

<https://helda.helsinki.fi>

---

## Miten sosiaali- ja terveydenhuollon vaikuttavuutta pitäisi tutkia?

Malmivaara, Antti

2022

---

Malmivaara , A 2022 , ' Miten sosiaali- ja terveydenhuollon vaikuttavuutta pitäisi tutkia? ' ,  
Suomen lääkärilehti , Vuosikerta. 77 , Nro 23-24 , Sivut 1100-1104 . <  
<https://www.laakarilehti.fi/pdf/2022/SLL23-24-2022-1100.pdf> >

---

<http://hdl.handle.net/10138/347089>

---

publishedVersion

---

*Downloaded from Helda, University of Helsinki institutional repository.*

*This is an electronic reprint of the original article.*

*This reprint may differ from the original in pagination and typographic detail.*

*Please cite the original version.*



Antti Malmivaara

LKT, professori

Terveiden ja hyvinvoinnin laitos, Helsingin yliopisto

# Miten sosiaali- ja terveydenhuollon vaikuttavuutta pitäisi tutkia?

Vaikuttavuutta arvioitaessa tutkimusasetelma on valittava huolellisesti. Milloin tehdään satunnaistettu kontrolloitu koe? Entä mihin käytetään vertaiskontrolloitua tutkimusta?

## KIRJALLISUUTTA

- Schulz KF, Altman DG, Moher D, CONSORT Group. CONSORT 2010 statement: updated guidelines for reporting parallel group randomized trials. *Ann Intern Med* 2010;152(11):726–32.
- Miettinen OS, Steurer J, Hofman A. Clinical research transformed. Cham, Switzerland: Springer 2019.
- Porter ME. A strategy for health care reform--toward a value-based system. *N Engl J Med* 2009;361(2):109–12.
- Sackett D. Evidence-based medicine. *Lancet* 1995;346:1171.
- Malmivaara A. Real-effectiveness medicine--pursuing the best effectiveness in the ordinary care of patients. *Ann Med* 2013;45(2):103–6.
- Vandenbroucke JP. When are observational studies as credible as randomised trials? *Lancet* 2004;363:1728–31.
- Malmivaara A. Assessing validity of observational intervention studies - the Benchmarking Controlled Trials. *Ann Med* 2016;48:440–3.
- Malmivaara A. Clinical Impact Research - how to choose experimental or observational intervention study? *Ann Med* 2016;48:492–5.
- Husereau D, Drummond M, Augustovski F ym. Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards 2022 (CHEERS 2022) statement: updated reporting guidance for health economic evaluations. *BMJ* 2022;376:e067975-067975.
- Malmivaara A. Pure intervention effect or effect in routine health care - blinded or non-blinded randomized controlled trial. *BMC Med Res Methodol* 2018;18(1):91-z.
- Sihvonen R, Paavola M, Malmivaara A ym. Arthroscopic partial meniscectomy versus sham surgery for a degenerative meniscal tear. *N Engl J Med* 2013;369:2515–24.

**SOSIAALI- JA TERVEYDENHUOLLON** interventioiden vaikuttavuutta arvioitaessa tuloksista tulee olla poistettu muut vaikutukset kuin ne, jotka ovat seurausta ammattilaisten toiminnasta (1). Kyse on siis aina hoidon tai muun palvelun vaikuttavuudesta.

Tutkimuksen ja arvioinnin periaatteet ovat yhtenevät: mahdollisimman luotettava tieto päätöksenteon pohjaksi. Kyky arvioida tulosten epävarmuutta on ensisijaisen tärkeä – onhan kyse tiedosta, jonka soveltamisella on välitön vaikutus potilaisiin ja asiakkaisiin.

Vaikuttavuuden arviointi edellyttää huolellista tutkimus- tai arviointiasetelmaa sekä tilastollisten menetelmien käyttöä (2). Asetelmassa verrataan vähintään kahta toimintatapaa toisiinsa siten, että tutkittavat ryhmät ovat alkutilanteessa vertailukelpoisia. Pelkkä hoitotulosten mittaaminen ennen–jälkeen-asetelmassa jättää vaikuttavuuden tuntemattomaksi (”unknownable”) (2). Hoitojen tuloksellisuutta arvioivan toimintatavan (ns. value based medicine) tavoitteena onkin siirtää huomio hoitosuoritteista potilaiden ja asiakkaiden saamiin hoitotuloksiin (3) (kuvio 1).

Satunnaistetulla kontrolloidulla kokeella (randomized controlled trial, RCT) saadaan tietoa yksittäisen toimenpiteen, esimerkiksi lääkehoidon tai kirurgian vaikuttavuudesta (4). Kokeet tehdään standardoiduissa olosuhteissa, jollaisia ei reaali maailmassa ole, ja ne tuottavat tietoa kokeellisesta vaikuttavuudesta tai kokeellisesta kustannusvaikuttavuudesta.

