

Ehdollinen korvattavuus Suomen lääkekorvausjärjestelmässä

Tapaustutkimuksella täydennetty lainopillinen tutkimus

Oikeustieteen maisterin koulutusohjelma, Vaasa
Maisterintutkielma

Laatija:
Matias Mäkynen

Ohjaaja:
Professori Marcus Norrgård

4.9.2025
Vaasa

Tiedekunta: Oikeustieteellinen tiedekunta

Koulutusohjelma: Oikeustieteen maisterin koulutusohjelma, Vaasa

Opintosuunta: Immateriaalioikeus

Tekijä: Matias Mäkynen

Työn nimi: Ehdollinen korvattavuus Suomen lääkekorvausjärjestelmässä –
tapaustutkimuksella täydennetty lainopillinen tutkimus

Työn laji: pro gradu -tutkielma

Kuukausi ja vuosi: syyskuu 2025

Sivumäärä: 141

Avainsanat: lääkeoikeus, lääkekorvausjärjestelmä, lääkkeiden hintalautakunta, Hila
ehdollinen korvattavuus, innovatiiviset lääkkeet, market access

Ohjaaja tai ohjaajat: Marcus Norrgård

Säilytyspaikka:

Muita tietoja:

Tiivistelmä:

Suomen lääkekorvausjärjestelmässä otettiin vuoden 2017 alusta käyttöön ehdollisen korvattavuuden malli, joka on suomalainen riskinjakomalli uusien avohoidon lääkkeiden korvattavuudelle. Malli säädettiin voimaan kokeiluna osana Sipilän hallituksen lääkesäästöpakettia. Kokeilua jatkettiin 2020 ja malli vakinaistettiin vuoden 2025 alusta. Sairausvakuutuslain 6 luvun 6 a pykälän mukaan hintalautakunta voi tehdä korvattavuus- ja tukkuhintapäätöksen ehdollisena edellyttäen, että uudelle lääkehoidolle on osoitettu erityinen lääketieteellinen tarve ja hoitokustannuksiin, kyseisen lääkevalmisteen hoidolliseen arvoon, kustannusvaikuttavuuteen tai muihin vastaaviin lääkevalmisteen korvattavuuteen tai tukkuhinnan kohtuullisuuden arviointiin vaikuttaviin tekijöihin liittyy merkittävää epävarmuutta.

Tämän tutkielman tutkimuskysymyksenä on, miten lainkohdassa asetetut edellytykset määrittyvät käytännössä. Suppeaa lainvalmistelu- ja muuta kirjallista aineistoa on täydennetty viranomaisten ja lääketeollisuuden edustajien haastatteluilla. Teemahaastatteluissa selvitettiin ehdollisen korvattavuuden lainkohdan käsitteiden sisältöä, ehdollisen korvattavuuden neuvotteluiden käytäntöjä sekä ehdollisesta korvattavuudesta tehtyjen sopimusten muotoa ja sisältöä. Haastatteluiden perusteella ehdollinen korvattavuus nähdään tärkeänä osana Suomen uusien lääkkeiden käyttöönottoa. Käsitteistä on pääosin yhtenäinen käsitys, mutta eniten epäselvyyttä kohdistuu erityisen lääketieteellisen tarpeen määrittelyyn.

Ehdollinen korvattavuus on vakiinnuttanut asemansa osana Suomen lääkekorvausjärjestelmää ja järjestelmän kehitykseltä kohti vaikuttavuusperusteisia sopimuksia odotetaan paljon. Haastatteluissa nostetaan esiin ehdollisen korvattavuuden mukanaan tuomien luottamuksellisten hintojen aiheuttamia ongelmia. Niitä voitaisiin osittain ratkaista yhtenäistämällä uusien lääkkeiden arviointi- ja käyttöönotto toimintaa Suomessa.

Sisällysluettelo

Lyhenteet	VI
1 Johdanto	1
1.1 Lääketeollisuus toimialana	1
1.2 Uusien lääkkeiden kehittäminen ja käyttöönotto	4
1.3 Tutkielman aihe	5
1.4 Metodi ja aineistot	8
2 Suomen lääkekorvausjärjestelmän yleispiirteet	11
2.1 Lääkekorvausjärjestelmä osana Suomen sairausvakuutusta	11
2.2 Korvattavat lääkkeet ja korvausten tasot	12
2.3 Viitehintajärjestelmä ja lääkevaihto	14
2.4 Lääkkeiden hintalautakunta	15
2.5 Lääkevalmisteen korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan hakeminen ja vahvistaminen hintalautakunnassa	16
2.6 Hilan käsittelyajat, muutoksenhaku ja EU:n avoimuusdirektiivi	19
2.7 Korkeimman hallinto-oikeuden oikeuskäytäntöä	20
3 Ehdollinen korvattavuus Suomen lääkekorvausjärjestelmässä	24
3.1 Ehdollisen korvattavuuden kehitys lainsäädännössä	24
3.1.1 Selvitysmies Ruskoahon raportti	24
3.1.2 Ehdollisen korvattavuuden kirjaaminen sairausvakuutuslakiin	25
3.1.3 Ehdollisen korvattavuuden kokeilun jatko	29
3.1.4 Ehdollisen korvattavuuden vakinaistaminen	33
3.2 Lääkkeiden hintalautakunnan ohjeet	35
3.3 Ehdollista korvattavuutta koskevat selvitykset	39
3.3.1 Yhtenäistetty arviointi	39
3.3.2 Lisänäytön kerääminen ja hallitun käyttöönoton sopimusmallit	41
3.3.3 Tiedonhallinta ja arkivaikuttavuustiedon käyttö	43
3.4 Ehdollisen korvattavuuden käyttö ja vaikutukset	47

4	Viranomaisten ja lääketeollisuuden edustajien kokemuksia ehdollisesta korvattavuudesta Suomessa	51
4.1	Aineisto	51
4.2	Hintalautakunnan hakemusprosessi korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan vahvistamiseksi	52
4.2.1	Hakemusprosessin vaiheet	52
4.2.2	Korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan edellytykset hakemusprosessissa	54
4.2.3	Muuta Hilan hakemusprosessista	59
4.3	Ehdollisen korvattavuuden prosessi	59
4.4	Ehdollisen korvattavuuden edellytykset	62
4.4.1	Erityinen syy	62
4.4.2	Erityinen lääketieteellinen tarve	63
4.4.3	Lääkevalmistamiseen liittyvä epävarmuus	64
4.4.4	Uusi lääkehoito	67
4.5	Sopimukset ehdollisesta korvattavuudesta	68
4.5.1	Sopimuksen rakenne ja sisältö	68
4.5.2	Sopimusten luottamuksellisuus	70
4.6	Sopimusten seuranta	71
4.7	Järjestelmän kehittäminen	72
4.7.1	Suomen järjestelmän kanvainväliset verrokkit	72
4.7.2	Prosessin ja käsitteiden kehittäminen	73
4.7.3	Datan parempaa hyödyntämistä ja vaikuttavuussopimuksia	75
4.7.4	Ehdollisen korvattavuuden tulevaisuus	76
5	Johtopäätökset	78
5.1	Ehdollisen korvattavuuden prosessi osana lääkkeiden arviointia ja käyttöönottoa Suomessa	78
5.2	Käsitteistä pääsääntöisesti jaettu ymmärrys	79
5.3	Hintojen luottamuksellisuudesta johtuvia ongelmia voidaan ratkaista	80
5.4	Varovaisesti kohti vaikuttavuutta	82
5.5	Vakiintuneesta poikkeuksesta kohti pääsääntöä?	83
	Lähteet	85

Liitteet	91
Liite 1. Haastattelurunko - teemahaastattelu lääkkeiden ehdollisesta korvattavuudesta	91
Liite 2. Haastateltavat	93
Liite 3. Lääkkeiden hintalautakunnan päätös	94
Liite 4. Lääkkeiden hintalautakunnan esitysmuistio	100

Lyhenteet

EMA	European Medicines Agency, Euroopan lääkevirasto
EU	Euroopan unioni
Hila	Lääkkeiden hintalautakunta
HTA	Health technology assessment, terveysteknologinen arviointi
IMF	Innovative Medicines Fund, innovatiivisten lääkkeiden rahasto
ICER	Incremental cost effectiveness ratio, inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde
Palko	Palveluvalikoimaneuvosto
QALY	Quality-adjusted life year, laatupainotetulla elinvuosi
RCT	Randomized controlled trial, satunnaistettu kontrolloitu tutkimus
T&K	Tutkimus- ja tuotekehitys

1 Johdanto

1.1 Lääketeollisuus toimialana

Lääkkeet ja niiden hinnat ovat yleinen julkisen keskustelun aihe Suomessa. Keskustelua käydään esimerkiksi suomalaisten maksamista lääkkeiden hinnoista verrattuna muihin maihin¹, uusien, usein harvinaisiin² sairauksiin, kehitettyjen lääkkeiden salaisista³ ja korkeista hinnoista⁴ sekä lääkkeiden aiheuttamista kustannuksista yhteiskunnalle⁵, apteekkeille⁶ ja potilaille⁷, lääkkeiden verotuksesta⁸ ja lääkekorvausjärjestelmän lääkekatosta⁹. Hintojen lisäksi keskustelua aiheuttavat esimerkiksi uusien lääkkeiden ja hoitojen saaminen¹⁰ potilaiden käyttöön¹¹ sekä lääkkeiden toimitusongelmat¹². Onkin erittäin ymmärrettävää, että lääkkeet kiinnostavat ja aiheuttavat paljon keskustelua. Samalla ne tarjoavat toivoa pidemmästä elämästä ja paremmasta elämänlaadusta, mutta korkeaksi koetut hinnat aiheuttavat myös epätoivoa ja epäoikeudenmukaisuuden tunnetta. Terveys on suomalaisille tärkeä arvo¹³, vuosikymmenestä toiseen¹⁴.

Globaalin Covid19-pandemian myötä julkinen keskustelu terveydestä aktivoitui ja monipuolistui entisestään. Terveysturvallisuuden yhteys perusoikeuksiin ja talouteen nousi uudella tavalla keskusteluun. Toisaalta pandemian myötä lääketeollisuuden toiminta ja uusien lääkkeiden, pandemian tapauksessa erityisesti rokotteiden käyttöönotto tulivat teemoina ihmisille aiempaa tutummiksi. Rokotteiden nopea kaupallistaminen ja tuotannon kasvattaminen olivat suuria onnistumisia, mutta samalla keskustelua käytiin rokotteiden oikeudenmukaisesta globaalista

¹ Pinola 2024

² Lassila 2024b

³ Paananen 2025a

⁴ Lassila 2024a

⁵ Niinivuo 2022

⁶ Elo 2022

⁷ Kaaro 2022

⁸ Sairanen 2023

⁹ Petäinen 2024

¹⁰ Paananen 2025b

¹¹ Kallionpää 2023

¹² Litmo 2024

¹³ Yle Uutisluokka Triplet 2019

¹⁴ Aarva 1994

jakautumisesta, lääketeollisuuden liiketoimintamallista ja suurista voitoista sekä erityisesti haavoittuvimmassa asemassa olevista ihmisistä.¹⁵

Lääketeollisuus on erittäin pääomavaltainen teollisuudenala. Uuden lääkevalmisteen kehittäminen edellyttää laajoja ja useista vaiheista koostuvia tutkimuksia, joissa lääkkeen tehoa, turvallisuutta ja käytettävyyttä tutkitaan ensin laboratoriossa, eläimillä, sitten ihmisillä. Uuden lääkeaineen kehittämisen ja markkinoille saattamisen keskimääräiset kustannukset ovat erittäin korkeat. Lääketeollisuuden eurooppalaisen kattojärjestön mukaan uuden lääkeaineen tuominen markkinoille maksaa keskimäärin 3,1 miljardia dollaria vuonna 2025. Vuonna 2003 vastaava summa oli 1,4 miljardia dollaria. Keskimäärin kaksi 10 000:sta laboratoriossa löydetystä molekyylistä päättyy lopulta lääkkeenä markkinoille ja tässä kestää keskimäärin 12-13 vuotta.¹⁶ Myös kliinisten lääkekokeiden kesto on pidentynyt ja on nykyisin keskimäärin hieman yli 100 kuukautta eli selvästi yli 8 vuotta.¹⁷ Viime vuosina on uutisoitu runsaasti laihdutuslääkkeistä, joiden kehittämisestä käydään lääkeyhtiöiden välillä kovaa kilpailua. Seuraavan sukupolven laihdutuslääkkeiden tutkimushankkeen arvoksi on arvioitu jopa 30 miljardia dollaria.¹⁸ Samalla laihdutuslääkemarkkinan arvon arvioidaan olevan jopa 150 miljardia dollaria vuonna 2035 ja lääkkeitä voivan käyttää jopa 11 prosenttia maailman väestöstä.¹⁹

Lääketeollisuuden pääomaintensiivisyys juontuu suurista tutkimus- ja tuotekehityskustannuksista (T&K). Vuonna 2023 lääketeollisuuden T&K-intensiteetti eli T&K-menot suhteessa liikevaihtoon olivat 13,5 prosenttia eli korkeimmat kaikista toimialoista ennen ICT-palveluita, joiden T&K-intensiteetti oli 10,9 prosenttia.²⁰

Läákeyhtiöiden teollisoikeuksillaan saamia yksinoikeuksia ja niiden turvin tehtyjä investointeja perustellaan lääketutkimuksen ja uusien lääkkeiden tärkeydellä. Käytännössä koko toimialan olemassaolo oikeutetaan sen tuottamalla hyödyillä yhteiskunnalle. On sanottu, että ilman patentteja koko lääketeollisuutta ei olisi olemassa²¹ ja toisaalta, että patentit ovat lääkealalle tärkeämpiä kuin millekään

¹⁵ Haikala 2022

¹⁶ EFPIA 2025, s. 6, 9

¹⁷ May, Taylor, Gupta, Miranda 2025, s. 6-7

¹⁸ Financial Times Lex 2024

¹⁹ Morgan Stanley 2025

²⁰ EFPIA 2025, s. 10

²¹ Adair ym. 2015, s. 1

muulle toimialalle²². Lääkeyhtiön päätöksiin lääketutkimuksesta vaikuttavat tutkimusten mukaan muun muassa markkinan koko eli kyseistä sairautta sairastavien ihmisten määrä ja lääkkeiden odotetut hinnat.²³

On todettu myös, että vuonna 2000 käytössä olleet lääkkeet laskivat kuolleisuutta 16 prosenttia verrattuna siihen, että käytössä olisi ollut ennen vuotta 1970 käytössä olleet lääkkeet ja että vuosien 1982 ja 2000 välillä uusi markkinoille tullut lääke pidensi ihmisten elinajan odotetta varovaisen arvion mukaan yhdellä viikolla, jolloin yhden ihmisen elinajanodotteen pidentymiselle yhdellä vuodella laskettiin maksavan 6750 dollaria, mikä on selvästi vähemmän kuin laskennallinen elinvuoden taloudellinen arvo.²⁴

Korkeisiin lääkkeiden hintoihin liittyen on käyty myös kriittistä keskustelua lääkeyhtiöiden suuriin markkinointikuluihin liittyen. Niiden nähdään nostavan osaltaan lääkkeiden hintaa, pienentävän investointeja lääkekehitykseen sekä vaikeuttavan lääkäreiden mahdollisuuksia käyttää vaikuttavinta hoitoa varsinkin, kun on kyse suoraan potilaille tehtävästä markkinoinnista, joka on hyväksyttyä Yhdysvalloissa ja Uudessa-Seelannissa. Lääkeyhtiöiden markkinointikuluista on vaikea saada täysin selkeää ja kaiken kattavaa kuvaa, koska tiedot eivät ole julkisia. Markkinointi koostuu ainakin terveydenhuollon ammattilaisille valmisteita markkinoivista myyntiedustajista, että perinteisestä mainostamisesta kunkin maan lainsäädännön puitteissa. Tutkimuksissa on osoitettu, että ainakin osa lääkeyhtiöistä käyttää jopa enemmän rahaa markkinointiin kuin T&K-toimintaan.²⁵

On myös osoitettu, että lääkeyhtiöt markkinoivat heikomman hoitovasteen lääkkeitä kuluttajille 14,3 prosenttia enemmän kuin hyvin toimivia lääkkeitä. Syyksi on epäilty, että heikommin toimivien lääkkeiden myynnin kasvattaminen edellyttää kuluttajamarkkinointia. Vain kahdessa maassa sallittuun kuluttajamarkkinointiin käytettiin 2016 6 miljardia dollaria, mediaanin ollessa 20,9 miljoonaa euroa per lääkevalmiste ja 13,6 prosenttia lääkkeen markkinointibudjetista.²⁶

²² Domeij 1998, s. 1

²³ Lichtenberg 2010, s. 22-23

²⁴ Lichtenberg 2010, s. 24

²⁵ Lexchin 2018, s. 4-5

²⁶ DiStefano ym. 2023

1.2 Uusien lääkkeiden kehittäminen ja käyttöönotto

Innovaatioriippuvuutensa rinnalla lääkealaa leimaa runsas sääntely ja pitkät hallinnolliset prosessit. Ennen kuin uusi lääkeaine tulee markkinoille, sen on täytynyt läpäistä useita seuloja niin suurten yhtiöiden kuin julkisen hallinnon rakenteissa. Yhtiöissä päätöksiä lääkeaihion jatkokehittämisestä edelleen seuraavaan tutkimuspäätökseen tehdään aina arvioiden lääkkeen tulevaa tuottoa muun muassa edellä kuvattujen tekijöiden avulla.

Lääketutkimuksen perustehtävä on käytännössä etsiä uusia aineita tai yhdisteitä, joilla on terapeuttisia vaikutuksia. Lääketutkimus voidaan jakaa karkeasti seuraaviin vaiheisiin:

1. Ensimmäisen johtoyhdisteen valinta ja syntetisointi
2. Johtoyhdisteen optimointi *in vitro*- ja *in vivo* -kokeissa
3. Toksikologiset kokeet
4. Kliiniset turvallisuuskokeet
5. Kliiniset vaikuttavuuskokeet

Niin sanotun prekliinisen vaiheen kattavat kohdat 1-3, jotka tapahtuvat yliopistossa tai lääkeyhtiön tutkimusosastolla. Kliiniset kokeet eli kohtien 4 ja 5 ihmisillä tehtävät kokeet tehdään sairaaloissa.²⁷ Kliiniset kokeet jaetaan neljään vaiheeseen eli faasiin, joista ensimmäinen on turvallisuuteen liittyvä ja siinä tutkitaan lääkkeen käyttäytymistä ihmisissä ja miten lääke vaikuttaa kehoon. Vaiheessa kaksi pyritään löytämään paras annos tasapainottamalla tehoa ja haittavaikutuksia. Vaihe kolme annos varmistetaan ja tehoa verrataan käytössä olevaan standardihoitoon. Tyypillisesti vaiheen kolme tutkimusta on pidetty lääkkeiden myyntiluvan perustana. Kliinisen tutkimuksen neljäs vaihe tulee lääkkeen myyntiluvan jälkeen ja siinä selvitetään, ketkä saavat lääkkeestä parhaan hyödyn ja miksi.²⁸

Kemiallinen yhdiste patentoidaan useimmiten jo siinä vaiheessa, kun *in vitro* -laboratoriokokeissa tai *in vivo* -eläinkokeissa havaitaan farmakologinen vaikutus.²⁹ Aineen löytymisestä sen markkinoille pääsyyn kestää Euroopassa nykyisin keskimäärin 12-13 vuotta. Kun lääke tulee markkinoille, on sen patentin antamasta

²⁷ Domeij 1998, s. 12

²⁸ Fimea 2025b

²⁹ Domeij 1998, s. 1

20 vuoden yksinoikeudesta käytetty jo suuri osa, mistä syystä lääkkeiden yksinoikeussuojaa on mahdollistaa pidentää Euroopan unionissa (EU) enintään viidellä vuodella ja lastenlääketutkimukset tehden vielä kuudella kuukaudella. Kuten edellä on kuvattu, valtaosa ajasta kuluu tutkimukseen ja viranomaisprosesseihin.³⁰

Käytännössä tutkimustyön vaatimuksia määrittävät viranomaisprosessit, joten erottelu tutkimuksen ja byrokratian välillä kehitysprosessin aikajanalla on osittain keinotekoinen. Patenttien, dokumentaationsuojan, lisäsuojatodistusten, myyntilupien, tukkuhinnan ja korvattavuuden hakemukset edellyttävät valtavan määrän tietoa lääkkeen ominaisuuksista, turvallisuudesta, tehosta ja kustannusvaikuttavuudesta. Prosesseissa vertaillaan toisaalta terveyshyötyjä havaittuihin haittavaikutuksiin, toisaalta terveyshyödyillä saatuja yhteiskuntataloudellisia tuottoja suhteessa hoidon kustannuksiin.

Vuosien 2020-2023 aikana Euroopan lääkevirasto (EMA) hyväksyi 173 lääkevalmisteen myyntilupahakemuksen. EU:n jäsenmaissa oli tammikuussa 2025 näistä käytössä eli hyväksytty julkisesti rahoitettavaksi keskimäärin 80 valmistetta eli 46 prosenttia. Saksassa valmisteita oli käytössä eniten, 156 valmistetta ja 90 prosenttia ja vähiten Maltalla, 17 valmistetta ja 10 prosenttia. Suomessa käytössä oli hieman keskiarvoa enemmän, 87 valmistetta eli 50 prosenttia myyntiluvan saaneista lääkkeistä.³¹ Aika myyntiluvan saamisesta korvattavuuspäätökseen kesti unionissa vuosien 2020-2023 aikana keskimäärin 578 vuorokautta. Saksa oli myös nopein 128 vuorokauden keskiarvolla, Portugali hitain 840 vuorokauden keskiarvolla. Suomessa valmisteen saaminen käyttöön kesti keskimäärin 444 vuorokautta.³²

1.3 Tutkielman aihe

Suomessa lääkkeitä rahoitetaan kahden julkisen kanavan kautta – Kelan rahoittaman lääkekorvausjärjestelmän ja valtion rahoittamien hyvinvointialueiden niin sanotun sairaalakanavan kautta. Suomen uusimman lääketilaston mukaan lääkkeitä myytiin vuonna 2024 yhteensä 4 miljardilla eurolla. Kasvua edelliseen vuoteen oli 5 prosenttia eli 188 miljoonaa euroa. Aptekeissa jaeltavien reseptilääkkeiden osuus tästä oli 2,75 miljardia euroa, joka kasvoi edellisestä vuodesta 7 prosenttia ja

³⁰ EFPIA 2025, s. 6

³¹ Newton ym. 2025, s. 12

³² Newton ym. 2025, s. 17

itsehoitolääkkeiden 398 miljoonaa euroa, kasvua yksi prosentti.

Tukkumyyntihintainen sairaalalääkkeiden osuus oli 883 miljoonaa euroa, mikä oli kaksi prosenttia enemmän kuin vuonna 2023. Käytännössä sairaaloiden maksama hinta oli tätä alempi niiden kilpailutuksissa saatujen luottamuksellisten sopimushintojen ansiosta.³³

Suomessa maksettiin lääkekorvauksia vuonna 2024 1,9 miljardia euroa. Kasvua edelliseen vuoteen oli 5,9 prosenttia eli 106 miljoonaa euroa. Kasvu oli voimakasta verrattuna aiempiin vuosiin, jolloin korvaukset kasvoivat yhden prosentin (2023) ja kolme prosenttia (2022). Lääkekorvauksia maksettiin 3,2 miljoonalle henkilölle eli 56 prosentille suomalaisista. Korvauskustannuksista 49 prosenttia aiheutui erityiskorvattavista lääkkeistä. Euromääräisesti myydyin lääkeaine oli diabeteslääke semaglutidi, jota on alettu käyttää myös laihdutuslääkkeenä ja jota myytiin 75 miljoonalla eurolla. Se nousi ensimmäistä kertaa myydyimmäksi pitkään kärjessä olleen nikotiinin ohi. Eniten kulutettujen lääkkeiden joukosta seitsemän kymmenestä oli sydän- ja verisuonitautien hoitoon. Kulutetuimpien ja myydyimpien lääkkeiden ero selittyy sillä, että myydyimpien lääkkeiden patenttisuoja on vielä voimassa ja kulutetuimpien lääkkeiden hinta on painunut alas, kun yksinoikeuden lakattua kilpailevat valmisteet laskevat hintaa murto-osaan aiemmasta.³⁴

Tässä tutkielmassa tutkitaan lääkekorvausjärjestelmään vuodesta 2017 kuulunutta ehdollisen korvattavuuden järjestelmää. Ensisijaisena tutkimuskysymyksenä on, miten ehdollista korvattavuutta koskeva sairausvakuutuslain 6 luvun 6a § sovelletaan käytännössä. Tarkoitus on ymmärtää, miten lainkohdassa esiintyvät käsitteet vaikuttavat ehdollisen korvattavuuden myöntämiseen ja kuinka neuvotteluprosessi Lääkkeiden hintalautakunnan (Hila) ja lääkkeen myyntiluvan haltijan, käytännössä lääkeyhtiön, välillä etenee. Tarkoitus on myös muodostaa käsitys neuvottelujen tuloksena syntyvän sopimuksen pääpiirteistä ja siitä, miten järjestelmä täyttää sille asetetut tavoitteet.

Sairausvakuutuslain 6 luvun 6a §:n mukaan Hila voi tehdä korvattavuus- ja tukkuhintapäätöksen ehdollisena edellyttäen, että uudelle lääkehoidolle on osoitettu erityinen lääketieteellinen tarve ja hoitokustannuksiin, kyseisen lääkevalmisteen

³³ Fimea 2025a, s. 19

³⁴ Fimea 2025a, s. 20-22

hoidolliseen arvoon, kustannusvaikuttavuuteen tai muihin vastaaviin lääkevalmisteen korvattavuuteen tai tukkuhinnan kohtuullisuuden arviointiin vaikuttaviin tekijöihin liittyy merkittävää epävarmuutta. Lainkohdan 1 momentin kohdassa on useita käsitteitä, joiden käytännön soveltamiseen liittyy kysymyksiä. Erityisen kiinnostavia käsitteitä ovat ”erityinen lääketieteellinen tarve” sekä ”merkittävä epävarmuus”, joka liittyy ”hoitokustannuksiin, lääkevalmisteen hoidolliseen arvoon, kustannusvaikuttavuuteen tai muihin vastaaviin tekijöihin”.

Lääkeyhtiön tekemän korvattavuushakemuksen koskiessa ehdollista korvattavuutta olennaisen ja tavanomaista hakemusprosessia ajallisesti pidemmän osan käsittelyä muodostavat neuvottelut Hilan ja hakijan välillä. Hilan ehdollista korvattavuutta koskevan päätöksen osana on lautakunnan ja lääkkeen myyntiluvan haltijan välinen sopimus, josta säädetään sairausvakuutuslain 6 luvun 6a §:n 2 momentissa. Sopimuksessa määritellään valmisteeseen liittyvän epävarmuuden vastuunjako sekä sopimuksen toteutumisen seuranta ja ehdollisen korvattavuuden päättymisen. Sopimuksia ei julkaista, vaan ne ovat liikesalaisuuksina salattuja. Tämä heikentää lääkekorvausjärjestelmän läpinäkyvyyttä ja tekee lopullisen vahvistetun tukkuhinnan arvioimisesta mahdotonta muille kuin neuvotteluihin osallistuneille ja Hilan päätöksenteossa mukana olleille. Järjestelmän läpinäkyvyyden heikkeneminen on hinta uusien lääkkeiden aiempaa nopeammalle käyttöönotolle.

Ehdollinen korvattavuus otettiin Suomessa käyttöön vuoden 2017 alusta voimaan tulleella sairausvakuutuslain muutoksella (HE 184/2016 vp). Muutoksen myötä myös Suomeen saatiin monessa muussa Euroopan maassa käytössä oleva riskinjakomalli. 2017 alusta voimaan tullutta kolmen vuoden määräajaksi säädettyä säännöstä päätettiin jatkaa toisella viiden vuoden määräaikaisella lainmuutoksella (HE 40/2019 vp), joka tuli voimaan vuoden 2020 alusta ja jossa sääntelyyn tehtiin pieniä muutoksia. Järjestelmä vakinaistettiin vuoden 2025 alusta tehdyllä muutoksella (HE 129/2024 vp). Ehdollisen korvattavuuden käyttöönoton tavoitteena on ollut hallituksen esitysten mukaan lääkkeiden, erityisesti kalliimpien valmisteiden käyttöönoton nopeuttaminen, lääkevalmisteisiin liittyvien epävarmuuksien riskien jakaminen sairausvakuutusjärjestelmän ja lääkeyritysten välillä sekä säästöjen saaminen sairausvakuutusjärjestelmässä.

Ehdollisen korvattavuus ja siihen liittyvä sopimus ovat suomalainen lääkkeiden käyttöönoton riskinjakomalli. Kansainvälisesti ja Suomessakin sairaaloissa puhutaan

myös uusien lääkkeiden hallitusta käyttöönotosta sekä riskinjakosopimuksista. Käsitteet ovat lähellä toisiaan ja osittain päällekkäisiä, mutta tässä tutkielmassa käytetään Suomen järjestelmästä puhuttaessa sairausvakuutuslaissakin käytettyä ehdollisen korvattavuuden käsitettä.

1.4 Metodi ja aineistot

Tutkielman metodina on tapaustutkimuksella täydennetty lainoppi. Lainopillisena näkökulmana käytän soveltuvien osin Thomas Wilhelmssonin kriittisen vaihtoehtoisen lainopin ajattelua, jossa keskeinen lähtökohta on oikeuden ymmärtäminen tulevaisuussuuntautuneesti mahdollisuutena. Ainoastaan oikeudellisen todellisen systematisoinnin lisäksi lainoppi voi etsiä oikeudellisesti mahdollisen rajoja ja myötävaikuttaa näiden mahdollisuuksien toteutumiseen. Wilhelmssonin ajattelussa korostuvat uuden oikeudellisen todellisuuden mahdollisuudet, jotka kytkeytyvät konkreettiseen oikeusaineistoon ja esimerkiksi lainsäädännössä esiintyviin poikkeuksiin, jotka voisivat muodostaa uusia pääsääntöjä ja yleisiä oppeja.³⁵ Ehdollisen korvattavuuden järjestelmässä on nimenomaisesti kysymys poikkeuksesta, joka tulevaisuudessa kehittyessään voi muodostua jopa pääsäännöksi, kun institutionaaliset puitteet kehittyvät ja toisaalta alan kehittyvä teknologia tätä vaatii.

Täydennän lainopillista tutkimusta tapaustutkimuksella. Tapaustutkimuksia suositellaan metodiksi, kun tutkimuksen pääkysymykset kuuluvat "miten" tai "miksi", tutkijalla on vähän tai ei lainkaan mahdollisuutta vaikuttaa tutkittavien käytökseen ja tutkimus keskittyy nykyisyydessä tapahtuvaan ilmiöön.

Tapaustutkimuksen tarkoituksena ei ole tehdä laajoja yleistyksiä yksittäistapauksista, vaan muodostaa käsittelyssä olevasta ilmiöstä ja sen käytännön ilmenemisestä syvälinen käsitys käsittelyssä oleviin tapauksiin syvällisesti perehtymällä.³⁶

Tapauksina voidaan käsitellä niin yksilöitä, pieniä ryhmiä, tapahtumia tai muita entiteettejä kuin ihmisiä. Vaikka lähtökohtaisesti tapaustutkimukset nähdään olevan tutkimuksia nimenomaan kohteena olevista tapauksista, myös laajempia ja teoreettisempia johtopäätöksiä on mahdollista tehdä analyttisen yleistämisen avulla.

³⁵ Wilhelmsson 1997, s. 347-349

³⁶ Yin 2018, s. 2

Tapauksista ei voida tehdä tilastollisia yleistyksiä, mutta analyttiset yleistykset, joilla laajennetaan tai yleistetään teorioita, ovat mahdollisia.³⁷

Tapaustutkimuksen avulla on tässä tutkielmassa tarkoitus täydentää niukkaa lainvalmistelu- ja muuta kirjallista aineistoa. Tapaustutkimuksen aineistona toimivat viranomaisten ja lääketeollisuuden asiantuntijoiden teemahaastattelut.

Liikesalaisuuksien ja haastateltavien anonymiteetin suojaamiseksi tapauksina ei ole mahdollista käsitellä esimerkiksi yksittäisiä lääkeyhtiöitä tai viranomaisia, vaan tapauksina toimivat viranomaisten edustajat ja lääketeollisuuden edustajat kollektiiveina. Haastatteluja läpikäyvässä luvussa 4 erittelen teemoittain viranomaisen edustajien ja teollisuuden edustajien näkemyksiä ja kokemuksia, silloin, kun ne poikkeavat toisistaan. Haastateltavilla ei ole mahdollisuutta kommentoida yksittäisiä neuvotteluprosesseja tai sopimuksia yksityiskohtaisella tasolla, vaan tarkoitus on muodostaa yleiskuva prosessista, käsitteiden sisällöstä ja merkityksestä sekä sopimuksista.

Suomen lääkekorvausjärjestelmästä on oikeudellista kirjallisuutta vain vähän ja ehdollisesta korvattavuudesta ei ole Suomessa julkaistu kuin pro gradu -tutkielmia. Oikeustieteellistä lähdeaineistoa on siis haettava muualta, esimerkiksi lainvalmisteluaineistosta, jotka perinteisen oikeuslähdeopin mukaan ovat heikosti velvoittavia oikeuslähteitä. Olemassa on kolme ehdollista korvattavuutta käsittelevää hallituksen esitystä sekä niiden eduskuntakäsittelyyn liittyvät valiokuntamietinnöt ja asiantuntijalausunnot. Ensimmäisessä hallituksen esityksessä vuodelta 2016 määräaikaiseksi kokeiluksi säädetty ehdollinen korvattavuus on osa laajempaa sairausvakuutuslain uudistuskokonaisuutta, jonka tavoitteena oli toimeenpanna Juha Sipilän hallituksen lääkekulujen säästöohjelma. Toinen, Marinin hallituksen antama esitys vuodelta 2019 on teknisluonteisempi, mutta sisältää jo alustavia kokemuksia ensimmäisen kahden vuoden kokeilun ajalta. Kolmannessa, Orpon hallituksen esityksessä ei tehdä aineellisia muutoksia sääntelyyn, vaan vakiinnutetaan järjestelmä. Hallituksen esityksissä on kyse varsin tiiviistä ja suppeasta aineistosta, joissa lain käsitteitä ei avata. Asiantuntijalausunnot toistavat esityksen perusteluja eikä ehdollisen korvattavuuden käyttöönottoon tai kokeilun jatkokoon liity näkyviä ristiriitoja. Hallituksen esityksissä ehdolliselle korvattavuudelle on kuitenkin asetettu

³⁷ Sund-Norrgård 2016, s. 268-269

selkeitä tavoitteita, joiden toteutumista on mahdollista arvioida. Silti pelkän lainvalmisteluaineiston pohjalta arviointi jäisi pinnalliseksi.

Oikeustieteellisen tutkimuksen kannalta Hilan kotisivuillaan julkaisemat päätöslistat ovat suppeita. Niiden pohjalta voi arvioida lähinnä, että ehdollisen korvattavuuden järjestelmän käyttö on yleistynyt, mutta päätöksentekoprosessista, hinnoista, käyttöönoton nopeudesta tai muista mallin käyttöönoton tavoitteiden täyttymisestä ei päätöksentekoaineistosta voi tehdä päätelmiä. Aineisto ei sisällä perusteluja tai muuta sanallista aineistoa, vaan luettelomaisuudessaan jättää paljon kysymyksiä vastaamatta. Julkaistuja päätöslistoja täydentämään saatiin yhtä lääkevalmistetta koskeva Hilan päätös sekä esitysmuistio, josta on poistettu liikesalaisuuksia koskevat tiedot. Haastatteluaineistoon yhdistettynä ne auttavat vastaamaan tutkimuskysymykseen. Päätös on tutkielman liitteenä 3 ja esitysmuistio liitteenä 4.

Yksi tapa täydentää aineistoa on liittää siihen teemaan liittyviä viranomaisraportteja sekä hintalautakunnan päätöksentekoaineistoa. Tutkielmaa varten käytiin läpi lähes 50 sosiaali- ja terveysministeriön ja muiden toimijoiden julkaisemaa raporttia tai selvitystä, joista kymmenkunta valikoitui tutkielman aineistoon.

Koska sopimukset ovat salaisia, hintalautakunnan neuvottelut käydään suljettujen ovien takana ja aihetta koskeva aineisto kaiken kaikkiaan on niukkaa, perinteisen lainopin menetelmiä on tutkimuksessa täydennettävä muilla menetelmillä. Olen edellä kuvatusti valinnut menetelmäkseni asiantuntijoille tehtävät teemahaastattelut. Haastatteleamalla hintalautakunnan ja lääkeyhtiöiden neuvotteluihin osallistuneita asiantuntijoita on mahdollista saada sellaista tietoa, joka ei lainsäädännöstä ja valmistelu- tai päätösaineistosta ilmene. Teemahaastattelujen runko on tutkielman liitteenä (Liite 1).

Haastatteluaineisto on analysoitu käyttämällä sisällönanalyysimenetelmää. Sisällönanalyysissä litteroidaan aineisto, perehdytään siihen, verrataan samankaltaisuuksia ja erilaisuuksia, luokitellaan aineisto ja abstrahoidaan se. Empiirisestä aineistosta edetään kohti käsitteellisempää näkemystä ilmiöstä.³⁸

³⁸ Ervasti 2021, Sisällönanalyysi: esimerkkinä asumiskonfliktit

2 Suomen lääkekorvausjärjestelmän yleispiirteet

2.1 Lääkekorvausjärjestelmä osana Suomen sairausvakuutusta

Lääkekorvausjärjestelmä on osa suomalaista sosiaaliturvaa. Se osaltaan toimeenpanee perustuslain (731/1999) 19.2 § säännöstä perustoimeentulon turvan järjestämisestä työttömyyden, sairauden, työkyvyttömyyden ja vanhuuden aikana sekä lapsen saamisen ja huoltajan menetyksen perusteella. Lääkekorvaukset ovat osa sairausvakuutusta, joka kohdistuu nimensä mukaisesti erityisesti sairauden ja työkyvyttömyyden aiheuttaman turvan tarpeeseen. Sairausvakuutuksen tarkoitus on taata, että Suomessa kukaan ei jää vaille tarvitsemaansa hoitoa ja turvaa sairastuessaan siksi, ettei siihen ole varaa.³⁹

Lääkekorvausjärjestelmä otettiin Suomessa käyttöön vuonna 1967, kun sairausvakuutuslaki yleensä oli tullut voimaan 1.4.1964. Järjestelmää on uudistettu useaan kertaan tavoitteena toisaalta lääkekulujen kasvun hillitseminen, toisaalta potilaiden omavastuuosuuksien pitäminen kohtuullisina.⁴⁰

Vuonna 2004 säädetyin nykyisen sairausvakuutuslain (21.12.2004/1224) 1 § mukaan vakuutetulla on oikeus korvaukseen tarpeellisista sairaudenhoidon aiheuttamista kustannuksista sekä lyhytaikaisen työkyvyttömyyden ja raskauden ja lapsenhoidon aiheuttamasta ansionmenetyksestä. Sairausvakuutuslain nojalla korvataan myös hyvän työterveyshuoltokäytännön mukaisia työterveyshuollon kuluja sekä tasataan työnantajille vanhempainvapaista syntyviä kustannuksia.⁴¹ Viimeisiä laajempia muutoksia lääkekorvausjärjestelmään tehtiin Juha Sipilän hallituskaudella lääkesäästöpaketin (HE 184/2016 vp) yhteydessä. Tuolloin muun muassa lisättiin lääkeyhtiöiden välistä kilpailua, otettiin käyttöön ehdollinen korvattavuus ja siirrettiin insuliinivalmisteet alempaan erityiskorvausluokkaan.

