaaloissa jo arkipäivää. Ilmiön taustalla vaikuttanevat jatkuvasti kohoavat lääkekustannukset ja tarve saada uusia kalliita lääkkeitä potilaiden käyttöön. Sairaaloissa on solmittu sekä taloudellisia sopimuksia että vaikuttavuusperusteisia sopimuksia. Kustannussäästöt, uuden lääkkeen käyttöönottoon liittyvän riskin jakaminen ja uusien kalliiden lääkkeiden saaminen potilaiden käyttöön nähtiin maksajapuolella useimmin riskinjakosopimusten hyödyiksi. Parhaimmillaan sopimuksilla voi olla oma, kumpaakin osapuolta aidosti hyödyttävä roolinsa uusien kalliiden sairaalalääkkeiden käyttöönottoon liittyvän epävarmuuden hallinnassa ja riskinjaossa, mutta maksajapuolen näkökulmasta sopimukseen liittyy myös monia haasteita. Sairaalalääkkeitä koskevien sopimusneuvottelujen kehittäminen kansalliseen suuntaan on oikea tie, mutta maksajapuolen asemaa tulisi vahvistaa myös muilla tavoin. Riskinjakosopimusten luottamuksellisuutta tulisi höllentää ja sopimukseen liittyvää tiedonvaihtoa eri maksajaosapuolien välillä lisätä. Maksajapuolella tulisi varmistaa sopimusten hallintaan liittyvät riittävät resurssit ja juridinen osaaminen, lisätä tavoitteellisuutta ja strategista otetta sopimusten hallinnassa sekä kehittää tietojärjestelmiä ja tiedonhallintaa. Maksajapuolen eri toimijoiden (klinikot, juristit ja sairaala-apteekkien edustajat) välinen sopimukseen liittyvä yhteistyö ja käytännöt tulisi organisoida entistä paremmin ja varmistaa tiedonkulku kyseisten osapuolten välillä. Seurantaa ja tutkimusta sopimusten todellisista hyödyistä tarvitaan tiedolla johtamisen mahdollistamiseksi.

Summary

Managed entry agreements for new hospital medicines – the payer perspective

Minna Ajosenpää*

M.Sc. (Pharm.)

Turku University Central Hospital, Hospital Pharmacy

Hospital District of Southwest Finland

minna.ajosenpaa@tyks.fi

Risto Huupponen

Professor (emeritus) of Clinical Pharmacology

University of Turku

Hospital District of Southwest Finland

Miia Turpeinen
Senior Medical Officer,
Oulu University Hospital
Professor
University of Oulu

Piia Rannanheimo
Pharmacoeconomist, M.Sc. (Pharm.)
Finnish Medicines Agency Fimea

*Correspondence

Introduction

The high prices of new medicines are challenging the financial sustainability of healthcare systems. There is always uncertainty when a new medication emerges from research conditions into real-life use. These challenges have encouraged the adoption of managed entry agreements (MEA) around the world. Such agreements are becoming more common in Finland as well. This study sought to map out the current situation of these agreements in Finland and to explore and identify payer views and needs concerning these agreements.

Materials and methods

The study was conducted as an anonymous survey in August 2020. The survey consisted of open-ended questions as well as structured questions. The target group of this survey were the professionals who are part of the decision-making process in prescribing or purchasing new, expensive medications in the University Hospital Districts of Finland. The results were compiled as quantities and percentages to describe the data (structured questions) or processed by applying inductive content analysis and quantification (open-ended questions).

Results

Most of the respondents (n = 29) were familiar with the concept of a managed entry agreement. At the time of the survey, there were many such agreements already in force in the University Hospital Districts concerned. Some were financial agreements, others performance-based. On average, more than half of the agreements concerned the ATC group L. The hospital districts need special expertise from and cross-disciplinary cooperation between many different professionals to manage the agreements. When asked about the benefits of the agreements, respondents mentioned cost savings and risk sharing most often. The most common negative aspects mentioned were the extra workload imposed on the payer and a lack of transparency due to the confidentiality of the agreements. Most of the respondents preferred agreements to be concluded at the national level rather than the regional level, mostly on grounds of equality. Most of the respondents found the Council for Choices in Health Care in Finland (COHERE Finland, "Palko") recommendations useful when negotiating the agreements.