Sosiaali- ja terveydenhuollon arjessa toimenpiteen vaikuttavuus kuitenkin vaihtelee potilaiden ja asiakkaiden ominaispiirteiden, interventioiden toteutumisen, hoitojärjestelmien toiminnan sekä henkilöstön osaamisen mukaan. Arkivaikuttavuus tai arkikustannusvaikuttavuus saavutetaan sosiaali- ja terveydenhuollon toimenpiteillä soveltamalla osaa-

mista ja tieteellisten tutkimusten tuloksia arjen potilas- ja asiakastyöhön (5).

Arkivaikuttavuutta ja arkikustannusvaikuttavuutta voidaan tutkia pelkkään havainnointiin perustuvilla vertaiskontrolloiduilla tutkimuksilla (benchmarking controlled trial, BCT) (6–8) (kuvio 2).

*Kyky arvioida tulosten epävarmuutta on ensisijaisen tärkeä.*

Tämän artikkelin tavoitteena on kuvata vaikuttavuustutkimusten menetelmän valintaa (RCT tai BCT) ja käyttöä terveydenhuollon vaikuttavuuden ja toimenpiteiden haittavaikutusten arvioinnissa. Käsitteilyn ulkopuolelle jäävät järjestelmälliset katsaukset ja meta-analyysit sekä kustannusvaikuttavuuden arvioinnit. Artikkelissa esitetyt periaatteet pätevät kuitenkin myös näihin (9).

## Hoidon biologinen vaikuttavuus

Pelkkää biologista vaikuttavuutta on mahdollista tutkia silloin, kun kyseessä on lääkehoito tai kirurginen toimenpide tai potilaaseen kohdistetaan sähkömagneettista tai mekaanista energiaa (kuvio 3A) (10). Biologisen vaikuttavuuden selvittämiseksi on tehtävä kaksoissokkoutettu satunnaistettu kontrolloitu koe, jossa hoitoa antavat henkilöt ja potilas eivät tiedä, onko annettu hoito vaikuttavaksi oletettua vai pelkkää lumehoitoa (11,12).

Asetelma on nerokas: siinä voidaan erotella hoidon biologisen ytimen muodostama vaikutus, kuten lääkemolekyylin vaikutus, siitä vaikuttavuudesta, jossa hoitavat henkilöt ja potilas

- 12 Lewis G, Marston L, Duffy L ym. Maintenance or discontinuation of antidepressants in primary care. *N Engl J Med* 2021;385:1257–67.
- 13 Martins SO, Mont'Alverne F, Rebello LC ym. Thrombectomy for stroke in the public health care system of Brazil. *N Engl J Med* 2020;382:2316–26.
- 14 Villareal DT, Aguirre L, Gurney AB ym. Aerobic or resistance exercise, or both, in dieting obese older adults. *N Engl J Med* 2017;376:1943–55.
- 15 Malmivaara A. Assessing the effectiveness of rehabilitation and optimizing effectiveness in routine clinical work. *J Rehabil Med* 2018;50(10):849–51.
- 16 Campbell MK, Piaggio G, Elbourne DR, Altman DG, CONSORT Group. Consort 2010 statement: extension to cluster randomised trials. *BMJ* 2012;345:e5661.
- 17 Radley A, de Bruin M, Inglis SK ym. Clinical effectiveness of pharmacist-led versus conventionally delivered antiviral treatment for hepatitis C virus in patients receiving opioid substitution therapy: a pragmatic, cluster-randomised trial. *Lancet Gastroenterol Hepatol* 2020;5(9):809–18.
- 18 Gao G, Wu X, Feng J ym. Clinical characteristics and outcomes in patients with traumatic brain injury in China: a prospective, multicentre, longitudinal, observational study. *Lancet Neurol* 2020;19(8):670–7.
- 19 Keinänen M, Brummer-Korvenkontio H, Eskola M ym. Terveystieteiden tutkimuskeskityksen laatu- ja vaikuttavuustutkimus. *Suom Lääkäril* 2020;75:2788–79.
- 20 Tuulonen A, Kataja M, Aaltonen V ym. A comprehensive model for measuring real-life cost-effectiveness in eye care: automation in care and evaluation of system (aces-rwm™). *Acta Ophthalmol* 2022;100(3):e833–e840. doi: 10.1111/aos.14959
- 21 Malmivaara A. System impact research - increasing public health and health care system performance. *Ann Med* 2016;48(4):211–5.
- 22 Papanicolas I, Smith PC. Health system performance comparison. An agenda for policy, information and research. Kirjassa: Papanicolas I, Smith PC, toim. International comparisons of health systems, 1. painos. England: Open University Press. McGraw-Hill Education 2013:75–112.
- 23 Xian Y, Holloway RG, Chan PS ym. Association between stroke center hospitalization for acute ischemic stroke and mortality. *JAMA* 2011;305(4):373–80.
- 24 Sutton M, Nikolova S, Boaden

KUVIO 1.