Sairausvakuutuslain mukainen vakuutettu on Suomessa työskentelevä, yrittäjänä toimiva tai asuva henkilö. Sairausvakuutus jakautuu sairaanhoitokorvauksiin sekä sairauspäivärahaan, jolla toteutetaan ansioturvaa. Sairausvakuutuksen perusteella maksetaan korvausta yksityisen lääkärin ja hammaslääkärin perimistä palkkioista ja

³⁹ Airio 2017, s. 127

⁴⁰ Airio 2017, s. 134-135

⁴¹ Arajärvi 2011, s. 109-111

heidän määräämistään tutkimus- ja hoitokuluista, lääkkeistä sekä matkakuluista sairaanhoitoon. Yleinen edellytys korvaukselle on, että hoito on tarpeellista ja johtuu sairaudesta, raskaudesta tai synnytyksestä. Korvaustaksan enimmäismäärä ja perusteet säädetään valtioneuvoston asetuksella.⁴²

Lääkekorvauksista säädetään sairausvakuutuslain 5 ja 6 luvuissa. Vakuutettujen saamista korvauksista säädetään 5 luvussa ja lääkevalmisteiden korvattavuudesta ja kohtuullisesta tukkuhinnasta 6 luvussa. Lääkekorvausjärjestelmä toimii useiden intressien ja oikeudenalojen risteyksessä. Ensisijaisesti kyse on yllä kuvatusti sairausvakuutuksen osasta, jolla toteutetaan perustuslain turvaamia perusoikeuksia Suomessa. Toisaalta kyse on järjestelmästä, jolla avohoidossa käytettävät uudet lääkkeet pääsevät käytännössä Suomessa markkinoille. Lääke on Suomessa teoriassa markkinoilla, kun se saa myyntiluvan Euroopan unionissa keskitetysti Euroopan lääkevirastolta (European Medicines Agency, EMA) tai kansallisesti Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimealta. Usein varsinkin uudet lääkkeet, joilla on patentin antama suoja ovat kuitenkin niin kalliita, että potilailla ei ole mahdollisuutta niiden käyttöön ennen lääkkeen tulemistä korvattavaksi. Siksi lääkekorvausjärjestelmä on myös lääkeyhtiöille tärkeä kanava omien valmisteiden käyttöön saamiselle. Oma intressinsä järjestelmässä on myös valtiolla, joka korvaukset rahoittaa. Se pyrkii eri tavoin lääkekorvausjärjestelmän kustannusten hillintään samalla kuitenkin turvaten ihmisten perusoikeudet perustuslain edellyttämällä tavalla.

2.2 Korvattavat lääkkeet ja korvausten tasot

Lääkekorvauksia maksetaan sairausvakuutuslain 5 luvussa säädetyin tavoin lääkkeistä ja kliinisistä ravintovalmisteista, jotka lääkäri tai hammaslääkäri on määrännyt sairauden hoitoon, käytännössä yleisimmin siis reseptilääkkeistä. Myös pitkäaikaisen ihotaudin hoitoon käytettävistä perusvoiteista voidaan maksaa korvausta. Korvattavia ovat vain lääkkeiden hintalautakunnan korvattavaksi hyväksymät lääkkeet, kliiniset ravintovalmisteet ja perusvoiteet.⁴³ Korvattavia eivät ole perinteiset kasvirohdosvalmisteet ja homeopaattiset valmisteet. Korvausperusteena voi olla enintään valmisteelle vahvistettu kohtuullinen

⁴² Arajärvi 2011, s. 115

⁴³ Arajärvi 2011, s. 116

tukkuhinta, johon on lisätty lääkelaissa säädetty lääketaksan mukainen apteekin toimitusmaksun sisältämä myyntikate ja arvonlisävero, jotka yhdessä muodostavat lääkkeen vähittäismyyntihinnan apteekissa. Korvausta on mahdollista saada vasta, kun vakuutetun korvaukseen oikeuttavien valmisteiden kustannukset ylittävät sairausvakuutuslain 5 luvun 3a §:n mukaisen 70 euron alkuomavastuu saman kalenterivuoden aikana. Kun kustannusten yhteismäärä alkuomavastuu huomioiden ylittää 633,17 euron vuosiomavastuun, vakuutettu on oikeutettu ylittävältä määrältä lisäkorvaukseen, joka on 100 prosenttia 2,50 euron lääkekohtaisen omavastuuosuuden ylittävältä osalta sairausvakuutuslain 5 luvun 8 § mukaan.

Lääkekorvaukset on jaettu sairausvakuutuslain 4 § ja 5 § mukaisesti kolmeen luokkaan. Peruskorvaus on 40 prosenttia lääkkeen vähittäismyyntihinnasta. Vaikeaksi ja pitkäaikaiseksi arvioitavan sairauden hoidossa käytettävä lääke voi saada erityiskorvattavuuden. Alempi erityiskorvaus on 65 prosenttia valmisteiden vähittäismyyntihinnasta. Ylempi erityiskorvaus on 100 prosenttia 4,50 euron lääkekohtaisen omavastuun ylittävältä osalta alkuomavastuun täyttymisen jälkeen. Ylemmän erityiskorvauksen kohteena olevan lääkkeen on oltava vaikean ja pitkäaikaisen sairauden hoidossa käytön lisäksi vaikutustavaltaan korvaava tai korjaava välttämätön lääke. Erityiskorvauksen kohteena olevien lääkkeiden tarkoittamista vaikeista ja pitkäaikaisista sairauksista säädetään valtioneuvoston asetuksella (17.1.2013/25). Ylempään erityiskorvaukseen oikeuttavia sairauksia ovat asetuksen 1 §:n mukaan esimerkiksi diabetes insuliinihoidon osalta, kilpirauhasen vajaatoiminta, MS-tauti, Parkinsonin tauti ja useat syövät. Alempaan erityiskorvaukseen oikeuttavat muun muassa krooninen keuhkoastma, verenpainetauti, sepelvaltimotauti ja vaikea ja pitkäaikainen narkolepsia.

Lääkkeen korvattavuutta voidaan sairausvakuutuslain 6 luvun 5 § 3 momentin, 6 § ja 9 § 2 momentin mukaan hintalautakunnan päätöksellä rajoittaa vain tiettyjen sairauksien hoitoon. Näin toimitaan, jos lääkkeen käytössä ja tutkimuksessa on osoitettu merkittävää hoidollista arvoa tietyissä sairaustiloissa ja kyse on erityisen kalliista lääkkeestä, joka on välttämätön vakavan sairauden hoidossa ja jonka käyttö peruskorvattuna oikeuttaisi vakuutetun yllämainittuun lisäkorvaukseen tai lääkkeestä laajassa käytössä aiheutuisi kohtuuttomia kustannuksia saavutettuun hyötyyn nähden.

2.3 Viitehintajärjestelmä ja lääkevaihto

Kemiallisten lääkkeiden lääkevaihto alkoi Suomessa vuonna 2003 ja sitä tukeva viitehintajärjestelmä otettiin käyttöön vuonna 2009. Lääkekustannusten hillitsemiseksi on käytössä viitehintajärjestelmä, jossa keskenään vaihtoehtoiset lääkkeet määritellään viitehintaryhmiin, joille lasketaan ryhmän edullisimman valmisteen myyntihinta. Apteekissa lääke voidaan vaihtaa edullisempaan vaihtokelpoiseen valmisteeseen, jos lääkäri tai hammaslääkäri ei ole kieltänyt vaihtoa. Viitehintajärjestelmästä säädetään sairausvakuutuslain 6 luvun 18-24 §:issä. Viitehintaryhmään kuuluvien lääkkeiden korvausperuste on viitehintaryhmälle vahvistettu viitehintaa, johon on lisätty apteekin arvonlisäverollinen toimitusmaksu. Vakuutetulta perityn hinnan ollessa pienempi, kuin korvauksen perusteeksi vahvistettu viitehintaa korvaus maksetaan valmisteen hinnan mukaan.⁴⁴

Asiakkaan kieltäytyessä lääkkeen vaihdosta ja hänen halutessaan käyttää kalliimpaa lääkettä on hänen maksettava viitehinnan ylittävä osuus itse. Lääkärin kieltäessä lääkevaihdon tai jos viitehintaista lääkettä ei ole saatavilla, potilas saa korvauksen lääkkeen koko hinnan perusteella. Lääkkeiden hintalautakunta määrittelee viitehinnat lääkeryhmittäin neljä kertaa vuodessa.⁴⁵

Maaliskuusta 2023 voimaan tulleella sairausvakuutuslain muutoksella (HE 314/2022 vp) viitehintajärjestelmän ja lääkevaihdon piirissä ovat olleet myös biologiset lääkkeet ja niin sanotut biosimilaarit. Biologisella lääkkeellä tarkoitetaan lääkettä, joka sisältää yhtä tai useampaa vaikuttavaa ainetta, joka tuotetaan tai uutetaan biologisesta lähteestä. Biologisten lääkkeiden monimutkaisesta rakenteesta ja tuotantotavasta johtuen niiden tuotantoerät ovat keskenään hieman erilaisia ja niiden välillä esiintyy pientä vaihtelua, toisin kuin kemiallisella synteetillä valmistetuissa lääkkeissä.

Kemiallisista lääkkeistä voidaan valmistaa lääkelain 5 c § 2 momentin mukainen rinnakkaisvalmiste, joka on vaikuttavien aineiden laadun ja määrän osalta koostumukseltaan samanlainen, jolla on sama lääkemuo-to ja jonka biologinen samanarvoisuus vertailuvalmisteen kanssa on osoitettu asianmukaisissa tutkimuksissa. Biologisista lääkkeistä taas on mahdollista valmistaa kliinisesti

⁴⁴ Arajärvi 2011, s. 116

⁴⁵ Airio 2017, s. 136

samanarvoinen lääke eli biosimilaari. Johtuen biologisten lääkkeiden valmistuksesta biologisen alkuperäisvalmisteen ja biosimilaarin välillä esiintyy aina pieniä eroavaisuuksia, jotka vastaavat alkuperäisvalmisteen tuotantoerien välisiä eroja. Lakimuutoksen myötä mahdollistettiin viitehintajärjestelmät, joihin kuuluu sekä alkuperäisiä biologisia lääkkeitä että biosimilaareja.

Viitehintajärjestelmän tarkoituksena on lisätä kilpailua lääkeyhtiöiden välillä. Lääkevaihtoa laajentamalla on otettu asteittain uusia lääkeryhmiä mukaan vaihtoon ja näin ollen pyritty saamaan mahdollisimman suuri hyöty julkisesti rahoitetulle järjestelmälle patenttien raukeamisesta ja kilpailevien valmisteiden tulemisesta markkinoille.

2.4 Lääkkeiden hintalautakunta

Lääkkeiden hintoja säännellään Suomessa sairausvakuutuksen ja lääkelain mukaan. Hintasääntely toteutuu käytännössä lääkkeiden hintalautakunnan kohtuullisen tukkuhinnan vahvistusmenettelyssä, jossa lääkkeen myyntiluvan haltija ja hintalautakunta neuvottelevat lääkkeen korvattavuudessa huomioitavasta kohtuullisesta tukkuhinnasta. Tästä menettelystä säädetään sairausvakuutuslain 6 luvussa sekä valtioneuvoston asetuksessa lääkkeiden hintalautakunnasta (1337/2003, Hila-asetus).

Hilan tehtävät, kokoonpano ja päätöksenteko käsitellään sairausvakuutuslain 6 luvun 1-3 §:ssä sekä Hila-asetuksen 1 ja 8 §:ssä. Lääkkeiden hintalautakunta toimii sosiaali- ja terveysministeriön yhteydessä. Sen tehtävänä on sairausvakuutuslain 6 luvun 1 §:n mukaan lääkkeen, kliinisen ravintovalmisteen ja perusvoiteen korvattavuuden vahvistaminen; kohtuullisen, korvausperusteeksi hyväksyttävän tukkuhinnan vahvistaminen; kohtuullisen tukkuhinnan korottamisesta päättäminen ja korvattavuuden ja tukkuhinnan lakkautuksesta päättäminen. Lisäksi lautakunta päättää lääkkeiden viitehintaryhmien muodostamisesta, viitehinnasta, valmisteiden viitehintaryhmään sisällyttämisestä sekä viitehintaryhmään kuuluvan valmisteen korvattavuudesta ja enimmäistukkuhinnasta.

Lääkkeiden hintalautakunnan ja sen yhteydessä toimivan asiantuntijatyöryhmän asettaa sosiaali- ja terveysministeriö kolmeksi vuodeksi kerrallaan. Hilassa tulee olla kaksi jäsentä sosiaali- ja terveysministeriöstä, yksi valtiovarainministeriöstä, kaksi

Kansaneläkelaitoksesta, yksi Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskuksesta ja yksi Terveystieteiden ja hyvinvoinnin laitoksesta. Hila-asetuksen mukaan jäsenistä vähintään yhden on edustettava lääketieteellistä, yhden farmasian, yhden oikeustieteellistä ja yhden taloudellista asiantuntemusta. Asiantuntijaryhmässä on korkeintaan seitsemän jäsentä ja edustettuna on oltava lääketieteen, farmakologian ja sairausvakuutuksen alan asiantuntemusta.

2.5 Lääkevalmisteen korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan hakeminen ja vahvistaminen hintalautakunnassa

Läkelain 58 § mukaan apteekissa tapahtuvassa lääkkeen vähittäismyynnissä on käytettävä valtioneuvoston asetuksella säädettävän lääketaksan mukaista hintaa. Lääketaksan mukainen hinta muodostuu lääkkeen vähittäismyyntihinnasta, lääkkeen toimituseräkohtaisesta toimitusmaksusta sekä arvonlisäverosta.

Vähittäismyyntihinnan tulee perustua lääkkeen myyntiluvan haltijan ilmoittamaan valtakunnalliseen tukkuhintaan ja tämän tukkuhinnan perusteella laskettavaan myyntikatteeseen. Läkelain 37 a § mukaan lääkkeen tukkuhinnan on oltava kaikille apteekeille ja sivuapteekeille sama.

Hila päättää sille kuuluvat asiat esittelystä ja on päätösvaltainen, kun puheenjohtajan lisäksi läsnä on vähintään kolme jäsentä. Hintalautakunta voi delegoida johtajansa ratkaistavaksi sairausvakuutuslain 6 luvun 3 §:n 2 ja 3 momenteissa luetellut asiat, esimerkiksi voimassa olevan peruskorvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan uudelleen vahvistamisen.

Sairausvakuutuslain 6 luvun 4-13 § sekä Hila-asetuksen 2-7 § käsittelevät prosessia, jolla lääkkeelle vahvistetaan korvattavuus ja kohtuullinen tukkuhintaa. Prosessi alkaa lääkevalmisteen myyntiluvan haltijan tekemästä hakemuksesta. Laki ja asetus asettavat edellytykset hakemuksille sekä perus- ja erityiskorvattavuuden myöntämiselle, korvattavuuden rajoittamiselle, ehdolliselle korvattavuudelle sekä kohtuullisen tukkuhinnan vahvistamiselle ja korottamiselle.

Lääkkeen myyntiluvan haltijan on haettava lääkkeen peruskorvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan vahvistamista Hilalta. Hakemuksessa on sairausvakuutuslain 6 luvun 4 § ja Hila-asetuksen 2 § mukaan esitettävä yksilöity ehdotus valmisteen peruskorvattavuudesta ja kohtuullisesta tukkuhinnasta.

Hakemuksessa on oltava selvitys lääkkeen käyttötarkoituksesta, hoidollisesta arvosta ja korvattavuudella saavutettavista hyödyistä verrattuna muihin saman sairauden hoidossa käytettäviin lääkevalmisteisiin, selvitys keskimääräisestä vuorokausiannoksesta ja näin ollen muodostuvasta lääkehoidon kustannuksesta, perusteltu arvio lääkkeen myyntimäärästä ja valmistetta käyttävien potilaiden määrästä, selvitys lääkkeen taloudellisuudesta ja markkinaennusteesta suhteessa muihin saman sairauden hoidossa käytettäviin lääkkeisiin, patenttia ja lisäsuojatodistusta koskeva selvitys, muissa Euroopan talousalueen maissa käytössä olevat lääkevalmisteen kauppanimet, vahvistetut kohtuulliset myyntihinnat ja korvausperusteet sekä uutta vaikuttavaa ainetta sisältävien valmisteiden kohdalla terveystaloudellinen selvitys. Hakija voi liittää hakemukseensa myös muita tarpeelliseksi katsomiaan selvityksiä ja hintalautakunta voi edellyttää tarvittaessa myös muita selvityksiä.

Kun myyntiluvan haltija hakee lääkevalmistelleen erityiskorvattavuutta, on hakemuksessa esitettävä sairausvakuutuslain 6 luvun 8 §:n mukaisesti samat tiedot, kuin peruskorvattavuutta haettaessa. Lisäksi on esitettävä yksilöity ja perusteltu selvitys erityiskorvattavuudella saavutettavista hyödyistä sekä välttämättömyydestä ja korjaavasta tai korvaavasta vaikutustavasta, taloudellisuudesta ja erityiskorvattavuudesta aiheutuvista kustannuksista sekä markkinaennusteesta. Myös lääkevalmisteen käytettävät hoitoannostukset, vahvuudet ja pakkauskoot on tultava ilmi hakemuksesta.

Peruskorvattavuus voidaan vahvistaa sairausvakuutuslain 6 luvun 5 §:n mukaan myyntilupaviranomaisen lääkevalmistelle vahvistaman valmisteyhteenvedon sekä hyväksytyjen käyttöaiheiden mukaisessa laajuudessa. Käyttöaiheella tarkoitetaan sairautta ja hoitolinjaa, johon lääkettä voidaan käyttää eli korvattavuus voidaan vahvistaa myyntiluvan mukaisiin tarkoituksiin. Päätöksessä on huomioitava lääkkeen hoidollinen arvo. Ilman reseptiä myytävälle valmistelle voidaan vahvistaa perus- tai erityiskorvattavuus ainoastaan, jos se on lääketieteellisin perustein välttämätöntä. Peruskorvattavuutta ei vahvisteta lääkevalmistelle, jota käytetään tilapäisen tai oireiltaan lievän sairauden hoitoon, jonka hoidollinen arvo on vähäinen, jota käytetään muuhun kuin sairauden hoitoon tai perinteiselle kasvirohdosvalmistelle tai homeopaattiselle valmistelle.

Hintalautakunta voi vahvistaa peruskorvattavuuden tiettyyn lääkevalmisteen tarkoin määritellyn käyttöaiheeseen tilanteissa, jotka koskevat edellä kiellettyjä tilanteita. Jos korvattavuutta koskevat edellytykset eivät täyty, myös kohtuullista tukkuhintaa koskeva hakemus raukeaa.

Erityiskorvattavuus voidaan myöntää sairausvakuutuslain 6 luvun 9 §:n mukaan valtioneuvoston asetuksessa määriteltyihin vaikeisiin ja pitkäaikaisiin sairauksiin, kun lääke on hyväksytty ensin peruskorvattavaksi ja lääkkeen hoidollisesta arvosta vaikean ja pitkäaikaisen sairauden hoidossa ja hyödyllisyydestä hoitovaihtoehtoihin verrattuna on riittävästi käyttökokemusta ja tutkimustietoa. Erityiskorvattavuudesta päätettäessä otetaan huomioon sairauden laatu ja että lääkevalmisteen hoidollisesta arvosta, välttämättömyydestä, korvaavasta tai korjaavasta vaikutustavasta, tarpeellisuudesta ja taloudellisuudesta on riittävästi käyttökokemusta ja tutkimustietoa. Päätöstä tehtäessä on huomioitava myös lääkkeiden erityiskorvauksiin käytettävissä olevat varat.

Kun lääkkeelle on vahvistettu korvattavuus, sille voidaan vahvistaa kohtuullinen tukkuhintaa sairausvakuutuslain 6 luvun 7, 7a tai 7b §:n mukaan. Hyväksyttävän tukkuhinnan kohtuullisuutta arvioitaessa otetaan huomioon ensinnäkin saman sairauden hoidossa käytettävien vastaavien lääkevalmisteiden hinnat Suomessa lukuun ottamatta ehdollisen korvattavuuden piirissä olevia valmisteita sekä kyseisen lääkevalmisteen hinnat muissa Euroopan talousalueen maissa. Huomioon otetaan myös lääkevalmisteen käytön aiheuttamat hoitokustannukset ja käytöllä saavutettavat hyödyt potilaan sekä terveyden- ja sosiaalihuollon kokonaiskustannusten kannalta. Myös käytettävissä olevista muista hoitovaihtoehtoista aiheutuvat hyödyt ja kustannukset sekä korvauksiin käytettävissä olevat varat on huomioitava kohtuullista tukkuhintaa vahvistettaessa. Lääkevalmisteen valmistus-, tutkimus- ja tuotekehityskustannukset voidaan ottaa huomioon tukkuhinnan kohtuullisuutta arvioitaessa, jos kustannuksista on esitetty riittävän yksilöityjä, vertailukelpoisia ja luotettavia lääkevalmistekohtaisia tietoja.

Lääkkeiden hintalautakunta voi hyväksyä aiemmin vahvistettua tukkuhintaa korkeamman tukkuhinnan ainoastaan perustellusta syystä ja edellyttäen, että ehdotettua tukkuhintaa voidaan edelleen pitää kohtuullisena ottaen huomioon mitä edellä on todettu kohtuullisuuden arvioinnista.

Myyntiluvan haltija voi hakea lääkevalmisteelle vahvistetun tukkuhinnan korottamista. Lääkkeiden hintalautakunta voi erityisestä syystä hyväksyä korotuksen voimassa olevaan tukkuhintaan, jos ehdotettu uusi hinta on edellä kuvattujen edellytysten mukaisesti kohtuullinen ja hakija osoittaa tukkuhinnan voimassaoloaikana hinnanmuodostukseen vaikuttaneissa seikoissa tapahtuneen olennaisia pysyväisluonteisia muutoksia.

2.6 Hilan käsittelyajat, muutoksenhaku ja EU:n avoimuusdirektiivi

Sairausvakuutuslain 6 luvun 25 §:n mukaan Hilan päätös korvattavuudesta ja kohtuullisesta tukkuhinnasta on toimitettava hakijalle 180 päivän kuluessa hakemuksen saapumisesta. Jos ratkaistavana on vain aiemmin vahvistetun tukkuhinnan korottaminen, päätös on toimitettava 90 päivän kuluessa hakemuksen saapumisesta. Jos hakemuksen tueksi esitetyt tiedot ovat riittämättömät, lautakunta keskeyttää hakemuksen käsittelyn ja ilmoittaa viipymättä hakijalle, mitä lisätietoja hakijalta edellytetään. Hila voi pidentää käsittelyaikaa 60 päivällä, jos hinnankorotushakemuksia on poikkeuksellisen paljon. Myös KHO:n palautettua päätöksen Hilan uudelleen käsiteltäväksi uusi päätös on toimitettava samassa 180 päivän tai 90 päivän kuluessa.

Sairausvakuutuslain 6 luvun 26 §:n mukaan Hilan päätökseen tyytymätön saa hakea siihen muutosta valittamalla Helsingin hallinto-oikeuteen. Hilan päätöstä on noudatettava, kunnes asia on lainvoimaisella päätöksellä ratkaistu. Kyseistä säännöstä muutettiin hallituksen esityksellä 93/2022. Ennen muutosta Hilan päätöksistä valitettiin suoraan korkeimpaan hallinto-oikeuteen. Hallituksen esityksen mukaan valituksia oli viitenä edellisenä vuonna tehty vuosittain 1-3, keskimäärin 1,8 valitusta vuodessa.

Sairausvakuutuslaissa asetetut määräajat perustuvat EU:n niin sanottuun avoimuusdirektiiviin (89/105/ETY). Suomessa käytössä oleva 180 päivän raja perustuu direktiivin kahteen artiklaan. Direktiivin 2 artiklan mukaan päätös lääkkeen hinnasta on annettava 90 päivässä hakemuksen vastaanottamisesta ja 6 artiklan mukaan päätös lääkkeen korvattavuusjärjestelmään sisällyttämisestä on annettava 90 päivässä hakemuksen vastaanottamisesta. Koska Hila käsittelee sekä hintaa että korvattavuutta, päätökset on annettava 180 päivässä. Samoissa artikloissa viranomaisille asetetaan velvollisuudet esittää päätöksilleen puolueettomat ja todennettavissa olevien arviointiperusteiden mukaiset perustelut sekä näiden

arviointiperusteiden julkaisemisesta. Viranomaisten on direktiivin mukaan myös julkaistava korvattavana olevat valmisteet ja niiden hinnat.

2.7 Korkeimman hallinto-oikeuden oikeuskäytäntöä

Korkein hallinto-oikeus on antanut viimeisen 20 vuoden aikana joitakin ennakkopäätöksiä koskien Hilan ratkaisutoimintaa. Viidestä tapauksesta kahdessa KHO päätyi palauttamaan päätöksen Hilan käsittelyyn. Tapaukset koskivat muun muassa valmisteiden hoidollista arvoa ja taloudellisuutta koskeville tutkimuksille asetettuja vaatimuksia, vertailuhoitojen valintaa ja Hilan ratkaisujen perusteluja.

Ratkaisussa *KHO 2008:49* korkein hallinto-oikeus arvioi, voidaanko kroonisen verenpainetaudin hoidossa käytettävän lääkkeen erityiskorvattavuuden edellytykseksi asettaa päätetapahtumiin (kuten kuolleisuus tai sairastavuus) perustuvan tutkimusnäytön esittämistä. Hila oli hylännyt erityiskorvattavuushakemuksen katsoen, ettei lääkkeen hyötyä ollut riittävästi osoitettu päätetapahtumatutkimuksilla, vaikka lääkkeen vaikutus korvike- eli surrogaatimuuttujaan eli verenpaineeseen oli osoitettu. Lääke oli kuitenkin jo hyväksytty peruskorvattavaksi ja sillä oli vahvistettu kohtuullinen tukkuhinta. KHO katsoi, että erityiskorvattavuuden edellytykseksi ei voitu asettaa päätetutkimuksen esittämistä silloin, kun sen laatiminen olisi ilmeisen kohtuutonta ja kun lääkkeen vaikutus ja asema hoitokäytännössä oli osoitettu riittävällä lääketieteellisellä näytöllä. KHO hyväksyi valituksen ja palautti asian uudelleen käsiteltäväksi.

Ratkaisussa *KHO 2011:90* korkein hallinto-oikeus käsitteli uudelleen erityiskorvattavuuden edellytyksiä, mutta koskien kolesterolilääkettä. Tapauksessa erityiskorvattavuuden hakija vetosi korvikemuuttujatutkimuksiin, jotka osoittivat hakemusvalmisteen alentavan kolesteroliarvoja, ja vetosi erityiskorvattavuuden puolesta aiempaan ratkaisuun KHO 2008:49.

KHO kuitenkin hylkäsi valituksen ja piti Hilan päätöksen voimassa. Kyse oli uudesta lääkevalmisteesta, jolle ei ollut markkinoilla vertailuvalmistetta. KHO katsoi, että tällaisessa tilanteessa hoidollista arvoa arvioitaessa merkitystä on annettava sille, ettei ollut olemassa tutkimusnäyttöä hoidon vaikutuksesta sen varsinaiseen tavoitteeseen, eli valtimoihin kertyvän plakin ehkäisyyn ja siitä seuraavien valtimotautien estämiseen. Erona ratkaisuun KHO 2008:49 oli erityisesti se, että

tässä tapauksessa hoidollisen arvon arviointia vaikeutti vertailuvalmisteen puuttuminen ja kliinisen vaikuttavuuden näyttö ei ollut riittävä.

Ennakkopäätöksessään *KHO 2018:72* harvinaisten syöpien hoidossa käytettävää lääkettä koskien KHO teki useita sairausvakuutuslain tulkintaa tarkentavia linjauksia. Ensinnäkin KHO totesi, että Hilalla on sairausvakuutuslain 6 luvun 7 §:n 1 momentissa tukkuhinnan kohtuullisuuden arvioinnin perusteeksi säädettyjen arviointikriteerien puitteissa laaja harkintavaltia, mutta hintaesityksen hylkäävää päätöstä on perusteltava avoimesti siten, että päätöksestä ilmenee, kuinka arviointikriteerit on otettu kohtuullisuusarvioinnissa huomioon.

Vertailuvalmisteiden määrittelyyn liittyen KHO katsoi, että hintavertailu on tarkoitettu suoritettavaksi hakemuksessa ilmoitettuihin käyttöaiheisiin käytettävien lääkevalmisteiden kesken. Kun valmisteelle haettiin korvattavuutta ja tukkuhintaa toiseen hoitolinjaan yhden sairauden osalta ja neljänteen hoitolinjaan toisen sairauden osalta, ei hintavertailua voitu tehdä ensimmäisen linjan hoitoon tai palliatiiviseen tai saattohoitoon.

KHO katsoi myös, että vertailuvalmisteena voidaan pitää saman sairauden hoidossa sairaalassa käytettäviä hoitoja, ei siis vain korvattavuusjärjestelmän piirissä olevia lääkkeitä. Edelleen KHO linjasi, että vertailuun otetun lääkevalmisteen hinta tulee arvioida saman sairauden hoitoon käytetyn lääkevalmisteen annoskoon mukaisesti ja että usean valmisteen yhdistelmähoitoon ollessa kyseessä hinta-arviossa tulee ottaa mukaan kaikki käytetyt lääkevalmisteet, vaikka jokin lääkevalmiste olisikin sellainen, ettei sen käyttötarkoitukseksi ole määritelty tapauksessa kysymyksessä olevien sairauksien hoitoa.

KHO:n mukaan Hilan on ollut perusteltua vertailla hakijan esittämää tietoa hoitokäytännöistä myös kansainvälisiin suosituksiin tilanteessa, jossa kansallista Käypä hoito -suositusta ei ole. Muiden ETA-alueen maiden hintoihin tehdystä vertailusta KHO totesi, että Hilan päätöksestä ei käynyt riittävällä tavalla ilmi, millä perusteilla valittajan esittämiä tukkuhintoja ei ollut ehdotettujen hintojen hyväksymistä puoltavasta vertailutuloksesta huolimatta pidetty kohtuullisina Suomessa ja mikä merkitys eurooppalaiselle hintavertailulle on Hilan kokonaisarvioinnissa annettu.

KHO totesi myös, että hakemuksen kohteena olevan lääkevalmisteen käytöstä ja vertailuhoidoista aiheutuvien kustannusten ja hyötyjen selvittäminen on lähtökohtaisesti hakijan vastuulla. Tästä ei kuitenkaan johdu, että Hila voisi tukkuhintojen kohtuullisuuden kokonaisarvioinnissa jättää hakijan ja potilaiden vahingoksi kokonaan huomioon ottamatta sellaista tietoa, joka sillä viranomaisena on, tai sellaisia hakijan esille tuomia tekijöitä, joista selvitystä ei ole mahdollista esittää tai kohtuullista edellyttää esitettäväksi. Hila ei päätöksessään ollut myöskään arvioinut, mikä merkitys hakemusvalmisteen harvinaislääkestatuksella on valittajan esittämien tukkuhintojen kohtuullisuuden arvioinnissa ollut.

KHO totesi, että sairausvakuutuslain 6 luvun 7 §:n 1 momentin mukainen kokonaisarviointi edellyttää, että lääkkeiden hintalautakunta ottaa kantaa hakemuksessa ehdotettujen tukkuhintojen kohtuullisuuteen myös korvauksiin käytettävissä olevien varojen riittävyyden kannalta. Näin on siitä huolimatta, että ehdotettujen tukkuhintojen hyväksymisen merkitys saattaa olla potilaskohtaisesti korkeista hoitokustannuksista huolimatta kokonaisuutena vähäinen.

Ratkaisussaan *KHO 2018: 98* KHO katsoi, että Hila ei ollut toiminut kuulemisvelvollisuutensa vastaisesti, kun se oli toimivaltansa perusteella omasta aloitteestaan rajoittanut lääkevalmisteen peruskorvattavuutta sekä erityiskorvattavuutta hakijan esittämää tiukemmin, varaamatta hakijalle tilaisuutta lausua rajoituksesta. Päätöksen lainmukaisuuden kannalta ratkaisevaa oli, oliko päätöksen mukaiseen rajoitukseen esitetty riittävät hoidolliset ja taloudelliset perusteet. Valittajalle ei ollut myöskään voinut syntyä luottamuksensuojaa Hilan aiemmasta samaa valmistetta koskevasta päätöksestä. Hila ei ollut muun ohella markkinatilanteen muuttuessa eli vertailuvalmisteen patentin päätyttyä sidottu aikaisemmissa päätöksissään tekemiinsä kannanottoihin. Valmisteen käytöstä aiheutuvia kustannuksia voitiin KHO:n mukana verrata muuhun samaa vaikuttavaa ainetta sisältävään valmisteeseen ja tämän biosimilaariin, joita voitiin pitää kysymyksessä olevaa valmistetta vastaavina. Hila oli näin ollen voinut päätyä katsomaan, että valmisteen laajasta käytöstä voisi aiheutua sairausvakuutuslain 6 luvun 6 §:n 1 momentissa tarkoitettuja kohtuuttomia kustannuksia verrattuna valmisteella saavutettavaan hyötyyn.

Viimeisimmässä ennakkopäätöksessään *KHO 2018:157* koskien harvinaista lasten lihassairautta KHO linjasi, että hakijalla on selvittämisvastuu lääkkeen hoidollisesta

arvosta. Viitaten hallituksen esityksen (HE 97/1995 vp) yksityiskohtaisiin perusteluihin KHO totesi, että valmisteilla, joiden hoidollinen arvo on vähäinen, tarkoitetaan valmisteita, joilla ei saataisi aikaan todellista muutosta vakuutetun terveydentilaan. KHO katsoi, että sairausvakuutuslain 6 luvun 5 §:n 2 momentin 2 kohdassa tarkoitettu hoidollisen arvon vähäisyydestä ei ole kysymys ainoastaan silloin, kun on varmuudella todennettavissa, että lääkevalmisteella ei saada aikaan todellista muutosta vakuutetun terveydentilaan. Lääkevalmisteen hoidollisen arvon vähäisyys voi olla kysymyksessä myös silloin, kun lääkevalmisteella ei voida katsoa sitä koskevaan tutkimustietoon liittyvän epävarmuuden vuoksi olevan vähäistä suurempaa hoidollista arvoa. KHO totesi myös, että lääkevalmisteen peruskorvattavuutta arvioitaessa ei merkitystä anneta lääkevalmisteen käytöstä aiheutuvien kustannusten korkeudelle. KHO katsoi, että valmisteelle myönnetystä ehdollisesta EU-myyntiluvasta tai harvinaislääkestatuksesta ei johdu, että valmiste täyttää korvattavuuden edellytykset.

KHO totesi olevan kiistatonta, että hakemusvalmisteen kaltaisen uutta vaikuttavaa ainetta sisältävän harvinaislääkkeen hoidollisen arvon osoittaminen on haasteellista, kallista ja aikaa vievää ja että harvinaislääkkeistä annetussa asetuksessa (EY N:o 141/2000) asetettujen tavoitteiden mukaista olisi vaihtoehtoisen lääkityksen puuttuessa saada valmiste hakemuksen mukaisen kohderyhmän käyttöön heti, kun sen hoidollinen arvo on varmistettu. Hilan päätöksestä ei kuitenkaan ilmennyt, että hoidollisen arvon selvityskynnystä olisi tähänkään nähden asetettu liian korkeaksi. KHO päätyi hylkäämään valituksen.

3 Ehdollinen korvattavuus Suomen lääkekorvausjärjestelmässä

3.1 Ehdollisen korvattavuuden kehitys lainsäädännössä

3.1.1 Selvitysmies Ruskoahon raportti

Suomessa on 2000-luvun aikana tehty lukuisia työryhmien ja selvitysmiesten raportteja lääkekorvausjärjestelmän kehittämistä. Niiden toimeksiannoissa ja tavoitteissa on korostunut ensisijaisesti lääkemenojen kasvun hillintä ja toisaalta potilaiden oikeudet ja lääkekustannukset. Innovatiivisuuden tukeminen ja uusien lääkkeiden käyttöönotto ei ole juurikaan ollut esillä.

Suomessa lääkemenojen hillitsemiseksi on toteutettu niin korvattavuuteen ja lääkkeiden hintakilpailuun liittyviä rakenteellisia uudistuksia kuin mekaanisempia säästöjä lääkkeiden tukkuhintojen leikkausten, potilaiden saamien korvausten pienentämisen ja omavastuuosuuksien kasvattamisen muodossa. Rakenteellisia muutoksia ovat olleet muun muassa 90-luvulla ensin vapaaehtoisena ja sitten pakollisena käyttöönotettu geneerinen substituo eli reseptilääkkeen vaihtaminen halvempaan samaa vaikuttavaa ainetta vastaavaan lääkkeeseen, lääkkeille hyväksytyjen tukkuhintojen muuttaminen määräaikaisiksi 1998 sekä geneerisen viitehintajärjestelmän käyttöönotto vuonna 2009. Muualla Euroopassa yleinen keino lääkemenojen kasvun hillintään on ollut lääkekorvausten piiriin pääsemistä koskevien säännösten tiukentaminen.⁴⁶

Lääkkeiden riskinjakonmenettelyn kehittäminen nousi ensimmäisen kerran esiin huhtikuussa 2016 lääkemenojen säästökeinona selvitysmies Heikki Ruskoahon tekemässä niin sanotussa lääkesäästöraportissa. Selvitysmiehen mukaan ehdotuksen taustalla oli, että uudet, pienemmille potilasryhmille kehitetyt ja yhä kalliimmat lääkkeet tulevat markkinoille yhä aikaisemmassa vaiheessa. Näin ollen innovatiivisten lääkkeiden käyttöön saaminen ja toisaalta terveydenhuollon rajalliset resurssit korostavat näyttöön perustuvan päätöksenteon ja todellisten kustannus- ja terveysvaikutusten arvioinnin merkitystä. Ruskoaho viittasi muiden Euroopan maiden kokemuksiin riskinjakomallien käytöstä. Menettelyä oli hyödynnetty yleisimmin tilanteissa, joissa lääkkeen hoidollisesta arvosta, terveyshyödytystä, käytön

⁴⁶ STM 2012, s.14-16

laajuudesta, tehosta, turvallisuudesta ja taloudellisuudesta on käytettävissä vain rajallisesti tietoa tai kyse on harvinaislääkkeistä. Vaikka riskinjakomallien hyödyistä ja vaikutuksista oli vain vähän systemaattista arviointitietoa, Ruskoaho päätyi ehdottamaan, että uusien lääkkeiden saamiseksi potilaiden käyttöön ja niistä aiheutuvien hallitsemiseksi tulee selvittää lääkekorvausjärjestelmään uutena sääntelykeinona suomalaiseen toimintaympäristöön soveltuva riskinjakomalli.⁴⁷

3.1.2 Ehdollisen korvattavuuden kirjaaminen sairausvakuutuslakiin

Hallituksen esitys 184/2016 ehdollisen korvattavuuden käyttöönotosta annettiin jo puoli vuotta Ruskoahon raportin julkistamisen jälkeen lokakuussa 2016. Esityksessä oli kyse Sipilän hallituksen 134 miljoonan euron lääkesäästöistä, jonka yhtenä osana oli ehdollisesta korvattavuudesta säätäminen määräaikaisena kokeiluna kahdeksi vuodeksi. Esityksen nykytilan kuvauksessa nostettiin esiin muun muassa riskinjakomallien yleistymisen muissa Euroopan maissa kustannusten hillitsemiseksi ja uusien lääkkeiden käyttöönoton edistämiseksi. Esityksessä arvioitiin myös, että riskinjakomallin puuttuminen saattoi hidastaa uusien lääkkeiden tuloa Suomessa käyttöön. Hallituksen ensisijaisena tavoitteena oli lääkesäästöjen aikaansaaminen ja taustana riskinjakomallin nousemiseksi esitykseen viitattiin nimenomaisesti Ruskoahon raporttiin. Ehdollisella korvattavuudella arvioitiin saatavan 14 miljoonan euron säästö lääkekorvausmenoihin käytännössä sopimuksiin sisältyvien palautusmaksujen muodossa. Tämän lääkekorvausjärjestelmän säästön arvioitiin vähentävän täysimääräisesti alkuperäislääkkeiden myynnin arvoa. Ehdollinen korvattavuus toi lääkkeiden hallittuun käyttöönottoon uuden vaihtoehtoon.