Conclusions

Today, Finnish hospitals commonly make use of managed entry agreements when acquiring new medications. Such agreements may be beneficial to both parties (industry and payer) to stave off uncertainty when introducing new medical products, but from the payers' point of view many challenges remain to be solved as well. Moving the agreement process entirely from the regional level to the national would be a useful step, but not a sufficient one. The confidentiality built into the agreements should be loosened. The payer side must ensure the provision of adequate resources and competence in managing agreements, and information systems and data management should be improved. The payer side must adopt a more strategic and goal-oriented approach. More research is needed about the real benefits of the agreements, contrasted to the resources their management demands on the payer side, to make sure the payers are using their resources appropriately in concluding these agreements.

Keywords

Risk-sharing agreement, managed entry, hospital-only medicinal products, medicine costs

Sidonnaisuudet

Minna Ajosenpää: ei sidonnaisuuksia, Risto Huupponen: Palveluvalikoimaneuvoston lääkejaoston jäsen 06/2020 saakka, Miia Turpeinen: Palveluvalikoimaneuvoston jäsen, Piia Rannanheimo: Palveluvalikoimaneuvoston lääkejaoston jäsen

Kirjallisuus

Antonanzas F, Juárez-Castelló C, Lorente R, Rodriguez-Ibeas R: The use of risk-sharing contracts in healthcare: Theoretical and empirical assessments. *PharmacoEconomics* 37: 1469–1483, 2019

Bono P, Hiltunen K-M, Korpelainen J, Pietilä M, Vanninen E: Kalliiden lääkkeiden käyttöönotosta suositus. *Suomen lääkärilehti* 73: 1936–1937, 2018

Bouvy JC, Sapede C, Garner S: Managed entry agreements for pharmaceuticals in the context of adaptive pathways in Europe. *Front Pharmacol* 27; 9: 280, 2018

Carlson JJ, Chen S, Garrison LP: Performance-based risk-sharing arrangements: An updated international review. *PharmacoEconomics* 35: 1063–1072, 2017

Carlson JJ, Sullivan SD, Garrison LP, Neumann PJ, Veenstra DL: Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. *Health Policy* 96 (10), 2010

Carlson JJ, Gries KS, Yeung K, Sullivan SD, Garrison LP: Current status and trends in performance-based risk-sharing arrangements between healthcare payers and medicinal product manufacturers. *Appl Health Econ Health Policy*, 2014–06, 12: 231–238, 2014

Dabbous M, Chachoua L, Caban A, Toumi M: Managed entry agreements: Policy analysis from the European perspective. *Value in Health*, 2020–04, 23: 425–433, 2020

Ferrario A, Arāja D, Bochenec T ym.: Implementation of managed entry agreements in central and eastern Europe: Findings and implications. *PharmacoEconomics* 35: 1271–1285, 2017

Fimea: Uusien sairaalalääkkeiden nopea arviointi. Fimea 2018, päivätty 14.6.2018.

www.fimea.fi/documents/160140/1454513/170821_Sairaalalääkkeiden_arviointi_prosessi/f914f379-cd89-4d4d-52e9-7d17f428ce6b

Honkanen H, Snicker K, Ahlmaa J: [Lääkkeiden riskinjakosopimukset Suomen sairaaloissa – kyselytutkimus 2019](#). *Suomen lääkirilehti* 74: 2872–2876, 2019

Lorente R, Antonanzas F, Rodriguez-Ibeas R: Implementation of risk-sharing contracts as perceived by Spanish hospital pharmacists. *Health Econ Rev* 17; 9: 25, 2019

Makady A, van Veelen A, de Boer A, Hillege H, Klungel OH, Goettsch W: Implementing managed entry agreements in practice: The Dutch reality check. *Health policy (Amsterdam)*, 2019–03, 123: 267–274, 2019.

Martikainen J: Selvitys uusien lääkehoitojen vaikuttavuusperusteisista rahoitusmalleista - Katsaus kansainvälisiin kokemuksiin ja ehdotus rahoitusmallien käyttöönotosta Suomessa. Päivitetty 11.2.2021. Itä-Suomen yliopisto, Vaikuttavuuden talo.

www.laaketeollisuus.fi/media/julkaisut/esitteita-ja-raportteja/uef_selvitys-innovatiivisista-rahoitusmalleista-final_updated.pdf.