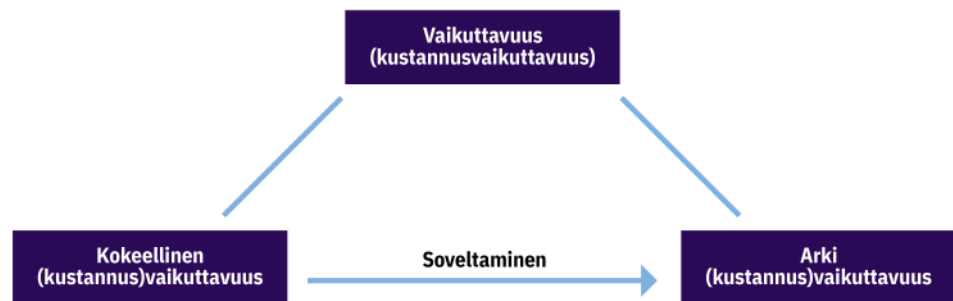
### Hoidon tuloksellisuus ja hoidon vaikuttavuus



Hoidon tuloksellisuus muodostuu intervention lisäksi diagnoosista ja taudin luonnollisesta kulusta sekä potilaan geneettisistä ja käyttäytymiseen sekä ympäristöön liittyvistä tekijöistä. Hoidon vaikuttavuus on pelkästään intervention tai interventioiden aiheuttama muutos potilaan terveydentilassa. Vaikuttavuuden arvioimiseksi on aina oltava vertailukelpoiset verrokkit.

KUVIO 2.

### Vaikuttavuus, kokeellinen vaikuttavuus ja arkivaikuttavuus



Vaikuttavuus on yläkäsite. Tietoa kokeellisesta vaikuttavuudesta saadaan satunnaistetuilla kontrolloiduilla kokeilla ja tietoa arkivaikuttavuudesta vertaiskontrolloiduilla tutkimuksilla.

ovat tietoisia annetuista hoidosta ja jossa biologiseen vaikutukseen yhdistyy lumevaikutus.

### Biologisen hoidon vaikuttavuus arjessa

Arjessa biologisen vaikutuksen lisäksi potilas saa lumevaikutuksen. Jotta tämä arjen vaikuttavuus voitaisiin määrittää, tarvitaan avoimia satunnaistettuja kontrolloituja kokeita, joissa sekä hoitavat henkilöt että potilaat tietävät, saako potilas vaikuttavan hoidon (13). Interventioryhmässä potilaat saavat näin ollen sekä biologisen vaikutuksen että lumevaikutuksen ja vertailuryhmässä potilaat jäävät niistä paitsi (kuvio 3B).

### Muiden interventioiden vaikuttavuus

Entä jos arvioidaan sellaisen intervention vaikuttavuutta, jossa ei ole yhtä eroteltavissa olevaa biologista elementtiä? Esimerkiksi kun-

toutusinterventioissa ei biologista vaikutusta ole eroteltavissa, vaan vaikuttavuus koostuu useiden toimien yhteisvaikutuksesta (kuvio 3C). Kun vaikuttavuus syntyy useista interventioista, ei potilaiden tai asiakkaiden ja hoitavien henkilöiden sokkouttamisessa ole mieltä eikä sokkouttamisen puutetta saa kategorisesti pitää tutkimuksen luotettavuutta heikentävänä tekijänä (10,14).

### Hoitotapahtuman kokonaisvaikuttavuus

Hoitotapahtuman kokonaisvaikuttavuus jää useimmiten satunnaistetun kontrolloidun kokeen ulottumattomiin, koska kokeet eivät tavoita vuorovaikutustilanteeseen liittyvää potilaan saaman tiedon ja ohjeiden, tuen sekä toimintakyvyn edistämisen vaikuttavuutta (kuvio 3) (15). Hoitotapahtuman kokonaisvaikuttavuuden arviointi edellyttäisi potilaiden

R, Lester H, McDonald R, Roland M. Reduced mortality with hospital pay for performance in England. *N Engl J Med* 2012;367:1821–8.

25 Wallace DJ, Angus DC, Barnato AE, Kramer AA, Kahn JM. Nighttime intensivist staffing and mortality among critically ill patients. *N Engl J Med* 2012;366:2093–101.

26 Kruis AL, Boland MR, Assendelft WJ ym. Effectiveness of integrated disease management for primary care chronic obstructive pulmonary disease patients: results of cluster randomised trial. *BMJ* 2014;349:g5392.

27 Ioannidis JP. Why most discovered true associations are inflated. *Epidemiology* 2008;19(5):640–8.

28 Bagg MK, O'Hagan E, Zahara P ym. Systematic reviews that include only published data may overestimate the effectiveness of analgesic medicines for low back pain: a systematic review and meta-analysis. *J Clin Epidemiol* 2020;124:149–59.