Esityksessä todettiin, että ehdollisen korvattavuuden päätökseen liitettyjen Hilan ja myyntiluvan haltijan välisten sopimusten julkisuus arvioitaisiin viranomaisen toiminnan julkisuudesta annetun lain (621/1999) nojalla. Siltä osin, kun niihin sisältyy lääkeyrityksen liike- ja ammattisalaisuuden piiriin kuuluvia tietoja, niitä ei voi luovuttaa kolmansille osapuolille. Sopimusten luottamuksellisuudesta johtuen muiden maiden kokemuksista ja riskinjakomallien eduista ja haitoista oli rajoitetusti tietoa saatavilla, mikä oli perusteena ehdollisen korvattavuuden säätämiseksi aluksi määräaikaiseksi. Samasta syystä esityksessä todettiin, että alkuvaiheessa ehdollisia korvattavuuspäätöksiä ei ole syytä tehdä laajamittaisesti. Kokeilun myötä

⁴⁷ Ruskoaho 2016, s. 18

kokemusten karttuessa viimeistään alkuvuodesta 2019 oli esityksen mukaan tarkoitus koota arvio toimintamallin soveltuvuudesta Suomen lääkekorvausjärjestelmään sekä säästötavoitteen toteutumisesta.

Riskinjakomallin toimeenpano annettiin esityksessä Hilan tehtäväksi. Toimeenpanon arvioitiin vaativan aiempaa suurempaa lääketieteellistä, terveystaloustieteellistä ja farmaseuttista osaamista. Lisäksi mallin toimeenpano vaati Kansaneläkelaitoksen ja Lääketurvallisuuskeskus Fimean osallistumista ja resursseja.

Hallituksen esityksen yksityiskohtaisissa perusteluissa ehdollista korvattavuutta koskevassa sairausvakuutuslain 6 luvun 6a §:stä kirjoitettiin, että uuden toimintamallin tarkoituksena oli mahdollistaa uusien lääkehoitojen käyttöönotto tilanteessa, jossa uuteen lääkehoitoon liittyy merkittävää epävarmuutta esimerkiksi hoidollisen arvon, kustannusvaikuttavuuden, terveyshyötyjen tai ylipäänsä hoitokustannusten osalta. Tarve syntyi esityksen mukaan kehityksestä, jonka myötä lääkkeitä kehitetään yhä useammin pienelle potilasryhmälle ja tämän takia päätöksenteon tueksi on aiempaa vähemmän tutkittua tietoa tai käyttökokemuksia, mutta hinnat ovat korkeita. Ehdollinen korvattavuus tuotiin lakiin osaksi sairausvakuutuslain 6 luvun mukaista korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan hakemus- ja päätöksentekomenettelyä. Ehdollinen korvattavuus muodostaisi poikkeuksen, joka tulisi sovellettavaksi vain perustellusta syystä erityistilanteissa ja pääsääntönä toimisi sairausvakuutuslain 6 luvun menettely kohtuullisen tukkuhinnan ja korvattavuuden päätöksenteosta.

Edelleen yksityiskohtaisissa perusteluissa todettiin, että ehdollinen korvattavuus on riskinjakomalli, jonka tarkoituksena on jakaa uusiin lääkkeisiin liittyvistä epävarmuuksista johtuvaa taloudellista riskiä maksajan ja lääkeyhtiön välillä. Uudella lääkeaineella tarkoitetaan esityksen mukaan kokonaan uuden vaikuttavan lääkeaineen lisäksi tilanteita, joissa korvausjärjestelmässä olevalle valmisteelle hyväksytään uusi käyttötarkoitus. Näin ollen ehdollinen korvattavuus ei tule kyseeseen määräaikaisen korvattavuuspäätöksen uusimisen yhteydessä. Ehdollisen korvattavuuden piiriin voivat tulla vain myyntiluvalliset lääkeaineet. Sen edellytyksenä on erityinen hoidollinen tarve uudelle hoitovaihtoehdolle eli tyydyttymätön lääketieteellinen tarve (unmet medical need). Tämän lisäksi valmisteen hoidolliseen arvoon, kustannusvaikuttavuuteen tai hoitokustannuksiin taikka muihin vastaaviin korvattavuuteen tai tukkuhinnan kohtuullisuuteen liittyviin

seikkoihin tulee liittyä merkittävää epävarmuutta. Tällöin päätös korvausjärjestelmään sisällyttämisestä tulee tehdä ehdollisena käyttökokemuksen tai tutkimustiedon kerryttämiseksi. Hila arvioi mahdollisuuden hyväksyä korvauksen ehdollisena tapauskohtaisesti.

Myös ehdollisen korvattavuuden myöntäminen perustuu hallituksen esityksen mukaisesti hakemusmenettelyyn, jossa myyntiluvan haltija on aloitteellinen. Edellä mainittujen edellytysten täytyessä ehdollisen korvattavuuden mahdollisuutta voidaan selvittää Hilan ja myyntiluvan haltijan ollessa asiassa yhtä mieltä. Tämän selvitystyön ajaksi hakemuksen käsittelyaika keskeytetään. Hilan tulee arvioida tapauskohtaisesti edellytykset ehdolliseen korvattavuuteen sekä menettelyn tarkoituksenmukaisuus erityisesti Suomen lääkekorvausjärjestelmän kannalta. Menettelyn arvioitiin lisäävän hallinnollista työtä.

Edellytysten täytyessä Hila päättäisi ehdollisesta korvattavuudesta siten, että päätökseen sisältyisi korvattavuutta, tukkuhintaa, päätöksen voimassaoloa koskevat tiedot sekä Hilan ja myyntiluvan haltijan välinen sopimus, jossa määritellään toimenpiteet epävarmuuden hallitsemiseksi. Esimerkkitapoina hallita epävarmuutta esityksessä mainitaan myyntiluvan haltijan hankkimat lisäselvitykset valmisteen hoidollisesta arvosta, terveyshyödyistä tai kustannusvaikuttavuudesta.

Toimenpiteiden tulee olla Suomen järjestelmään käytännössä soveltuvia ja tarkoituksenmukaisia. Lisäksi myyntiluvan haltija voi sitoutua palauttamaan osan saamastaan myyntitulosta lääkekorvausjärjestelmään niin sanottuna palautusmaksuna, joka maksettaisiin Kansaneläkelaitoksen sairausvakuutusrahastolle sopimuksessa määritellyin perustein. Sopimuksessa määritellään myös velvoitteiden seurannasta ja arvioinnista sekä sopimuksen päättymiseen liittyvät seikat. Fimean tulisi lisäksi arvioida sovittujen selvitysten toteuttamiskelpoisuus ja niiden arvioiminen.

Hallituksen esityksen mukaan ehdollinen korvattavuuspäätös edellyttää, että valmistelle hyväksyttävän tukkuhinnan kohtuullisuus arvioidaan sairausvakuutuslain 6 luvun arviointikriteereiden perusteella myös silloin, kun päätökseen sisältyy palautusmaksu. Ehdollista korvattavuutta koskeva päätös tehdään tapauskohtaisen harkinnan perusteella eikä lääkeyritykselle syntyisi oikeutta ehdolliseen korvattavuuteen. Lääkeyhtiötä ei myöskään voida velvoittaa ehdolliseen korvattavuuteen. Päätöksen pituus arvioidaan aina tapauskohtaisesti, mutta voisi

alkuperäisen esityksen mukaan olla kerralla korkeintaan kolme vuotta ja kokonaisuudessaan enintään viisi vuotta koostuen yhdestä tai useammasta jaksosta. Ehdollisen korvattavuuden piiriin hyväksytty lääkeaine on kokonaisuudessaan ehdollisesti korvattava, vaikka epävarmuus koskee vain osaa valmisteen käyttöaiheista. Ehdollinen korvattavuus voidaan päättää myös rajoitettuna korvattavuutena koskemaan myyntilupaa kapeampia käyttöaiheita.

Hallituksen esityksessä otettiin kantaa myös ehdollisen korvattavuuden päättymiseen. Jos valmisteen korvattavuuden edellytykset lakkaavat tai valmisteelle haetaan ehdollisesta korvattavuutta laajempaa korvattavuutta esimerkiksi uuteen käyttötarkoitukseen, aikaisempaan hoitovaiheeseen tai uudelle potilasryhmälle, ehdollista korvattavuutta koskeva päätös voi päättyä kesken päätöksen voimassaoloajan. Samoin erityiskorvattavuuden hakeminen päättäisi ehdollisen korvattavuuden. Ehdollinen korvattavuus ja siihen liittyvä sopimus päättyvät uuden korvattavuuspäätöksen tullessa voimaan. Myös uusi päätös voi sisältää uuden ehdollisen korvattavuuden lain ehtojen täyttyessä. Ehdollisesti korvattavaa valmistetta ei hallituksen esityksen mukaan voida pitää vertailuvalmisteena arvioitaessa muiden saman sairauden hoidossa käytettävien lääkevalmisteiden tukkuhintojen kohtuullisuutta.

Hallituksen esityksen pohjalta sairausvakuutuslain 6 lukuun otettiin uusi 6a §. Sen ensimmäisessä momentissa annetaan Hilalle toimivalta ehdollisesta korvattavuudesta päättämiseen ja määritetään ehdollisen korvattavuuden ehdot. Toisessa momentissa käsitellään Hilan ja myyntiluvan haltijan välistä sopimusta sekä mahdollista palautusmaksua. Kolmannessa momentissa käsitellään ehdollisen korvattavuuden päätöksen määräaikaaisuutta ja ehdollisen korvattavuuden päättymistä.

Kokonaisuudessaan HE 184/2016 mukaisesti 1.1.2017 voimaan tullut sairausvakuutuslain säännös kuului seuraavasti:

6 a §
Ehdollinen korvattavuus

Lääkkeiden hintalautakunta voi hyväksyä erityisestä syystä korvattavuuden ja tukkuhinnan ehdollisena myyntiluvalliselle lääkevalmisteelle, jolle on haettu korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan vahvistamista. Hintalautakunta voi tehdä korvattavuus- ja tukkuhintapäätöksen ehdollisena edellyttäen, että uudelle

lääkehoidolle on osoitettu erityinen lääketieteellinen tarve ja hoitokustannuksiin, kyseisen lääkevalmisteen hoidolliseen arvoon, kustannusvaikuttavuuteen tai muihin vastaaviin lääkevalmisteen korvattavuuteen tai tukkuhinnan kohtuullisuuden arviointiin vaikuttaviin tekijöihin liittyy merkittävää epävarmuutta. Ehdollisesta korvattavuudesta päätettäessä tukkuhinnan kohtuullisuus arvioidaan siten kuin jäljempänä 7 §:ssä säädetään.

Ehdollista korvattavuutta koskevan päätöksen osana on lääkkeiden hintalautakunnan ja myyntiluvan haltijan keskinäinen sopimus, jossa on määritelty valmisteen terveyshyötyihin, kustannusvaikuttavuuteen, kustannuksiin tai muuhun vastaavaan tekijään liittyvän epävarmuuden vastuunjaosta sekä sopimuksen toteutumisen seurannasta ja ehdollisen korvattavuuden päättymisen vaikutuksista. Mikäli myyntiluvan haltijalla on sopimuksessa määritelty palautusmaksuvelvollisuus, palautusmaksu suoritetaan sopimuksessa määriteltyjen perusteiden mukaisesti Kansaneläkelaitoksen sairausvakuutusrahastolle. Kansaneläkelaitos vastaa palautusmaksun toimeenpanosta.

Lääkevalmisteen korvattavuus ja kohtuullinen tukkuhinta voidaan hyväksyä ehdollisena yhteensä enintään viiden vuoden ajaksi. Ehdollisen korvattavuuden ja tukkuhinnan voimassaolon enimmäisaika voi muodostua yhdestä tai useammasta yhdenjaksoisesta määräaikaista päätöksestä. Ehdollisen korvattavuuden päättyessä, lääkevalmisteen korvattavuus ja tukkuhinta lakkaavat, ellei valmisteelle ole ennen määräajan päättymistä hyväksytty korvattavuutta ja tukkuhintaa siten kuin tässä laissa säädetään. Jos lääkevalmisteelle haetaan ehdollisen korvattavuuden voimassaoloaikana korvattavuuden laajentamista tai erityiskorvattavuutta, ehdollinen korvattavuus lakkaa uuden päätöksen voimaan tullessa.

Eduskunnan sosiaali- ja terveysvaliokunta tyytyi toteamaan ehdollisesta korvattavuudesta hallituksen esitystä koskevassa mietinnössään StVM 30/2016 vp vain, että lääkealan toimijoiden kannalta on myönteistä, että ehdotettu riskinjakomalli tuo uusien lääkkeiden hallittuun käyttöönottoon uuden ja nykyistä nopeamman vaihtoehdon. Hallituksen esitys hyväksyttiin sisällöltään muuttamattomana.

3.1.3 Ehdollisen korvattavuuden kokeilun jatko

Hallituksen esitys 40/2019 ehdollisen korvattavuuden kokeilun jatkamisesta annettiin loppuvuodesta 2019. Hallituksen esityksen mukaan ensimmäiset ehdolliset korvattavuuspäätökset tehtiin syksyllä 2017 ja heinäkuun 2019 loppuun mennessä Hila oli tehnyt 33 ehdollista korvattavuuspäätöstä 25 lääkevalmisteesta. Päätökset olivat keskimäärin noin kahden vuoden mittaisia. Kaikkiin päätöksiin sisältyi taloudellinen sopimus, jossa on sovittu palautusmaksusta, jonka suuruus ja määräytymisperusteet ovat tapauskohtaisia. 16 lääkevalmistetta ehdollisen

korvattavuuden piirissä oli syöpälääkkeitä ja immuunivasteen muuttajia. Lisäksi ehdollisen korvattavuuden piiriin oli tullut muun muassa hermostoon vaikuttavia lääkkeitä sekä sydän- ja verisuonisairauksien lääkkeitä. Julkisin tukkuhinnoin laskettuna potilaskohtaiset vuosikustannukset vaihtelevat 5000 euron ja 640 000 euron välillä. Hallituksen esitystä kirjoitettaessa käytössä olevan arvion mukaan palautusmaksujen määrä vuositasolla vastasi alunperin arvioitua 14 miljoonan euron määrää. Myöhemmin vahvistuneen Kelan lääkeilaston tiedon mukaan vuonna 2019 palautusmaksuja kertyi 13,1 miljoonaa euroa.⁴⁸

Hallituksen esityksessä arvioitiin, että ehdollisen korvattavuuden avulla uusia lääkehoitoja on saatu aikaisempaa nopeammin ja hallitummin niitä tarvitsevien käyttöön, silloin, kun lääkehoidon vaikutuksiin on liittynyt merkittävää epävarmuutta. Tämän arvioitiin hyödyttäneen suomalaisia potilaita ja mahdollistaneen uusien lääkehoitojen kustannusten paremman hallinnan. Ehdollisen korvattavuuden käyttöönoton kerrottiin myös vähentäneen hintalautakunnan hylkäävien päätösten määrää. Ehdollisen korvattavuuden käyttöönoton seurauksena lääkekorvausjärjestelmän läpinäkyvyys on heikentynyt, kun hinnoista on sovittu luottamuksellisilla sopimuksilla.

Ensimmäisen kahden vuoden aikana ehdollisen korvattavuuden soveltamisessa ongelmalliseksi osoittautui se, ettei ehdollisen korvattavuuden piirissä olevaa valmistetta voi käytännössä käyttää vertailuvalmisteena arvioitaessa muiden lääkevalmisteiden hoitokustannuksia niiden korvattavuuden vahvistamiseksi. Ensimmäisen määräaikaisen lain voimassaolon aikana ehti kertyä kohtuullisesti kokemusta ehdollisen korvattavuuden edellytysten arvioinnista ja päätöksiin liittyvien sopimusten tekemisestä, joiden osalta toimintamalli todettiin pääosin toimivaksi. Sopimusten seurannasta, toteutumisen arvioinnista, palautusmaksujen toimeenpanosta ja sopimusten uusimisesta kertyi jonkin verran kokemusta. Ehdollisen korvattavuuden päättymisestä ja valmisteen siirtymisestä tavanomaiseen korvattavuuden hinnanvahvistusmenettelyyn sekä valmisteen saatavuuden turvaamisesta näissä tilanteissa ei kokemuksia vielä ollut kertynyt.

Ehdollisen korvattavuuden lainsäädäntöä jatkettiin muutettuna viiden vuoden määräajaksi vuoden 2025 loppuun. Vaihtoehtoina olivat menettelyn vakinaistaminen

⁴⁸ Kela 2023, s. 63

tai siitä luopuminen. Koska kokemukset ehdollisesta korvattavuudesta olivat vielä osittain vajavaisia, nähtiin perusteltuna jatkaa määräraikaista kokeilua. Esitykseen mennessä kertyneiden kokemusten positiivisuus puolsi kokeilun jatkamista luopumisen sijaan. Myös kansainvälinen toimintaympäristö, jossa erilaiset riskinjakomallit ovat laajasti käytössä eri Euroopan maissa olisi tehnyt ehdollisesta korvattavuudesta luopumisesta ongelmallista uusien lääkkeiden saatavuuden kannalta.

Määräraikaista sääntelyä jatkettaessa ei tehty muutoksia ehdollisen korvattavuuden ehtoja, sitä koskevaa sopimusta sekä ehdollisen korvattavuuden päättymistä koskevaan sääntelyyn. Ainut muutos kyseiseen lainkohtaan tehtiin sairausvakuutuslain 6 luvun 6 § 1 momentin viimeiseen lauseeseen, jossa ehdollisesti korvattavan valmisteen tukkuhinnan kohtuullisuusarviointia koskevaan 7 § viittaukseen lisättiin sanat ”soveltuvin osin”. Tämä muutos tehtiin, koska 7 § tarkoittama tukkuhinta ei ole ehdollisen korvattavuuden tapauksissa palautusmaksuista johtuen lääkevalmisteen todellinen hinta. Näin ollen julkisen tukkuhinnan käyttäminen lääkkeiden vertailussa ei ole perusteltua. Vastaava muutos tehtiin 6 luvun 7 §:än, johon lisättiin uusi 4 momentti, joka koskee ehdollisesti korvattavan lääkevalmisteen käyttämistä vertailuvalmisteena hintavertailussa ja ehdollisesti korvattavan lääkevalmisteen tukkuhinnan kohtuullisuuden arviointia.

Samalla luovuttiin viiden vuoden enimmäisajasta ehdolliselle korvattavuudelle, jotta uusimisen edellytykset voitiin arvioida tapauskohtaisesti. Joidenkin valmisteiden kohdalla nähtiin mahdolliseksi, että viiden vuoden enimmäisajassa ei saada riittävästi tietoa valmisteeseen liittyvään epävarmuuteen.

Uusi säännös kirjattiin sairausvakuutuslain 6 lukuun näin:

6a Ehdollinen korvattavuus

Lääkkeiden hintalautakunta voi hyväksyä erityisestä syystä korvattavuuden ja tukkuhinnan ehdollisena myyntiluvalliselle lääkevalmisteelle, jolle on haettu korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan vahvistamista. Hintalautakunta voi tehdä korvattavuus- ja tukkuhintapäätöksen ehdollisena edellyttäen, että uudelle lääkehoidolle on osoitettu erityinen lääketieteellinen tarve ja hoitokustannuksiin, kyseisen lääkevalmisteen hoidolliseen arvoon, kustannusvaikuttavuuteen tai muihin vastaaviin lääkevalmisteen korvattavuuteen tai tukkuhinnan kohtuullisuuden arviointiin vaikuttaviin tekijöihin liittyy merkittävää epävarmuutta. Ehdollisesta korvattavuudesta päätettäessä ehdotetun tukkuhinnan kohtuullisuutta arvioidaan noudattaen soveltuvin osin mitä 7 §:ssä säädetään.

Ehdollista korvattavuutta koskevan päätöksen osana on lääkkeiden hintalautakunnan ja myyntiluvan haltijan keskinäinen sopimus, jossa on määritelty valmisteiden terveyshyötyihin, kustannusvaikuttavuuteen, kustannuksiin tai muuhun vastaavaan tekijään liittyvän epävarmuuden vastuunjaosta sekä sopimuksen toteutumisen seurannasta ja ehdollisen korvattavuuden päättymisen vaikutuksista. Jos myyntiluvan haltijalla on sopimuksessa määritelty palautusmaksuvelvollisuus, palautusmaksu suoritetaan sopimuksessa määriteltyjen perusteiden mukaisesti Kansaneläkelaitoksen sairausvakuutusrahastolle. Kansaneläkelaitos vastaa palautusmaksun toimeenpanosta. Ehdollista korvattavuutta ja tukkuhintaa koskeva päätös on voimassa määräajan. Voimassaolosta säädetään 12 §:ssä. Ehdollisen korvattavuuden päättyessä, lääkevalmisteen korvattavuus ja tukkuhinta lakkaavat, ellei valmisteelle ole ennen määräajan päättymistä hyväksytty korvattavuutta ja tukkuhintaa. Edellytykset lääkevalmisteen ehdolliselle korvattavuudelle arvioidaan uudelleen 1 momentissa todetun mukaisesti, jos lääkevalmisteelle haetaan ehdollisen korvattavuuden uudistamista taikka ehdollisen korvattavuuden voimassaoloaikana korvattavuuden laajentamista tai erityiskorvattavuutta.

Ehdollisen korvattavuuden tärkein taloudellinen vaikutus nähtiin hallituksen esityksessä olevan palautusmaksujen kertyminen. Korvattavien uusien lääkkeiden kustannuksista ei esitetty hallituksen esityksessä arviota, mutta palautusmaksujen suuruus arvioitiin pysyvän alkuperäisen esityksen 14 miljoonan euron luokassa. Kotitalouksien kannalta tärkeimmäksi vaikutukseksi arvioitiin, että ilman ehdollisen korvattavuuden mallia potilaiden lääkehoitovalikoima olisi todennäköisesti Suomessa rajatumpi ja joidenkin uusien lääkkeiden käyttäminen saattaisi olla mahdollista vain potilaille, jotka pystyvät maksamaan kustannukset kokonaan itse. Vaikutuksena viranomaisiin todettiin, että ehdollisen korvattavuuden prosessi vaatii enemmän työtä hintalautakunnalta kuin tavanomainen kohtuullisen tukkuhinnan ja korvattavuuden vahvistusmenettely. Ehdollisen korvattavuuden sopimusneuvottelujen todettiin lisäävän erityisesti terveystaloustieteen, lääketieteen ja juridiikan osaamisen tarvetta hintalautakunnassa. Käytännössä Hilan lisähenkilöstötarve ehdollisen korvattavuuden myötä oli 1-2 henkilötyövuotta. Jatkossa tavoitteena on esityksen mukaan tehdä taloudellisten sopimusten lisäksi vaikuttavuussopimuksia, jotka ovat seurannan ja toimeenpanon näkökulmasta monimutkaisempia, mikä tulee edellyttämään lisäresursseja. Ehdollisen korvattavuuden nopeutettua uusien lääkkeiden markkinoille tuloa Suomessa sen nähtiin edistäneen lääkeyritysten toimintaedellytyksiä.

Eduskunnan sosiaali- ja terveysvaliokunta hyväksyi mietinnössään StVM 9/2019 vp hallituksen esityksen muuttamattomana. Lyhyessä mietinnössään valiokunta piti

tärkeänä, että kokeilun aikana ehdollisen korvattavuuden mallin toimivuutta ja sen vaikutuksia arvioidaan huolellisesti niin lääkkeiden käyttäjien, lääkekorvausjärjestelmän kuin lääkealan toimijoidenkin näkökulmasta.

3.1.4 Ehdollisen korvattavuuden vakinaistaminen

Ehdollinen korvattavuus vakinaistettiin vuoden 2025 alusta lähtien osaksi Suomen lääkekorvausjärjestelmää hallituksen esityksellä 129/2024. Hallituksen esitykseen sisältyi useita apteekkien ja lääkkeiden hintojen sääntelyn muutoksia, joilla tavoiteltiin yhteensä 90 miljoonan euron säästöä valtion maksamiin lääkekustannuksiin.

Hallituksen esityksen nykytilan arvioinnissa uusien, aiempaa kalliimpien lääkkeiden tuleminen korvausjärjestelmään sekä lääkkeiden käytön laajentuminen uusiin käyttötarkoituksiin nähtiin keskeisimpinä syinä lääkekustannusten kasvulle. Uudet lääkkeet nähtiin mahdollistavan hoidon saamisen sellaisiin sairauksiin, joita ei aiemmin pystytty hoitamaan, mutta haasteena nähtiin aiempaa vähäisempi tutkimusnäyttö, mikä vaikeuttaa kustannusvaikuttavuuden arviointia.

Hallituksen esityksessä kerrattiin edellä kerrottu ehdollisen korvattavuuden sääntelyhistoria. Lääkeyritysten Kelalle maksamat palautusmaksut olivat kasvaneet vuosittain. Vuonna 2023 palautusmaksuja maksettiin 76 miljoonaa euroa, kun vuonna 2022 maksuja oli kertynyt yli 59 miljoonaa euroa, 2021 noin 38 miljoonaa euroa, 2020 32 miljoonaa euroa ja 2019 13 miljoonaa euroa. Viidessä vuodessa palautusmaksujen määrä oli viisinkertaistunut. Kehitys ylitti selvästi aiemmissa hallituksen esityksissä tehdyt arviot palautusmaksujen suuruudesta.

Esityksessä todettiin, että korvattavuus- ja hintapäätösten seurannasta, sopimusehtojen täyttymisestä ja palautusmaksujen toimeenpanosta sekä ehdollisten korvattavuuksien uudelleen arvioinnista on kertynyt kokemusta, mutta sopimuksista luopumisesta sitä oli rajallisesti. Kokemuksia ehdollisesta korvattavuudesta pidettiin pääosin positiivisina. Ehdollisen korvattavuuden nähtiin parantavan uusien innovatiivisten lääkkeiden pääsyä korvausjärjestelmän piiriin mahdollistamalla lääkkeen kustannusvaikuttavuuteen, tehoon ja taloudellisuuteen liittyvän epävarmuuden hallitsemisen. Sen nähtiin parantavan uusien innovatiivisten lääkkeiden pääsyä korvausjärjestelmän piiriin mahdollistamalla lääkkeen

kustannusvaikuttavuuteen, tehoon ja taloudellisuuteen liittyvän epävarmuuden hallitsemisen.

Saatujen kokemusten perusteella ehdollisen korvattavuuden nähtiin soveltuvan lääkekorvausjärjestelmään ja vakinaistamisella arvioitiin saatavan 20 miljoonan euron lisäsäästöt sairausvakuutuksesta vuodesta 2025 alkaen. Tämä lisäsäästö tuli Orpon hallituksen ohjelmassa arvioidun 40 miljoonasta euron päälle eli yhteensä ehdollisella korvattavuudella arvioitiin säästettävän 60 miljoonaa euroa vuosittain. Palautusmaksujen ollessa jo vuonna 2023 76 miljoonaa voidaan 60 miljoonan euron arviota pitää varovaisena. Esitysluonnoksesta annetuissa lausunnoissa Lääketeollisuus ry piti arviota liian pienenä ja esitti lääkkeiden tukkuhintojen leikkauksen sijaan ehdollisen korvattavuuden säästöarvion korottamista. Toisaalta Rinnakkaislääketeollisuus ei pitänyt ehdollista korvattavuutta säästokeinona, koska mahdollistaessaan uusien hoitojen käyttöönoton se lisää lääkekorvausmenoja.

Ehdollisen korvattavuuden toimintamallille nähtiin kansainvälisestä toimintaympäristöstä johtuva tarve kuten aiemmissa esityksissä. Ehdollisen korvattavuusmenettelyn sisällöllisiä uudistamistarpeita todettiin arvioitavan osana lääkkeiden arviointitoiminnan uudistamistyöryhmän työtä. Vaikutusarviot vastasivat aiempia esityksiä.

Eduskunnan sosiaali- ja terveysvaliokunta päätyi mietinnössään StVM 18/2024 vp kannattamaan vakinaistamista hallituksen esityksen mukaan. Valiokunnan saamissa asiantuntijalausunnoissa Hila toi esiin, että lausunnon antohetkellä ehdollisesti korvattuja eri lääkevalmisteita oli 73 kappaletta 37:lta myyntiluvan haltijalta. Kelan lääkekorvaustilastojen mukaan näistä valmisteista maksettiin lääkekorvauksia yhteensä 315 miljoonaa euroa, kun palautusmaksuja maksettiin 76 miljoonaa euroa. Sopimuksia ehdollisesta korvattavuudesta on tehty vuodesta 2017 alkaen yli 300. Osalla valmisteista ehdollinen korvattavuus on päättynyt ja korvattavuus on jatkunut ilman sopimusta. Hintalautakunta kannatti muiden lausunnonantajien tavoin ehdollisen korvattavuuden vakinaistamista.

Ehdollinen korvattavuus vakinaistettiin 1.1.2025 alkaen lailla sairausvakuutuslain muuttamisesta annetun lain voimaantulosäännöksen 2 momentin kumoamisesta. Momentissa oli säädetty aiemmin ehdollista korvattavuutta koskevien lainkohtien voimassaolon päättymisestä vuoden 2024 lopussa. Koska sisällöllisiä muutoksia ei

tehty, ehdollinen korvattavuus vakinaistettiin muodossa, jossa se oli säädetty hallituksen esityksellä 40/2019.

3.2 Lääkkeiden hintalautakunnan ohjeet

Lääkkeiden hintalautakunta on julkaissut kotisivuillaan suuren määrän ohjeita, joiden mukaan lääkeyritysten on toimittava hakiessaan valmisteelle kohtuullisen tukkuhinnan ja korvattavuuden vahvistamista. Ohjeissa kerrotaan muun muassa hakemukseen liitettävän materiaalin sisältövaatimuksista, hoidollisen arvon selvittämisestä Hilalle, kustannusten ja taloudellisuuden kuvaamisesta, terveystaloudellisen selvityksen ja markkinaennusteen laatimisesta, myynti- ja potilasmäärätietojen ilmoittamisesta, muiden ETA-maiden hintojen ja korvattavuuden esittämisestä sekä muista tarvittavista selvityksistä. Hilalla on omat ohjeensa erilaisiin tilanteisiin kuten uuden valmisteen hakemukselle, korvattavuuden uusinnalle tai laajennukselle, rinnakkaisvalmisteille, biosimilaareille ja niin edelleen.⁴⁹

Hilan ohjeet täsmentävät sosiaali- ja terveysministeriön asetusta (201/2009) lääkkeiden hintalautakunnalle tehtävästä hakemuksesta ja hintailmoituksesta. Asetuksessa säädetään vaatimuksesta, joita lääkeyhtiöiden on täytettävä asioidessaan Hilan kanssa. Asetuksen liitteenä on ohje terveystaloudellisen selvityksen laatimiseksi. Asetuksen 1 §:n mukaan hakemus tehdään kirjallisesti Hilan lomakkeella ja sen voi tehdä valmisteen myyntiluvan haltija. Korvattavuutta ja tukkuhintaa on haettava erikseen kullekin lääkevalmisteelle siten, että kunkin eri vahvuuden ja lääkemuodon osalta hakemus tehdään omalla lomakkeella. Sama hakemus voi sisältää eri pakkauskokoja ja -muotoja.

Terveystaloudellisen selvityksen ohjeessa todetaan valmisteen kustannusten arvioinnista, että kustannuslaskentaan on otettava maksajasta riippumatta mukaan kaikki suorat terveydenhuollon ja näihin rinnastettavat sosiaalihuollon kustannukset, jotka liittyvät vertailtaviin hoitoihin. Pelkkien lääkekustannusten tarkastelu ei riitä lukuun ottamatta tilannetta, jossa hoidot eroavat vain lääkekustannuksiltaan. Jos laskennassa huomioidaan tuotannonmenetykset, tulokset on esitettävä myös ilman niitä. Terveystaloudellisen selvityksen on perustuttava mahdollisimman

⁴⁹ Hila 2025b

ajantasaiseen suomalaiseen kustannustietoon. Lääkehoidoista on esitettävä käytetyt annokset, annostelutiheys, antoreitti ja mahdollinen annostitraus perusteluineen ja lähdeviitteineen. Selvitys on esitettävä sekä hakemus- että vertailuvalmisteesta. Selvitys on esitettävä tarvittaessa myös muista sairauden- tai haittavaikutusten hoitoon käytettävistä lääkevalmisteista, jos on perusteltua olettaa, että vertailtavien hoitojen välillä on tältä osin eroja. Vertailtavien valmisteiden annostelun tulee olla sama, jolla selvityksessä käytetyt terveysvaikutukset on saavutettu. Vertailuhoitona käytettävän lääkehoidon kustannukset tulee ensisijaisesti laskea käyttäen vallitsevan hoitokäytännön mukaista ja kustannuksiltaan edullisinta markkinoilla olevaa valmistetta tai käyttäjä- tai kappalemääräisen myynnin mukaan painotettua vertailuvalmisteiden keskikustannusta. Valittu laskentatapa on perusteltava. Lääkehukka on sisällytettävä kustannuksiin. Lääkekustannukset lasketaan käyttäen vähittäismyyntihintaa ilman arvonlisäveroa. Jos lääkevalmiste annostellaan siinä julkisen terveydenhuollon poliklinisessa yksikössä, josta se myös toimitetaan, valmisteesta tulee käyttää tukkuhintaa.

Terveysvaikutusten arvioinnista ohjeessa todetaan, että selvityksessä käytettävien terveydentilaa koskevien arvioiden tulee perustua tutkimukseen. Luotettavimpana tutkimusasetelmana pidetään yleisesti kontrolloituja ja sokkoutettuja kliinisiä tutkimuksia, joissa vertailtavia hoitoja on verrattu suoraan toisiinsa. Systemaattiset katsaukset ja meta-analyysit ovat usein paras tapa yhdistää eri tutkimusten tulokset. Hakijan on perusteltava, miksi käytetyt tutkimukset on valittu. Vaikuttavuutta tulee mitata ensisijaisesti laatupainotettuina elinvuosina. Vaikuttavuutta voidaan mitata myös esimerkiksi päätetapahtumamuuttujan, korvikemuuttujan tai sairausspesifin elämänlaatumittarin avulla. Tehdyt valinnat on perusteltava.