Morgan SG, Vogler S, Wagner AK: Payers' experiences with confidential pharmaceutical price discounts: A survey of public and statutory health systems in North America, Europe, and Australasia. *Health Policy* 121: 354–362, 2017

Palko: Suositus: Atetsolitsumabi yhdessä nab-paklitakselin kanssa kolmoisnegatiivisen rintasyövän hoidossa. Terveystieteiden tutkimuskeskuksen palveluvalikoimaneuvosto (Palko) 2020, päivätty 19.3.2020. <https://palveluvalikoima.fi/valmiit-suositukset>

Pelkonen L, Rannanheimo P, Anttila V-J ym.: Miten lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi tulisi järjestää Suomen sosiaali- ja terveydenhuollossa. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2017: 31. <https://julkaisut.valtioneuvosto.fi>

Scannell J: Four reasons drugs are expensive, of which two are false. Forbes, päivätty 13.10.2015.
www.forbes.com/sites/matthewherper/2015/10/13/four-reasons-drugs-are-expensive-of-which-two-are-false/#3b7ef5e94c3b

sosiaali- ja terveysministeriö: Virkamiesmuistio: Näkökulmia lääkehoitoon ja lääkkeiden jakeluun liittyvistä muutostarpeista. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2019:5, ISBN PDF: 978-952-00-4027-7, Helsinki, 2019

Stafinski T, McCabe CJ, Menon D: Funding the unfundable. *PharmacoEconomics* 28: 113–142, 2010

Tuomi J, Sarajärvi A: Laadullinen tutkimus ja sisällönanalyysi. Uudistettu laitos. Kustannusosakeyhtiö Tammi, Helsinki 2018

Turpeinen M: Yhteistyö uusien sairaalalääkkeiden hankinnassa tiivistyy. Pohjois-Pohjanmaan sairaanhoitopiirin tiedote 8.9.2020.
www.ppsHP.fi/Sairaanhoitopiiri/Ajankohtaista/Pages/Yhteisty-uusien-sairaalalaakkeiden-hankinnassa-tiivistyy.aspx

Vogler S, Paris V, Ferrario A ym.: How can pricing and reimbursement policies improve affordable access to medicines? Lessons learned from European countries. *Appl Health Econ Health Policy* 15: 307–321, 2017

Vreman RA, Broekhoff TF, Leufkens HGM, Mantel-Teeuwisse, Goettsch WG: Application of managed entry agreements for innovative therapies in different settings and combinations: A feasibility Analysis. *Int J Environ Res Public Health* 17: 8309, 2020

Wenzl M, Chapman S: Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward. *Health Working Papers*. OECD Health Working Paper No. 115. Joulukuu 2019.
www.oecd.org/els/health-systems/health-working-papers.htm

WHO guideline on country pharmaceutical pricing policies, second edition. Geneva: World Health Organization, 28.9.2020. www.who.int/news-room/detail/28-09-2020-who-publishes-pricing-policy-guideline-to-improve-affordable-access-to-medicines

Liite 1

TUTKIMUSKYSYMYKSET

OSA 1, VAIN SAIRAALA-APTEEKKARIT:

- 1) Onko hallitun käyttöönoton sopimuksia/riskinjakosopimuksia solmittu sairaalassanne? Vastausvaihtoehdot: kyllä / ei / en tiedä
- 2) Jos on solmittu, niin montako kappaletta (jo rauenneet sekä tällä hetkellä voimassa olevat yhteenlaskettuna)? Jos samaa valmistetta koskevaa sopimusta on jatkettu edellisen voimassaolon päätyttyä, niin nämä sopimukset lasketaan tässä tarkastelussa yhdeksi sopimukseksi. Vastausvaihtoehdot: 1–5 kpl, 6–10 kpl, 11–15 kpl, 16–20 kpl, 21–30 kpl, yli 30 kpl. Solmituista sopimuksista kysytään vielä tarkempia tietoja myöhemmissä kysymyksissä.
- 3) Milloin on solmittu ensimmäinen, jos on tiedossa (kk/vv tai vv)?
- 4) Milloin on solmittu viimeisin (kk/vv)?
- 5) Montako sopimusta on vastaushetkellä voimassa? Vastausvaihtoehdot: 1–5 kpl, 6–10 kpl, 11–15 kpl, 16–20 kpl, 21–30 kpl, yli 30 kpl
- 6) Montako prosenttia solmituista sopimuksista (jo rauenneista ja tällä hetkellä voimassa olevista yhteensä) on sellaisia, joiden sisältö on luottamuksellinen? Vastausvaihtoehdot: 0–20 %, 20–40 %, 40–60 %, 60–80 %, 80–99 %, 100 %
- 7) Mikä osuus (%) kaikista solmituista sopimuksista on hoidon (loppu)tuloksiin perustuvia? Vastausvaihtoehdot: 0–20 %, 20–40 %, 40–60 %, 60–80 %, 80–99 %, 100 %
- 8) Mikä osuus (%) vastaushetkellä voimassa olevista sopimuksista on hoidon (loppu)tuloksiin perustuvia? Vastausvaihtoehdot: 0–20 %, 20–40 %, 40–60 %, 60–80 %, 80–99 %, 100 %
- 9) Merkitse mikä osuus (%) kaikista solmituista sopimuksista (jo rauenneista sekä voimassa olevista yhteensä) kuuluu mihinkin atc-luokittelun mukaiseen pääryhmään:
 - a. Ruuansulatuselinten sairauksien ja aineenvaihduntasairauksien lääkkeet; ryhmä A
 - b. Veritautien lääkkeet; ryhmä B
 - c. Sydän- ja verisuonisairauksien lääkkeet; ryhmä C
 - d. Ihotautilääkkeet; ryhmä D
 - e. Sukupuoli- ja virtsaelinten sairauksien lääkkeet, sukupuolihormonit; ryhmä G
 - f. Systemisesti käytettävät hormonivalmisteet, lukuun ottamatta sukupuolihormoneja ja insuliineja; ryhmä H
 - g. Systemisesti vaikuttavat infektiolääkkeet; ryhmä J
 - h. Syöpälääkkeet ja immuunivasteen muuntajat; ryhmä L
 - i. Tuki- ja liikuntaelinten sairauksien lääkkeet; ryhmä M
 - j. Hermostoon vaikuttavat lääkkeet; ryhmä N
 - k. Loisten ja hyönteisten häätöön käytettävät lääkkeet; ryhmä P
 - l. Hengityselinten sairauksien lääkkeet; ryhmä R
 - m. Silmä- ja korvatautien lääkkeet; ryhmä S
 - n. Muut; ryhmä V
- 10) Kuinka suureksi (€) arvioit hallitun käyttöönoton sopimusten / riskinjakosopimusten yhteenlasketun vuotuisen kustannusvaikutuksen olevan omassa sairaanhoitopiirissäsi (paljonko säästetty verrattuna listahintoihin, jos sama potilasmäärä olisi hoidettu)? Vastausvaihtoehdot: 0–10 000 €, 10 000–50 000 €, 50 000–100 000 €, 100 000€–500 000 €, 500 000€–1 milj. €, yli 1 milj.€
- 11) Onko tarjotuista hallitun käyttöönoton sopimuksista / riskinjakosopimuksista kieltäytytty maksajapuolen päätöksellä joskus kokonaan? Vastausvaihtoehdot: kyllä / ei / en tiedä

- 12) Jos on kieltäydytty, niin mitkä ovat olleet syyt kieltäytymiselle?
- Sopimusta ei nähty tarpeelliseksi.
 - Rahallinen hyöty arvioitiin pieneksi.
 - Ei ollut resursseja sopimuksen vaatimaan ylimääräiseen työhön.
 - Jokin muu syy, omin sanoin.
- 13) Kuka tai ketkä sairaanhoitopiirissänne osallistuvat sopimusneuvotteluihin käytännössä? Voit valita yhden tai useamman vaihtoehdon:
- sairaala-apteekari tai hänen sijaisensa
 - lääkehankintoja valmisteleva proviisori ja/tai farmaseutti
 - lääkeneuvottelukunnan / lääketyöryhmän puheenjohtaja
 - sairaanhoitopiirin juristi
 - sopimuksen kohteena olevan lääkkeen mukaisen erikoisalalan lääkäriedustaja tai -edustajia
 - muita henkilöitä, keitä? _____
- 14) Minkälaista osaamista ja minkälaisia resursseja hallitun käyttöönoton sopimuksia / riskinjakosopimuksia neuvoteltaessa ja solmittaessa mielestäsi sairaanhoitopiireissä tarvitaan?
- 15) Onko sairaanhoitopiirissänne mielestänne riittävästi tällaista osaamista ja resursseja? Vastausvaihtoehdot: Kyllä, ei (erityisesti tarvittaisiin: ___), en osaa sanoa