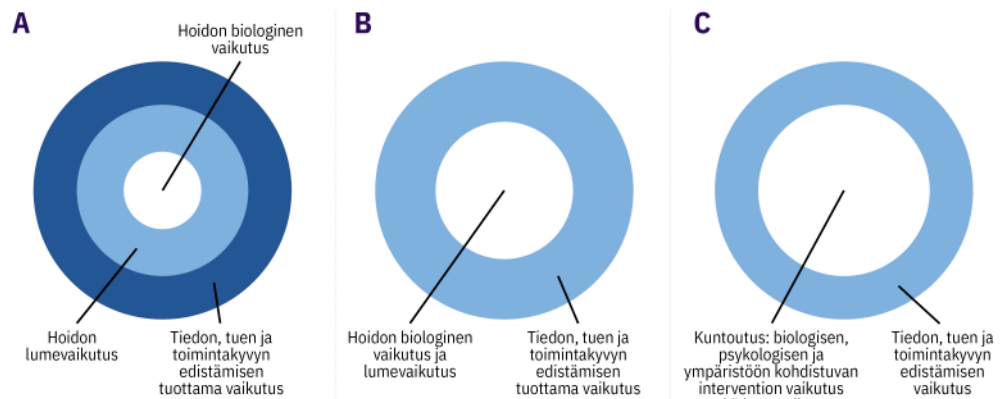
29 Malmivaara A. Applicability of evidence from randomized controlled trials and systematic reviews to clinical practice: A conceptual review. *J Rehabil Med* 2021;53(6):2800. doi: 10.2340/16501977-2843

30 Mustajoki M. Language matters: a study about language communication with bilingual Swedish speakers in Finnish healthcare. Helsingin yliopisto, väitöskirja 2020. <http://urn.fi/URN:IS-BN:978-951-51-6278-6>

31 Malmivaara A. Assessing the effectiveness of rehabilitation and optimizing effectiveness in routine clinical work. *J Rehabil Med* 2018;50(10):849–51.

## KUVIO 3.

### Vaikuttavuuden arviointi eri tutkimuskysymyksissä



A. Vaikuttavuuden arviointi, kun kohteena on yksittäinen biologinen interventio, esimerkiksi lääkemolekyylillä. Silloin vaikuttavuutta voidaan tutkia ainoastaan kaksoissokkoutetussa satunnaistetussa lumekontrolloidussa kokeessa.

B. Vaikuttavuuden arviointi silloin, kun arvioidaan yksittäisen biologisen intervention vaikutusta ja lumevaikutusta yhdessä. Esimerkiksi lääkkeen vaikuttavuutta tutkitaan satunnaistetussa avoimessa (ei-sokkoutetussa) tutkimuksessa, jossa potilaat tietävät joko saavansa lääkähoidon tai jäävänsä siitä paitsi.

C. Usean samanaikaisen intervention, esimerkiksi kuntoutuksen, vaikuttavuuden arviointi. Interventioon voi sisältyä ihmisen biologiaan, psykologiseen tilaan ja ympäristöön kohdistuvia interventioita sekä näihin liittyvää lumevaikutusta.

arpomista ammattilaisen kohtaamiseen tai jäämistä sitä paitsi. Mikäli tila vaatii vastaanottokäynnin, ei ole eettisesti hyväksyttävää satunnaistaa osaa potilaista hoidon ulkopuolelle. Jos taas potilaan tila ei edellytä vastaanottokäyntiä, ei vaikuttavuuden selvittämisen tarvekaan voi olla suuri.

### Hoitoketjun vaikuttavuus

Hoito- tai palveluketjujen vaikuttavuutta, turvallisuutta ja kustannusvaikuttavuutta selvitetäessä vertaiskontrolloitu tutkimus on ensisijainen menetelmä (8). Satunnaistettu kontrolloitu koe on periaatteessa mahdollinen, mutta se edellyttää ryhmäsatunnaistettua koeasetelmaa, jossa arvotaan palvelujen tuottajia noudattamaan heille kokeen määräämää hoitoketjua (16). Tulosten yleistettävyyden arvioimiseksi, koska kokeella saadaan vastaus vain määritellyjen hoito- tai palveluketjujen väliseen vertailuun. Yksinkertaisiin kysymyksenasetteluihin ryhmäsatunnaistettu kontrolloitu koe voi kuitenkin tuoda selkeitä vastauksia (17).

### Vertaisten välinen vaikuttavuus

Vertaisilla tarkoitetaan yksiköitä, joissa avun ja hoidon kohteena on samanlaisia potilaita tai asiakkaita. Samankaltaisia potilaita (asiakas) ryhmiä hoitavien palveluntarjoajien keskinäisellä vertaiskehittämällä edistetään hyvää potilaiden hoitoa. Tässä tilanteessa vertaiskont-

rolloitu tutkimus on ainoa käytettävissä oleva tutkimus- ja arviointimenetelmä vertaisten antamien hoitojen keskinäisen vaikuttavuuden, turvallisuuden ja kustannusvaikuttavuuden selvittämiseen (8,18).