Hila on julkaissut 4.3.2025 viimeisimmän version ohjeesta ehdollisesta korvattavuudesta. Ohje on pääasiassa menettelykuvaus, jossa kerrotaan, miten ehdollisen korvattavuuden menettely etenee, kun lääkevalmiste ei vielä ole ehdollisesti korvattava tai kun ehdollisesti korvattavalle valmisteelle haetaan ehdollisen korvattavuuden uudistamista tai korvattavuuden laajentamista tai erityiskorvattavuutta. Ohjeen aluksi esitellään ehdollisen korvattavuuden tarkoitus hallita uusiin lääkkeisiin liittyviä epävarmuuksia sekä käydään läpi

sairausvakuutuslain 6 luvun 6a §:n asettamat edellytykset. Edellytyksiä ei tässä yhteydessä avata lain sanamuotoa laajemmin.⁵⁰

Korvattavuuden ja tukkuhinnan käsittely käynnistyy aina hakemuksesta. Myös ehdollisen korvattavuuden arviointi tapahtuu hakijan aloitteesta osana hakemusprosessia. Hakija voi ehdottaa uuden lääkevalmisteen ehdollista korvattavuutta, kun Hila on käsitellyt hakemusta kokouksessaan ja tehnyt hylkäävän päätösehdotuksen. Ehdotuksessa on perusteltava valmisteen erityinen lääketieteellinen tarve sekä esittää valmisteen käyttöön liittyvä keskeinen epävarmuus ja ehdotus epävarmuuden hallinnasta. Lisäksi hakijan on pyydettävä hakemuksen käsittelyn keskeyttämistä, jolloin lain määräajan juokseminen hakemuksen käsittelylle pysähtyy ehdollisen korvattavuuden neuvotteluiden ajaksi. Hakijan on myös vastattava Hilan tekemään lisäselvityspyyntöön.⁵¹

Jos hakija ehdottaa ehdollisen korvattavuuden neuvotteluja, erityinen lääketieteellinen tarve on perusteltava kyseisen käyttöaiheen osalta. Samalla on kuvattava valmisteen hoidollinen arvo sekä sairauden nykyinen hoitokäytäntö huomioiden myös muut kuin lääkehoidot. Hila korostaa ohjeessaan, että ehdollinen korvattavuus ei oikeuta korkeampia hoitokustannuksia tilanteessa, jossa sairauden hoidossa on käytössä jo hoidolliselta arvoltaan vastaavia valmisteita. Valmisteeseen liittyvä epävarmuus voi koskea esimerkiksi hoidollista arvoa, kustannusvaikuttavuutta, hoitokustannuksia, potilasmäärää, käytettävää annosta, hoidon pituutta ja/tai muita korvattavuuteen ja tukkuhinnan kohtuullisuuteen vaikuttavia tekijöitä. Ehdotuksen epävarmuuden hallinnan keinoista on oltava perusteltu ja konkreettinen. Ehdotuksessa on huomioitava erityisesti toimenpiteiden tarkoituksenmukaisuus epävarmuuden hallinnassa ja toteutettavuus Suomessa.⁵²

Hila arvioi ehdotuksen pohjalta tapauskohtaisesti, käynnistetäänkö sopimusneuvottelut. Tieto ratkaisusta aloittaa sopimusneuvottelut julkaistaan hintalautakunnan kotisivuilla. Jos neuvotteluja ei aloiteta tai jos neuvotteluissa ei päästä sopimukseen, hakemus palautuu normaaliin prosessiin, jossa hakijalla on mahdollisuus vielä antaa lisäselvitys ennen lopullista päätöstä. Neuvottelujen käytännöt ja kesto ovat tapauskohtaiset. Hintalautakunnan yhteyshenkilö on asian

⁵⁰ Hila 2025a, s. 1

⁵¹ Hila 2025a, s. 1

⁵² Hila 2025a, s. 2

esittelijä. Jos ehdolliseen korvattavuuteen päädytään, Hilan korvattavuus- ja tukkuhintapäätökseen liitetään myyntiluvan haltijan ja Hilan välinen sopimus ehdoista, joiden perusteella epävarmuutta seurataan ja hallitaan.⁵³

Edellytykset ehdolliselle korvattavuudelle arvioidaan uudestaan, jos valmisteelle haetaan ehdollisen korvattavuuden uusintaa tai jos ehdollisesti korvattavalle valmisteelle haetaan korvattavuuden laajennusta tai erityiskorvattavuutta. Uusinta-, laajennus- ja erityiskorvattavuushakemukset laaditaan näitä koskevien ohjeiden mukaan. Jos hakija esittää ehdollisen korvattavuuden jatkamista, on hakemukseen liitettävä myös ehdollisen korvattavuuden ehdotus ja sen perustelut. Jos hakemus lähetetään lausuttavaksi, tämä materiaali jätetään ulkopuolelle luottamuksellisena. Siksi luottamuksellisia tietoja ei tule esittää muualla hakemusmateriaalissa. Ehdotuksessa on myös huomioitava voimassa olevan korvattavuus- ja tukkuhintapäätöksen aikana tapahtuneet muutokset liittyen esimerkiksi tutkimusnäyttöön, myyntiin, markkinatilanteeseen, hoitokäytäntöihin tai vertailuhoitoihin sekä niiden vaikutus ehdollisen korvattavuuden perusteisiin ja ehdotukseen hallintakeinoista. Uusintahakemusten neuvotteluiden aloittamisesta ei tarvita Hilan kokouspäätöstä, vaan sihteeristö voi päättää asiasta. Epäselvissä tilanteissa asia voidaan viedä kokouksen päätettäväksi. Myös uusintahakemuksissa lähtökohta on, että hakemuksen käsittely keskeytetään neuvotteluiden ajaksi.⁵⁴

Neuvotteluiden päättyessä sopimukseen Hilan sihteeristö laatii sopimusehdotuksen, jota myyntiluvan haltija saa kommentoida. Molempien osapuolien on hyväksyttävä sopimus ennen Hilan kokousta, jossa lopullinen päätös tukkuhinnasta ja korvattavuudesta tehdään. Päätöksen jälkeen sopimusasiakirjat allekirjoitetaan. Ehdollisesta korvattavuudesta peritään erillinen käsittelymaksu. Jos ehdollinen korvattavuus hyväksytään, käsittelymaksu on 7920 euroa ja jos ehdollista korvattavuutta ei hyväksytä, maksu on 3960 euroa. Maksujen suuruus perustuu sosiaali- ja terveysministeriön asetukseen lääkkeiden hintalautakunnan maksullisista suoritteista.⁵⁵

⁵³ Hila 2025 a, s. 2-3

⁵⁴ Hila 2025a, s. 4

⁵⁵ Hila 2025a, s. 4-5

3.3 Ehdollista korvattavuutta koskevat selvitykset

3.3.1 Yhtenäistetty arviointi

Samaan aikaan ehdollisen korvattavuuden käyttöönoton kanssa sosiaali- ja terveysministeriössä laadittiin useita samaan kokonaisuuteen liittyviä työryhmäraportteja niin sanotun rationaalisen lääkehoidon kehittämisestä. Hallitusohjelman kirjauksia toteuttamaan asetettiin rationaalisen lääkehoidon ohjausryhmä, jonka tehtävä oli laatia toimeenpano-ohjelma rationaalisen lääkehoidon toteuttamiseksi.⁵⁶

Ohjausryhmän väliraportissa todettiin, että lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointitoiminnan tulee kansainvälisten esimerkkien mukaisesti tukea lääkkeiden hankintamenettelyjä ja hallitun käyttöönoton sopimusten eli riskinjakomallien käyttöä. Lisäksi todettiin, että arviointeja tulee voida täydentää keräämällä sote-tietovarannoista lisänäyttöä arvioitujen lääkkeiden kulutuksesta, vaikutuksista, käytön kohdentumisesta, hoitoprosesseista ja kustannuksista. Tavoitteeksi asetettiin lääkkeiden käyttöönottoa ja korvattavuutta liittyvää päätöksentekoa tukeva kansallinen riippumaton arviointitoiminta, jonka suunnittelussa otetaan huomioon lääkealan toimintaympäristön muutokset.⁵⁷

Rationaalisen lääkehoidon ohjausryhmällä oli kuusi alatyöryhmää, jotka kukin tuottivat oman raportin tai selvityksen.⁵⁸ Ehdollisen korvattavuuden kannalta tärkein alatyöryhmä käsitteli lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointia. Sen tuottama selvitysraportti (HTA-raportti) etsi vastausta kysymykseen, miten lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi tulisi järjestää Suomen sosiaali- ja terveydenhuollossa.⁵⁹

Raportti nostaa nykyjärjestelmän ensimmäisenä kehittämiskohteena sen, että eri lääkeryhmiä arvioidaan eri menetelmin, arviointien sisällöin ja päätöksenteon kriteerein. Myös arviointitoiminnan henkilöstö on hajautettu eri organisaatioihin ja eri lääkeryhmien käyttöönoton päätöksenteosta vastaavat eri tahot. Seurauksena voi olla osaoptimointi eli yhden toimijan päätös ilman analyysiä lääkehoidon

⁵⁶ Hämeen-Anttila, Närhi, Tahvanainen 2018, s. 9-10

⁵⁷ Rationaalisen lääkehoidon toimeenpano-ohjelman ohjausryhmä 2017, s. 11

⁵⁸ Hämeen-Anttila, Närhi, Tahvanainen 2018, s. 33-37

⁵⁹ Pelkonen, Rannanheimo ym. 2017, s. 13

kokonaisuudesta ja vaikutuksesta muihin toimijoihin. Kehityskohteissa nostetaan esiin, että Fimean tekemät arviointiraportit on tehty erityisesti sairaaloille. Niissä arvioidaan lääkehoidon kustannuksia ja budjettivaikutuksia, mutta ei kustannusvaikuttavuutta. Esiin nousee myös lääkkeiden käytöstä poistamisen hajanaisuus ja poistamisarviointien epäsystemaattisuus. Kansallisen riippumattoman arviointitoiminnan nähdään tukevan päätöksentekoa ja arviointimenettelyjä, kuten hallitun käyttöönoton sopimuksia.⁶⁰

Työryhmän mukaan lääkehoitojen arvioinnista tulisi Suomessa vastata vain yhden keskitetyn tahon. Tämä Fimeaan koottava kansallinen arviointiyksikkö tuottaisi HTA-raportit kaikista uusista lääkkeistä ennen niiden käyttöönottoa. Työryhmä pitää myös perusteltuna, että lääkehoitojen ja muiden terveydenhuollon menetelmien arviointi järjestetään yhtenäisellä tavalla ja pitää todennäköisenä, että raja lääkehoitojen, lääkinnällisten laitteiden ja muiden terveysteknologioiden välillä tulee hämärtyvän. Siksi erilaisten hoitomuotojen arviointiin tulisi rakentaa yhteinen toimintamalli ja arviointi tulisi toteuttaa samankaltaisin periaattein.

Yhdenvertaisuuden ja taloudellisen kestävyys edistämiseksi arvoinnit tulee kytkeä aikaisempaa tiiviimmin osaksi käyttöönottopäätöksiä. Hallitun käyttöönoton sopimukset nähdään yhtenä tapana edistää taloudellisuutta, mutta myös edellyttävän arviointitoiminnan kehittämistä sekä lääkehankintojen ja lääkkeiden rahoituksen selkiyttämistä sote-uudistuksen jälkeen.⁶¹

Arviointi- ja käyttöönottopäätösten keskittämistä esittävät myös selvityshenkilöt Heikki Ruskoaho ja Sinikka Rajaniemi omissa raporteissaan. Ruskoaho ehdottaa loppuraportissaan avo- ja sairaalalääkkeiden arvioinnin ja päätöksenteon yhdistämistä samaan yksikköön, joka toimisi lääkevirastoksi muutettavassa Fimeassa. Lääkevirastoon koottaisiin osaaminen tutkimusnäytön kriittisestä arvioinnista, tutkimusmenetelmistä ja mallintamisesta sekä taloudellisesta arvioinnista.⁶² Fimean emerita ylijohtaja Sinikka Rajaniemi ehdottaa Ruskoahon työhön viitaten, että päätöksentekoa ja arviointitoimintaa keskitettäisiin siten, että päätöksenteko perustuu yhden HTA-viranomaisen sekä yhden kansallisen hinnoista neuvottelevan toimijan kokoamaan näyttöön ja vaikutuksiin. Rajaniemi korostaa

⁶⁰ Pelkonen, Rannanheimo ym. 2017, s. 19-20, 22

⁶¹ Pelkonen, Rannanheimo ym. 2017, s. 23-24

⁶² Ruskoaho 2018, s. 48-49

myös seurannan ja kustannusvaikuttavuuden merkitystä ja ehdottaa, että Suomessa luodaan edellytykset hallittuun lääkkeiden käyttöönottoon ja käytön kohdentamisen jatkokehittämiseen siten, että kansallisen viranomaisen tukemana on mahdollista arvioida lääkevalikoiman vaikutuksia, hoidon kohdennusta ja kustannuksia.⁶³

Sosiaali- ja terveysministeriön julkaisemassa Lääkehoidon ohjaus ja rahoitus - kehittämisen suuntaviivat -työryhmäraportissa todettiin jälleen lääkkeiden arviointitoiminnan ja päätöksenteon hajanaisuus ja laadittiin lista hyvän arviointijärjestelmän ominaisuuksista. Niihin kuuluivat muun muassa arviointitoiminnan kansallinen yhteen kokoaminen, arvioinnin ja päätöksenteon erillisyys, vaikka ne tapahtuisivat samassa yksikössä, kaikkien terveydenhuollon menetelmien arviointi mahdollisimman samanlaisin kriteerein ja yhdenmukaisin menettelyin sekä ratkaisujen yhdenmukaisuus ja mahdollisimman suuri sitovuus. Arvioinnissa on myös hyödynnettävä terveydenhuollon rekistereistä saatavia tietoja, ratkaisuja on voitava päivittää ja uudelleenarvioida tarpeen mukaan ja arviointitoiminnan vaikuttavuutta on seurattava säännöllisesti.⁶⁴

Sosiaali- ja terveysministeriö asetti 13.5.2024 lääkkeiden arviointitoiminnan uudistamista valmistelevan työryhmän. Työryhmän tehtävänä on laatia ehdotus lääkkeiden arviointi- ja päätöksentekojärjestelmästä siten, että yhtenäistetään ja uudistetaan avohoidon ja laitoshoidon osalta lääkkeiden käyttöönottoon liittyvät arviointiprosessit ja -kriteerit, jotta ne olisivat riippumattomat lääkkeen annostelumuodosta. Samalla työryhmän on tehtävä ehdotus ehdollista korvattavuutta koskevan sääntelyn kehittämistarpeista. Työryhmän toimikausi päättyy 30.9.2025 ja sen työtä johtaa Hilan pitkäaikainen johtaja Lauri Pelkonen.⁶⁵

3.3.2 Lisänäytön kerääminen ja hallitun käyttöönoton sopimusmallit

Rationaalisen lääkehoidon HTA-alatyöryhmä korostaa raportissaan myös arvioinnin jälkeisen lisänäytön keräämisen tärkeyttä lääkkeiden tullessa yhä aikaisemmin ja epävarmemmalla näytöllä markkinoille. Siksi se ehdottaa, että uusista käyttöönotettavista lääkkeistä kootaan rutiinisti ja raportoidaan standardimuotoisesti

⁶³ Rajaniemi 2023, s. 31, 38

⁶⁴ Lääkeasioiden tiekartan poikkihallinnollisen koordinaatioryhmän alainen lääkehoidon ohjaus- ja rahoitusjaos 2023, s. 48

⁶⁵ STM 2024, s. 2

esimerkiksi tiedot hoidon kohdentumisesta ja toteutumisesta, keskeisesti hoitoon ja sen valintaan vaikuttavista laboratoriotuloksista sekä hoidon vasteesta. Tätä tietoa voitaisiin käyttää ehdollisten korvattavuuspäätösten tekemiseen ja kehittämiseen sekä niihin mahdollisesti liittyvien tiedontuottamisvelvoitteiden täyttymiseen. Jatkopohdittavaksi työryhmä esittää kysymyksen, tulisiko Fimean myös antaa lausuntonsa hallitun käyttöönoton sopimusten sisällöstä ja toteutettavuudesta sekä seuraisi sopimusten toteutumista.

Raportin liitteessä 2 on käsitelty tarkemmin hallitun käyttöönoton sopimuksia ja niiden kehitysmahdollisuuksia. Sopimukset arvioidaan kansainvälisten esimerkkien valossa tehokkaiksi tavoiksi hillitä lääkkeiden kustannuksia ja uusien lääkkeiden käyttöönottoon liittyviä epävarmuuksia. Raportissa esitetään, että hallitun käyttöönoton sopimuksia otetaan Suomessa käyttöön asteittain arvioinnin, tietovarantojen ja kannanottojen kehittyessä. Ensin käyttöön otetaan yksinkertaisia taloudellisia sopimuksia, sitten lisänäytön keräämisvelvoitteeseen kytkettynä. Tämän jälkeen voidaan edetä potilaskohtaisiin taloudellisiin sopimuksiin ja lopulta hoidon lopputuloksiin perustuvia sopimusmalleja. Kehityksessä on huomioitava hallinnollinen taakka ja lisäresurssien tarve, joka saattaa olla huomattava.⁶⁶

Raportissa esitellään 12 erilaista hallitun käyttöönoton mallia, jotka jaetaan hinnan alennuksiin perustuviin ja lisänäytön keräämiseen perustuviin sopimuksiin. Hinnan alennuksiin perustuvat sopimukset on jaettu edelleen yksinkertaisempiin taloudellisiin sopimuksiin sekä hoidon lopputulokseen perustuviin sopimuksiin.

Väestötasoisina taloudellisina sopimuksina esitellään alennus (A), kustannuskatto (B) ja volyyymiin perustuva (C) hinnoittelumalli. Potilastasoiset taloudelliset sopimukset on jaettu kiinteään hinnan (D), alennetulla hinnalla aloitetun hoidon (E) ja käyttökaton sopimusmalleihin (F). Näistä E:ssä hoidon alkuvaihe korvataan alemmalla hinnalla ja F:ssä hinta alenee, kun määrätty hoidon kesto on ylitetty. Hoidon lopputulokseen perustuvina sopimuksina esitellään palautusmenettely (G), ehdollisuus hoidon vasteelle (H) ja lopputuloksesta riippuvainen hinnoittelu (I). G:ssä lääkeyhtiö palauttaa maksun niiden potilaiden osalta, jotka eivät saavuta asetettua tavoitetta. H:ssa taas korvaus jatkuu niiden osalta, jotka saavuttavat tavoitteen eli palautusta ei välttämättä sisälly sopimukseen lainkaan. I:ssä taas

⁶⁶ Pelkonen, Rannanheimo ym. 2017, s. 32

parempi lopputulos johtaa korkeampaan hintaan ja korvaus maksetaan lopputuloksen myötä. Lisänäytön keräämiselle ehdollisina sopimuksina esitellään korvaus (J), maksun palautus (K) ja ehdollinen joustava hinnoittelusopimus (L). J:ssä maksaja korvaa hoidon, kun lisänäyttöä kerätään sovitusti. K:ssa maksaja korvaa hoidon, mutta saa palautuksen, jos hoidollinen arvo on oletettua pienempi. L:ssä maksaja korvaa hoidon, mutta hinta tarkistetaan välianalyysin tulosten perusteella.⁶⁷

3.3.3 Tiedonhallinta ja arkivaikuttavuustiedon käyttö

Riskinjakomallien ja ehdollisen korvattavuuden kehittämisen olennainen osa on lääkkeiden käytön seurannan järjestäminen. Tämä edellyttää toimivia tietojärjestelmiä ja helposti käytettävää tietoa, jotta sopimusten toimeenpanosta ei tule hallinnollisesti liian raskasta.

Rationaalisen lääkehoidon tietohallinnan kehittäminen -raportin mukaan uusien lääkkeiden kulutuksesta, vaikutuksista, käytön kohdentumisesta, hoitoprosesseista ja kustannuksista tarvitaan tietoa esimerkiksi terveydenhuollon menetelmien arviointiin sekä korvaus- ja käyttöönottopäätöksiin. Raportti tunnistaa olemassa olevia tietolähteitä ja niiden ongelmia. Ehdollisiin korvauspäätöksiin todetaan voivan liittyä tiedontuottamisvelvollisuuksia teollisuudelle. Tiedonhallinnan työryhmä ehdotti uusien lääkkeiden käyttöönoton seurannan tehostamiseen liittyen selvitettävän, mitä tietoja tarvitaan, kuka tietoja tarvitsee ja mitkä ovat tietojen käytön edellytykset sekä mahdollisuudet kansallisten sote-tietovarantojen sisältämien tietojen hyödyntämisessä ja siihen liittyvän infrastruktuurin kehittämisessä.⁶⁸

Tilanteissa, joissa uuden terveydenhuollon menetelmän vaikutuksiin tai kustannuksiin liittyy merkittävää epävarmuutta, voi olla tarkoituksenmukaista kerätä reaali maailman dataan perustuvaa lisätietoa sen klinisen käytön yhteydessä. Tällaista lisätietoa voidaan STM:n julkaiseman arkivaikuttavuusraportin mukaan kerätä esimerkiksi menetelmän käytöstä, hoitotuloksista, turvallisuudesta tai vaikutuksista palvelujen ja voimavarojen käyttöön. Tietoa voidaan hyödyntää

⁶⁷ Pelkonen, Rannanheimo ym. 2017, s. 33

⁶⁸ Kallio, Korhonen, Tahvanainen 2018, s.24-25

esimerkiksi päätösten ja suositusten uudelleen arvioinnissa tai lääkkeiden hallitun käyttöönoton sopimuksissa. Hoitojen taloudellinen arviointi on yksi arkivaikuttavuustiedon keskeisistä hyödyntämiskohteista. Sitä voidaan käyttää esimerkiksi kustannusvaikuttavuuden arviointiin tarkoitettujen mallien rakentamisessa ja parametrisoinnissa. Kustannusvaikuttavuusmalleissa arkivaikuttavuustietoa voidaan käyttää esimerkiksi potilasjoukon määrittelyssä sekä kustannusten ja terveysvaikutusten arvioinnissa.⁶⁹

Käyttöönoton jälkeen kerättyä arkivaikuttavuustietoa voidaan käyttää korvauspäätösten uudelleen arvioinnissa. Hila käyttää nykyisin Kelan tietoaaineistoja päätösten uudelleen arvioinnissa korvattavuuden määrääjän umpeutuessa ja myyntiluvan haltijan hakiessa korvattavuuden uusintaa. Raportissa käytetään esimerkkinä Britannian Cancer Drug Fundia. Sen kautta käyttöön otetuille kalliille syöpälääkkeille, joihin liittyy merkittävää epävarmuutta, tehdään hintasopimuksen lisäksi hallitun käyttöönoton sopimus, jossa sovitaan arkivaikuttavuustiedon keräämisestä lisänäytön hankkimiseksi. Raportissa viitataan myös Italian ja Ranskan ehdollisen korvattavuuden prosesseihin, joissa lisätietojen keräämisen prosessi sisältää muun muassa epävarmuuden lähteiden tunnistamisen, myyntiluvan haltijan tuottaman tutkimussuunnitelman sekä suunnitelman riippumattoman arvioinnin. Italian lääkeviranomaisesta AIFA:a käytetään esimerkkinä viranomaisesta, joka hyödyntää arkivaikuttavuustietoa hintaneuvotteluissa ja lääkkeiden hallitussa käyttöönotossa. AIFA käyttää arkivaikuttavuustietoa muun muassa indikaatiokohtaisessa hinnoittelussa, yhdistelmähoitojen hinnoittelussa ja hoidon vasteen mukaisessa hinnoittelussa. Tätä varten Italiassa on yli sata tuotekohtaista monitorointirekisteriä, joiden ylläpitoa myyntiluvan haltijat tukevat. Tuotekohtaisten rekistereiden sijaan monet toimijat kuitenkin pitävät parempana esimerkiksi potilasryhmäkohtaisia rekistereitä sekä potilastietojärjestelmiin kerätyn datan hyödyntämistä.⁷⁰

Arkivaikuttavuusraportissa on käsitelty arkivaikuttavuustiedon mahdollisuuksia myös lääkkeiden hallitun käyttöönoton sopimusten kannalta. Arkivaikuttavuustiedon nähdään mahdollistavan hoidon lopputulokseen perustuvat sopimukset, joiden malleja esiteltiin edellä luvussa 3.3.2. Raporttia kirjoitettaessa, kuten edelleen, kaikki

⁶⁹ Rannaheimo, Jauhonen 2018, s. 36-37

⁷⁰ Rannaheimo, Jauhonen 2018, s. 38-40

hinta-autakunnan ehdolliset sopimukset olivat taloudellisia sopimuksia. Raportissa tunnistettiin, että sopimukseen liittyvä keskeinen haaste julkishallinnon organisaatioissa on riittävät resurssit ja osaaminen sopimukseen liittyvään toimintaan.⁷¹

Arkivaikuttavuusraportin toimenpide-ehdotuksissa kirjoittajat tekevät prosessiehdotuksen uusien lääkkeiden lisätiedon keräämisestä. Prosessi alkaa HTA-arvioinnissa tehtävään hoidon kliiniseen vaikuttavuuteen tai kustannuksiin liittyvän epävarmuuden määrittämisestä. Myös myyntiluvan haltija voi tehdä ehdotuksen kerättävistä lisätiedoista, esimerkiksi hallitun käyttöönoton sopimusten ollessa kyseessä. Toisessa vaiheessa lääkkeen käyttöönotosta tai korvattavuudesta päättävä toimielin linjaa HTA-raportin ehdotuksen pohjalta, mitä lisätietoja kyseisestä hoidosta on kerättävä. Tietoja kerätään ensisijaisesti hyvinvointialueiden toimesta tai avohoidon lääkkeitä Kelan tietovarannosta. Hallitun käyttöönoton sopimuksissa sovitaan erikseen datan keräämisestä, käyttöluvista, datan analysoinnista ja rahoituksesta. Tietojen kokoamisesta ja yhdistämisestä ilman tunnistetietoja vastaa kansallinen palveluoperaattori. Myyntiluvan haltija toimittaa analyysin tulokset viranomaiselle suosituksen uudelleen arviointia varten.⁷²

Selvityksessä lääkehoidon ja lääkkeiden käytön dataperusteisesta ohjauksesta on kehitetty ehdollisen korvattavuuden kehittämisen kannalta tärkeä toimintamalli. Lääkkeiden hallittua käyttöönottoa, käyttöä ja käytöstä luopumista koskevan toimintamallin kuvaus alkaa uusiin lääkkeisiin liittyvien epävarmuuksien ja niihin vastaavien hallitun käyttöönoton mallien yleiskuvailulla. Datan entistä tehokkaamman hyödyntämisen ja uudenlaisten hallitun käyttöönoton toimintamallien nähtiin mahdollistuvan tiedonhallinnan ja analytiikan nopean kehityksen ansiosta. Viitaten arkivaikuttavuusraporttiin selvityksessä todettiin, että tuolloin ehdotettua kansallista prosessia lisätiedon keräämiselle uusista lääkkeistä ei toistaiseksi ollut kehitetty Suomessa. Hila ei ole selvityksen mukaan edellyttänyt päätöksissään vaikuttavuustiedon tai muun lisänäytön keräämistä.⁷³

Selvityksessä ehdotetaan kahta toimintamallia lisänäytön tuottamiseen uusista lääkehoidoista tukemaan näyttöön perustuvaa päätöksentekoa uuden lääkkeen

⁷¹ Rannaheimo, Jauhonen 2018, s. 40-41

⁷² Rannaheimo, Jauhonen 2018, s. 96

⁷³ Rannaheimo ym. 2023, s. 48-49

käyttöönoton jälkeen datan ja kokemuksen kertyessä ja niistä esitetään Fimean valmistelemia pilotteja. Lisänäyttö on tarkoitettu uusien lääkkeiden käyttöönottopäätöksiä tekevien viranomaisten käyttöön uusintahakemusten käsittelyssä, suositusten päivityksissä sekä hinta- ja sopimusneuvotteluissa esimerkiksi ehdollisesta korvattavuudesta hintalautakunnassa. Tavoitteena on vähentää päätösepävarmuutta, joka uusiin hoitoihin liittyy.⁷⁴

Seuraa ja maksa -mallissa seurataan ennalta sovittuja hoidon tuloksia ja valmisteen hinnoittelu on kytketty lisänäyttöön. Lääkeyritys vastaa sovitun lisänäytön tuottamisesta, raportoinnista ja tiedon toimittamisesta tietoa tarvitseville viranomaisille. Seuraa ja maksa -mallissa käytetään lähtökohtaisesti yksilötason aineistoa, kun opi ja optimoi -mallissa käytetään laajempaa tilastotasoista anonymisoitua aineistoa. Opi ja optimoi -mallissa tuotettua lisänäyttöä jaetaan laajemmin eri toimijoiden käyttöön ja viranomaisten rooli on keskeisempi.⁷⁵ Raportissa esitellään myös tiekartta toimintamallien käyttöönotolle sekä koonti Hilan lääkeyrityksiltä pyytämistä lisätiedoista uusintahakemusten yhteydessä vuosien 2017-2022 aikana. Yleisimpiä pyydettyjä lisätietoja olivat toteutunut hoidon kesto ja annostus (16 tapauksessa), päivitettyä tutkimusnäyttöä tehosta / kokonaiselinajasta (9), terveydenhuollon resurssien käyttö ja kustannukset sekä muiden lääkkeiden käyttö (9) sekä päivitetty terveystaloustieteellinen selvitys / tietoa kustannusvaikuttavuudesta (8)⁷⁶.

OMOP-konsortion (Observational Medical Outcomes Partnership) pilottiprojektin loppuraportissa esiteltiin kolmen yliopistosairaanhoitopiirin ja Fimean yhteishankkeessa kehitetty toimintamalli hajautettujen analyysien tuottamiseen eri tietokannoista, jotka on harmonisoitu ilman, että henkilötietoja joudutaan yhdistämään. Pilotissa määriteltiin tietotarpeet kolmen eri hoidon käyttöönotosta ja käytöstä sekä arvioitiin, miten tietotarpeisiin voidaan parhaiten vastata sairaaloiden OMOP-tietokantoja hyödyntämällä. Toimintamallien avulla kokeiltiin ensimmäistä kertaa systemaattista tapaa koota ja tuottaa seurantatietoa sairaalakäyttöön tarkoitettuja uusista lääkehoidoista. Pilotissa määriteltiin lisäselvitystä ja

⁷⁴ Rannanheimo ym. 2023 s. 49-51

⁷⁵ Rannanheimo ym. 2023 s. 55, 58

⁷⁶ Rannanheimo ym. 2023, s. 101

kehittämistä vaativat asiat. Suurimmat kehittämistarpeet havaittiin sopimuksiin ja lupiin liittyvissä asioissa.⁷⁷

Helmikuussa 2025 sosiaali- ja terveysministeriö tiedotti kansallisen keskitetyn lääketietovarannon rakentamisen käynnistämisestä. Tietovarantoon kootaan yhteen keskeiset tiedot lääkevalmisteista ja vähennetään tarvetta lääketiedon manuaaliseen käsittelyyn. Sen arvioidaan myös helpottavan lääkkeiden käytön sekä lääkehoitojen vaikutusten ja kustannusten seurantaa. Tietovarannon valmistelun aloittamista edelsi laaja selvitystyö.⁷⁸

3.4 Ehdollisen korvattavuuden käyttö ja vaikutukset

Heinäkuussa 2025 lääkkeiden hintalautakunnalla oli voimassa 203 valmiste-erää koskevaa myönteistä ehdollisen korvattavuuden ja tukkuhinnan päätöstä 84 kauppanimen valmisteelle. Puolet ehdollisesti korvattavista valmisteista on syöpälääkkeitä. Kaikki ehdollisesti korvatut valmisteet ovat myös rajoitetusti korvattavia ja kaikki sopimukset ovat taloudellisia sopimuksia. Yhtään vaikuttavuussopimusta ei ole vielä tehty Suomessa avohoidon lääkkeille.⁷⁹

Uusimman lääketilaston mukaan ehdollisen korvattavuuden sopimusten perusteella maksetut palautusmaksut olivat vuonna 2024 109 miljoonaa euroa. Vuonna 2023 palautusmaksut olivat 76 miljoonaa euroa. Palautusmaksujen määrä on kasvanut vuosi vuodelta.⁸⁰

Kansainvälisessä terveystaloustieteen ISPOR-seuran (International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research) Yhdysvaltojen seminaarissa esiteltiin vuonna 2022 kaksi posteria Suomen ehdollisen korvattavuuden käyttöönoton vaikutuksista. Posterit rahoitti lääkeyhtiö Janssen. Ensimmäisen posterin tutkimuskysymys oli selvittää, miten ehdollinen korvattavuus on vaikuttanut potilaiden syöpälääkkeiden saatavuuteen. Aineistona olivat kaikki avohoidon (onkologiset ja hematologiset) syöpälääkkeet, joille oli haettu korvattavuutta Hilasta tammikuun 2012 ja marraskuun 2021 välillä. Aineisto kattoi 50 syöpälääkettä. Niistä oli tehty 237 hakemusta, joista 209 oli saanut päätöksen, 24 oli käsittelyssä ja 4 oli

⁷⁷ Sitra 2024, s. 3-4

⁷⁸ STM 2025

⁷⁹ Lääkkeiden hintalautakunta 2025c

⁸⁰ Fimea 2025a, s. 55

peruutettu. Posterissa vertailtiin ajanjaksoja ennen ehdollisen korvattavuuden voimaantuloa vuosina 2012-2016 sekä ehdollisen korvattavuuden voimaantulon jälkeen vuosina 2018-2021. Vuosi 2017 jätettiin siirtymävuotena vertailun ulkopuolelle. Aineistolähteenä olivat lääkkeiden hintalautakunnan tilastot ja päätökset.⁸¹

Posterin tulosten mukaan ehdollisen korvattavuuden jälkeen ensimmäisen käyttöaiheen eli uusien lääkeaineiden hakemusten hyväksymisaste nousi 154 prosenttia ehdollisen korvattavuuden myötä. Ajanjaksolla 2012-2016 Hila hyväksyi keskimäärin 35,1 prosenttia uusien lääkeaineiden hakemuksista, joita oli yhteensä 37 ja ajanjaksolla 2018-2021 keskimäärin 89,3 prosenttia, kun hakemuksia oli yhteensä 36. Uudet lääkkeet tulivat ehdollisen korvattavuuden jälkeen keskimäärin 1,2 vuotta nopeammin myyntiluvan hyväksymisestä peruskorvattavuuden piiriin, mikä oli 53 prosenttia lyhyempi aika kuin ennen ehdollista korvattavuutta. Verrattuna vuosiin 2015-2016 uudet lääkkeet tulivat 1,9 vuotta nopeammin käyttöön ehdollisen korvattavuuden käyttöönoton myötä, mikä oli 65 prosenttia lyhyempi aika. Ehdollisen korvattavuuden myötä hylättyjen hakemusten osuus tippui selvästi, sillä ensimmäisen hakemusten hyväksyminen lisääntyi 167 prosenttia. Ennen ehdollista korvattavuutta uusi lääkeaine tarvitsi keskimäärin kaksi hakemusta hajonnan ollessa yhdestä neljään, mutta ehdollisen korvattavuuden käyttöönoton jälkeen uudet lääkkeet on saatu korvattavaksi keskimäärin yhdellä hakemuksella.⁸²

Uusien lääkkeiden käyttöönotto näyttää siis nopeutuneen huomattavasti ehdollisen korvattavuuden myötä. Ennen ehdollista korvattavuutta uusien lääkkeiden korvattavuus oli hidastumassa ja hylättyjen hakemusten osuus oli kasvussa. Aineistoa saattaa vääristää jonkin verran se, että vuonna 2016 yhtiöt tiesivät ehdollisen korvattavuuden olevan tulossa käyttöön seuraavan vuoden alusta, minkä takia ne saattoivat lykätä hakemusten jättämistä. Tästä syystä myös vuoden 2016 jättäminen aineiston ulkopuolelle siirtymävuotena olisi voinut olla perusteltua. Tämä ei kuitenkaan muuttaisi tuloksia merkittävästi. Tuloksista näkee myös, että ehdollisen korvattavuuden myötä avohoidon syöpälääkkeistä valtaosa tulee käyttöön ehdollisen korvattavuuden kautta.

⁸¹ ISPOR 2022a, s. 1-4

⁸² ISPOR 2022a, s. 6-10

Toisessa posterissa hyödynnettiin edellisen posterin aineistoa ja analyysiä nopeatuneesta syöpälääkkeiden käyttöönotosta ja yhdistettiin se Kelalta saatuihin tietoihin näiden lääkkeiden käytöstä sekä Britannian NICE:n julkisia komitea-asiakirjoja, joissa arvioitiin kunkin valmisteen käytöllä saatavia lisäelinvuosia lyhentyneen korvattavuusviipeen ansiosta. Lääkkeen aiempaa nopeammin saaneiden potilaiden määrä kerrottiin NICE:n arvioinneissa todetuilla lisäelinvuosilla.⁸³

Tulosten mukaan ehdollinen korvattavuus oli vaikuttanut vuoden 2021 ensimmäiseen neljännekseen mennessä 26 lääkkeen korvattavuuteen 13 eri syöpäsairaudessa. Näiden lääkkeiden käytöllä oli Suomessa saatu laskennallisesti 3780-5299 elinvuotta, riippuen kontrollijakson pituudesta. Alaryhmistä leukemian, rintasyövän ja eturauhassyövän hoidossa saatiin suurimmat elinvuosien lisäykset, minkä arveltiin johtuneen uusien lääkkeiden määrästä ja potilaspopulaatioiden koosta. Kirjoittajien mukaan arviot ovat konservatiivisia erityisesti osan sairauksien kohdalla. Metodi ei heidän mukaansa myöskään huomioi lääkkeiden korvattavaksi pääsyn korkeampaa todennäköisyyttä eikä joidenkin lääkkeiden myynnin huippua, joka ajoittaa vuoden 2021 ensimmäisen neljänneksen jälkeiseen aikaan.⁸⁴

Posterit on tehty lääkeyhtiöiden rahoittamina, mutta niissä molemmissa käytetään Suomen ja Englannin viranomaisten dataa ja raportteja ja ne on esitelty vertaisarvioituina postereina alan tieteellisessä seminaarissa. Kriittisesti voi todeta, että postereissa ei tuoda esiin, millainen vaikutus lääkkeiden käyttöönotolla 1-2 vuotta nopeammin on yritysten myyntiin ja tulokseen. Jokainen vuosi patentin voimassaoloaikana on yrityksille arvokas. Vaikka Suomi on pieni markkina, lääkkeen käyttöönottoa yhdessä maassa käytetään referenssinä muiden maiden käyttöönottoprosesseissa ja niin Suomen nopeammilla päätöksillä voi olla myös laajempi vaikutus. Joka tapauksessa ehdollisella korvattavuudella näyttää olleen merkittävä vaikutus varsinkin uusien avohoidon syöpälääkkeiden käyttöönotossa. Lähes jokainen posterien ajanjaksolla käyttöön otetuista syöpälääkkeistä tuli ehdollisesti korvattavaksi. Syöpälääkkeiden aikaisempi käyttöön saaminen on positiivinen asia syöpää sairastavien kannalta. Samalla tulokset heijastavat lääkkeiden hinnan nousua, johon osaltaan vaikuttaa syövän hoidon yksilöllistyminen,

⁸³ ISPOR 2022b

⁸⁴ ISPOR 2022b

sillä uudet hoidot kohdennetaan usein tarkasti tiettyihin geneettisiin mutaatioihin ja pienille potilasryhmille.

4 Viranomaisten ja lääketeollisuuden edustajien kokemuksia ehdollisesta korvattavuudesta Suomessa

4.1 Aineisto

Tätä tutkielmaa varten tehtiin 12 haastattelua Suomen lääkekorvausjärjestelmän ehdollisesta korvattavuudesta tammi-helmikuussa 2024. Haastattelut tehtiin teemahaastatteluina, jotka oli jaettu kolmeen osioon, joissa oli yhteensä yhdeksän kysymystä. Haastatteluiden päätarkoituksena oli tutkimuskysymyksen mukaisesti määritellä sairausvakuutuslain 6 luvun 6a §:n keskeiset käsitteet sekä ymmärtää ehdollisen korvattavuuden prosessia ja sopimuksia. Haastateltavat saivat ennen haastattelua haastattelukysymykset sekä ehdollista korvattavuutta koskevan sairausvakuutuslain 6 luvun 6a §:n, jossa oli tummennettu etukäteen keskeisiksi arvioidut käsitteet. Keskusteluissa tummennettujen käsitteiden lisäksi keskeiseksi nousi myös 1 momentin toisen lauseen ”uuden lääkehoidon” -käsite. Haastateltavan asiantuntemuksen perusteella keskustelut painottuivat eri teemoihin, mutta haastattelurunko pysyi kaikille samana. Haastattelurunko on liitteenä 1.

Haastateltavista kolme oli lääkkeiden hintalautakunnan toiminnassa mukana olevia henkilöitä ja yhdeksän edusti lääketeollisuutta yrityksen tai järjestön asiantuntijana. Monella haastateltavalla oli kokemusta ”molemmilta puolilta pöytää” eli työskentelystä niin Hilasta ja sosiaali- ja terveysministeriöstä kuin teollisuudesta. Teollisuuden haastateltavien työtehtävät liittyivät uusien valmisteiden markkinoille tuontiin ja hintaneuvotteluihin, yhteiskuntasuhteisiin ja terveystaloudellisiin malleihin. Koulutustaustaltaan haastateltavat olivat muun muassa juristeja, farmaseutteja, proviisoreita, biokemistejä ja terveystaloustieteilijöitä. Haastateltavat on tutkielmassa anonymisoitu. Liitteessä 2 on lueteltu haastateltavien roolit. Tekstissä ei viitata suoraan yksittäisiin haastateltaviin, vaan haastatteluissa tehtyjä havaintoja on koottu yhteen ja alaviitteessä on kerrottu, mihin haastatteluihin kukin kohta perustuu. Tekstissä viitataan yleisesti viranomaisten ja lääketeollisuuden edustajiin, kun näkemys on tullut selvästi vain jommalta kummalta.

Täydentävänä kirjallisena aineistona käyttöön saatiin hintalautakunnan erästä valmistetta koskeva lääkkeiden hintalautakunnan päätös (liite 3) sekä päätöstä koskeva esitysmuistio (liite 4). Myös ehdollisen korvattavuuden sopimuksia pyydettiin käyttöön, mutta niitä ei saatu. Yhdessä viranomaisen edustajan

haastattelussa saatiin nähtäväksi Hilan ehdollisen korvattavuuden standardisopimus pohja, mutta muuten tutkielman käyttöön sitä ei saatu.