OSA 2, KAIKKI VASTAAJAT:

- 16) Onko hallitun käyttöönoton sopimus / riskinjakosopimus käsitteenä tuttu?
- 17) Oletko käynyt omassa työssäsi hallitun käyttöönoton sopimukseen / riskinjakosopimukseen liittyviä keskusteluja ja/tai neuvotteluja viimeisen vuoden aikana?
- Kyllä, lääkeyritysten kanssa
 - Kyllä, oman organisaation sisällä
 - En ole
- 18) Mitä hyötyjä näet hallitun käyttöönoton sopimuksissa / riskinjakosopimuksissa?
- 19) Mitä haittoja näet hallitun käyttöönoton sopimuksissa / riskinjakosopimuksissa?
- 20) Mitä riskejä näet hallitun käyttöönoton sopimuksissa/riskinjakosopimuksissa?
- 21) Mitkä seikat mielestäsi **helpottavat**, **mahdollistavat** tai **vaativat** hallitun käyttöönoton sopimusten / riskinjakosopimusten hyödyntämistä omassa työssäsi ja/tai yleisesti?
- 22) Mitkä seikat mielestäsi **vaikuttavat**, **rajoittavat** tai **estävät** hallitun käyttöönoton sopimusten / riskinjakosopimusten hyödyntämistä omassa työssäsi ja/tai yleisesti?
- 23) Näkemyksesi siitä, olisiko sairaalassanne hallitun käyttöönoton sopimusten / riskinjakosopimusten piirissä mahdollisesti olevat lääkkeet otettu käyttöön ilman sopimusta: Kyllä, ei, ehkä, en osaa sanoa, sairaalassani ei ole solmittu riskinjakosopimuksia
- 24) Näkemyksesi siitä, ovatko mahdolliset hallitun käyttöönoton sopimukset / riskinjakosopimukset vaikuttaneet laajentavasti potilasvalintaan sairaalassanne, eli siihen, keitä otetaan hoidon piiriin? Vastausvaihtoehdot: a) ovat vaikuttaneet potilasvalintaan laajentavasti, b) eivät ole vaikuttaneet potilasvalintaan laajentavasti, c) en osaa sanoa, d) sairaalassani ei ole solmittu riskinjakosopimuksia
- 25) Tulisiko hallitun käyttöönoton sopimukset / riskinjakosopimukset neuvotella ja solmia kansallisella vai alueellisella tasolla? Miksi?

- 26) Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto Palko antaa Suomessa suosituksia siitä, mitkä hoidot kuuluvat julkisen terveydenhuollon sairaaloissa annettavaan hoitoon Suomessa.
- a. Oletko tietoinen Palkon tekemistä lääkkeisiin liittyvistä suosituksista? kyllä/ei
- 27) Missä määrin oman käsityksesi mukaan Palkon suositukset omassa sairaanhoitopiirissäsi vaikuttavat kalliiden sairaalalääkkeiden käyttöönottoon? Valitse seuraavista vaihtoehdoista:
- i. Palkon suositus huomioidaan yleensä aina ja toimitaan yleensä aina sen mukaan
 - ii. Palkon suositus huomioidaan mutta ei aina toimita sen mukaan
 - iii. Palkon suosituksia ei yleensä huomioida
- 28) Kuvaile lyhyesti, miten Palkon suosituksia hyödynnetään hallitun käyttöönoton sopimuksissa sairaanhoitopiirissäsi?
- 29) Onko Palkon suosituksista mielestäsi hyötyä sopimusneuvotteluissa? Kyllä / ei / en osaa sanoa
- 30) Jos on mielestäsi hyötyä, niin mitä hyötyä?
- 31) Onko Palkon suosituksista mielestäsi jotakin haittaa sopimusneuvotteluissa? Kyllä / ei / en osaa sanoa
- 32) Jos on mielestäsi haittaa, niin mitä haittaa?
- 33) Mitä hintaneuvotteluja ja käyttöönottopäätöksiä helpottavia elementtejä Palkon suosituksessa olisi vielä tarpeen olla?
- 34) Tulisiko Palkon antaa suosituksensa ennen vai jälkeen hintaneuvottelujen? Miksi?