Sote-uudistuksessa hyvinvointialueiden vastuulle tulee laadukas sosiaali- ja terveydenhuolto. Vaikuttavuuden arviointi edellyttää rekistereihin pohjautuvaa tietoa potilaista tai asiakkaista, heidän auttamisekseen tehdyistä toimenpiteistä ja tuloksista. Näitä tietoja on saatavissa laaturekistereistä tai ekosysteemi-pohjaisista järjestelmistä (19,20).

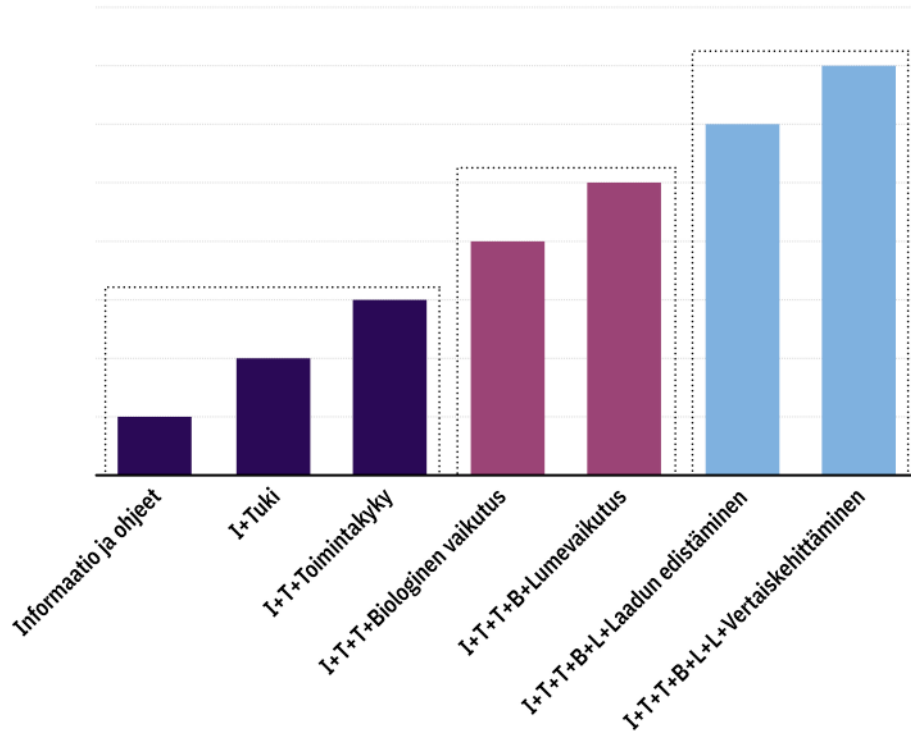
Aiempaa mittavampi panostus kansallisiin laaturekistereihin on juuri nyt ensiarvoisen tärkeää, jotta sosiaali- ja terveydenhuollon vaikuttavuutta, turvallisuutta ja kustannusvaikuttavuutta voidaan arvioida. Laaturekistereitä voidaan käyttää myös laajojen väestöryhmien hyvinvointia edistettäessä, esimerkiksi nuorten syrjäytymisen ehkäisyssä.

### Sosiaali- ja terveydenhuoltojärjestelmän vaikuttavuus

Järjestelmien vaikuttavuuden tutkimuksessa arvioidaan sosiaali- ja terveydenhuollon järjestelmien ja kansanterveystyön potilaille ja väestölle tuottamaa vaikuttavuutta, turvallisuutta ja kustannusvaikuttavuutta (21–23). Järjestelmät tuottavat vaikuttavuutta välillisesti: hyvin organisoidut hoito- ja palveluketjut tuottavat enemmän vaikuttavuutta kuin heikosti organisoidut.

KUVIO 4.

**Arkivaikuttavuuden kumulatiivisuus**



Tummansiniset pylväät: tietoon ja ohjaukseen, tukeen ja toimintakyvyn edistämiseen perustuvat epäspesifiset vaikutukset. Violetit pylväät: biologiset/fysikaaliset vaikutukset ja lumevaikutus. Vaaleansiniset pylväät: laadun arvioinnin ja vertaiskehittämisen vaikutukset. Skemaattinen kuvio (31).

On kuitenkin huomattava, että nämä tavoitteet ovat riippuvaisia hoidon ja palvelun saataavuudesta ja saavutettavuudesta, ammattilaisten laadukkaasta työstä ja yhdenvertaisuuden toteutumisesta. Näiden edellytysten arvioiminen ja mittaaminen on yhtä tärkeää kuin tulosten arviointi. Muutoin hoitoyksikön voidaan arvioida suoriutuvan huonosti, vaikka se tosiasiaassa hoitaa laadukkaasti kaikkein vaikeimpia potilaita.