4.2 Hintalautakunnan hakemusprosessi korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan vahvistamiseksi

4.2.1 Hakemusprosessin vaiheet

Hilan prosessi määritetty sairausvakuutuslain 6 luvun säännösten mukaan ja alkaa myyntiluvan haltijan hakemuksesta. Hakemusperusteisuus pohjautuu viranomaisen edustajan mukaan Euroopan unionin tavaroiden vapaaseen liikkuvuuteen. Ennen Suomen jäsenyyttä unionissa myyntilupa- ja hinta-arviointi tehtiin samassa viranomaisessa. Tavaroiden vapaan liikkuvuuden myötä hinta ei kuitenkaan enää voinut olla este lääkkeen myynnille jäsenmaassa, joten myyntilupa erotettiin yhteiskunnan tuesta eli korvattavuudesta ja sen perusteena toimivan kohtuullisen tukkuhinnan määrittelystä. Lääkeyhtiöllä on unionissa oikeus päättää, miten se hinnoittelee lääkkeensä, mutta jäsenvaltiot päättävät, minkä hintaisten lääkkeiden kustannuksiin ne ovat valmiita osallistumaan. Poikkeuksena hakijalähtöisyyteen on sairausvakuutuslain 6 luvun 17 §:n mukainen Hilan aloitteesta tehtävä erityiskorvattavuusprosessi, jota käytetään vain erityisluvallisiin eli potilaskohtaisesti käyttöön otettuihin ei-myyntiluvallisiin valmisteisiin. Myös korvattavaan valmisteeseen liittyvien muutosten yhteydessä Hila voi käynnistää korvattavuuden lakkautusprosessin, jossa yhtiöllä on mahdollisuus ehdottaa korvattavuuden jatkamista esimerkiksi matalammalla hinnalla.⁸⁵

Lääkeyhtiö toimittaa hakemuksen Hilalle, kun se arvioi saaneensa riittävän näytön potilasjoukon määrittämiseksi korvattavuudelle. Hakemuksen saapumisen jälkeen Hilan sihteeristö saattaa pyytää hakemuksen täydentämistä ennen kuin se laitetaan vireille. Hilan normaalissa hakemusprosessissa on kyse pitkälti kirjallisesta menettelystä, jossa muuta yhteydenpitoa on vähän ja Hilalla on arvioijan rooli. Hilan arvioidessa uusia lääkeaineita koskevia hakemuksia se pyytää useimmiten lausunnon Kelalta ja asiantuntijatyöryhmältään. Kela arvioi lausunnossaan valmisteiden hoidollista arvoa ja kustannusvaikuttavuutta ja lääkeyhtiöllä on mahdollisuus antaa vastineensa Kelan ja asiantuntijatyöryhmän lausuntoihin. Myös potilasjärjestöillä on

⁸⁵ Viranomaisen edustajat B ja G

mahdollisuus oma-aloitteisesti jättää lausunto Hilan käsittelyssä olevasta hakemuksesta, mutta teollisuuden edustaja koki potilasjärjestöjen lausunnoilla olevan vain pieni merkitys Hilan päätöksenteossa. Hakija myös konsultoi usein kyseistä sairautta Suomessa hoitavaa erikoislääkäriä, joka antaa asiantuntijalausunnon lääkkeen sijoittumisesta suomalaiseen hoitokäytäntöön. Yhtiöt keräävät erikoislääkäreiden lausuntoja yhdestä viiteen prosessia kohden ja hakevat tukea hakemukselleen. Yleensä yhtiöt maksavat erikoislääkäreille palkkion lausuntojen kirjoittamisesta. Yksittäistapauksissa myös Hila on pyytänyt ulkopuolisilta erikoislääkäreiltä asiantuntijalausuntoja.⁸⁶

Esittelijä valmistelee hakemuksen ja lausuntojen pohjalta asian Hilan ensimmäiseen kokoukseen, jossa lautakunnan jäsenet käsittelevät asiaa ensimmäisen kerran. Lautakunnan käsittely tapahtuu kussakin asiassa esitysmuistion pohjalta. Jos Hila ei ole valmis ensimmäisessä kokouksessa hyväksymään hakemusta, kuten selvä pääsääntö on, hakijalle annetaan palaute lisäselvityspyynnön muodossa sekä mahdollisuus muokata hakemusta ja ehdottaa esimerkiksi korvattavuuden rajausta, hinnan alentamista tai ehdollisen korvattavuuden neuvottelua. Lisäselvityspyynnöllä pyritään luomaan hakijalle ennakoitavuutta, mutta myös välttämään turhia hylkäämispäätöksiä, jotka tuottavat osapuolille ylimääräistä työtä. Hila pyrkii päättämään asiat kahdessa kokouksessa, mutta useampikin käsittely on tarpeen mukaan mahdollinen, jos näköpiirissä on ratkaisun löytyminen. Hilan toimintaa hakemusmenettelyssä kuvataan yleisesti sihteeristövetoiseksi.⁸⁷

Päätökset ja esitysmuistiot ovat Hilan päätöksenteon tärkeimmät asiakirjat. Itse päätöksissä on kuvattu suppeasti hakemuksen perustiedot sekä hintalautakunnan ratkaisu. Esitysmuistioihin sen sijaan on koottu kaikki hakemusvalmistetta koskevat tiedot, korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan arviointia koskevat tiedot, asiassa annetut lausunnot ja Hilan ratkaisun perustelut. Kussakin esitysmuistion kohdassa viitataan järjestelmällisesti tapauksen kannalta relevantteihin sairausvakuutuslain pykäliin, joihin nojaten argumentoidaan päätösehdotus. Esitysmuistiot eivät ole kokonaan julkisia, koska ne sisältävät liikesalaisuuksia, mutta pyydettyäessä muistioita on mahdollista saada redaktoituna. Lääkeyhtiö Pfizerin Vydura-valmistetta koskeva päätös ja esitysmuistio ovat tutkielman liitteinä 3 ja 4.

⁸⁶ Viranomaisen edustajat B, G ja K, lääketeollisuuden edustajat D ja H

⁸⁷ Viranomaisen edustajat B ja K, lääketeollisuuden edustajat D ja H

Varsinkin esitysmuistion avulla saa hyvän käsityksen lautakunnan prosessin etenemisestä ja arvioinnin kohteista.

Lääkeyhtiö pyytää hakemuksensa käsittelyn keskeyttämistä ehdollisen korvattavuuden neuvotteluiden lisäksi esimerkiksi, jos sillä on tärkeä toisen maan hintaneuvottelu käynnissä tai uutta tutkimustietoa valmistumassa lähiaikoina. Tällöin Hilan lakisääteinen kuuden kuukauden määräajan kulumisen pysähtyy. Myös Hilalla on mahdollisuus tietyissä tapauksissa keskeyttää käsittely, mutta tyypillisempää on, että hakija pyytää keskeytystä.⁸⁸

Lääketeollisuuden edustajat pitävät Hilan prosessia yleisesti selkeänä, läpinäkyvänä ja ennakoitavana. Prosessin vahvuus on lakiperusteisuus ja Hilan koetaan kuvanneen selkeästi ohjeissaan, mitä se hakemuksilta edellyttää, joskin hakemusten kokoaminen vaatii myös kokemusperäistä tietoa. Erään teollisuuden edustajan mukaan Hila on ”tiukka, mutta reilu”. Toisaalta hilan hakemusprosessia kuvataan myös jäykäksi ja byrokraattiseksi sekä Hilan sihteeristöä varovaiseksi käymään keskusteluja hakijan edustajan kanssa hakemusprosessin aikana. Hilan henkilöstön osaamista lääkeasioissa pidetään vahvana ja toimintaa pienillä resursseilla tehokkaana. Erona sairaalahankintoihin Hila näyttäytyy prosessiltaan ja päätöksenteoltaan avoimelta, ymmärrettävänä ja ennakoitavana. Hintalautakunnan toiminnassa nähdään korostuvan hakijoiden yhdenvertainen kohtelu.⁸⁹

4.2.2 Korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan edellytykset hakemusprosessissa

Hilan normaalin hakemusprosessin arvioinnin pääkohteina on valmisteeseen hoidollinen arvo sekä tukkuhinnan kohtuullisuus. Ensin arvioidaan valmisteeseen hoidollista arvoa, joka on korvattavuuden tärkein edellytys. Sitä mitataan lääkeaineen teholla, jolla tarkoitetaan lääkkeen kliinisissä kokeissa osoitettua vaikutusta. Teho osoitetaan parhaassa tapauksessa verrattuna lumelääkkeeseen tai aktiiviseen vertailuhoitoon eli toiseen lääkkeeseen. Hila arvioi myös, miten kliinisen kokeen asetelma ja tulokset ovat sovellettavissa Suomeen. Sairausvakuutuslain 6 luvun 5 §:n asettaa kynnykseksi hoidolliselle arvolle, että sen on oltava vähäistä suurempi. Toinen säännöksen asettama edellytys on, että valmistetta on käytettävä sairauden

⁸⁸ Lääketeollisuuden edustaja A

⁸⁹ Lääketeollisuuden edustajat A, C, D, E, H, I, J, L

hoitoon, ei esimerkiksi sairauden ehkäisyyn. Hoidollista arvoa voidaan mitata esimerkiksi lisäelinvuosina tai parantuneena elämänlaatuna, mutta myös korvikemuuttujilla kuten verenpaineen, verensokeriarvojen tai kolesterolin tason muutoksina. Viranomaisen edustajat pitävät hoidollisen arvon kynnystä käytännössä matalana ja näkevät, että myyntiluvan saaneet valmisteet, joilla on ylipäättään sairautta hoitava vaikutus verrattuna hoidon puuttumiseen, täyttävät yleensä kriteerin.⁹⁰

Tukkuhinnan kohtuullisuuden arvioinnin edellytykset tulevat sairausvakuutuslain 6 luvun 7 §:stä ja niistä keskeisinä viranomaisen edustaja pitää saman sairauden hoidossa käytettävien lääkkeiden hintoja, muiden ETA-maiden hintoja sekä kustannusvaikuttavuutta eli lääkkeen käytöstä aiheutuvia kustannuksia suhteessa saavutettuihin hyötyihin. Kustannusvaikuttavuuden kohdalla hoidollinen arvo arvioidaan suhteessa Suomessa käytössä oleviin hoitoihin ja hoidon aiheuttamiin lisäkustannuksiin sosiaali- ja terveydenhuollossa. Kustannusvaikuttavuuden laskemiselle ei ole käytössä tarkkaa kustannusvaikuttavuuden kynnyсарvoa eikä yhtä matemaattista kaavaa sen laskemiselle. Kyse on kokonaisarvioinnista, johon vaikuttavat hoidollisen lisäarvon ja lisäkustannusten rinnalla muun muassa tutkimusnäyttö ja sen vahvuus. Osa lääketeollisuuden edustajista koki kustannusvaikuttavuuden arvioinnin epäselvänä.⁹¹

Kustannusvaikuttavuuden arvioinnissa käytettäviä menetelmiä ovat esimerkiksi kustannusutiliteettianalyysi, kustannusten minimointianalyysi ja kustannusvaikuttavuusanalyysi. Uusien lääkeaineiden hakemuksissa Hila edellyttää terveystaloustieteellisen ohjeensa mukaisesti yleisimmin kustannusutiliteettianalyysin käyttöä. Tällöin kustannusvaikuttavuutta mitataan esimerkiksi laatu-painotetuilla lisäelinvuosilla (quality adjusted life years, QALY) ja inkrementaalisella kustannusvaikuttavuussuhteella (incremental cost effectiveness ratio, ICER), jossa laatu-painotetulle lisäelinvuodelle määritetään lisäkustannus suhteessa vertailuhoitoihin. Kustannusten minimointianalyysia käytetään, kun verrataan kahden hoidolliselta arvoltaan samanlaisen hoidon kustannuksia toisiinsa. Kustannusvaikuttavuusanalyysissa arvioidaan lisäelinvuoden tai jonkin välillisen mittarin arvon parantumisen taloudellista arvoa. Eri hoitojen arvottaminen suhteessa

⁹⁰ Viranomaisen edustajat B, G ja K, lääketeollisuuden edustajat D, E, F, H ja J

⁹¹ Viranomaisen edustaja B, lääketeollisuuden edustajat C, E ja H

toisiinsa voi olla vaikeaa, koska esimerkiksi verenpaineen ja kolesterolin alenemisen arvottaminen suhteessa toisiinsa tai laatupainotettuun lisäelinvuoteen on vaikeaa. Lääketeollisuuden edustaja nosti esiin, että kustannusutiliteettianalyysin ja QALY:n korostaminen voivat aiheuttaa joidenkin vähemmän vakavien tai hitaammin kuolemaan johtavien hoitojen jäämisen korvausjärjestelmän ulkopuolelle, jos niiden kohdalla QALY:n määrittäminen ei onnistu.⁹²

Kustannusvaikuttavuuden arvioinnissa terveystaloudellisella mallilla mallinnetaan potilaan koko hoitopolku ja vaikutukset jopa koko elinajaksi, eikä keskitytä vain kyseisen hoidon kustannuksiin. Näin voidaan huomioida vaikutukset esimerkiksi ihmisen elämänlaatuun ja muiden hoitojen käyttöön. Osa lääketeollisuuden edustajista piti kustannusvaikuttavuusarvioinnin keskittymistä sosiaali- ja terveydenhuollon suoriin kustannuksiin kapea-alaisena ja näkivät, että esimerkiksi työkyvyttömyyden kustannukset ja veromenetykset muille yhteiskunnan toimijoille olisi huomioitava nykyistä laajemmin vaikuttavuutta arvioitaessa. Yhtiöt pyrkivät usein omissa kustannusvaikuttavuusmalleissaan kuvaamaan kustannuksia myös laajemmin, mutta niissä käytettyjen oletusten ja suuren epävarmuuden takia Hila on hyväksynyt niitä käyttöön rajallisesti.⁹³

Niin hoidollisen arvon kuin erityisesti kustannusvaikuttavuuden kannalta olennaista on, miten lääkkeen vertailuvalmisteet valitaan. Aiheesta on ollut joissain tapauksissa erimielisyyttä Hilan ja hakijan välillä. Ratkaisussa KHO:2018:72 määritettiin, että vertailuhoidot ovat saman sairauden saman hoitolinjan hoitoja ja että yhdistelmähoitojen ollessa kyseessä kustannuksina huomioidaan kaikki yhdistelmähoitoon kuuluvat hoidot, ei vain kyseiseen käyttöaiheeseen nimettyä valmistetta. Vertailuvalmisteiden ollessa sairaalalääkkeitä voi vertailua vaikeuttaa sairaaloiden tekemät luottamukselliset sopimukset, joiden hintoja ei ole Hilan eikä hakijan tiedossa.⁹⁴

Hila voi myöntää sairausvakuutuslain 6 luvun 6 §:n mukaan korvattavuuden rajattuna, jos kyse on erityisen kalliista lääkkeestä, joka on välttämätön vakavan sairauden hoidossa tai jos lääkkeen laajasta käytöstä aiheutuisi kohtuuttomia kustannuksia. Erityisen kallis tarkoittaa käytännössä tässä tapauksessa, että lääkkeen

⁹² Lääketeollisuuden edustajat A, D, E, H ja J viranomaisen edustaja B

⁹³ Viranomaisen edustaja B, lääketeollisuuden edustajat C ja D

⁹⁴ Viranomaisen edustajat B ja K, lääketeollisuuden edustaja I ja J

vuosikustannukset potilaalle ylittävät lääkekorvausten vuosiomavastuun rajan. Kyse ei siis ole erityisen korkeista kustannuksista ja viranomaisten mukaan tämä lainkohta alkaa olla ajastaan jäljessä.⁹⁵

Erityiskorvattavien lääkkeiden tukkuhinnan kohtuullisuutta arvioitaessa Hilan on huomioitava myös korvauksiin käytettävissä olevat varat eli niin sanottu budjettivaikutus. Tämä tarkoittaa käytännössä, että uusien erityiskorvattavien lääkkeiden aiheuttamat lisäkustannukset sairausvakuutukselle saavat olla korkeintaan 8,4 miljoonaa euroa vuodessa. Summaa ei ole tarkistettu koskaan, mutta se ei ole aiheuttanut ongelmia kuin parina vuonna, jolloin tarkoitukseen on haettu lisärahoitusta. Syynä on se, että 8,4 miljoonan summaa kerryttää käytännössä myytyä lääkettä kohti vain peruskorvattavien lääkkeiden vuosiomavastuusuutta vastaava summa, joka on 633,17 euroa vuonna 2025. Näin ollen erityiskorvattavuuden piiriin lääkkeitä voidaan karkeasti arvioiden ottaa hieman yli 13 000 potilaalle vuosittain.⁹⁶ Lääketeollisuudessakaan asiaa ei ole koettu ongelmaksi, mutta siihen liittyen huomautettiin, että vain erityiskorvattavien lääkkeiden sairausvakuutukselle aiheutuneen budjettivaikutuksen mittaaminen irrallaan lääkkeistä saadusta terveydenhuollon tai laajemmasta yhteiskunnallisesta hyödystä on kapea-alaista. Myös velvollisuus hakea peruskorvattavuus ennen erityiskorvattavuutta nähtiin haastatteluissa vanhentuneena edellytyksenä. Toisaalta teollisuudessa oli myös kokemusta, että budjettivaikutuksilla on käytännössä suurempi rooli peruskorvattavuusprosessissa kuin erityiskorvattavuudessa.⁹⁷

Lääkkeen kohtuullinen tukkuhinta määräytyy käytännössä lääkeyhtiön tekemän ehdotuksen ja Hilan näkemyksen välisenä kompromissina. Kaikki lääkeyhtiöt toimivat kansainvälisesti ja käyvät neuvottelua myös sisäisesti siitä, millaisia hintoja kussakin maassa voidaan ehdottaa ja hyväksyä. Yhtiöille lääkemyynti on liiketoimintaa, jolla on katettava lääkekehityksen kustannukset ja jolla tavoitellaan voittoa. Yhtiöt eivät halua heikentää neuvotteluasemaansa suurissa maissa väestöltään ja markkinaltaan pienen Suomen julkisilla hinnoilla. Tämä nostaa Suomen julkisia hintoja. Suomen halutessa olla kärkimaa uusien lääkkeiden käyttöönotossa tarkoittaa tämä lääketeollisuuden edustajien mukaan joko julkisten

⁹⁵ Viranomaisen edustaja G, lääketeollisuuden edustaja D

⁹⁶ Viranomaisen edustaja B

⁹⁷ Lääketeollisuuden edustajat C, D ja J

hintojen korkeampaa tasoa tai luottamuksellisia hintoja, joita ehdollinen korvattavuus tarjoaa.⁹⁸

Valmisteen hoidollinen arvo ja kustannustehokkuus osoitetaan lähtökohtaisesti kliinisillä tutkimuksilla, mutta myyntiluvan haltija voi toimittaa Hilalle myös reaaliaikaisen dataa, joka kertoo vaikuttavuudesta kliinisten tutkimusten ulkopuolella. Reaaliaikaisen datan huomiointi päätöksenteossa koetaan kuitenkin harvinaiseksi ja epäselväksi. Toistaiseksi Hilan koetaan toimineen konservatiivisesti reaaliaikaisen datan huomioimisesta verrattuna joihinkin muihin maihin.⁹⁹

Lääketeollisuuden edustajat pitävät olennaisena Hilan kanssa neuvoteltaessa, että nykyään myyntiluvat myönnetään aiempaa varhaisemmin ja heikommalla näytöllä. Osana tätä on lääkehoitojen kehittyminen yhä yksilöllisemmiksi esimerkiksi tietyn geenin mutaation hoitoon. Tällöin tehon osoittaminen suorilla vertailevilla tutkimuksilla on hankalaa, eikä tällaisen tutkimusasetelman järjestämistä koeta varsinkaan harvinaislääkkeillä eettisesti mahdolliseksi, koska se edellyttäisi joillekin hengenvaarallista tautia sairastavalle lumelääkkeen antamista. Tämän takia päätöksenteossa tulisi kliinisten lääketutkimusten rinnalla lääketeollisuuden edustajien mielestä huomioida paremmin myös reaaliaikaisen käytöstä kertynyttä dataa, jota hyödynnettäisiin päätöksenteossa.¹⁰⁰

Lääketeollisuuden edustajien näkökulmasta Hila korostaa arviointikäytännössään sairausvakuutuslain 6 luvun mukaisesti lääkehoitojen tehoa ja kustannusvaikuttavuutta sekä lääketieteellistä tarvetta ja vertailuhoitoja. Myös muiden ETA-maiden hintojen vertailulla on rooli, mutta se koetaan ajoittain epäselväksi. Suomalaiseen vertailuhoitoon perustuvan datan saaminen on usein vaikeaa, koska hoidot kehittyvät nopeasti eikä aikanaan kliinisessä tutkimuksessa käytetty vertailuvalmiste ole enää relevantti Suomessa tai koska aiempaa hoitoa ei lääkettä kehitettäessä ole ollut ylipäätään. Kustannusvaikuttavuuskynnyksen koetaan vaihtelevan terapia-alueen mukaan. Esimerkiksi syöpä- tai harvinaislääkkeille voidaan hyväksyä korkeampi hinta suhteessa hyötyyn, kun kyse on vakavasta sairaudesta tai jos potilaita on hyvin vähän, mutta myös heidän hoitoonsa halutaan

⁹⁸ Lääketeollisuuden edustaja A, D ja E

⁹⁹ Lääketeollisuuden edustaja A

¹⁰⁰ Lääketeollisuuden edustaja A ja J

sitoutua. Potilaiden määrän kasvaessa potilaskohtainen hinta ei voi olla enää yhtä korkea ja kustannustehokkuuden on oltava parempi.¹⁰¹

4.2.3 Muuta Hilan hakemusprosessista

Hila saa runsaasti kiitosta toimintansa avoimuudesta. Lääketeollisuudessa pidetään erittäin hyvänä, että Hila mahdollistaa työskentelynsä seuraamisen julkaisemalla kokousaikataulunsa ja päätöksensä. Tätä pidettiin myös tärkeänä erona verrattuna sairaalahankintojen prosessiin.¹⁰²

Useissa haastatteluissa Hilan prosessia verrattiin sairaaloiden lääkehankinta- ja mini-HTA-prosesseihin sekä palveluvalikoimaneuvosto Palkon prosessiin. Hila koettiin näihin verrattuna ymmärrettäväksi, ennakoitavaksi, avoimeksi ja vuorovaikutukselliseksi prosessiksi siinä missä sairaaloiden ja Palkon toimintaa pidettiin vaikeasti ennakoitavana ja prosessien läpinäkyvyyttä heikkona. Palkon prosessi koettiin päällekkäisenä myyntilupaviranomaisen kanssa, koska se keskittyy vain hoidollisen arvon arviointiin, mutta Palkon seula on huomattavasti tiukempi lääketutkimuksille asetettujen vaatimusten osalta. Myös Palkon arvioinnissa puhutaan vaikuttavuudesta, mutta kustannusvaikuttavuuden sijaan sen koettiin keskittyvän tällöinkin vain kliinisissä tutkimuksissa osoitetun tehon arviointiin. Siinä missä Hilan prosessi on lakisääteinen ja päätökset avoimudirektiivin mukaisia ja muutoksenhakukelpoisia, Palkon ja sairaaloiden prosessin ja päätösten juridinen luonne koettiin hyvin epämääräisiksi.¹⁰³

4.3 Ehdollisen korvattavuuden prosessi

Kaikkien lääkeaineiden prosessi alkaa edellä kuvatulla Hilan normaalilla hakemusprosessilla ja niiden arvioinnin lähtökohta on sairausvakuutuslain asettamat korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan edellytykset. Uuden lääkehoidon ehdollisen korvattavuuden prosessi alkaa, kun Hilan ensimmäisessä kokouksessa on annettu hylkäävä päätösehdotus ja lisäselvityspyyntö. Tällöin hakija voi ehdottaa ehdollisen korvattavuuden neuvottelujen käynnistämistä ja hakemuksen käsittelyn keskeyttämistä. Kirjallisessa neuvotteluehdotuksessaan hakija esittää perusteet,

¹⁰¹ Lääketeollisuuden edustaja A ja D ja J, viranomaisen edustaja K

¹⁰² Lääketeollisuuden edustaja A

¹⁰³ Lääketeollisuuden edustajat A, D, H ja L

miksi neuvottelut olisi käytävä, miten ehdollisen korvattavuuden ehdot täyttyvät ja miten valmisteeseen liittyvää epävarmuutta voitaisiin hallita. Neuvottelu ehdotus tuodaan Hilan kokoukseen ja lautakunta päättää, voidaanko neuvottelut aloittaa. Haastattelussa viranomaisen edustajat pitivät todennäköisenä, että sihteeristön toimivalta käynnistää neuvottelut ilman lautakunnan päätöstä kasvaa kokemuksen karttuessa. Lautakunnan päätökset ehdollisen korvattavuuden neuvotteluiden aloittamisesta julkaistaan muiden kokouspäätösten mukana. Jos kyseessä on uusintahakemus tai Hilan aiemmin hylkäämän lääkeaineen uusi hakemus, voidaan ehdollisen korvattavuuden neuvotteluihin päättää siirtyä nopeammin.¹⁰⁴

Ehdollisen korvattavuuden neuvottelut ovat hakemusprosessia joustavammat ja keskusteleavammat käytännöiltään ja yhteydenpidoltaan. Tätä eri osapuolet pitävät haastatteluissa erittäin hyvänä ja tärkeänä. Neuvotteluissa on mahdollisuus hakemusprosessia runsaampaan vuoropuheluun hakijan ja Hilan esittelijän välillä myös virallisten neuvottelukokousten ulkopuolella. Näin ollen hakemuksen kipukohdat ja epävarmuudet on hakemusprosessia helpompi tunnistaa ja teollisuuden edustajien mukaan ratkaisuja etsitään yhdessä. Viranomaisen edustaja kuvaa, että arvioijan rooli muuttuu neuvottelijan rooliksi ja neuvotteluissa osapuolet ovat tasa-arvoisia. Hakijalla on ensimmäisessä neuvottelussa mahdollisuus esitellä hakemustaan ja neuvottelun lähtökohtia, esimerkiksi mahdollisia hinnoittelumalleja. Lääketeollisuuden edustajan mukaan tässä vaiheessa Hilan edustajat ”ryöpyttävät” eli esittävät laajasti kysymyksiä ja kritiikkiä hakemusta kohtaan ja yhtiön edustajien tehtävä on vastata esitettyihin kysymyksiin.¹⁰⁵

Yhtiötä neuvotteluissa edustaa joko yhtiön oma tai konsulttina palkattu markkinoille pääsystä vastaava henkilö sekä asiantuntijat tarpeen mukaan. Yhtiöillä on erilaisia käytäntöjä kokoonpanojen suhteen.¹⁰⁶ Hilasta ensimmäisiin neuvotteluihin osallistuivat lautakunnan puheenjohtaja, Hilan johtaja, esittelijä, asiantuntijalääkäri, terveystaloustieteilijä ja juristi.¹⁰⁷ Jatkoneuvotteluihin osallistuu johtajan tai hänen sijaisensa ja esittelijän lisäksi käsiteltävien aiheiden kannalta olennainen kokoonpano. Neuvottelukokouksissa pyritään keskittymään valmisteeseen liittyvään epävarmuuteen ja sen hallintaan sekä muihin epäselviin tai kiistanalaisiin aiheisiin.

¹⁰⁴ Viranomaisen edustaja B, G ja K, lääketeollisuuden edustaja E

¹⁰⁵ Lääketeollisuuden edustajat A, C, H ja I, viranomaisen edustajat B ja G

¹⁰⁶ Lääketeollisuuden edustaja A ja C

¹⁰⁷ Viranomaisen edustajat B ja G

Selvät asiat käsitellään mahdollisimman pitkälle valmiiksi neuvotteluja ennen ja niiden välillä.¹⁰⁸

Hakijoiden näkökulmasta neuvottelutilanne koetaan ajoittain epäsymmetriseksi. Esimerkiksi joissain tilanteissa Hilan edustajalla on tietoa muiden hakijoiden saman sairauden hoitoon käytettävien vertailuvalmisteiden hinnoista, jota hakijalla ei voi olla. Neuvottelukierroksia on yhdestä kolmeen tapauksesta riippuen, mutta pyrkimys on löytää ratkaisu nopeasti. Pitkittymistä voivat aiheuttaa esimerkiksi tietopuutteet, joiden täydentäminen vie aikaa. Ehdollisen korvattavuuden neuvotteluiden myötä lääkeyhtiöillä on myös esiintynyt tarvetta saada lisää aikaa omien sisäisten päätöksenteko- ja neuvotteluprosessiensa vuoksi. Myös Hilan kokouksesta asia saatetaan palauttaa neuvotteluun, mutta käytäntö on harvinainen. Lääketeollisuuden edustaja pitää positiivisena, että Hila voi palauttaa asian neuvotteluun sen sijaan, että hylkäämällä hakemuksen prosessi joudutaan aloittamaan alusta.¹⁰⁹

Kun neuvottelut on saatu päätökseen, esitys tulee lautakuntaan päätettäväksi. Hila päättää joko korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan vahvistamisesta tai hylkää esityksen. Sopimus ehdollisesta korvattavuudesta tulee päätöksen liitteeksi ja sopimus on juridisesti sidottu voimaan tulevaksi vasta Hilan hyväksyvän päätöksen ja sitä seuraavien allekirjoitusten myötä. Käytännössä hakijoita on teollisuuden edustajien mukaan pyydetty allekirjoittamaan sopimuksia jo ennen Hilan kokousta, mutta viranomaisen edustajat eivät tätä vahvista. Hila julkaisee pian kokouksen jälkeen päätöksen ja julkiseksi tulee tieto korvattavuuden ja tukkuhinnan ehdollisuudesta sekä onko kyseessä taloudellinen vai vaikuttavuuteen perustuva sopimus. Kohtuullisena tukkuhintana julkaistaan lääkkeen julkinen listahinta, mutta koska palautusmaksun ehtoja ja määräytymistä ei julkisteta, kyseessä ei ole valmisteiden todellinen hinta sairausvakuutusjärjestelmälle. Valmisteiden palautusmaksu maksetaan tukkuhinnasta myynnistä ja potilaan lääkekorvaus maksetaan verollisesta vähittäismyyntihinnasta, joka sisältää tukkuhinnan lisäksi arvonlisäveron ja apteekin marginaalin.¹¹⁰

Hilan edustajan kokemuksen mukaan ehdollisen korvattavuuden prosessi on säännelty sopivan väljästi niin, että se antaa Hilalle harkintavaltaa menettelytavoista

¹⁰⁸ Lääketeollisuuden edustajat A, C ja E

¹⁰⁹ Lääketeollisuuden edustajat A ja F, viranomaisen edustajat B ja G

¹¹⁰ Viranomaisen edustaja B, lääketeollisuuden edustajat D ja I

ja yksilöllisistä ratkaisuista. Vuosikymmenten kuluessa hakemusprosessin sääntelyä on toistuvasti tiukennettu ja viranomaisen harkintavaltaa vähennetty. Myös teollisuuden edustajat pitävät joustavuutta tärkeänä ja näkevät sen olevan myös viranomaisen etu, kun yhtiön tarjouksesta päästään aidosti neuvottelemaan.¹¹¹

4.4 Ehdollisen korvattavuuden edellytykset

Ehdollisen korvattavuuden edellytykset asetetaan sairausvakuutuslain 6 luvun 6a §:n 1 momentissa. Ehdollisen korvattavuuden edellytykset täydentävät normaalin hakemusprosessin korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan arviointikriteerejä tilanteessa, jossa kohtuullista tukkuhintaa ei pystytä sopimaan hakijan julkisella listahinnalla. Euroopan lääkeviraston hyväksyessä yhä aikaisemmassa vaiheessa valmisteille myyntilupia ja myöntäessä ehdollisia myyntilupia jo kliinisten lääketutkimusten II-vaiheessa oleville lääkkeille Hila joutuu punnitsemaan yhä enemmän, miten paljon epävarmuutta tutkimusnäytössä siedetään suhteessa kustannuksiin. Epävarmuuden lisäksi ehdollisen korvattavuuden arvioinnissa edellytetään, että valmisteelle on erityinen lääketieteellinen tarve ja että kyse on uudesta hoidosta.¹¹²

Lääketeollisuudessa koetaan, että käsitteiden määritelmät ovat hintalautakunnan edustajille selviä, mutta määritelmiä ei ole julkaistu, vaan niiden sisältö on opittava käytännön myötä. Käsitteitä pidetään yleisesti tulkinnanvaraisina, mutta samalla ymmärretään Hilan käyttävän kokonaisharkintaa ilman, että yksittäinen kriteeri määrittelee päätöstä. Lääketeollisuuden edustajat kokevat, että sairausvakuutuslaissa mainitut erityinen lääketieteellinen tarve ja epävarmuus ovat keskeisimmät vaatimukset ehdolliselle korvattavuudelle ja tämä parantaa ennakoitavuutta.¹¹³

4.4.1 Erityinen syy

Sairausvakuutuslain 6 luvun 6 a §:n 1 momentin ensimmäisen lauseen mukaan Hila voi hyväksyä ehdollisen korvattavuuden *erityisestä syystä*. Tällä on viranomaisen edustajan mukaan haluttu osoittaa lainsäätäjän tahto, että ehdollinen korvattavuus ja siihen liittyvät luottamukselliset hinnat ovat poikkeus pääsääntönä toimivaan Hilan

¹¹¹ Viranomaisen edustaja B, lääketeollisuuden edustajat I ja L

¹¹² Viranomaisen edustaja B, lääketeollisuuden edustajat C, D, E ja J

¹¹³ Viranomaisen edustajat A ja C

hakemusprosessiin. Erityinen syy yhdistettiin haastatteluissa yleisesti ehdollisen korvattavuuden muihin edellytyksiin ja siihen, että valmiste täyttää monilta osin korvattavuuden ja tukkuhinnan kriteerit, mutta ei kuitenkaan menestyisi normaalissa hakemusmenettelyssä esimerkiksi liian korkean hinnan tai liian suuren epävarmuuden takia. Lääketeollisuuden edustajan mukaan erityisellä syyllä viitataan erityisen lääketieteellisen tarpeen asettamaan vaatimukseen tarkasta potilasryhmärajauksesta varsinkin laajojen kansansairauksien ollessa kyseessä.¹¹⁴

Viranomaisen edustaja korostaa haastattelussa erityisen syyn käsitteeseen liittyen, että ehdollista korvattavuutta ei ole otettu käyttöön Suomessa hintapeittelyn mahdollistamiseksi, vaan uusien lääkkeiden käyttöönoton nopeuttamiseksi ja mahdollistamiseksi ylipäätään. Hilassa suhtauduttiin pitkään kriittisesti luottamuksellisten hintojen käyttöönottoon, mutta Euroopan muiden maiden lisättyä niiden käyttöä Suomi oli pakotettu luottamuksellisiin sopimuksiin, koska niiden puute alkoi vaikeuttaa uusien lääkkeiden käyttöön saamista. Taustalla vaikuttavat EMA:n myyntilupakynnyksen aleneminen ja lääkkeiden hintojen voimakas nousu.¹¹⁵

4.4.2 Erityinen lääketieteellinen tarve

Erityinen lääketieteellinen tarve on viranomaisten edustajien mukaan tärkein edellytys ehdollisen korvattavuuden neuvotteluiden aloittamiseksi ja sopimuksen aikaansaamiseksi. Hakijan ja Hilan välillä esiintyy ajoittain erimielisyyttä hakemusvalmisteen erityisestä lääketieteellisestä tarpeesta. Erityinen lääketieteellinen tarve vastaa viranomaisten ja useimpien teollisuuden edustajien mukaan kansainvälistä käsitettä *unmet medical need*. Tällöin kyse on hoidosta sairauteen, johon joko ei ole parantavaa hoitoa lainkaan, jollekin potilasryhmälle sopiva hoito puuttuu, käytössä olevan hoidon teho ei ole riittävä tai sen haittavaikutukset ovat liian suuria. Erityinen lääketieteellinen tarve voi siis täytyä myös tilanteessa, jossa muita hoitovaihtoehtoja on, mutta ne ovat teholtaan heikompia. Joidenkin teollisuuden edustajien kokemusten mukaan erityinen lääketieteellinen tarve asettaa kynnyksen korkeammalle, kuin *unmet medical need*, koska Hila on pyrkinyt neuvotteluissa löytämään tarkkaan rajatun potilasryhmän,

¹¹⁴ Viranomaisen edustajat B, G ja K, lääketeollisuuden edustajat C, D, E, F, H, I, J ja L

¹¹⁵ Viranomaisen edustaja B ja K

jolle valmisteesta on erityinen, muita ryhmiä suurempi hyöty sekä vahvempi tutkimusnäyttö.¹¹⁶

Teollisuuden edustajien mukaan erityisen lääketieteellisen tarpeen arvioinnissa auttaa, jos kilpailija on saanut vastaavalle vaikuttavalle aineelle ehdollisen korvattavuuden, jolloin erityinen lääketieteellinen tarve on pääteltävissä kyseisellä terapia-alueella. Myös viranomaisen edustaja toi haastattelussa esiin, että erityisen lääketieteellisen tarpeen tiukasta vaatimisesta voidaan joustaa, jos toimijoiden tasapuolinen kohtelu tätä edellyttää. Uudella terapia-alueella sen sijaan voi olla epäselvää, näkeekö Hila tarvetta riittävän merkittävänä, jotta erityinen lääketieteellinen tarve täyttyy. Viranomaisen edustaja korostaa erityisen lääketieteellisen tarpeen arvioinnissa potilaan asemaa. Jos lääke tuo uuden ratkaisun potilaan hoitoon, erityinen lääketieteellinen tarve lähtökohtaisesti täyttyy.¹¹⁷

4.4.3 Lääkevalmisteseen liittyvä epävarmuus

Lääkevalmisteseen liittyvä epävarmuus on haastateltavien mielestä selkeämmin määriteltävissä, koska sitä esiintyy varsinkin uusissa valmisteissa käytännössä aina esimerkiksi potilaiden määrän osalta. Ennusteiden tekeminen kliinisten kokeiden perusteella on vaikeaa erityisesti uusilla terapia-alueilla. Moni haastateltu toi esiin, että epävarmuus hoidollisessa arvossa, hoitokustannuksissa ja kustannusvaikuttavuudessa ovat usein sidoksissa toisiinsa. Kustannusvaikuttavuuteen liittyy epävarmuutta käytännössä aina ja se voi johtua hoidolliseen arvoon tai hoitokustannuksiin liittyvästä epävarmuudesta sekä aina jossain määrin terveystaloudellisen mallin oletuksiin liittyvästä epävarmuudesta.¹¹⁸

Lääkevalmisteen *hoidolliseen arvoon* liittyvä epävarmuus tarkoittaa kliinisten lääketutkimusten osoittamaa valmisteen tehon epävarmuutta. Ihannetilanteessa lääkevalmiste tulee markkinoille III-vaiheen kliinisten tutkimusten jälkeen niin, että uutta hoitoa on vertailtu myös Suomessa käytössä olevaan standardihoitoon kyseisen sairauden hoidossa. Tällöin tutkimuksen luotettavuus on korkea. Jos tutkimuksen vertailuhoitoa ei käytetä Suomessa, joudutaan tekemään epäsuoria vertailuja muihin kliinisiin tutkimuksiin, mikä kasvattaa epävarmuutta. Epäsuorassa vertailussa

¹¹⁶ Lääketeollisuuden edustajat A, C ja I, viranomaisen edustajat B, G, K ja L

¹¹⁷ Lääketeollisuuden edustajat A, C ja E viranomaisen edustajat B ja G

¹¹⁸ Lääketeollisuuden edustajat A ja D, viranomaisen edustajat B ja G

voidaan esimerkiksi käyttää hakemusvalmisteen kliinisessä tutkimuksessa käytettyä vertailuvalmistetta koskevia muita tutkimuksia, joissa on mukana myös muita valmisteita. Tällöin saattaa olla suurempi mahdollisuus löytää myös Suomessa käytössä olevia hoitoja koskevia vertailuja.¹¹⁹

Epävarmuus kliinisen näytön vahvuudesta ja näin ollen hoidollisesta arvosta on aiempaa suurempaa, koska lääkkeitä kehitetään yhä pienemmille potilasryhmille. Silti näille uusille lääkkeille koetaan niin suuri lääketieteellinen tarve, että EMA myöntää niille myyntiluvan jo II-vaiheen kliinisen tutkimuksen perusteella ilman vertailuhaaraa. Tällöin vaikuttavuuden osoittaminen suhteessa vertailuhoitoihin on vaikeaa. Suomessa Fimea on tehnyt virtuaalivertailuhaaroja eli yhdistänyt reaali maailman dataa käytössä olevista hidoista ja mahdollistanut vertailun uuteen valmisteeseen. Viranomaisen edustajat kokevat, että myyntilupaviranomainen on siirtänyt päätöksentekovastuuta itseltään kansallisille hintaviranomaisille.