Järjestelmätason vaikuttavuutta ei ole mahdollista tutkia muutoin kuin erikseen kussakin potilas- tai asiakasryhmässä. Se edellyttää kohderyhmän, interventioiden ja luotettavien tulostulostimittarien määrittämistä. Järjestelmien parantuminen, esimerkiksi myönteinen kulttuuri ja hyvä työilmapiiri, todennäköisesti edistää sekä henkilöstön että potilaiden ja asiakkaiden terveyttä ja hyvinvointia, mutta vaikuttavuus, turvallisuus ja kustannusvaikuttavuus on aina osoitettava potilas- tai asiakasryhmäkohtaisesti interventiot määrittellen ja riittävän monipuolisilla tulostimittareilla.

Sosiaali- ja terveydenhuoltojärjestelmään kohdistuvan intervention vaikuttavuutta voi-

daan tutkia parhaiten vertaiskontrolloiduilla tutkimuksilla (21,24,25). Vaihtoehtona ovat ryhmäsätunnaistetut kontrolloidut kokeet (cluster-RCT), joissa hoitoyksiköitä arvotaan interventio- ja vertailuryhmään. Interventio-ryhmässä toteutetaan organisatorisia muutoksia ja vertailuryhmässä toisenlaisia muutoksia tai jatketaan aiemmalla organisaatiorakenteella (16,26). Ryhmäsätunnaistetut tutkimukset vaativat huomattavia voimavaroja, kokeen toteutettavuus on haasteellista, ja tutkimuksen päätuloksina ovat järjestelmässä tapahtuneet muutokset ja vasta toissijaisesti potilaiden tai asiakkaiden saama vaikuttavuus.

Arjen olosuhteissa potilaiden kirjo on useimmiten laajempi kuin satunnaistetuissa kontrolloiduissa kokeissa, hoitoja antavat henkilöt ovat kokeneita ja osaavia ja lisäksi osa vaikuttamattomuutta osoittavista kokeista jätetään julkaisematta. Satunnaistettujen kokeiden onkin arvioitu osoittavan jopa hoidon parasta kulloinkin saavutettavissa olevaa vaikuttavuutta (27,28).

Kokeellisen vaikuttavuuden ja arkivaikuttavuuden erojen pätevä tutkiminen ja satunnaistettujen kokeiden sovellettavuuden arviointi



## SIDONNAISUUDET

Antti Malmivaara: Luottamustoi-  
met: Cochrane Rehabilitation,  
Advisory Committee; Cochrane  
Back and Neck Review Group,  
Editorial Board; European  
Academy of Rehabilitation Medi-  
cine; Sairaala Orton, tieteellisen  
yksikön johtoryhmä; STM, Palve-  
luvalikoimaneuvoston  
Tules-jaos.

edellyttävät kuitenkin satunnaistettujen kokei-  
den vertailua vertaiskontrolloituja tutkimuksia  
hyödyntäviin laaturekistereihin. Potilaiden ja  
interventioiden ominaisuuksien sekä tulos-  
mittarien dokumentaation tulee olla saman-  
kaltaista laaturekistereissä ja satunnaistetuissa  
kokeissa (29).

## Vuorovaikutus vaikuttavuustutkimuksen kohteena

Terveydenhuollon arvo (vaikuttava, turvallinen  
ja kustannusvaikuttava hoito) luodaan tervey-  
denhuollon henkilöstön ja potilaiden välises-  
sä vuorovaikutuksessa, jossa otetaan potilaan  
ympäristö ja sosiaaliset tekijät huomioon (15).  
Vuorovaikutuksessa potilaat ovat aktiivisia toi-  
mijoita, jotka osallistuvat itselleen tulevan ar-  
von luomiseen ja joiden arvot ja arvostukset  
vaikuttavat päätöksentekoon. Koska vuorovai-  
kutuksen merkitys vaikuttavuudelle on aina  
sidoksissa kontekstiin, tarvitaan sen arvioin-  
nissa vertaiskontrolloituja kokeita.

Lääketieteellinen diagnostiikka ja sen poh-  
jalta tapahtuva hoidon valinta sekä hoitavan  
henkilön ja potilaan välinen keskustelu sairau-  
den luonteesta, ennusteesta ja potilaan omahoi-  
dosta ovat jo sinällään potilaan ennusteeseen  
vaikuttavia interventioita (kuviot 4). Potilaan  
osaaminen ja mahdollisuus saada tietoa myös  
muualta voivat edistää vaikuttavuutta (30). Toi-  
seksi vaikuttavuutta lisää hoitavan henkilön  
potilaalleen antama henkinen tuki; esimerkik-  
si elintapamuutokset eivät onnistu, ellei hen-  
kilö usko niihin kykenevänsä. Kolmanneksi  
potilaan toimintakyvyn, työkyvyn ja itsenäisen

elämän edistäminen on jo sinällään vaikutta-  
vuutta. Nämä kolme elementtiä tuottavat vai-  
kuttavuutta myös sosiaalihuollossa. Neljänte-  
nä, usein keskeisenä, vaikuttavuuden keinona  
tulee biolääketieteellinen hoito, esimerkiksi  
lääkehoito ja tähän liittyvän lumevaikutus.  
Myös biologisen hoidon vaikuttavuutta edistää  
potilaan ja hoitavan henkilön välinen onnistu-  
nut vuorovaikutus.

## Laaturekisterit ovat vaikuttavuuden arvioinneissa välttämättömiä.

Laaturekisterien avulla saadaan tietoa so-  
siaali- ja terveydenhuollon suoriutumuksesta, ja  
vertaiskehittämisellä vaikuttavuutta voidaan  
jatkuvasti parantaa.

Sosiaali- ja terveydenhuollon vaikuttavuus  
on luonteeltaan kumulatiivista ja perustuu  
toistuviin vuorovaikutustilanteisiin (31). Esi-  
merkiksi akuutin sydäninfarktin akuuttihoi-  
don monet päätöksentekotilanteet jatkuvat koti-  
utumisen jälkeisinä kuntoutustoimenpiteinä.  
Kaikki sosiaali- ja terveydenhuollon ammatti-  
ryhmät tuovat oman panoksensa potilaan hoi-  
toon. Kumulatiivisen vaikuttavuuden arviointi  
tapahtuu vertaiskontrolloitujen tutkimusten  
menetelmiä soveltamalla. Laaturekisterit ovat  
näissä arvioinneissa välttämättömiä. •

### Nucala 100 mg injektioneste, liuos, esitäytetty kynä, Nucala 100 mg injektioneste, liuos, esitäytetty ruisku

**Vaikuttavat aineet:** Mepolitsumabi on humanisoitu monoklonaalinen interleukiini-5 vasta-aine.  
**Käyttöaiheet:** Lisähoitona vaikean eosinofiilisen astman, kroonisen polypottisen rinosiniitin (CRSwNP),  
eosinofiilisen granulomatoottisen polyangiitin (EGPA) ja hypereosinofiilisen oireyhtymän (HES) hoidossa.  
Ks. yksityiskohtaisemmat tiedot käyttöaiheisiin liittyen valmisteyhteenvedosta. **Ehto:** Nucala-hoitoa saavat  
määrät vain vaikean hoitoresistentin eosinofiilisen astman, CRSwNP:n, EGPA:n tai HES:n diagnosoituihin  
ja hoitoon perehtyneet lääkärit. **Annostus:** Nucala on tarkoitettu pitkäaikaishoitoon kaikissa käyttöaiheissa.  
**Vaikea eosinofiilinen astma. Aikuiset ja vähintään 12-vuotiaat nuoret:** Suositeltu mepolitsumabiannos on  
100 mg ihon alle (s.c.) 4 viikon välein. **Krooninen polypottinen rinosiniitti (CRSwNP). Aikuiset:** Suositeltu  
mepolitsumabiannos on 100 mg ihon alle (s.c.) 4 viikon välein. Jos 24 viikkoa jatkuneen CRSwNP-hoidon  
jälkeen ei todeta vastetta, voidaan harkita muita hoitoja. **Eosinofiilinen granulomatoottinen polyangiitti (EGPA).**  
**Aikuiset ja vähintään 12-vuotiaat nuoret:** Suositeltu mepolitsumabiannos on 300 mg ihon alle (s.c.) 4 viikon  
välein. **Hypereosinofiilinen oireyhtymä (HES). Aikuiset:** Suositeltu mepolitsumabiannos on 300 mg ihon alle  
(s.c.) 4 viikon välein. Lääkärin tulee arvioida hoidon jatkamisen tarpeellisuutta vähintään vuoden välein  
taudin vaikeusasteen ja oireiden perusteella (vaikea eosinofiilinen astma, EGPA ja HES). Hoidon jatkamisen  
tarpeellisuutta on arvioitava myös sellaisten potilaiden kohdalla, joille kehityttyä henkeä uhkaava EGPA:n  
tai HES:n oireita, sillä Nucala-valmistetta ei ole tutkittu näissä potilasryhmissä. **Pediatriaset potilaat** sekä  
tarkemmat tiedot annostuksesta ks. valmisteyhteenveto. **Vasta-aiheet:** Yliherkkyys vaikuttavalle aineelle  
tai apuaineille. **Varoitukset ja käyttöön liittyvät varoitukset:** Jäljitettävyyttä. Biologisten lääkevalmisteiden  
jäljitettävyyden parantamiseksi annettun valmisteen nimi ja erännumero on kirjattava selvästi. **Astman  
pahenemisvaiheet.** Mepolitsumabi ei saa käyttää astman akuuttien pahenemisvaiheiden hoitoon.  
Hoidon aikana voi esiintyä astmaan liittyviä haitallisia oireita tai pahenemisvaiheita. Potilaita kehoitetaan  
hakeutumaan lääkärin hoitoon, elleivät astmaoireet lievity tai jos ne pahenevat hoidon aloittamisen jälkeen.  
**Kortikosteroidien** äkillisiä lopettamista ei suositella mepolitsumabi-hoidon aloittamisen jälkeen. Tarvittaessa  
kortikosteroidinannoksia voidaan pienentää asteittain lääkärin valvonnassa. **Yliherkkyysreaktiot ja lääkkeen  
antoon liittyvät reaktiot.** Mepolitsumabi-injektion antamisen jälkeen on esiintynyt akuutteja ja viivästyneitä  
systeemisiä reaktioita, mukaan lukien yliherkkyysreaktioita (esim. anafylaksiaa, nokkosihottumaa,