Lääketutkimuksia ei myöskään pystytä välttämättä tekemään ennen korvaushakemusta niin pitkään, että kaikki vaikutukset tulisivat todennetuksi riittävällä varmuudella. Epävarmuus hoidollisessa arvossa saattaa johtua myös esimerkiksi tutkimuksen potilaspopulaation poikkeamisesta lääkettä lopulta käyttävästä väestöstä, lumelääkkeen käytöstä tai vertailuvalmisteen puuttumisesta lääketutkimuksessa.¹²⁰

Hoitokustannusten epävarmuudella tarkoitetaan hakijan Hilalle toimittamaan hoitokustannusvertailuun liittyvää epävarmuutta. Hoitokustannusvertailussa arvioidaan, paljonko hakemuksen kohteena oleva valmiste maksaa potilaan hoitopäivää kohden tai vuodessa tukkuhinnoin ja arvonlisäverollisin vähittäismyyntihinnoin sekä kuinka paljon vertailuvalmisteet maksavat. Hoitokustannusten epävarmuus saattaa liittyä esimerkiksi potilaiden määrään ja potilasjoukon ominaisuuksiin (ikä, paino, perintötekijät), hoitjakson pituuteen tai annostelutiheyden ja annoskoon vaihteluun. Epävarmuuden taustatekijänä saattavat olla esimerkiksi kliinisen tutkimuksen laatu potilasjoukon rajoittuneisuuden ja arkielämästä poikkeavien tutkimusolosuhteiden vuoksi, potilasväestön geeniperimästä johtuvasta hoitovasteen vaihtelusta tai kliinisistä tutkimuksista poikkeavista hoitokäytännöistä johtuen. Lääketeollisuuden edustaja kokee, että

¹¹⁹ Viranomaisten edustaja B, lääketeollisuuden edustaja J

¹²⁰ Lääketeollisuuden edustajat A, D, E, H ja L viranomaisen edustajat B ja G

hoitokustannusten vertailu hoitopäivä- tai vuositasolla ei aina anna koko kuvaa vertailtavien valmisteiden eroista, kun valmisteita käytetään yli vuoden, mutta hakemusvalmistetta lyhyemmän ajan kuin vertailuvalmistetta. Tapauskohtaisesti tulisi tällöin vertailla hoitokustannuksia koko hoidon ajalta.¹²¹

Kustannusvaikuttavuuteen liittyvä epävarmuus liittyy hakijan toimittamaan terveystaloudelliseen malliin ja siihen sisältyviin oletuksiin, joita Hilan edustaja saattaa pitää epärealistisina tai epäuskottavina esimerkiksi sen osalta, miten potilaita Suomessa hoidetaan. Kustannusvaikuttavuudella tarkoitetaan valmisteella saatavan hoidollisen lisäarvon suhdetta siitä aiheutuviin lisäkustannuksiin ja sitä kuvataan useimmiten ICER-arvolla (incremental cost effectiveness ratio, inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde). Kustannusvaikuttavuuteen liittyvää epävarmuutta hallitaan valmisteen nettohinnalla eli käytännössä valmisteen palautusmaksun suuruudella. Kansainväliset yhtiöt tuottavat terveystaloudelliset mallinsa globaalilla tasolla tai suuria maita koskien ja lokalisoivat ne Suomeen, jolloin malliin saattaa jäädä Suomen hoitokäytäntöjen näkökulmasta Hilan mielestä epäolennaisia tai epäuskottavia asioita.¹²²

Epävarmuus johtuu usein myös siitä, että kliininen tutkimus on kestänyt kuukausia ja terveystaloudellisella mallilla vaikutuksia extrapoloidaan hyvinkin pitkälle aikavälille. Hakijan tuottamat terveystaloudelliset mallit ovat täysin avoimesti Hilan käytettävissä ja niitä työstetään Hilan ja hakijan asiantuntijoiden yhteistyössä mahdollisimman pitkälle niin, että vain varsinaiset epävarmuudet ja niiden hallinta jäävät neuvottelupöytään. Lääketeollisuuden edustajat kuvaavat, että korostaessaan kustannusvaikuttavuutta Hilan edustajat pyrkivät etsimään kaikki heikkoudet yhtiön terveystaloudellisesta mallista. Toisaalta toiset lääketeollisuuden edustajat pitävät hyvänä, ettei Hila ole kiinnittynyt liian tarkkaan kustannusvaikuttavuusrajaan, koska terveystaloudellisiin malleihin ja niiden oletuksiin liittyy suuria epävarmuuksia ja jos raja asetettaisiin, se saattaisi muodostua yhtiöitä ohjaavaksi, niin että hinta aina asetettaisiin mahdollisimman korkeaksi, kunhan se alittaa asetetun kustannusvaikuttavuusrajan.¹²³

¹²¹ Lääketeollisuuden edustajat A, C, E, H, I, J ja L, viranomaisen edustajat B, G ja K

¹²² Lääketeollisuuden edustajat A, D, F, J ja L, viranomaisen edustajat B ja G

¹²³ Lääketeollisuuden edustajat A, D, F, H, I, J ja L, viranomaisen edustajat B ja G

Niin viranomaisen kuin lääketeollisuuden edustaja korostavat haastattelussa, että terveystaloudellinen malli on yhtä vahva, kuin sen taustalta löytyvä tutkimusdata, eikä hyväkään malli ole arvokas, jos se rakentuu vain erilaisten oletusten varaan. Kustannusvaikuttavuuden arvioinnissa huomioidaan lähtökohtaisesti suorat kustannukset sosiaali- ja terveydenhuollolle, mutta hakija voi esittää myös epäsuoria kustannuksia kuten matkakustannuksia, omaishoitajien kustannuksia tai työpoissaoloja ja tapauskohtaisesti Hila on niitä päätöksenteossaan huomionnut, joskin pidättyväisesti. Syynä on yhtäältä se, että hoidon suhdetta näihin tekijöihin on tutkittu vähän ja toisaalta suhteita on vaikea arvioida ja todentaa. Toisaalta kyse on yhdenvertaisuudesta ja eettisestä kysymyksestä, tuleeko esimerkiksi työikäisen hoitoa arvottaa eri tavalla kuin eläkeläisen tai lapsen hoitoa. Haastateltavilla oli osittain erilaisia käsityksiä siitä, mitä Hila pitää suorina ja mitä epäsuorina kustannuksina.¹²⁴

Muuhun kuin edellä mainittuihin asioihin liittyvää epävarmuutta ei viranomaisten edustajien mukaan juuri ole, mutta lääketeollisuuden edustajan mukaan tällainen voi liittyä esimerkiksi muihin valmisteisiin liittyviin Hilan prosesseihin, jolloin yhdenvertaisuus edellyttää samankaltaisten epävarmuuden hallintakeinojen ja kustannusvaikuttavuuden arviointia. Toinen nimetty muu mahdollinen epävarmuus on jo korvattavan vertailuvalmisteen patentin päättymisen ja sen vaikutus hintoihin. Haastateltavat kokivat laissa luetellut epävarmuudet yleisesti hyvin kattavina ja muun merkitsevän vain, että mahdolliset epävarmuudet eivät tyhjene hoidolliseen arvoon, hoitokustannuksiin tai kustannusvaikuttavuuteen.¹²⁵

4.4.4 Uusi lääkehoito

Uudella lääkehoidolla tarkoitetaan uutta lääkeainetta, jolla ei aiemmin ole korvattavuutta sekä uutta merkittävää indikaatiota eli lääkkeen käyttöaihetta. Kyse on käytännössä oltava alkuperäisvalmisteesta, vaikka geneerisiä valmisteita ei lainsäädännössä ole rajattu ehdollisen korvattavuuden ulkopuolelle. Esimerkiksi aiemmin normaalisti korvattavana ollut syöpälääke on päätynyt ehdollisesti korvattavaksi uuden käyttöaiheen myötä. Läketeollisuuden edustajan mukaan myös uusi annostelumuoto voi täyttää uuden lääkehoidon kriteerin, mutta asiaa ei mainittu

¹²⁴ Läketeollisuuden edustaja C, F ja L viranomaisen edustajat B, G ja K

¹²⁵ Läketeollisuuden edustaja A ja E, viranomaisen edustaja B

viranomaisten toimesta.¹²⁶ Toisten lääketeollisuuden edustajien mukaan uuden indikaation kynnys päästä ehdollisen korvattavuuden piiriin on korkea.¹²⁷

Indikaatiokohtaista hintaa tai ehdollista korvattavuutta ei ole Suomessa mahdollista saada, mutta ehdollisen korvattavuuden sopimuksen sisällä eri indikaatioille voidaan sopia erilaisista ehdoista esimerkiksi niin, että vahvemman näytön perusteella indikaatiokohtainen palautusmaksu on pienempi. Tämä edellyttää, että käyttötarkoitukseen on helposti eroteltavissa dataa erilaisten potilaiden lääkkeen käytöstä.¹²⁸

4.5 Sopimukset ehdollisesta korvattavuudesta

4.5.1 Sopimuksen rakenne ja sisältö

Ehdollisen korvattavuuden sopimusneuvotteluissa käytetään Hilan standardisopimus pohjaa. Sopimuksessa määritellään sopimuksen osapuolet, sopimuksen kohde, sovellettava lainsäädäntö, salassapitoon liittyvät säännökset, sopimuksen voimassaolo, päättyminen ja irtisanominen sekä riidanratkaisu. Sopimuksen käytännössä ainoassa muuttuvassa kohdassa ”ehdollinen korvattavuus” määritetään lyhyesti hinnoittelumalli ja palautusmaksun ehdot eli valmisteeseen liittyvän epävarmuuden hallinta ja seuranta.¹²⁹ Sopimus pohjaa on kehitetty yhteistyössä lääketeollisuuden kanssa ja yritykset pitävät standardipohjan käyttöä positiivisena, työmäärää pienentävänä asiana. Osa yrityksistä on yrittänyt ehdottaa sopimukseen muutoksia, mutta niitä on tehty erittäin vähän.¹³⁰

Viranomaisen edustaja kuvaa sopimuksia yksilöllisiksi standardimuotoisiksi sopimuksiksi. Eräässä viranomaisen haastattelussa sopimus pohjaan oli mahdollista tutustua, mutta sitä ei ollut mahdollista saada tutkielmaan liitettäväksi. Ensimmäisten neuvotteluiden ja hakijan hinnoittelumalli- ja epävarmuuden hallintaehdotuksen jälkeen sopimusluonnoksen valmistelee Hilan sihteeristö. Pääsääntöisesti valmiiksi sovitut sopimukset hyväksytään lautakunnassa, mutta yksittäistapauksissa Hila on myös päättänyt olla hyväksymättä valmiin

¹²⁶ Viranomaisen edustajat B ja G, lääketeollisuuden edustaja C, I ja L

¹²⁷ Lääketeollisuuden edustaja A ja F

¹²⁸ Viranomaisen edustajat B, lääketeollisuuden edustaja D

¹²⁹ Lääketeollisuuden edustajat A, D, E, F, I ja L, viranomaisen edustaja B

¹³⁰ Viranomaisen edustaja B, lääketeollisuuden edustajat C, F ja J

sopimuksen.¹³¹ Lääketeollisuuden edustajat kuvaavat sopimuksia selkeiksi ja yksinkertaisiksi. Neuvottelujen pääasioita eli erityistä lääketieteellistä tarvetta ja epävarmuuksia ei sopimuksessa määritellä yksityiskohtaisesti vaan hyvin yleisellä tasolla. Yksityiskohdat ilmenevät esitysmuistiosta.¹³²

Valmisteeseen liittyvää epävarmuutta hallitaan tähän mennessä käytössä olleissa taloudellisissa sopimuksissa käytännössä palautusmaksulla laskemalla lääkkeestä maksettu hinta tasolle, jolla sen käyttö on Hilan arvion mukaan kustannusvaikuttavaa epävarmuudet huomioiden. Sen määrittäminen on sopimuksen ja neuvotteluiden ydinasia ja käytännössä ainoita asioita, jotka sopimuksissa vaihtuvat. Palautusmaksu pyritään määrittämään mahdollisimman yksinkertaisesti, jotta hallinnollinen taakka sopimuksesta on mahdollisimman pieni. Lääkevalmisteeseen liittyvä epävarmuus vaikuttaa siihen, millainen hinnoittelumalli on tapauksessa mielekäs ja toteutuskelpoinen. Palautusmaksu voi haastattelujen perusteella taloudellisissa sopimuksissa määräytyä esimerkiksi prosentuaalisena tai euromääräisenä alennuksena tukkuhinnasta, indikaatiokohtaisesti tai sovittuna nettohintana, joka on riippumaton tukkuhinnasta. On myös mahdollista, että palautusmaksu ja lääkkeen nettohinta porrastetaan potilaiden määrän mukaan tai potilaskohtaisille hoitokustannuksille asetetaan katto, jonka ylittyessä lääkeyhtiö vastaa kustannuksista osittain tai kokonaan. Ehdoksi voidaan asettaa myös lisäselvityksen toimittaminen jatkokäsittelyn yhteydessä esimerkiksi hoitokäytäntöjen muotoutumisesta ja hoidon asemoitumisesta lääkehoitokentässä.¹³³

Palautusmaksun ehdot eivät ole julkisia eivätkä käy yksityiskohtaisesti ilmi sopimuksesta. Osapuolten pyrkimys on ollut mahdollisimman yksinkertaiseen, lyhyeen ja selkeään sopimukseen. Luottamukselliset, neuvotteluissa sovitut palautusmaksun ehdot kirjataan sopimukseen hyvin yleisellä tasolla. Sen sijaan Hilan esitysmuistiossa käsitellään yksityiskohtaisemmin lain edellytysten täyttymistä, epävarmuutta, sen hallintaa ja palautusmaksun määräytymistä ja sopimusta on kokonaiskuvan saamiseksi luettava yhdessä esitysmuistion kanssa. Esitysmuistio on liikesalaisuuksia sisältävä valmisteluasiakirja, joka ei ole Hilan päätöksen liitteenä, mutta on päätöksen jälkeen hakijan käytettävissä ja pyynnöstä julkisesti saatavilla

¹³¹ Viranomaisen edustaja K

¹³² Lääketeollisuuden edustaja A, D, F ja H

¹³³ Lääketeollisuuden edustajat A, C, F ja H, viranomaisen edustajat B ja G

ilman liikesalaisuuksia sisältäviä tietoja. Sopimus tulee voimaan vain osana Hilan päätöstä.¹³⁴

Haastattelujen tekoaikaan kaikki ehdollisen korvattavuuden sopimukset ovat olleet taloudellisia sopimuksia. Lainsäädäntö mahdollistaa Suomessa myös niin sanottujen vaikuttavuussopimusten laatimisen, mutta Suomen runsaasta terveystietästä huolimatta datan muoto ja laatu eivät ole riittävän hyviä, jotta ehdollisen korvattavuuden vaikuttavuussopimuksia olisi pystytty solmimaan. Osassa käytössä olevista taloudellisista sopimuksista, varsinkin hoitoaikaan sidotuissa hinnoittelumalleissa voidaan haastateltujen mukaan ajatella olevan vaikuttavuussopimusten elementtejä. Tällöin maksaja saattaa maksaa esimerkiksi vain tietyn ennalta sovitun ajan hoidosta ja hoidon tarpeen jatkuessa valmistaja vastaa ylimääräisistä kustannuksista.¹³⁵

4.5.2 Sopimusten luottamuksellisuus

Ehdollisen korvattavuuden piirissä oleville lääkevalmisteille päätetään ja julkaistaan kohtuullinen tukkuhinta. Sopimusten ja palautusmaksujen luottamuksellisuuden myötä vain Hilan ja hakijan edustajat tietävät lääkevalmisteen todellisen hinnan Suomessa. Viranomaisten edustajat kertovat koko ehdollisen korvattavuuden tavoitteena olevan uusien lääkkeiden aikaisempi käyttöön saaminen ja tässä sen nähdään onnistuneen luottamuksellisten hintojen ansiosta. Luottamuksellisuuden myötä lääkeyhtiöt voivat tarjota lääkkeitä Suomessa julkista listahintaa edullisemmin, mikä tuottaa sairausvakuutusjärjestelmälle säästöjä. Samalla aikaisempi käyttöönotto johtaa siihen, että tutkimusnäyttö ja kokemukset muista maista ovat ohuempia ja epävarmuus suurempaa, kun hakemus jätetään.¹³⁶

Salatuilla hinnoilla on haastateltujen mukaan vaikutusta rationaalisen lääkehoidon toteuttamiseen, koska lääkäri ei lääkettä määrätessään tiedä sen todellista hintaa ja joutuu luottamaan Hilan päätöksentekoon. Haastatteluissa niin viranomaisten kuin lääketeollisuuden edustajat epäilivät, että kaikki lääkärit eivät tunne riittävän hyvin ehdollisen korvattavuuden järjestelmää, vaan vertailevat ehdollisesti korvattujen lääkkeiden hintoja julkisten tukkuhintojen mukaan. Haastatteluissa viitattiin myös

¹³⁴ Lääketeollisuuden edustajat A, H, I ja J, viranomaisen edustajat B ja G

¹³⁵ Viranomaisen edustajat B ja G, lääketeollisuuden edustaja H

¹³⁶ Viranomaisen edustajat B, G ja K, lääketeollisuuden edustajat D, F ja I

sosiaali- ja terveysministeriön lääkkeiden määräämisasetuksen (1088/2010) 10 §:än, jonka 2 momentin mukaan lääkkeen ja lääkevalmisteen valinnoissa tulee kiinnittää erityistä huomiota hintaan ja hoidon kustannuksilla saavutettavaan kliinisiin vaikutuksiin. Hintojen ollessa luottamuksellisia tämä ei ole mahdollista.¹³⁷

Todellisten hintojen salaamisella koetaan myös lääkeyhtiöiden taholta olevan sekä hyviä, että huonoja puolia. Yhtäältä hintojen luottamuksellisuus vaikeuttaa myös yhtiöiden omaa hinnoittelua ja neuvottelua Hilan kanssa. Toisaalta yhtiöiden edustajat kokevat, että luottamuksellisten hintojen ansiosta hoidot saadaan Suomessa nopeammin käyttöön ja ilman luottamuksellisia hintoja monia lääkkeitä ei Suomessa olisi saatu markkinoille ja potilaiden käyttöön ylipäätään tai niistä maksettaisiin liikaa. Lääketeollisuuden edustajat uskovat ehdollisen korvattavuuden kehittämisellä voitavan saada suuria säästöjä terveydenhuollon kustannuksista pienillä resursseilla neuvottelutoimintaan. Ehdollisen korvattavuuden palautusmaksujen koettiin olevan vain osa järjestelmän tuottamia säästöjä ja hyötyjä laskettaessa tulisi huomioida myös vaihtoehtoinen tilanne, jossa hoitoja ei saataisi lainkaan käyttöön. Luottamukselliset hinnat ovat luottamuksellisia myös yhtiöiden sisällä, eikä toisen maan nettohintoja kerrota kollegalle, joka neuvottelee muualla hinnoista.¹³⁸

4.6 Sopimusten seuranta

Haastatteluhetkellä kaikki tehdyt ehdollisen korvattavuuden sopimukset olivat taloudellisia sopimuksia, joissa sovitaan sairausvakuutusrahastoon maksettavasta palautusmaksusta.

Suomen järjestelmän tärkeä ominaisuus on ehdollisen korvattavuuden määräaikaisuus. Useissa muissa maissa luottamukselliset sopimukset voivat olla toistaiseksi voimassa. Haastatteluhetkellä uusien valmisteiden sopimukset kestivät yleisimmin 2 vuotta. Kun lääke on otettu ehdollisen korvattavuuden piiriin, se voi uusia ehdollisen korvattavuuden uusintahakemuksella. Tällöin hoidolta ei siis edellytetä enää uutuutta samaan tapaan kuin ensimmäisessä hakemuksessa. Uusintahakemusten käsittely on tärkein kohta ehdollisesti korvattavien valmisteiden

¹³⁷ Viranomaisen edustaja B, lääketeollisuuden edustajat A, D ja I

¹³⁸ Lääketeollisuuden edustajat A, C, E, H, I ja J

seurantaan ja sopimuksessa ennakoitujen vaikutusten toteutumisen arviointiin. Uusinnassa käydään läpi ensimmäisessä sopimuksessa tunnistettu epävarmuus ja sen hallintamekanismin toiminta, sopimuksen voimassaolon aikana kertynyt uusi tieto ja näyttö, joiden pohjalta jatkosta ja sopimuksen ehdoista neuvotellaan.¹³⁹ Teollisuuden edustajien kokemuksen mukaan tietojen päivittyminen johtaa säännönmukaisesti hintojen laskemiseen, mutta viranomaisen edustaja nosti esiin myös tilanteita, jossa lääkkeen hoidollisen arvon ollessa odotettua suurempi kohtuullista tukkuhintaa on uusintaneuvotteluissa nostettu.¹⁴⁰

Sopimuskaudella seuranta tapahtuu palautusmaksujen toimeenpanon myötä pääosin yhtiöiden raportoidessa edellisen vuoden toteutuneet myynnit. Tyypillisesti palautukset maksetaan vuoden tai puolen vuoden välein myynnin mukaan. Kelan rekistereistä yhtiöt saavat tietoa hoidon kustannuksista ja potilasmääristä, mutta kliinistä tietoa hoidosta ja sen vaikutuksista niistä ei saa. Yhtiöillä on myös velvollisuus ilmoittaa valmisteyhteenvedoon tulevista muutoksista esimerkiksi turvallisuuteen, käyttöaiheeseen tai annosteluun liittyen, jolloin viranomaiselle on aina mahdollisuus käynnistää korvattavuuden lakkauttamisprosessi. Hila julkistaa vuosittain kertyneiden palautusmaksujen määrän ja se julkaistaan osana lääketilastoa.¹⁴¹

4.7 Järjestelmän kehittäminen

4.7.1 Suomen järjestelmän kanvainväliset verrokki

Suomen mallia ehdollisesta korvattavuudesta on kehitetty alun perin puhtaalta pöydältä kansalliseen järjestelmään sopivaksi eikä minkään yksittäisen maan järjestelmää ole käytetty esikuvana kehitykselle. Lähimmät Suomen vertailumaat lääkkeiden korvausjärjestelmässä ovat muut Pohjoismaat, mutta niissäkin on omat piirteensä, jotka eroavat Suomesta suurestikin. Suurin muiden maiden vaikutus Suomeen on ollut ehdollisen korvattavuuden järjestelmän käyttöönotto ylipäätään. Yleisesti muihin maihin verraten Hila toimii lääketeollisuuden edustajien mukaan pienillä resursseilla, mutta tehokkaasti.¹⁴²

¹³⁹ Lääketeollisuuden edustajat A, D, I, J, H ja L viranomaisen edustajat B ja G

¹⁴⁰ Viranomaisen edustaja B, lääketeollisuuden edustajat C, D ja H

¹⁴¹ Lääketeollisuuden edustajat A, H ja I, viranomaisen edustaja B ja G

¹⁴² Viranomaisen edustaja B ja G, lääketeollisuuden edustaja C, D, E ja L

Monet haastatellut kertoivat tuntevansa muiden maiden järjestelmiä vain yleisellä tai yksittäisten ominaisuuksien tasolla. Esiin nousivat vaikuttavuussopimusten käyttö Italiassa, Englanti terveystaloudellisten analyysien ja HTA-arvioiden edelläkävijänä ja kiinteän kustannusvaikuttavuuskynnysarvon käyttäjänä sekä Belgia, jossa mahdollisuudet luottamuksellisista hinnanalennuksista neuvotteluun annetaan kaikille lääkkeille. Moni haastatelluista mainitsi Saksan esimerkkinä maasta, jossa uusien hoitojen käyttöönotto tapahtuu nopeasti myyntiluvan jälkeen ja hintaneuvottelut käydään vasta, kun kokemusta käytöstä on kertynyt jonkin verran. Varsinkin viranomaiset korostivat Saksan suuren markkinan antamaa vahvempaa neuvotteluasemaa verrattuna Suomeen ja siksi eivät pitäneet maata relevanttina verrokkina.¹⁴³

4.7.2 Prosessin ja käsitteiden kehittäminen

Hintalautakunnan ehdollisen korvattavuuden prosessi koetaan lähtökohtaisesti erittäin toimivaksi ja erityisesti Hilan aiempi johtaja Lauri Pelkonen nauttii suurta arvostusta ja luottamusta. Neuvottelumenettelyn ansiosta lääketeollisuuden edustajat kokevat, että tarve hylkäyspäätösten jälkeisille uusille hakemuksille ja muutoksenhauille on vähentynyt. Ehdollisen korvattavuuden voimaantulon jälkeen ei ole tiedossa korkeimpaan hallinto-oikeuteen päätyneitä valituksia Hilan päätöksistä. Yleisenä lääketeollisuuden toiveena esiintyi, että neuvottelumenettely laajenisi käyttöön myös normaalin hakemusmenettelyn puolelle. Jonkin verran koetaan, että esittelijän henkilöllä on merkitystä neuvotteluiden etenemiselle ja toivotaan, että hintalautakunnan kannanottoja saataisiin jo varhaisemmassa vaiheessa. Yhtiö vastaa ehdollisen korvattavuuden hintamallin ehdottamisesta, mutta teollisuudesta toivotaan, että Hilan edustajat toisivat aktiivisemmin ratkaisuja neuvotteluihin.¹⁴⁴

Päätösten perusteet ja Hilan neuvotteluissa ilmaisemat lisäselvityspyynnöt koetaan yleisesti ottaen selkeiksi ja avoimiksi, mutta käsitteiden määritelmistä ilmenee erimielisyyksiä. Esimerkiksi erityisen lääketieteellisen tarpeen epäselvyys on johtanut tilanteeseen, jossa yhtiöt jättävät samasta valmisteesta useita hakemuksia erilaisilla potilasryhmärajauksilla. Lääketeollisuuden edustajat toivovatkin, että Hila olisi aktiivisempi ja avoimempi erityisen lääketieteellisen tarpeen määrittelyssä.

¹⁴³ Viranomaisen edustaja B ja G, lääketeollisuuden edustaja C, D, E, F ja H

¹⁴⁴ Lääketeollisuuden edustajat A, H ja L

Kustannusvaikuttavuuden ja terveystaloudellisten mallien arvioinnin osalta usea haastateltava toivoi, että Hila huomioisi enemmän epäsuoria kustannuksia, kuten työkyvyttömyyseläkkeiden ja sairauspäivärahojen kertymistä tai jopa työllistymisestä tulevia hyötyjä. Myös viranomaisen edustajat suhtautuvat ajatukseen myönteisesti, mutta tuovat esiin näyttövaikeudet, koska tutkimustietoa epäsuorista vaikutuksista on usein heikosti saatavilla.¹⁴⁵

Lääketeollisuuden edustajat kokevat, että Hilan tulkinta uuden lääkehoidon määritelmästä on tarpeettoman kireä. Osa teollisuuden edustajista koki, että uuden lääkehoidon koetaan tarkoittavan käytännössä vain uusia lääkeaineita ja uuden käyttöaiheen saaminen ehdollisen korvattavuuden piiriin koetaan liian vaikeaksi. Lääketeollisuuden edustaja tiesi useita esimerkkejä, jossa pidempään markkinoilla olleen valmisteiden uutta käyttöaihetta ei ole hyväksytty ehdollisen korvattavuuden neuvotteluun, koska Hila on pitänyt ehdollista korvattavuutta rajattuna vain uusille lääkeaineille, mutta toisaalta myös kokemuksia uusien käyttöaiheiden saamisesta ehdollisen korvattavuuden piiriin on. Tällöin valmiste siirtyy ehdollisen korvattavuuden piiriin kaikkien käyttöaiheiden osalta ja vaihtoehtona on käyttöaihekohtaiset ehdot palautusmaksuille, mikä käytännössä mahdollistaa käyttöaihekohtaiset hinnat. Käyttöaihekohtaista korvattavuutta toivottiin teollisuuden osalta myös muiden kuin ehdollisen korvattavuuden piirissä oleville valmisteille.¹⁴⁶

Ehdollinen korvattavuus lakkaa periaatteessa, kun ehdollisuuden peruste eli käytännössä valmisteeseen liittyvä epävarmuus poistuu. Näin on myös joidenkin valmisteiden tapauksissa käynyt. Tällöin valmiste on täsmentyneen näytön myötä osoittautunut kustannustehokkaaksi valmisteiden julkisella listahinnalla. Alun perin laissa ollut viiden vuoden enimmäisaika koettiin liian jäykäksi ja lyhyeksi, jotta epävarmuuksiin voitaisiin saada riittävästi lisänäyttöä tai lääkkeitä muuten käyttöön normaalin korvattavuuden kautta. Tosiasiassa epävarmuuden poistuttuakin lääke saattaa jäädä ehdollisen korvattavuuden piiriin, jotta lääke on potilaiden saatavilla, koska normaalin hakemusprosessin ja julkisen hinnan myötä hinta nousisi ja aiheuttaisi riskin, ettei lääkkeelle saataisi vahvistettua kohtuullista tukkuhintaa ja lääkkeen korvattavuus lakkaisi. Viranomaisten edustajien mukaan ehdollisen

¹⁴⁵ Viranomaisen edustajat B ja G, lääketeollisuuden edustajat A, C, D, H, I ja L

¹⁴⁶ Lääketeollisuuden edustajat A, C ja I

korvattavuuden sopimuksen lakkaaminen on vaikein ja eniten kehitystä vaativa osa-alue. Myös lainsäädännön täsmentämistä on pohdittava tältä osin. Samalla on huomioitava potilaan asema järjestelmästä poistuvien valmisteiden osalta.¹⁴⁷

Yllättävä ja kehitystä vaativa tilanne on ollut valmisteen geneeristyminen eli patenttisuojan päättymisen kesken sopimuskauden. Tällaisessa tilanteessa on olemassa mahdollisuus, että lääkkeen tullessa hintakilpailun ja viitehintajärjestelmän piiriin hinta nousee, koska ehdollisen korvattavuuden mahdollistama alennus päättyy.¹⁴⁸

4.7.3 Datan parempaa hyödyntämistä ja vaikuttavuussopimuksia

Lääketeollisuuden edustajat toivovat reaali maailman datan hyödyntämistä nykyistä enemmän päätöksenteon tukena. Tämä edellyttää datan nykyistä parempaa saatavuutta ja hyödynnettävyyttä esimerkiksi hyvinvointialueiden tietoa ltaista ja Kelan rekistereistä. Tällöin vaikuttavuuden arviointi olisi mahdollista paremmin. Myös THL:n kehittämät kansalliset laaturekisterit nähdään mahdollisuutena vaikuttavuustiedon kehittämiseen. Datan hyödyntämisen tulisi olla nykyistä nopeampaa, hallinnollisesti kevyttä, keskitettyä ja avointa. Julkishallinnon dataharmonisointihankkeista ollaan tietoisia ja niitä seurataan tiiviisti. Datan parempi hyödyntäminen mahdollistaisi lääketeollisuuden edustajien mukaan vaikuttavuussopimusten käyttöönoton ehdollisessa korvattavuudessa ja muutenkin nopeampaa uusimpien lääkehoitojen käyttöönottoa.¹⁴⁹ Vanha malli, jossa kliininen lääketutkimus ja vertailu toiseen valmisteeseen tai lumelääkkeeseen toimii näyttönä, koetaan ajoittain jäykäksi ja vanhentuneeksi lääketutkimuksen ja teknologian kehittyessä. Tämän rinnalla toivotaan mahdollisuuksia arvioida reaali maailman dataa osana epävarmuuden hallintaa varsinkin, kun on kyse pienille potilasryhmille kehitetyistä lääkkeistä.¹⁵⁰

Vaikuttavuussopimusmallien käyttöä toivotaan lääketeollisuudessa yleisesti. Viranomaiset suhtautuvat niihin varauksellisen positiivisesti erityisesti niiden työmäärän ja toteutettavuuden takia. Viranomaisen edustajat näkevät, että

¹⁴⁷ Viranomaisen edustajat B, G ja K, lääketeollisuuden edustajat H, I ja J

¹⁴⁸ Viranomaisen edustajat B, lääketeollisuuden edustajat H

¹⁴⁹ Lääketeollisuuden edustajat A, C, E, I ja L

¹⁵⁰ Lääketeollisuuden edustajat A, E ja D

rekisteritietojen varassa toimiessa vaikuttavuussopimusten ja niiden seurannan aikaan saaminen tulee olemaan vaikeaa. Riskinä vaikuttavuussopimuksissa on myös sopimusten pidentyminen ja juridinen monimutkaisuus, jolloin sopimusten tulkinnasta ja tulosten mittaamisesta voi aiheuta riitoja. Jos hyvinvointialueiden tietokantojen data koottaisiin Findatasta haettavaksi, tulisi Hilan todennäköisesti toimia rekisterinpitäjänä. Nämä vastuut olisivat Hilan resursseihin suhteutettuna niin suuria, etteivät he nykyisellään niistä selviytyisi, vaan lääkeyhtiöiden tulisi vastata kustannuksista. Lääketeollisuudesta nähtiin myös, että Fimea voisi olla vaikuttavuuden seurannassa mukana rekistereiden kehittäjänä ja ylläpitäjänä. Vaikuttavuussopimukset todennäköisesti vaatisivat myös nykyistä pidempikestoisia sopimuksia, jotta vaikuttavuustietoa ehtii kertyä riittävästi. Pidemmän aikavälin visiona lääketeollisuuden edustaja esitti, että sairausvakuutus maksaisi tehosta eikä lääkkeestä.¹⁵¹

Lääketeollisuuden edustaja nosti haastattelussa esiin, että yhtenä ehdollisen korvattavuuden järjestelmän hyötynä tulisi huomioida palautusmaksujen lisäksi hyödyt niistä lääkkeistä, joita palautusmaksujen avulla saadaan käyttöön. Toisaalta palautusmaksujen palautuessa sairausvakuutusrahastoon, jolla on useita käyttötarkoituksia, näin suoraviivaista vaikutusta on vaikea osoittaa.¹⁵²

4.7.4 Ehdollisen korvattavuuden tulevaisuus

Niin viranomaisten kuin lääketeollisuuden edustajien mukaan ehdollisen korvattavuuden lainsäädännön määräaikaaisuudesta huolimatta Suomen ei ole mahdollista poistaa järjestelmää käytöstä, koska muut maat käyttävät luottamuksellisia hintoja laajasti. Järjestelmän vakinaistaminen nähtiin lähes yksimielisesti parhaana vaihtoehtona riippumatta siitä, pitikö haastateltava hintojen luottamuksellisuudesta vai ei. Ainut ajatus järjestelmästä luopumiseen liittyen eräässä haastattelussa oli hintaneuvottelujen siirtäminen Euroopan unionin toimivaltaan myyntilupien tavoin.¹⁵³

Lääketeollisuudesta annetaan tukea selvityksissä usein esillä olleelle ajatukselle lääkkeiden arvioinnin ja käyttöönoton yksikanavaistamisesta ja toivotaan Hilan

¹⁵¹ Lääketeollisuuden edustajat A, C, F, H, I ja J, viranomaisen edustajat B, G ja K

¹⁵² Lääketeollisuuden edustaja I

¹⁵³ Lääketeollisuuden edustajat A, C, D ja F, viranomaisen edustajat B ja K

asiantuntemuksen ja osaamisen hyödyntämistä uutta järjestelmää luotaessa. Erityisen tärkeänä koetaan, että riippumatta lääkkeen annostelumuodosta sekä rahoitus- ja jakelukanavasta arviointikriteerit ja näyttövaatimukset olisivat samanlaiset ja mahdollisuus ehdollisen korvattavuuden kaltaiseen vuorovaikutukselliseen ja luottamukselliseen neuvotteluun olisi käytettävissä. Tähän suuntaan Suomea ajaa myös Euroopan unionin HTA-lainsäädäntö, joka keskittää lääkkeiden kliinistä arviointia eikä tunnista Suomen jakoa sairaala- ja avohoidon lääkkeisiin. Myös keskitetyn päätöksenteon myötä luottamuksellinen ja neuvotteluihin perustuva järjestelmä koetaan tärkeäksi säilyttää.¹⁵⁴

¹⁵⁴ Lääketeollisuuden edustajat A, D ja I

5 Johtopäätökset

5.1 Ehdollisen korvattavuuden prosessi osana lääkkeiden arviointia ja käyttöönottoa Suomessa

Ehdollinen korvattavuus on vakiinnuttanut paikkansa Suomen lainsäädännössä sekä Hilan ja lääketeollisuuden toiminnassa. Osapuolet tuntuvat olevan järjestelmään tyytyväisiä, mutta myös odotukset tulevalle kehitykselle ovat suuria.

Suomen viranomaiset eivät varmasti koskaan tule olemaan resursseiltaan ja neuvotteluasemaltaan suurten maiden kaltaisessa tilanteessa. Silti tietovarannoiltamme rikkaana ja julkisen ja yksityisen sektorin yhteistyöhön positiivisesti suhtautuvana maana meidän kannattaa suhtautua avoimesti riskinjakomallien kehittämiseen.

Samankaltaisia malleja keskitetystä lääkkeiden arvioinnista Suomessa visioidaan raporteissa toisensa perään. Yhtenäistetty, eri annostelumuotoihin ja jakelukanaviin neutraalisti suhtautuva arviointijärjestelmä on monessa Suomea suuremmassa maassa käytössä, joten Suomessa ei luulisi olevan tarvetta hajautettuun toimintaan. Keskitetty arviointi- ja hintaneuvottelu lisäisi viranomaisten neuvotteluvoimaa, mutta myös vähentäisi luottamuksellisten hintojen luomia ongelmia, jotka syntyvät sairaala- ja avopuolen lääkkeiden vertailun mahdottomuudesta. Haastatteluissa avohoidon lääkkeiden käyttöönotosta tehtiin jopa yllättävän paljon vertailua sairaalalääkkeiden käyttöönottoon. Syynä lienee sairaalalääkkeiden käyttöönotossa tapahtuneet muutokset viime vuosina.

Palkon käytännöt eroavat Hilasta ja ovat lääketeollisuudelle vieraita. Ihmetystä herättää avohoidon arvioinnista poikkeavat ja vaikeasti ennakoitavat kriteerit uusien sairaalalääkkeiden käyttöönotossa. Lääkkeiden arvioinnin ja käyttöönoton monikanavaisuus ei vaikuta enää kestävältä ratkaisulta ja lainsäätäjän tulisi hyvinvointialueiden autonomian heikentämisen uhallakin pyrkiä yhtenäistämään kansallinen lääkkeiden arviointi ja käyttöönotto. Jos Palkon toiminta jatkuu nykyisellään, siitä olisi syytä säätää tarkemmin. Palkoa koskeva sääntely ja toiminnan suhde siihen ei ole juurikaan ollut esillä sosiaali- ja terveysministeriön raporteissa, mutta siitä saisi kiinnostavan lisätutkimuksen aiheen.

5.2 Käsitteistä pääsääntöisesti jaettu ymmärrys

Haastattelujen perusteella Hilan ehdollisen korvattavuuden prosessissa noudatetaan ammattitaitoisesti ja tarkasti sairausvakuutuslain 6 luvun säännöksiä. Hilan pitkään jatkunut toiminta näkyy johdonmukaisuutena ja hakijoiden tasapuolisena kohteluna, joka nauttii teollisuuden edustajien laajaa arvostusta. Ennakoitavuus luo pohjan sille, että lääketeollisuus voi tuoda lääkkeitä Suomeen varhaisessa vaiheessa.

Ehdollisen korvattavuuden neuvotteluihin pääseminen ja neuvotteluissa menestyminen edellyttää vankkaa Hilan normaalin hakemusprosessin perusteiden sekä ehdollisen korvattavuuden käsitteiden tuntemista. Korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan edellytykset eli erityisesti hoidollisen arvon ja kustannusvaikuttavuuden määritelmien tunteminen on välttämätöntä. Niistä onkin haastattelujen perusteella varsin laajasti jaettu viranomaisten ja teollisuuden yhteinen käsitys. Substanssiosaamisen rinnalla haastatteluissa korostuu neuvotteluiden sosiaalinen puoli ja vuorovaikutustaitojen tärkeys.

Ehdollisen korvattavuuden edellytykset noudattavat myös käytännössä lain sanamuotoa. Käsitteet saavat sisältönsä käytännön päätöstoiminnassa ja Hilan ohjeissa. Keskeiset vaatimukset ovat erityinen lääketieteellinen tarve sekä lääkevalmisteseen liittyvä epävarmuus. Neuvotteluissa eniten käsityksiä jakaa erityisen lääketieteellisen tarpeen käsite. Siinäkin erot eivät vaikuta kovin suurilta, mutta lääketeollisuuden edustajia kuunnellessa nousee ajatus, että jossain tapauksessa Hilan päätyessä kieltäytymään hakijan neuvotteluehdotuksesta ja päätyään hakemuksen hylkäämiseen, osa yhtiöistä voisi olla valmis tarkistamaan erityisen lääketieteellisen tarpeen tulkintaa korkeimman hallinto-oikeuden käsittelyssä. Lain esityöt eivät tarjoa juurikaan tulkinta-apua, joten kysymys on kiinnostavasta oikeudellisesta ongelmasta. Tulkintaongelman voisi ratkaista myös osana käynnissä olevaa Lauri Pelkosen johtamaa työryhmätyötä ja sitä mahdollisesti seuraavaa ehdollisen korvattavuuden lainsäädännön täsmentämistä kirjaamalla joko sairausvakuutuslakiin tai esitöihin tarkemmin erityisen lääketieteellisen tarpeen sisällön. Toisaalta tarkempi määrittely kaventavaa Hilan harkintavaltaa, joka on yksi ehdollisen korvattavuuden prosessin vahvuus.

Lääkevalmisteseen liittyvät epävarmuudet ovat käsitteinä osapuolille selkeitä ja ne ymmärretään samalla tavalla. Laissa nimetyt epävarmuuden kohteet ovat kattavat,

vaikka lista ei ole tyhjentävä. Lääketeollisuudelle innovatiivisena toimialana on luonteenomaista, että uusien lääkkeiden markkinoille tuomiseen liittyy aina riskejä. Riskit ovat ennen kaikkea taloudellisia, minkä takia riskinjako ja hallinta tapahtuu ymmärrettävästi hintaneuvotteluiden ja palautusmaksujen muodossa. Uusiin lääkevalmisteisiin liittyvät epävarmuudet luovat tarpeen ehdollisen korvattavuuden kaltaiselle riskinjakomallille. Sopimusmallien kehittäminen ja uusien riskinhallintamallien käyttöönotto voi tuoda välineitä epävarmuuksien parempaan hallintaan, mutta tämä on tapahduttava kustannustehokkaasti ilman kohtuutonta työmäärää viranomaisille tai sosiaali- ja terveydenhuollon työntekijöille. Reaalimaailman datan parempi hyödyntäminen voi tuoda uusia tehokkaampia tapoja epävarmuuksien poistamiseen.

Haastatteluissa esiin noussut uuden lääkehoidon käsite ymmärretään myös varsin yhdenmukaisesti. Kyseessä on kokonaan uusi lääkevalmiste tai aiemmin korvattavana olleen valmisteen uusi käyttöaihe. Ehdollista korvattavuutta ei ole laissa rajattu alkuperäisvalmisteisiin, mutta käytännössä kaikki valmisteet ovat olleet niitä. Osa lääketeollisuuden edustajista piti kynnystä uuden käyttöaiheen hyväksymiselle ehdollisen korvattavuuden neuvotteluun liian korkeana. Kun uusi käyttöaihe tulee ehdollisen korvattavuuden piiriin, kaikki valmisteen käyttöaiheet ovat ehdollisesti korvattavia, mutta palautusmaksun ehdoista voidaan sopia käyttöaihekohtaisesti. Palautusmaksujen ja näin ollen käytännössä nettohintojen käyttöaihekohtaisuus olikin suurin haastatteluista noussut yllätys. Sääntelystä tai lain esitöistä ei käy ilmi, että käyttöaihekohtaisen hinnoittelu ja muut ehdot ovat tulleet Suomen järjestelmään ehdollisen korvattavuuden mukana. Teema ei ollut mukana haastattelurungossa, joten siitä ei kysytty kaikilta haastateltavilta, mutta keskusteluiden perusteella asia on vieras osalle teollisuuden edustajista. Yllättävyydestä herääkin kysymys, tulisiko käyttöaihekohtaisuudesta säätää sairausvakuutuslaissa tai kertoa avoimemmin ja selkeämmin Hilan ohjeissa.

5.3 Hintojen luottamuksellisuudesta johtuvia ongelmia voidaan ratkaista

Sopimusten ja erityisesti hintojen luottamuksellisuus on ehdollisen korvattavuuden eniten kritiikkiä saava ominaisuus. Suomen kaltainen pieni maa ei voi yksin muuttaa kansainvälistä tai edes eurooppalaista lääkemarkkinaa. Niin kauan, kun muut käyttävät luottamuksellisia hintoja niistä on vaikea päästä eroon ilman, että uusien

lääkkeiden saatavuus heikkenee tai hinnat nousevat kestäättömästi. Kehityksen kääntyminen ei näytä tällä hetkellä kovin todennäköiseltä, sillä se vaatisi suuria muutoksia eurooppalaiseen lääkesääntelyyn ja markkinaan. Muutokset voisivat olla korvattavuuspäätösten ja hintaneuvotteluiden siirtäminen Euroopan unionin tasolle tai suurempi julkinen vastuu lääkekehityksestä. Kumpikaan ei näytä tällä hetkellä todennäköiseltä.

Kansallisesti tulee silti pohtia, miten hintatietoa voitaisiin saada avoimemmin vertailtavaksi luottamuksellisista hinnoista riippumatta. Keskitetty arviointi ja hintaneuvottelu, jossa luottamuksellisista hinnoista sopisi Suomessa vain yksi taho, olisi jo iso askel pois nykyisestä järjestelmästä, jossa avohoidon ja sairaaloiden lääkkeiden luottamuksellisten hintojen vertailu ei ole mahdollista. Jos keskitettyä järjestelmää ei saada aikaan, vaihtoehtona voisi olla hintatietojen ilmoitusvelvollisuus kansalliselle hintavertailua tekeväälle viranomaiselle. Lääkäreiden päätöksentekoa tukemaan voitaisiin kehittää esimerkiksi lääkkeiden hintavertailujärjestelmä, joka voisi pohjautua joko hoitokustannuksiin tai kustannusvaikuttavuuteen. Luokittelun vaihtoehtona voisi olla, että lääkärit saisivat tiedon saman sairauden hoidossa käytettävien lääkkeiden hintajärjestyksestä. Toisaalta kustannusvertailu on keskeinen osa Hilan prosessia ja vaikuttaa siihen, miten lääkkeiden korvattavuutta rajataan pienemmille potilasryhmille ja myöhempiin hoitolinjoihin. Vastuu kustannusvaikuttavuuden arvioinnista on oltava käyttöönotosta päättävällä viranomaisella ja lääkärin arvioinnissa on korostuttava potilaan lääketieteellinen tarve.

Myyntilupien ja korvattavuuden ehdollisuuden sekä hintojen luottamuksellisuuden taustalla oleva kehitys kohti yhä pienemmille potilasryhmille kehitettyjä ja yksilöllisempiä lääkkeitä on tuskin kääntymässä. Sääntelyn eri tasoilla kannustetaan nimenomaan harvinaissairauksien hoitojen kehittämiseen. Mahdotonta tuskin kuitenkaan on, että kannusteita myös laajempien kansansairauksien hoitojen kehittämiseen lisätään sääntelyllä, mihin EU:n lääkepaketin antibioottiresistenssin torjuntaan ja uusien antibioottien kehittämiseen tähtäävät kannusteet pyrkivät ohjaamaan.

5.4 Varovaisesti kohti vaikuttavuutta

Suomessa on mahdollisuus ottaa merkittäviä askelia haastatteluissa ja raporteissakin laajasti käsitellyssä arkivaikuttavuustiedon hyödyntämisessä. Arkivaikuttavuustiedon käyttö, vaikuttavuussopimusten käyttöönotto ja epäsuorien kustannusten huomioiminen kustannusvaikuttavuuslaskennassa näyttävät vaikeilta, mutta mahdollisilta ja tavoittelemisen arvoisilta askelilta ehdollisen korvattavuuden kehittämiseksi. Arviointitoiminnan keskittäminen helpottaisi myös tässä. Osittain kysymys on varmasti myös sääntelystä. Oma kiinnostava tutkimuskysymyksensä liittyisi datan käyttötarpeiden ja tietosuojasääntelyn konflikteihin. Tekoälyllä on varmasti tulevaisuudessa useita mahdollisuuksia parantaa terveysdatan laatua ja mahdollistaa uusien sopimusmallien käyttäminen. Vaikuttavuussopimusten kehityksestä nousee myös kysymys, onko korvattavuuden rajaaminen sairausvakutuslaissa vain sairauden hoitoon välttämätöntä, vai voisivatko vaikuttavuussopimukset avata mahdollisuuden myös sairauksien ennaltaehkäisevään tai jopa terveyttä edistävään korvaamiseen myös muiden kuin rokotteiden osalta. Muutamissa haastatteluissa esille nousee uudet laihdutuslääkkeet saattavat nostaa kysymyksen esiin nopeastikin.

Viranomaisten voimakkaimmin esiin nostama kehitystarve on ehdollisen korvattavuuden sopimusten päättymisen ja sen vaikutukset erityisesti lääkkeitä käyttäviin potilaisiin. Kysymys kytkeytyy laajempaan keskusteluun vanhentuneista tai vaikuttavuudeltaan heikoiksi todetuista hoidoista luopumisesta sosiaali- ja terveyspalveluissa. Yksi mahdollinen ratkaisutapa olisi malli, jossa Hila todetessa, ettei hoito täytä korvattavuuden kriteerejä sen korvattavuus uusille potilaille lakkaisi, mutta lääkettä käyttävät potilaat saisivat korvaukset niin kauan, kun potilaan lääkäri pitää sitä lääketieteellisesti perusteltuna. Lääkkeiden yksilölliset erot hoitovasteissa voivat johtaa tilanteeseen, jossa yksittäisille potilaille toimiva ja tärkeä lääke ei väestötasolla ole kustannustehokas. Tällainen malli tulisi arvioida tarkemmin perustuslain ja ihmisten yhdenvertaisen kohtelun kannalta. Toinen vaihtoehto olisi, että korvattavuuden lakatessa lääkettä käyttäville potilaille säädettäisiin mahdollisuus henkilökohtaiseen korvaukseen hieman samalla tavoin kuin Hila oma-aloitteisesti käynnistää erityiskorvattavuusprosessin erityisluvallisten eli potilaskohtaisesti käyttöön otettujen ei-myyntiluvallisiin valmisteiden tavoin. Tämä olisi hallinnollisesti selvästi raskaampi tapa.

Haastatteluissa nostettiin yllättävän vähän esiin sosiaali- ja terveydenhuollon monikanavarahoituksen vaikutusta arviointijärjestelmän taustatekijänä. Lääkäreiden kustannusvastuuseen ja lääkkeen määräämiskäytäntöihin liittyvät kommentit haastatteluissa saivat pohtimaan, kenen tehtävä kustannusten hillintä sosiaali- ja terveyspalveluissa on ja kenellä siihen on parhaat edellytykset. Ainakin päätöksenteko vaatii kaiken saatavilla olevan tiedon ja sitä ehdollinen korvattavuus ja hintojen luottamuksellisuus osalta päätöksentekijöistä vähentää.

5.5 Vakiintuneesta poikkeuksesta kohti pääsääntöä?

Ehdollisen korvattavuuden yleistyminen ja palautusmaksujen nousu jo yli 100 miljoonaan euroon vuonna 2024 tekee järjestelmästä jo julkisen talouden kannalta merkittävän. Lääketilastossa ei ole erikseen kerrottu, paljonko ehdollisesti korvattavista lääkkeistä maksetaan lääkekorvauksia vuosittain, mutta tieto olisi kiinnostava palautusmaksujen rinnalla. Jos hintojen luottamuksellisuus sen mahdollistaa, olisi kiinnostavaa myös nähdä arvioita tai laskelmia ehdollisen korvattavuuden piirissä olevien lääkkeiden toteutuneesta kustannusvaikuttavuudesta. Yksityisen ja julkisen sektorin sopiminen riskinjaosta on kiinnostava tapa innovaatioiden käyttöönottoon ja ehdollisen korvattavuuden malli voisi toimia esimerkkinä myös muilla aloilla tehtäville vaikuttavuusinvestoinneille tai ehdollisille käyttöönottopäätöksille. Esimerkiksi energia- tai hiilivarastomarkkinoilla tällaisille elementeille voisi olla tarvetta.

Lopulta ehdollisen korvattavuuden sopimusten yleistyminen johtaa myös kysymykseen, voidaanko enää puhua poikkeuksesta. Wilhelmssonin teoriaa mukaillen käsillä saattaa olla poikkeus, joka on muodostamassa uuden pääsäännön. Haastatteluissa viranomaisten edustajat korostivat mallin poikkeusluonnetta ja teollisuuden edustajat toivoivat mahdollisuutta sopia luottamuksellisista hinnoista kaikille valmisteille. Erityisesti avohoidon syöpälääkkeissä ehdollinen korvattavuus on muodostunut käytännössä jo pääsäännöksi. Muuttuminen poikkeuksesta pääsäännöksi kyseenalaistaa sairausvakuutuslain 6 luvun 6a §:n 1 momentin erityinen syy -käsitteen merkityksen ja tarpeellisuuden. Vaikka neuvotteluja luottamuksellisista hinnoista ei avattaisi kaikille valmisteille, ehdollisen korvattavuuden prosessin vuorovaikutuksellisuutta ja avoimuutta kannattaisi laajentaa resurssien puitteissa myös Hilan normaaliin hakemusprosessiin. Hilan

asiantuntijoiden osaamista arvostetaan ja sillä on asema, joka mahdollistaisi järjestelmän kehittämisen luottamus säilyttäen niin tehottomista hoidoista luopumisen kuin vaikuttavuuden mittaamisen yleistyessä.

Lähteet

Pauliina Aarva, Terveiden arvo, Lääketieteellinen Aikakauskirja Duodecim 23/1994. Suomalainen Lääkäriseura Duodecim 1994, s. 2202-2208.

Dominic Adair – Greg Bacon – Vanessa Rieu, Patents, teoksessa Maria Isabel Manley – Marina Vickers, Navigating European Pharmaceutical Law. Oxford University Press 2015, s. 1-40.

Ilpo Airio, Sairausvakuutus, teoksessa Pauliina Havakka – Mikko Niemelä – Hannu Uusitalo (toim.), Sosiaalivakuutus. Finva Finanssikoulutus 2017, s. 127-153.

Pentti Arajärvi, Johdatus sosiaali oikeuteen. Alma Talent 2011.

Michael J. DiStefano, Jenny M. Markell, Caroline C. Doherty, G. Caleb Alexander, Gerard F. Andersson, Association Between Drug Characteristics and Manufacturer Spending on Direct-to-Consumer Advertising, Journal of the American Medical Association 2023;329(5). American Medical Association 2023, s. 386-392.

Bengt Domeij, Läkemedelspatent. Tukholman yliopisto, 1998.

EFPIA - European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations, The Pharmaceutical Industry in Figures - Key Data 2025. EFPIA 2025, viitattu 28.7.2025 osoitteessa <https://www.efpia.eu/media/ujopopel/the-pharmaceutical-industry-in-figures.pdf>.

Erja Elo, Kultraakin kalliimmat – harvinainen lääke voi maksaa yli 260 000 euroa, Apteekkari. PharmaPress 2022, viitattu 10.1.2024 osoitteessa <https://www.apteekkari.fi/artikkelit/kultraakin-kalliimmat-harvinainen-laake-voi-maksaa-yli-260-000-euroa.html>.

Kaijus Ervasti, Juristien haastattelemine, teoksessa Empiirinen oikeustutkimus, toimittanut Kati Nieminen, Noora Lähteenmäki. Gaudeamus 2021.

Fimea, Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus, Kansaneläkelaitos, Suomen lääketilasto 2024. Fimea 2025a.

Fimea, Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus, Kliiniset lääketutkimukset.

Fimea 2025b, viitattu 11.8.2025 osoitteessa

https://fimea.fi/kansalaisen_laaketieto/kliiniset-laaketutkimukset.

Financial Times Lex, Obesity drug challengers will struggle to break into plus-sized market. Financial Times Group 2024, viitattu 10.1.2024 osoitteessa

<https://www.ft.com/content/184617f3-9a88-4d23-8e23-d1a08d5577dd>.

Topias Haikala, Lääkefirmat tekevät pandemialla miljardeja - rokotetta kehittävän professorin mukaan patentit eivät ole hidastaneet rokotuksia. Helsingin yliopisto 2022, viitattu 10.1.2024 osoitteessa

<https://www.helsinki.fi/fi/uutiset/pandemiat/laakefirmat-tekevat-pandemialla-miljardeja-rokotetta-kehittavan-professorin-mukaan-patentit-eivat-ole-hidastaneet-rokotuksia>.

Katri Hämeen-Anttila, Ulla Närhi, Heidi Tahvanainen (toim.), Rationaalisen lääkehoidon toimeenpano-ohjelma, loppuraportti. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 15/2018. STM 2018.

Pekka Ihalmo, Saku Väättäin, Erkki Soini, Christina Vandorou, Petri Mankinen, Elisa Nevalainen, Martin Price, Faster Access to Innovative Therapies with Risk-Sharing Agreements - Cancer Medication Reimbursement Decisions from January 2012 to November 2021 in Finland. Value Health 2022;25:6 S1. ISPOR 2022a.

Pekka Ihalmo, Saku Väättäin, Erkki Soini, Christina Vandorou, Petri Mankinen, Elisa Nevalainen, Martin Price, Life-Years Gained with Conditional Reimbursement Access to Innovative Oncological and Hematological Medicines in Finland. Value Health 2022;25:6 S1. ISPOR 2023b.

Jani Kaaro, Lääkkeiden hinnat ovat salaisten sopimusten soppa, joka ei palvele potilaita. Yle.fi, Yleisradio 2022, viitattu 10.1.2024 osoitteessa <https://yle.fi/a/3-12455202>

Anne Kallio, Maritta Korhonen, Heidi Tahvanainen (toim.), Rationaalisen lääkehoidon tiedonhallinnan kehittäminen, työryhmän raportti. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 11/2018. STM 2018.

Katri Kallionpää, Uutta Alzheimer-lääkettä kuvaillaan käänteentekeväksi – Erikoislääkäri kertoo, milloin lääke saataisiin mahdollisesti myös Suomeen, Helsingin Sanomat. Sanoma Media Finland 2023, viitattu 10.1.2024 osoitteessa <https://www.hs.fi/hyvinvointi/art-2000009726809.html>.

Minttu Kokko, Piia Rannanheimo, Tarja Laitinen, Kimmo Porkka, Arho Virkki, Lisänäyttöä uusista lääkehoidoista, OMOP-harmonisaatioon ja hajautettuihin analyyseihin perustuvan pilottiprojektin loppuraportti. Sitra 2024.

Anni Lassila, Kallis elämä. Helsingin Sanomat 30.1.2024. Sanoma Media Finland 2024a.

Anni Lassila, Harvinaisen kallista. Helsingin Sanomat 3.3.2024. Sanoma Media Finland 2024b.

Joel Lexchin, Pharmaceutical company spending on research and development and promotion in Canada, 2013-2016: a cohort analysis, Journal of Pharmaceutical Policy and Practice 2018 11:5. BioMed Central 2018,

Frank R. Lichtenberg, Pharmaceutical Price Discrimination and Social Welfare, Capitalism and Society: Vol. 5: Iss. 1, Art. 2. Center on Capitalism and Society, 2010.

Pia Litmo, Lääkkeiden saatavuus on turvattava, Helsingin Sanomat. Sanoma Media Finland 2023, viitattu 10.1.2024 osoitteessa <https://www.hs.fi/mielipide/art-2000010097849.html>.

Lääkeasioiden tiekartan poikkihallinnollisen koordinaatioryhmän alainen lääkehoidon ohjaus- ja rahoitusjaos, Lääkehoidon ohjaus ja rahoitus - kehittämisen suuntaviivat. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2023:15. STM 2023.

Lääkkeiden hintalautakunta, Ohje ehdollisesta korvattavuudesta. Lääkkeiden hintalautakunta 2025a.

Lääkkeiden hintalautakunta, Myyntiluvallinen lääkevalmiste - Uusi lääkevalmiste - verkkosivu. Lääkkeiden hintalautakunta 2025b, viitattu 23.7.2025 osoitteessa <https://www.hila.fi/hakeminen-ja-ilmoitukset/korvattavuuden-ja-tukkuhinnan-hakeminen-ohjeet-uusi/myyntiluvalliset-uusi-laakevalmiste/>.

Lääkkeiden hintalautakunta, Luettelo lääkevalmisteista, joille on vahvistettu ehdollinen korvattavuus. Excel-tiedosto. Lääkkeiden hintalautakunta 2025c, viitattu 26.7.2025 osoitteessa <https://www.hila.fi/luettelot/ehdollinen-korvattavuus/>

Emily May, Karen Taylor, Leena Gupta, Wendell Miranda, Be brave, be bold - Measuring the return from pharmaceutical innovation 15th edition, March 2024. Deloitte Centre for Health Solutions 2024, viitattu 28.7.2025 osoitteessa <https://www.deloitte.com/content/dam/assets-shared/docs/industries/life-sciences-health-care/2025/deloitte-measuring-return-from-pharmaceutical-innovation-2025.pdf>.

Morgan Stanley, The Exponential Growth of Obesity Drugs. Morgan Stanley 2025, viitattu 28.7. osoitteessa <https://www.morganstanley.com/insights/articles/weight-loss-medication-market-unstoppable-growth>.

Max Newton, Kelsey Stoddart, Marco Travaglio, Per Troein, EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2024 Survey. IQVIA 2025, viitattu 28.7.2025 osoitteessa <https://efpia.eu/media/oeganukm/efpia-patients-wait-indicator-2024-final-110425.pdf>.

Samuli Niinivuo, Suomen lääkekovausten määrä kasvaa vuosi vuodelta, ja taustalla on taloustieteilijöiden mukaan ”turmiollinen” järjestelmä, Helsingin Sanomat. Sanoma Media Finland 2022, viitattu 10.1.2024 osoitteessa <https://www.hs.fi/talous/art-2000008967870.html>.

Veera Paananen, Kukaan ei tiedä, kuinka paljon yhteiskunta maksaa lääkefirmoille sairauden hoitamisesta: ”Tähän on menty”. Helsingin Sanomat 22.1.2025. Sanomat Media Finland 2025a.

Veera Paananen, Markkinoille tulee paljon syöpälääkkeitä, joita suomalaiset eivät saa. Helsingin Sanomat 3.6.2025. Sanoma Media Finland 2025b.

Lauri Pelkonen, Piia Rannanheimo, Veli-Jukka Anttila, Jorma Komulainen, Hanna Koskinen, Jaana Leipälä, Taina Mäntyranta, Ulla Närhi, Tuomas Oravilahti, Taneli Puumalainen, Nadia Tamminen, Heidi Tahvanainen, Miia Turpeinen, Miten lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi tulisi järjestää Suomen sosiaali- ja terveydenhuollossa? Sosiaali- ja terveysministeriö 2017.

Minna Petäinen, Reseptilääkkeiden lääkekatto nousee vuonna 2024 – korotus noin 35 euroa, Taloustaito. Verotieto 2024, viitattu 10.1.2024 osoitteessa <https://www.taloustaito.fi/Rahat/reseptilaakkeiden-laakekatto-nousee-vuonna-2024--korotus-noin-35-euroa/#861f606f>.

Marko Pinola, Talouselämä, Lääkkeet ovat Suomessa selvästi kalliimpia kuin Ruotsissa – Kaupan liitto: Valtio ja kuluttajat maksavat apteekkarien ylisuuret voitot. Alma Media 2024, viitattu 10.1.2024 osoitteessa <https://yle.fi/a/3-12455202>.

Rajaniemi Sinikka, Lääkehoidon ohjauksen kehittäminen, selvityshenkilön raportti. STM 2023.

Piia Rannanheimo, Minttu Kokko, Milja Piispanen, Sanna Saarinen, Paula Nevalainen, Heidi Tahvanainen, Kohti rationaalisen lääkehoidon ja lääkehuollon tietojohdantamista, selvitys lääkehoidon ja lääkkeiden käytön datapohjaisesta ohjauksesta. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2023:11. STM 2023.

Piia Rannanheimo, Hanna-Mari Jauhonen, Mihin reaaliaikaisen dataa tarvitaan? Näkökulmana lääkkeiden ja lääkinnällisten laitteiden valvonta, arviointi (HTA) ja kansallinen ohjaus. Sosiaali- ja terveysministeriön muistioita ja raportteja 44/2018. STM 2018.

Rationaalisen lääkehoidon toimeenpano-ohjelman ohjausryhmä, Rationaalisen lääkehoidon toimeenpano-ohjelma, väliraportti. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita. STM 2017.

Heikki Ruskoaho, Lääkekorvausjärjestelmän tarkastelua lääkkeiden näkökulmasta vuoden 2017 lääkesäästöihin liittyen, selvitysmiehen raportti. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2016:31. STM 2016.

Heikki Ruskoaho, Lääkekorvausjärjestelmän kehittäminen, selvityshenkilön väliraportti. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2017:40. STM 2017.

Heikki Ruskoaho, Lääkekorvausjärjestelmän kehittäminen, selvityshenkilön loppuraportti. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 20/2018. STM 2018.

Sara Sairanen, Ilta-Sanomat, Suomalaisilla nousi erityisesti yksi huoli hallitusohjelmasta – ”Eivät he mieti, mitä meille tapahtuu”. Sanoma Media Finland 2023, viitattu 10.1.2024 osoitteessa <https://www.is.fi/kotimaa/art-2000009662939.html>.

Sosiaali- ja terveysministeriö, Sairausvakuutuksen lääkekorvausmenojen vähentäminen - Lääkekorvausjärjestelmän kehittämistyöryhmän väliraportti. Sosiaali- ja terveysministeriö (STM) 2012.

Sosiaali- ja terveysministeriö, Asettamispäätös: lääkkeiden arviointitoiminnan uudistamista valmisteleva työryhmä. STM 2025

Sosiaali- ja terveysministeriö, Keskitetty lääketietovaranto helpottaa lääkehoidon toteuttamista ja seurantaa, sosiaali- ja terveysministeriön tiedote 14.2.2025. STM 2025.

Petra Sund-Norrgård, Franchising in Finland - Lessons Learned from a Multiple Case Study, JFT 3/2016. Juridiska Föreningen i Finland 2016, s. 261-272.

Suomalaisille kaikkein tärkeintä on terveys, Yle Uutisluokka Triplet. Yleisradio 2019, video viitattu 10.1.2024 osoitteessa <https://areena.yle.fi/1-50087524>.

Miia Turpeinen, Yhteistyö uusien sairaalalääkkeiden hankinnassa tiivistyy. Pohjois-Pohjanmaan sairaanhoitopiirin tiedote 8.9.2020.

Thomas Wilhelmsson, Sosiaalisen siviilioikeuden metodiset lähtökohdat, teoksessa Minun metodini, toimittanut Juha Häyhä. Werner Söderström Lakitieto 1997, s. 339-358.

Robert K. Yin, Case Study Research and Applications: Designs and Methods. SAGE Publications 2018.

Liitteet

Liite 1. Haastattelurunko - teemahaastattelu lääkkeiden ehdollisesta korvattavuudesta

Prosessi ja käsitteet:

1. Miten luonnehtisit lääkkeiden hintalautakunnan kohtuullisen tukkuhinnan ja lääkevalmisteen korvattavuuden yleistä vahvistusprosessia?
2. Mihin asioihin lääkkeiden arvioinnissa kiinnitetään huomiota? Mitä eri arvioinnissa käytettäviä käsitteitä (esim. vaikuttavuus, kustannus-vaikuttavuus) on ja miten ne määritellään?
3. Miten prosessi ja käsitteet eroavat ”normaalista”, kun hakemus koskee ehdollista korvattavuutta?
4. Mikä rooli käytännön arvioinnissa ja neuvottelussa on sairausvakuutuslain 6 luvun 6a §:n käsitteillä (keskeiset käsitteet tummennettu alla)? Miten määrittäisitte käsitteet?

Sopimukset:

5. Miten luonnehtisitte sopimuksia, jotka ehdollisesta korvattavuudesta tehdään myyntiluvan haltijan ja hintalautakunnan välillä? Millaisista osista sopimus koostuu? Mikä on olennaisinta?
6. Miten arvioitte sopimusten salaamisen vaikuttavan prosessin lopputulokseen ja tavoitteisiin?
7. Miten sopimusten toteutumista ja lääkeaineiden vaikuttavuutta seurataan?

Järjestelmän kehittäminen:

8. Millaisia muiden maiden ehdollisen korvattavuuden malleja tai lääkkeiden käyttöönoton riskinjakomalleja nostaisitte esimerkeiksi suomalaisen järjestelmän kehittämiseksi?
9. Miten kehittäisitte lääkkeiden ehdollisen korvattavuuden järjestelmää, neuvotteluja, sopimuksia, seuranta jne.? Millaisia muutoksia tarvittaisiin esim. lainsäädäntöön?

6 a § (4.12.2019/1221) Ehdollinen korvattavuus

Lääkkeiden hintalautakunta voi hyväksyä **erityisestä syystä** korvattavuuden ja tukkuhinnan ehdollisena myyntiluvalliselle lääkevalmisteelle, jolle on haettu korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan vahvistamista. Hintalautakunta voi tehdä korvattavuus- ja tukkuhintapäätöksen ehdollisena edellyttäen, että uudelle lääkehoidolle on osoitettu **erityinen lääketieteellinen tarve ja hoitokustannuksiin**, kyseisen lääkevalmisteen **hoidolliseen arvoon, kustannusvaikuttavuuteen** tai **muihin vastaaviin lääkevalmisteen korvattavuuteen tai tukkuhinnan kohtuullisuuden arviointiin vaikuttaviin tekijöihin** liittyy **merkittävää epävarmuutta**. Ehdollisesta korvattavuudesta päätettäessä ehdotetun tukkuhinnan kohtuullisuutta arvioidaan noudattaen soveltuvien osin mitä 7 §:ssä säädetään.

Ehdollista korvattavuutta koskevan päätöksen osana on lääkkeiden hintalautakunnan ja myyntiluvan haltijan keskinäinen sopimus, jossa on määritelty valmisteen terveyshyötyihin, kustannusvaikuttavuuteen, kustannuksiin tai muuhun vastaavaan tekijään liittyvän epävarmuuden vastuunjaosta sekä sopimuksen toteutumisen seurannasta ja ehdollisen korvattavuuden päättymisen vaikutuksista. Jos myyntiluvan haltijalla on sopimuksessa määritelty palautusmaksuvelvollisuus, palautusmaksu suoritetaan sopimuksessa määriteltyjen perusteiden mukaisesti Kansaneläkelaitoksen sairausvakuutusrahastolle. Kansaneläkelaitos vastaa palautusmaksun toimeenpanosta.

Ehdollista korvattavuutta ja tukkuhintaa koskeva päätös on voimassa määrääjän. Voimassaolosta säädetään 12 §:ssä.

Ehdollisen korvattavuuden päättyessä, lääkevalmisteen korvattavuus ja tukkuhintaa lakkaavat, ellei valmisteelle ole ennen määrääjän päättymistä hyväksytty korvattavuutta ja tukkuhintaa. Edellytykset lääkevalmisteen ehdolliselle korvattavuudelle arvioidaan uudelleen 1 momentissa todetun mukaisesti, jos lääkevalmisteelle haetaan ehdollisen korvattavuuden uudistamista taikka ehdollisen korvattavuuden voimassaoloaikana korvattavuuden laajentamista tai erityiskorvattavuutta.

Liite 2. Haastateltavat

Lääketeollisuuden edustaja A

Viranomaisen edustaja B

Lääketeollisuuden edustaja C

Lääketeollisuuden edustaja D

Lääketeollisuuden edustaja E

Lääketeollisuuden edustaja F

Viranomaisen edustaja G

Lääketeollisuuden edustaja H

Lääketeollisuuden edustaja I

Lääketeollisuuden edustaja J

Viranomaisen edustaja K

Lääketeollisuuden edustaja L

Liite 3. Lääkkeiden hintalautakunnan päätös

LÄÄKKEIDEN HINTALAUTAKUNNAN PÄÄTÖS

5.10.2023

Asianro 01550/2022

Pfizer Europe MA EEIG
c/o Pfizer Oy

Myyntiluvallisen lääkevalmisteen ehdollinen korvattavuus ja tukkuhinta

Hakemus

Pfizer Europe MA EEIG on hakenut korvattavuutta ja tukkuhinnan vahvistamista seuraavalle valmisteelle:

Myyntiluvan numero	Valmiste	Vnr	Tukkuhinta, €
EU/1/22/1645/001	VYDURA 75 mg tabletti, kylmäkuivattu 2 x 1	534961	37,80
EU/1/22/1645/002	VYDURA 75 mg tabletti, kylmäkuivattu 8 x 1	444921	151,20
EU/1/22/1645/003	VYDURA 75 mg tabletti, kylmäkuivattu 16 x 1	587729	302,40

Vaikuttava aine: rimegepantti

Haettu korvattavuus: rajoitettu peruskorvattavuus

Haettu korvattavuuden raja:

- aikuisten auralaisen tai aurattoman migreenin akuuttiin hoitoon o potilaille, joilla on kokeiltu vähintään kahta triptaani valmistetta, eikä niistä ole saatu riittävää vastetta tai ne eivät ole siedettyjä, tai o potilaille, joille triptaanit ovat vasta-aiheisia.
 - episodisen migreenin ennaltaehkäisevään hoitoon aikuisille, joilla esiintyy keskimäärin vähintään 8 migreenipäivää kuukaudessa, ja on kokeiltu vähintään kahta migreenin estohoitolääkettä, eikä niillä ole saatu aikaan riittävää vastetta, ne ovat vasta-aiheisia tai ne eivät ole siedettyjä.
- o Hoidon teho arvioidaan ensimmäisen kerran 12 viikon hoitokokeilun jälkeen ja uudelleen aina vähintään kerran vuodessa hoidon aloittamisen jälkeen, jolloin arvioidaan myös tarve jatkohoidolle. Hoidon jatkamisen kannalta riittävänä hoitovasteena voidaan pitää sitä, että potilaan migreenipäivien esiintyminen kuukaudessa vähenee vähintään 50% lähtötilanteeseen verrattuna.

Vireilletulopäivä: 21.12.2022

Lausunnot

Kansaneläkelaitoksen lausunto 16.2.2023.

Lääkkeiden hintalautakunnan asiantuntijaryhmän lausunto 9.2.2023.

Ratkaisu

Lääkkeiden hintalautakunta vahvistaa yllä mainitun valmisteiden ehdollisen korvattavuuden ja tukkuhinnat. Tähän päätökseen liittyy hakijan ja lääkkeiden hintalautakunnan tekemä sopimus. Päätöksen voimaantulo edellyttää, että molemmat sopijapuolet allekirjoittavat sopimuksen.

Vahvistettu korvattavuus: rajoitettu peruskorvattavuus

Vahvistettu korvattavuuden rajausta:

- aikuisten auralaisen tai aurattoman migreenin akuuttiin hoitoon o potilaille, joilla on kokeiltu vähintään kahta triptaaniainvalmistetta, eikä niistä ole saatu riittävää vastetta tai ne eivät ole siedettyjä, tai o potilaille, joille triptaanit ovat vasta-aiheisia.
 - episodisen migreenin ennaltaehkäisevään hoitoon aikuisille, joilla esiintyy keskimäärin vähintään 8 migreenipäivää kuukaudessa, ja on kokeiltu vähintään kahta migreenin estohoitolääkettä, eikä niillä ole saatu aikaan riittävää vastetta, ne ovat vasta-aiheisia tai ne eivät ole siedettyjä.
- o Hoidon teho arvioidaan ensimmäisen kerran 12 viikon hoitokokeilun jälkeen ja uudelleen aina vähintään kerran vuodessa hoidon aloittamisen jälkeen, jolloin arvioidaan myös tarve jatkohoidolle. Hoidon jatkamisen kannalta riittävänä hoitovasteena voidaan pitää sitä, että potilaan migreenipäivien esiintyminen kuukaudessa vähenee vähintään 50 % lähtötilanteeseen verrattuna.

Päätöksen voimassaoloaika: 1.12.2023–30.11.2025.