angioedeemaa, ihottumaa, bronkospasmeja, verenpaineen laskua). Nämä reaktiot ilmaantuvat yleensä  
tuntien kuluessa lääkkeen antamisesta, mutta joissakin tapauksissa on esiintynyt viivästyneitä reaktioita  
(tavallisesti useiden päivien kuluttua). Näitä reaktioita voi ilmaantua ensimmäisen kerran vasta pitkään  
jatkuneen hoidon jälkeen. Jos yliherkkyysreaktioita ilmenee, tulee aloittaa tarvittava asianmukainen hoito.  
**Loistartunnat.** Eosinofiilit saattavat olla osallisena tietyissä loismatooinfektioiden immunologisissa vastaisissa.  
Potilaan mahdolliset loismatooinfektiot on hoidettava ennen mepolitsumabi-hoidon aloittamista. Jos potilas  
saa loistartunnan Nucala-hoidon aikana eikä loismatooinfektioiden hoitoon tarkoitettuja lääkkeitä saavuteta  
hoidovastetta, on harkittava Nucala-hoidon tilapäistä keskeyttämistä. **Henkeä tai elintä toimintaa uhkaava  
eosinofiilinen granulomatoottinen polyangiitti (EGPA).** Nucala-valmistetta ei ole tutkittu potilailla, joilla on  
henkeä tai elintä toimintaa uhkaava EGPA. **Henkeä uhkaava hypereosinofiilinen oireyhtymä (HES)**  
Nucala-valmistetta ei ole tutkittu potilailla, joilla HES:ään liittyy henkeä uhkaavia oireita. **Yhteisvaikutukset:**  
Yhteisvaikutustutkimuksia ei ole tehty. Mepolitsumabin yhteisvaikutuksia muiden lääkkeiden kanssa  
pidetään epätodennäköisinä. **Raskaus, imetys ja hedelmällisyys:** Käyttöä raskauden tai imetyksen  
aikana tulisi harkita vain, jos hoidosta odotettu hyöty äidille on suurempi kuin mahdollinen lapselle  
aiheutuva riski. Ihmisiä koskevia hedelmällisyystietoja ei ole. **Haittavaikutukset:** Hyvin yleiset ja yleiset  
(aikuiset ja nuoret): päänsärky, injektiokohdan reaktiot, selkäkipu, alahengitysteinfektio, virtsateinfektio,  
nielutulehdus, yliherkkyysreaktiot (systeemisten reaktioiden ilmaantuvuus verrattavissa lumeryhmissä  
todettuun ilmaantuvuuteen), nenän tukkoisuus, ylävatsakipu, ekseema, lääkkeen antoon liittyvät reaktiot  
(ihottuma, kasvojen ja kaulan punoitus ja ilhasärky), kuume. Lapsilla turvallisuusprofiili oli samankaltainen  
kuin aikuisilla. **Tarkemmat tiedot** ks. valmisteyhteenveto. **Terveydenhuollon ammattilaisten pyydetään**  
ilmoittamaan epäilyistä lääkkeen haittavaikutuksista Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskukseen  
(www.fimea.fi). **Toimitusluokitus:** Reseptilääke. Lue valmisteyhteenveto ennen lääkkeen määräämistä.  
Valmisteyhteenvetoyhennelmä 24.3.2022. Perustuu 12.11.2021 päivättyyn valmisteyhteenvetoon.  
**Pakkaukset ja hinnat:** 15.3.2022 Nucala 100 mg injektioneste, liuos, esitäytetty kynä VMH sis. alv 1177,72 €  
Nucala 100 mg injektioneste, liuos, esitäytetty ruisku VMH sis. alv 1177,72 €. Nucala 100 mg  
injektiokuiva-aine, 1 x 100 mg (TMH) 1293,05 €. **Korvatavuus:** Rajoitetusti erityiskorvatava vaikean  
eosinofiilisen astman hoitoon. **Lisätietoja:** Valmisteyhteenveto, GSK, Piispansilta 9 A, 02230 Espoo, puh.  
010 3030 30, www.gsk.fi, GSK-tuoteinfo 010 3030 100. 4/2022, PM-FI-MPL-ADVT-220001