Sairausvakuutuslain 5 luvun 1 §:n 1 momentin mukaan potilas voi saada korvausta sairauden hoitoon määrätyn lääkkeen kustannuksista.

Kansaneläkelaitos päättää tarkemmin korvaamisen edellytyksistä ja tarvittavista selvityksistä.

Mikäli hakija haluaa valmisteiden kuuluvan korvausjärjestelmään vahvistetussa laajuudessa tämän päätöksen voimaantulon jälkeen, hakemus tulee toimittaa viimeistään uusintahakemuksen määräpäivänä. Hakemuksen tueksi tulee liittää sairausvakuutuslaissa ja sosiaali- ja terveysministeriön asetuksessa lääkkeiden hintalautakunnalle tehtävästä hakemuksesta ja hintailmoituksesta (201/2009) edellytetyt selvitykset.

Uusintahakemuksen toimittamisen määräpäivä: 31.5.2025.

Sovelletut lainkohdat

Sairausvakuutuslaki (1224/2004) 5 luku 4 §, 6 luku 1 §, 4-6 §, 6 a §, 7 §, 11-12 § ja 25-26 §

Muutoksenhaku

Tähän päätökseen tyytymätön saa hakea siihen muutosta valittamalla Helsingin hallinto-oikeuteen. Valitusosoitus liitteenä.

Lääkkeiden hintalautakunta

Susanna Grimm-Vikman, Outi Luoma-aho, Maria Karjaluoeto, Vesa Mustalammi, Reima Palonen

Asian esittelijä

Kristiina Kaste

Lisätietoja antaa Kristiina Kaste, p. 0295 160 01, etunimi.sukunimi(at)gov.fi

Liitteet

Päätökseen liittyvä taloudellinen sopimus
Valitusosoitus

Valitusosoitus

Valitusviranomainen

Tähän päätökseen tyytymätön saa hakea siihen muutosta Helsingin hallinto-oikeudelta kirjallisella valituksella. Valituksen saa tehdä sillä perusteella, että päätös on lainvastainen. Valituskirjelmä osoitetaan valitusviranomaiselle ja se on toimitettava valitusajassa Helsingin hallinto-oikeuden kirjaamoon.

Valitusaika

Valitus on tehtävä 30 päivän kuluessa päätöksen tiedoksisaannista. Valitusaikaa laskettaessa tiedoksisaantipäivää ei oteta lukuun. Jos valitusajan viimeinen päivä on pyhäpäivä, lauantai, itsenäisyyspäivä, vapunpäivä, jouluaatto tai juhannusaatto, valitusaika jatkuu vielä seuraavana arkipäivänä.

Tavallinen tiedoksianto toimitetaan postitse kirjeellä vastaanottajalle. Vastaanottajan katsotaan saaneen asiasta tiedon seitsemäntenä päivänä kirjeen lähettämisestä, jollei muuta näytetä. Tavallisessa sähköisessä tiedoksiannossa vastaanottajan katsotaan saaneen asiasta tiedon kolmantena päivänä viestin lähettämisestä, jollei muuta näytetä.

Jos on kysymyksessä sijaistiedoksianto, päätös katsotaan saadun tiedoksi, ellei muuta näytetä, kolmantena päivänä tiedoksianto- tai saantitodistuksen osoittamasta päivästä. Viranomaisen tietoon asian katsotaan tulleen kirjeen saapumispäivänä.

Valituksen sisältö

Valituskirjelmässä on ilmoitettava

- päätös, johon haetaan muutosta
- miltä kohdin päätökseen haetaan muutosta ja mitä muutoksia siihen vaaditaan tehtäväksi sekä perusteet, joilla muutosta vaaditaan
- mihin valitusoikeus perustuu, jos valituksen kohteena oleva päätös ei kohdistu valittajaan
- valittajan nimi, kotikunta ja puhelinnumero
- postiosoite ja mahdollinen muu osoite, johon oikeudenkäyntiin liittyvät asiakirjat voidaan lähettää.

Jos valittajan puhevaltaa käyttää hänen laillinen edustajansa, asiamiehensä tai luvan saanut oikeudenkäyntiavustajansa tai jos valituksen laatijana on joku muu henkilö, valituskirjelmässä on ilmoitettava myös tämän nimi, kotikunta, postiosoite ja puhelinnumero.

Yhteystietojen muutoksesta on valituksen vireillä ollessa ilmoitettava viipymättä hallintotuomioistui melle.

Valituksen liitteet

Valituskirjelmään on liitettävä

- päätös, johon haetaan muutosta valittamalla, alkuperäisenä tai jäljennöksenä valitusosoituksiineen
- tiedoksisaantitodistus tai muu selvitys valitusajan alkamisajankohdasta
- asiakirjat, joihin valittaja vetoaa vaatimuksensa tueksi, jollei niitä ole jo aikaisemmin toimitettu viranomaiselle
- asiamiehen valtakirja, jos asiamies ei ole asianajaja, julkinen oikeusavustaja tai luvan saanut oikeudenkäyntiavustaja.

Valituksen toimittaminen perille

Valituksen voi toimittaa henkilökohtaisesti, postitse maksettuna postilähetyksenä, sähköisellä tiedonsiirtomenetelmällä taikka asiamiestä tai lähettiä käyttäen. Valituksen lähettäminen postitse tai sähköisesti tapahtuu lähettäjän omalla vastuulla.

Valituksen on saavuttava valitusviranomaiselle virka-aikana ennen 30 päivän valitusajan päättymistä. Sähköisen asiakirjan tulee olla perillä siten, että se on hallinto-oikeuden käytettävissä vastaanottolaitteessa tai tietojärjestelmässä siten, että viestiä voidaan käsitellä valitusajan viimeisenä päivänä ennen kello 16.15.

Hallinto-oikeuden kirjaamon virka-aika on maanantaista perjantaihin kello 8.00-16.15.

Valituksen voi tehdä myös hallinto- ja erityistuomioistuinten asiointipalvelussa osoitteessa

<https://asiointi.oikeus.fi/hallintotuomioistuimet>

Helsingin hallinto-oikeuden yhteystiedot:

postiosoite: Radanrakentajantie 5, 00520 Helsinki

käyntiosoite: Radanrakentajantie 5, 00520 Helsinki

puhelinvaihe: 029 56 42000

telefax: 029 56 42079

sähköpostiosoite: helsinki.hao@oikeus.fi

Oikeudenkäyntimaksu

Asian käsittelystä hallinto-oikeudessa peritään tuomioistuinmaksulain (1455/2015) nojalla oikeudenkäyntimaksu. Maksun suuruus on 270 euroa. Tuomioistuinmaksulaissa on erikseen säädetty tapauksista, joissa maksua ei peritä. <https://finlex.fi/fi/laki/ajantasa/2015/20151455/#P5>

Liite 4. Lääkkeiden hintalautakunnan esitysmuistio

Alkaa seuraavalta sivulta.

ESITYSMUISTIO

Kristiina Kaste

Asianro 01550/2022

Lääkkeiden hintalautakunnan kokous 5.10.2023

Asia

Myyntiluvallinen lääkevalmiste – rajoitettu peruskorvattavuus ja kohtuullinen tukkuhinta – Uusi vaikuttava lääkeaine

Hakemus

Pfizer Europe MA EEIG hakee korvattavuutta ja kohtuullisen tukkuhinnan vahvistamista seuraavalle valmisteelle:

Valmiste	Ehdotettu tukkuhinta, €	Tukkuhinta /tabl.*, €	Vahvistettu tukkuhinta, €	Lääkevaihto
VYDURA 75 mg tabletti, kylmäkuivattu 2 x 1	37,80	18,90	-	Ei
VYDURA 75 mg tabletti, kylmäkuivattu 8 x 1	151,20	18,90	-	Ei
VYDURA 75 mg tabletti, kylmäkuivattu 16 x 1	302,40	18,90	-	Ei

* laskettu ehdotetusta tukkuhinnasta

Haettu korvattavuus: rajoitettu peruskorvattavuus

Haettu korvattavuuden rajaus:

- aikuisten aurallisen tai aurattoman migreenin akuuttiin hoitoon
 - o potilaille, joilla on kokeiltu vähintään kahta triptaanivalmistetta, eikä niistä ole saatu riittävää vastetta tai ne eivät ole siedettyjä, tai
 - o potilaille, joille triptaanit ovat vasta-aiheisia.
- episodisen migreenin ennaltaehkäisevään hoitoon aikuisille, joilla esiintyy keskimäärin vähintään 8 migreenipäivää kuukaudessa, ja on kokeiltu vähintään kahta migreenin estohoitolääkettä, eikä niillä ole saatu aikaan riittävää vastetta, ne ovat vasta-aiheisia tai ne eivät ole siedettyjä.
 - o Hoidon teho arvioidaan ensimmäisen kerran 12 viikon hoitokokeilun jälkeen ja uudelleen aina vähintään kerran vuodessa hoidon aloittamisen jälkeen, jolloin arvioidaan myös tarve jatkohoidolle. Hoidon jatkamisen kannalta riittävänä hoitovasteena voidaan pitää sitä, että potilaan migreenipäivien esiintyminen kuukaudessa vähenee vähintään 50% lähtötilanteeseen verrattuna.

Valmisteen perustiedot

Myyntiluvan haltija
ATC/vaikuttava aine
Käyttöaiheet

Pfizer Europe MA EEIG
N02CD06 / rimegepantti
Vydura on tarkoitettu

- aikuisten aurallisen tai aurattoman migreenin akuuttiin hoitoon
- episodisen migreenin ennaltaehkäisevään hoitoon aikuisille, joilla on vähintään 4

Annostus	migreenikohtausta kuukaudessa. <i>Migreenin akuutti hoito:</i> Suositeltu annos on 75 mg rimegepanttia kerran päivässä tarpeen mukaan. <i>Migreenin ennaltaehkäisy:</i> Suositeltu annos on 75 mg rimegepanttia joka toinen päivä. Enimmäisannos vuorokautta kohden on 75 mg rimegepanttia.
Patentin päättyminen	14.10.2030

Taustaa

Euroopan komissio on myöntänyt valmisteelle myyntiluvan 25.4.2022. Valmisteen myyntiluvan haltija on muuttunut 9.12.2022: Biohaven Pharmaceutical Ireland DAC -> Pfizer Europe MA EEIG.

Hakemuksen vaiheet

Hakemus saapui	30.11.2022
Täydennyspyyntö hakijalle	8.12.2022
Täydennys saapui, hakemus vireille	21.12.2022
Hakemus Kelaan lausuttavaksi	22.12.2022
Suomen Migreeniyhdistys ry:n lausunto	23.1.2023
Suomen Migreeniyhdistys ry:n lausunto hakijalle tiedoksi	25.1.2023
Asiantuntijaryhmän lausunto	9.2.2023
Asiantuntijaryhmän lausunto hakijalle tiedoksi	10.2.2023
Kelan lausunto	16.2.2023
Kelan lausunto hakijalle tiedoksi	20.2.2023
Hakijan vastine asiantuntijaryhmän lausuntoon	24.2.2023
Hakijan vastine Kelan lausuntoon	3.3.2023
Hakijan lisäselvitys	20.3.2023
Hila: lisäselvityspyyntö (päättöluonnos)	4.4.2023
Hakijan lisäselvitys ja ehdotus ehdollisen korvattavuuden neuvottelujen aloittamisesta. Hakemuksen käsittely keskeytetään (ehd. korv. selvittäminen).	20.4.2023
Hila: Asia jätettiin pöydälle	4.5.2023
Hilan sihteeristö: lisäselvityspyyntö (tt-selvitys)	8.5.2023

Hakijan vastine hilan sihteeristön lisäselvityspyyntöön 22.5.2023
koskien terveystaloudellista selvitystä

Hila: ehdollisen korvattavuuden
sopimusneuvottelut aloitetaan

6.6.2023

Korvattavuus

Sairausvakuutuslain (1224/2004, SVL) 6 luvun 4 §:n 2 momentin mukaan peruskorvattavuuden vahvistamista koskevassa hakemuksessa hakijan on esitettävä yksilöity ja perusteltu ehdotus lääkevalmisteen peruskorvattavuudesta.

SVL:n 6 luvun 4 §:n 4 momentin mukaan haettaessa peruskorvattavuuden rajoittamista tarkoin määritellyn käyttöaiheeseen myyntiluvan haltijan on esitettävä perustelut korvattavuuden rajoittamiselle ottaen erityisesti huomioon lääkevalmisteen hoidollinen arvo kyseisessä sairaustilassa ja ehdotetun rajoituksen tarkoituksenmukaisuus lääkehoidon toteutuksen kannalta.

SVL:n 6 luvun 5 §:n 1 momentin mukaan lääkevalmisteen peruskorvattavuudesta päätettäessä lääkkeiden hintalautakunnan tulee ottaa huomioon lääkkeen hoidollinen arvo.

*SVL:n 6 luvun 6 §:n 1 momentin mukaan lääkkeiden hintalautakunta voi rajoittaa lääkevalmisteen peruskorvattavuuden tarkoin määriteltuihin käyttöaiheisiin, jos lääkkeen käytössä ja tutkimuksessa on osoitettu merkittävää hoidollista arvoa tietyissä sairaustiloissa, ja: 1) kyse on erityisen kalliista lääkkeestä, joka on välttämätön vakavan sairauden hoidossa ja jonka lääketieteellisesti perustellusta käytöstä aiheutuisi vakua-
tetulle peruskorvattuna oikeus SVL:n 5 luvun 8 §:ssä tarkoitettuun lisäkorvaukseen; tai 2) lääkkeestä laajas-
sa käytössä aiheutuisi kohtuuttomia kustannuksia saavutettavaan hyötyyn nähden.*

*SVL:n 6 luvun 6 §:n 2 momentin mukaan lääkkeiden hintalautakunta voi rajoittaa myyntiluvan haltijan ha-
kemuksesta peruskorvattavuuden tarkoin määriteltuihin käyttöaiheisiin tietyissä sairaustiloissa, jos kysymys
on SVL:n 6 luvun 6 §:n 1 momentin 1) kohdassa tarkoitettua erityisen kalliista lääkkeestä. Korvattavuuden
rajoittamisen edellytyksiä arvioitaessa tulee ottaa huomioon lääkkeen käytössä ja tutkimuksissa osoitettu
hoidollinen arvo niissä sairaustiloissa, joita korvattavuuden rajoitus koskee, sekä ehdotetun rajoituksen
tarkoituksenmukaisuus lääkehoidon toteutuksen ja lääkekorvausjärjestelmän kannalta.*

Lääkkeen käyttötarkoitus

Rimegepanttia sisältävälle Vydura-valmisteelle haetaan rajoitettua peruskorvattavuutta i) aikuisten aurallisen tai aurattoman migreenin akuuttiin hoitoon potilaille, joilla on kokeiltu vähintään kahta triptaanivalmistetta, eikä niistä ole saatu riittävää vastetta tai ne eivät ole siedettyjä, tai potilaille, joille triptaanit ovat vasta-aiheisia sekä ii) episodisen migreenin ennaltaehkäisevään hoitoon aikuisille, joilla esiintyy keskimäärin vähintään 8 migreenipäivää kuukaudessa, ja on kokeiltu vähintään kahta migreenin estohoitolääkettä, eikä niillä ole saatu aikaan riittävää vastetta, ne ovat vasta-aiheisia tai ne eivät ole siedettyjä. Vydura on käyttöaiheensa mukaisesti tarkoitettu aikuisten aurallisen tai aurattoman migreenin akuuttiin hoitoon ja episodisen migreenin ennaltaehkäisevään hoitoon aikuisille, joilla on vähintään 4 migreenikohtausta kuukaudessa.

Hoidettava sairaus

Migreeni on kohtauksellinen neurovaskulaarinen sairaus. Aikuisväestössä migreenin esiintyvyys on noin 10 %, josta miehillä 5 % ja naisilla 15 %. Migreeni jaetaan kansainvälisen ICHD-3-luokituksen (International Classification of Headache) mukaan kahteen päämuotoon: auralliseen (15 %), jossa särkyä edeltää näköhäi-

riö, puutuminen, lihasheikkous tai puheen vaikeus, ja aurattomaan (85 %), jossa migreenisärky alkaa suoraan ilman edeltäviä eli auraoireita. Migreenikohtaus kestää aikuisella 4-72 tuntia. Migreeni on luonteeltaan episodinen, kun päänsärkypäiviä on kuukaudessa vähemmän kuin 15. Migreeniä nimitetään krooniseksi, kun päänsärkypäiviä on kuukaudessa ainakin 15 ja päänsärky täyttää migreenin kriteerit ainakin kahdeksana päivänä kuukaudessa. Useista välittäjäaineista CGRP:llä (calcitonin gene-related peptide) on keskeinen osuus migreenikivun synnyssä. Migreenin diagnoosi perustuu anamneesiin. Hoidon valintaan vaikuttavat kohtauksen vaikeus, pahoinvointi, oksentaminen, kohtauksen alkamisajankohta, muut olosuhteet, muut sairaudet ja hoidon odotettavissa olevat haittavaikutukset.

Vaikutusmekanismi

Rimegepantti sitoutuu selektiivisesti ihmisen kalsitoniinigeeniin liittyvän peptidin (CGRP) reseptoriin ja estää sen toimintaa. Suhdetta rimegepantin farmakodynamiikan ja sen kliinisen vaikutuksen taustalla olevien mekanismien välillä ei tunneta.

Tutkimusnäyttö

Rimegepantin tehoa migreenikohtausten hoidossa on tutkittu kolmessa (BHV3000-301, BHV3000-302 ja BHV3000-303) ja estohoidossa yhdessä (BHV3000-305) myyntilupatutkimuksessa.

Migreenikohtausten akuuttihoito

Tutkimukset BHV3000-301, BHV3000-302 ja BHV3000-303 (posterit Lipton ym. 2018, Lipton ym. 2019, Croop ym. 2019, CHMP:n arviointilausunto 24.2.2022, EMA/CHMP/172260/2022)

Kolmessa faasin III satunnaistetussa, kaksoissokkoutetussa ja lumekontrolloidussa tutkimuksessa verrattiin rimegepantin tehoa ja turvallisuutta lumelääkitykseen migreenikohtausten akuuttihoitoon. Tutkimukset olivat rakenteeltaan keskenään samankaltaisia ja niihin otettiin vähintään 18-vuotiaita potilaita, joilla oli ICHD-3-luokituksen mukainen migreenidiagnoosi, vähintään vuoden ajan aurattomia tai aurallisia migreenikohtauksia, jotka olivat alkaneet ennen 50. ikävuotta ja ne kestivät keskimäärin 4-72 tuntia ilman lääkitystä. Kohtauksia ei saanut olla yli 8 kappaletta kuukaudessa ja päänsärkyoireita sai esiintyä alle 15 päivänä kuukaudessa. Tutkimukseen 301 osallistui 1084 potilasta (rimegepantti n=543, lume n=541), tutkimuksessa 302 potilaita oli 1072 (n=537 ja n=535) ja tutkimuksessa 303 potilaita oli 1351 (n=669 ja n=682). Migreenikohtausten lääkityksenä oli joko rimegepantti 75 mg x1/vrk (yhteensä n=1749) tai sitä vastaava lumelääkitys (n=1758) 45 vrk tutkimusjakson aikana tarvittaessa. Tutkimuksissa 301 ja 302 käytettiin tavallisia tabletteja ja tutkimuksessa 303 suussa hajoavia tabletteja. Ensisijaisanalyysiin otettiin ne potilaat, jotka käyttivät tutkimuslääkitystä keskivaikeaan/vaikeaan migreenipäänsärkyyn. Muun lääkityksen (NSAIDt, parasetamoli ja/tai pahoinvointilääke) käyttö oli sallittua kaksi tuntia tutkimuslääkityksen ottamisen jälkeen. Tehon rinnakkaisina ensisijaisina päätetapahtumina olivat kivuttomuus ja MBS-oireettomuus (Most Bothering Symptom) kahden tunnin kuluttua tutkimuslääkkeen ottamisesta. Kivuttomuus määriteltiin keskivaikean tai vaikean päänsärlyn täydelliseksi puuttumiseksi ja MBS-oireettomuus määriteltiin potilaan itse ilmoittaman MBS-oireen (valonarkuus, ääniarkuus tai pahoinvointi) puuttumiseksi. Toissijaisina päätetapahtumina olivat mm. kivun helpottuminen 2 h kuluttua tutkimuslääkityksestä, pitkäkestoinen kivun helpottuminen (2-24 h) ja pitkäkestoinen kivuttomuus (2-24 h, 2-48 h).

Potilaiden ikämediaani oli noin 40 vuotta (18-84 v.), 85-89 % oli naisia ja migreeni oli aurallinen noin 1/3:lla. Migreenin estolääkitystä käytti 14-17 %.

Tutkimuksessa 301 kivuttomuuden saavutti rimegepanttiryhmässä 19 % ja lumeryhmässä 14 % potilaista (p=0,03 vs. lume), ja tutkimuksessa 302 vastaavasti 20 % vs. 12 % (p=0,006) sekä 303 tutkimuksessa 21 % vs. 11 % (p<0,0001) kahden tunnin kuluttua tutkimuslääkkeen ottamisesta. MBS-oireettomuuden puoles-

taan tutkimuksessa 301 saavutti rimegepanttiryhmästä 37 % ja lumeryhmästä 28 % ($p=0,0016$ vs. lume), ja tutkimuksessa 302 vastaavasti 38 % vs. 25 % ($p<0,0001$) sekä 303 tutkimuksessa 35 % vs. 27 % ($p=0,0009$). Toissijaisista päätetapahtumista kivun lievittymisestä kahden tunnin kuluttua tutkimuslääkityksestä raportoi 301 tutkimuksessa 56 % rimegepanttiryhmästä ja 46 % lumelääkitysryhmästä ($p=0,0006$ vs. lume), ja tutkimuksessa 302 vastaavasti 58 % vs. 43 % ($p<0,0001$) sekä 303 tutkimuksessa 59 % vs. 43 % ($p<0,0001$). Pitkäkestoisen kivuttomuuden (2-48 h) saavutti tutkimuksessa 301 rimegepanttiryhmässä 12 % ja lumeryhmässä 7 % ($p=0,013$ vs. lume), ja tutkimuksessa 302 vastaavasti 10 % vs. 6 % ($p=0,018$) sekä 303 tutkimuksessa 14 % vs. 5 % ($p<0,0001$). Potilaista alle 1 % keskeytti tutkimuksen, eikä rimegepanttia tai lumelääkitystä käyttäneissä ryhmissä raportoitu haittatapahtumiin liittyneitä tutkimuslääkityksen lopettamisia.

Taulukko. Tutkimusten BHV3000-301, BHV3000-302 ja BHV3000-303 keskeisimmät tulokset (lähde: valmisteyhteenveto):

	Tutkimus 1		Tutkimus 2		Tutkimus 3	
	VYDURA 75 mg	Lumelääke	Rimegepantti 75 mg	Lumelääke	Rimegepantti 75 mg	Lumelääke
Kivuttomuus 2 tunnin kohdalla						
n/N*	142/669	74/682	105/537	64/535	104/543	77/541
Vasteen saavuttaneiden osuus (%)	21,2	10,9	19,6	12,0	19,2	14,2
Ero lumelääkkeeseen (%)	10,3		7,6		4,9	
p-arvo		< 0,0001 ^a		0,0006 ^a		0,0298 ^a
MBS-oireettomuus 2 tunnin kohdalla						
n/N*	235/669	183/682	202/537	135/535	199/543	150/541
Vasteen saavuttaneiden osuus (%)	35,1	26,8	37,6	25,2	36,6	27,7
Ero lumelääkkeeseen (%)	8,3		12,4		8,9	
p-arvo		0,0009 ^a		< 0,0001 ^a		0,0016 ^a
Kivun lievittyminen 2 tunnin kohdalla						
n/N*	397/669	295/682	312/537	229/535	304/543	247/541
Vasteen saavuttaneiden osuus (%)	59,3	43,3	58,1	42,8	56,0	45,7
Ero lumelääkkeeseen (%)	16,1		15,3		10,3	
p-arvo		< 0,0001 ^a		< 0,0001 ^a		0,0006 ^a
Kivuttomuuden jatkuminen 2 tunnin jälkeen 48 tuntiin asti						
n/N*	90/669	37/682	53/537	32/535	63/543	39/541
Vasteen saavuttaneiden osuus (%)	13,5	5,4	9,9	6,0	11,6	7,2
Ero lumelääkkeeseen (%)	8,0		3,9		4,4	
p-arvo		< 0,0001 ^a		0,0181 ^b		0,0130 ^b

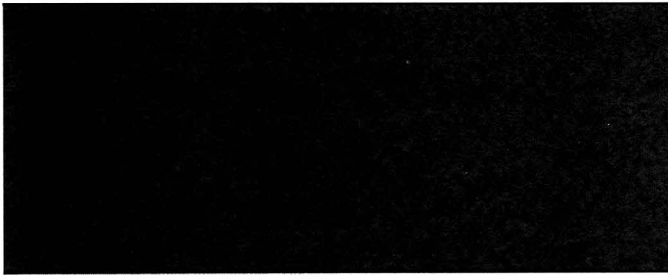
*n/N = vasteen saavuttaneiden lukumäärä / potilaiden lukumäärä kyseisessä hoitoryhmässä

^a Merkittävä p-arvo hierarkkisessa testauksessa

^b Nimellinen p-arvo hierarkkisessa testauksessa

MBS = kaikkein häiritsevin oire

Tutkimusten yhdistetyistä tuloksista ($n=3\,507$) on tehty myös erillinen post hoc-analyysi potilaiden aieman triptaaniin käytön perusteella [REDACTED] julkaisu Lipton ym. 2023). Potilaat jaettiin seuraaviin neljään ryhmään: 1) yksi aiempi triptaanihoito, jolle ei riittävä vastetta ja/tai siedettävyysoongelma, 2) vähintään kaksi aiempaa triptaanihoitoa, joille ei riittävä vastetta, 3) triptaania käyttävät potilaat ja 4) triptaani-naïvit potilaat. Tutkimusten yhdistetyssä aineistossa 1 235 tutkimuspotilasta (35 %) oli aiemmin käyttänyt vähintään yhtä triptaania (yhtä triptaania oli käyttänyt 910 eli 26 % ja vähintään kahta triptaania 9 % eli 325 potilasta, joista rimegepantille tutkimuksessa satunnaistettuja 148 potilasta). Aiempia triptaani-hoitolinjoja käyttämättömiä oli 2272 (65 %), ja heistä nykyisin triptaania käytti 595 (17 %) ja triptaani-naïveja oli 1677 (48 %). Potilasryhmästä, joka oli käyttänyt vähintään 2 aiempaa triptaanihoitoa, ei ole saatavilla tuloksia edelleen jaoteltuna aiempien triptaanihoitolinjojen määrän perusteella. Niistä potilaista, jotka eivät olleet saaneet riittävä vastetta yhdelle triptaanille, kivuttomuuden saavutti rimegepanttiryhmästä 21 % ja lumeryhmästä 12 % ($p<0,001$ vs. lume) sekä vastaavasti MBS-oireettomuuden 36 % vs. 24 % ($p<0,001$). Niistä potilaista, jotka eivät olleet aiemmin saaneet riittävä vastetta vähintään kahdelle triptaanille, kivuttomuuden saavutti rimegepanttiryhmästä 20 % ja lumeryhmästä 10 % ($p=0,013$ vs. lume) sekä vastaavasti MBS-oireettomuuden 43 % vs. 22 % ryhmien potilaista ($p<0,001$).



Migreenikohtaushoidossa rimegepantilla on tehty myös faasin II lumekontrolloitu annos-vastetutkimus, jossa tutkimuslääkityksen tehoarvio tehtiin 799 potilaalle (Marcus ym. 2014). Sumatriptaani oli tutkimuksessa aktiivikontrollina. Migreenikipu helpottui 31 %:lla annoksella 75 mg/vrk rimegepanttia käyttäneistä ($p=0,002$ vs. lume), 33 %:lla annoksella 150 mg/vrk käyttäneistä ($p<0,001$ vs. lume), 30 %:lla annoksella 300 mg/vrk käyttäneistä ($p=0,002$), 35 %:lla sumatriptaania 100 mg/vrk käyttäneistä ($p<0,001$ vs. lume) sekä 15 %:lla lumelääkitystä käyttäneistä. Vaikka tutkimusta ei oltu suunniteltu rimegepantin ja sumatriptaatin vertaamiseen, ei rimegepantti tutkimuksen perusteella vaikuta sumatriptaania teholtaan paremmalta.

Migreenin estohoito

Tutkimus BHV3000-305 (Croop ym. 2021, CHMP:n arviointilausunto)

Faasin II/III satunnaistetussa, kaksoissokkoutetussa ja lumekontrolloidussa tutkimuksessa verrattiin rimegepantin tehoa ja turvallisuutta lumelääkitykseen episodisen migreenin estohoidossa. Tutkimukseen otettiin vähintään 18-vuotiaita potilaita, joilla oli ICHD-3-luokituksen mukainen migreenidiagnoosi, vähintään vuoden ajan auraton tai aurallinen migreeni tai krooninen migreeni, joka oli alkanut ennen 50. ikävuotta. Potilailla tuli lisäksi olla vähintään neljä ja enintään 18 keskivaikeaa/vaikeaa migreenikohtausta kuukaudessa. Tutkimuslääkityksenä oli rimegepantti 75 mg ($n=348$) tai sitä vastaava lumelääkitys ($n=347$) joka toinen päivä enintään 12 viikon ajan. Kaksoissokkoutetun vaiheen jälkeen tutkimukseen kuului 52 viikon avoin jatkotutkimus, jonka aikana kaikki siihen osallistuneet käyttivät rimegepanttia 75 mg joka toinen päivä ($n=603$). Tavanomaisen lisälääkityksen, mukaan lukien triptaanit, käyttö migreenikohtaukseen oli potilaille sallittua kaksoissokkoutetun tutkimusjakson aikana, mutta avoimen jatkotutkimuksen aikana triptaanien käyttö oli kiellettyä. Tehon ensisijaisena päätetapahtumana tutkimuksessa oli kuukausittaisen migreenipäivien keskimääräinen muutos lähtötilanteesta viikoille 9-12. Toissijaisina päätetapahtumina olivat mm. niiden potilaiden osuus, joiden kuukausittaiset migreenipäivät vähenivät keskimäärin $\geq 50\%$, migreenipäivien määrän muutos kuukaudessa koko 12 viikon jaksolla sekä keskimääräinen lisälääkityspäivien määrä kaksoissokkoutetun tutkimusjakson viimeisen kuukauden aikana. Jatkotutkimuksessa arvioitiin ensisijaisesti rimegepantin pitkäaikaisturvallisuutta ja -siedettävyyttä.

Potilaiden ikämediaani oli 40 vuotta, 83 % oli naisia, migreeni oli aurallinen 60 %:lla, keskivaikeita/vaikeita migreenikohtauksia esiintyi keskimäärin 7,8 kohtausta/kk ja krooninen migreeni oli 23 %:lla.

Kuukausittaiset migreenipäivät vähenivät rimegepanttiryhmässä keskimäärin 4,3 vrk/kk ja lumelääkityksiryhmässä 3,5 vrk/kk eron ollessa tilastollisesti merkitsevä rimegepantin eduksi (ero -0,8 vrk/kk, 95% LV -1,5 - -0,2 vrk/kk, $p=0,01$). Keskivaikeat/vaikeat migreenipäivät vähenivät $\geq 50\%$ rimegepantilla 49 %:lla vs. lumella 42 %:lla (ero 7,6 %, 95% LV 0,2-14,9 %, $p=0,04$). Muista toissijaisista päätetapahtumista migreenipäivien määrä koko 12 viikon jaksolla väheni rimegepanttiryhmässä lumeeseen verrattuna tilastollisesti merkitsevästi ($p=0,002$), lisälääkityspäivien määrässä ei ollut eroa ryhmien välillä ($p=0,39$). Kaksoissokkoutetun tutkimusvaiheen keskeytti 15 % rimegepanttia ja 16 % lumelääkitystä käyttäneistä. Haittatapahtumien vuoksi keskeyttäneiden osuudet ryhmässä olivat 1,4 % ja 0,5 %. Avoimeen 52 viikon jatkotutkimukseen osallistui 87 % (603/695) alkuperäistutkimuksen potilaista. Jatkotutkimuksessa raportoitiin tutkimuslääkityksen aikaisia haittatapahtumia 15 %:lla potilaista (kongressiposteri Lipton ym. 2022b). Yleisimmät haitta-

tapahtumat olivat ylähengitystieinfektiot (15 %), nenänielun infektiot (7 %) ja selkäkipu (6 %). Kaksoissokkoutetun tutkimuksen lähtötilanteesta jatkotutkimuksen viikoille 49-52 migreenipäivien määrä väheni keskimäärin 6,9 vrk/kk ja ≥ 50 % vähenemän saavutti 81 % potilaista (abstrakti Ailani ym. 2022).

Tutkimuksen BHV3000-305 keskeisimmät tulokset (lähde: valmisteyhteenvedo):

	Rimegepantti 75 mg joka toinen pv	Lumelääke joka toinen pv
Kuukausittaiset migreenipäivät viikoilla 9 – 12	N = 348	N = 347
Muutos lähtötilanteesta	-4,3	-3,5
Muutos lumelääkkeeseen verrattuna	-0,8	
p-arvo	0,010 ^a	
Kuukausittaisten keskivaikeiden tai vaikeiden migreenipäivien vähentyminen ≥ 50 %:lla viikoilla 9 – 12	N = 348	N = 347
Vasteen saavuttaneiden osuus (%)	49,1	41,5
Ero lumelääkkeeseen (%)	7,6	
p-arvo	0,044 ^a	

^a Merkitsevä p-arvo hierarkkisessa testauksessa

Muut tutkimukset

Tutkimus BHV3000-201 (kongressiposteri Croop ym. 2020, Johnston ym. 2022, L'Italien ym. 2022, CHMP:n arviointilausunto)

Faasin II/III avoimessa tutkimuksessa arvioitiin rimegepantin pitkäaikaisturvallisuutta ja -siedettävyyttä migreenin kohtaushoidossa (n=1 800). Tutkista varten potilaat oli jaettu kolmeen kohorttiin kuukausittaisen migreenikohtausten määrän perusteella kuukaudessa: PRN 2-8 (PRN=treated as needed, n=1033), PRN 9-14 (n=481) ja EOD+PRN 4-14 (EOD= every other day, n=286). PRN-ryhmissä rimegepanttia käytettiin tarvittaessa 75 mg/vrk 52 viikon ajan ja EOD+PRN-ryhmässä estohoitoa joka toinen päivä sekä tarvittaessa välipäivinä akuuttien migreenikohtausten hoitoon. Tutkimuslääkityksen keskimääräinen kesto oli 36,1-42,1 viikkoa ja koko potilasjoukossa migreenikohtaukset vähenivät keskimäärin 5,1 %. Yleisimmät haittatapahtumat olivat ylähengitystieinfektiot, nenänielun infektiot ja sinuiitit (posterit Croop ym. 2020). Post hoc-analyysissä keskimääräiset kuukausittaiset migreenipäivät vähenivät 10,9:stä 8,9:ään ja kohtausten väheneminen paransi potilaiden elämänlaatua (L'Italien ym. 2022, Johnston ym. 2022).

CHMP:n arviointilausunto, 24.2.2022

Arviointilausunnossa huomioina kliinisestä tutkimusnäytöstä (s. 96) nousee esiin, että kolmessa kohtaushoitoa tarkastelleessa myyntilupatutkimuksessa lumekorjattua hoitovaikutusta pidetään vaatimattomana (4,9 %, 7,6 %, 10,4 %). Samoin estohoitoa tarkastelleessa tutkimuksessa 305 ero lumelääkseen migreenipäivissä oli rajallinen. Arviointilausunnossa todetaan myös, että vaatimaton hoitovaikutus ensisijaiseen päätetapahtumaan on linjassa ei-merkittäviin hoitovaikutuksiin relevantissa potilasalaryhmissä (esimerkiksi krooninen migreeni; henkilöt, joilla on alle 8 kohtausta/kk; yli 65-vuotiaat henkilöt; henkilöt, jotka jatkavat muita estohoitoja).

Turvallisuus ja haitat

Tutkimuksissa rimegepantin yleisin haittavaikutus migreenin kohtaushoidossa (1,2 %) ja estohoidossa (1,4 %) oli pahoinvointi. Lisäksi rimegepantin melko harvinaiseksi (1/1000-1/100) haittavaikutukseksi on arvioitu yliherkkyysoireet (ml. hengenahdistus, vaikea ihottuma).

CHMP:n arviointilausunnon (24.2.2022) mukaan saatavilla olevan tiedon perusteella suun kautta annetun CGRP-antagonisti rimegepantin turvallisuusprofiilia pidetään melko suotuisana. Pitkäaikaisessa tutkimuksessa 201 tutkimuslääkityksen aikaiset haittavaikutukset käsittivät pääasiassa epäspesifisiä haittavaikutuksia, kuten pahoinvointi (1,3 %), ummetus (1,1 %), ripuli (0,4 %), huimaus (1,5 %) ja uneliaisuus (1,1 %).

Vydura-valmisteelle haettuun korvattavuuden rajaukseen kuuluvat potilaat, joille triptaanit ovat vasta-aiheisia. Triptaani-valmisteiden keskeiset vasta-aiheet liittyvät triptaanien verisuonia supistavaan vaikutukseen ja edelleen sydän- ja verisuoniturvallisuuteen (triptaanien valmisteyhteenvedot, esimerkkeinä vasta-aiheista aiempi sydäninfarkti, todettu sepelvaltimotauti, keskivaikea tai vaikea kohonnut verenpaine, ohimenevä aivoverenkiertohäiriö eli TIA). Potilaat, joilla oli ei-kontrolloitu, epävakaata tai äskettäin diagnosoitu sydän- ja verisuonisairaus, suljettiin pois rimegepantin päämyyntilupatutkimuksista. Näyttöä potilailla, joille triptaanit ovat vasta-aiheisia on erittäin rajallisesti. Vyduran valmisteyhteenvedon mukaisena vasta-aiheena on ainoastaan yliherkkyys valmisteeseen vaikuttavalle aineelle tai apuaineille.

Hoitosuosituks

Migreenin Käypä hoito-suositus on julkaistu 4.9.2015. Sen mukaan suuri osa migreenikohtauksista on hoidettavissa tavallisella kipulääkkeellä tai kipu- ja pahoinvointilääkkeen (erityisesti metoklopramidi) yhdistelmällä. On suositeltavaa ottaa riittävän iso lääkeannos heti ensioireiden ilmaantuessa. Lähes kaikkia myynnissä olevia kipulääkkeitä on käytetty ja käytetään edelleen migreenikohtausten hoitoon, vaikka tutkimusnäyttö niistä on niukkaa. Lievien migreenikohtauksien hoidoksi ehdotetaan ensimmäisiin kohtauksiin tavallista kipulääkettä (asetyylisalisyylihappoa tai parasetamolia), vaihtoehtoisesti voidaan käyttää esimerkiksi diklofenaakkia, ibuprofeenia, ketoprofeenia, naprokseenia tai tolfenaamihappoa. Huumaavia kipulääkkeitä ei pidä käyttää migreenikohtausten hoitoon. Jos kipulääkkeet osoittautuvat tehottomiksi, triptaanit ovat seuraava vaihtoehto. Vaikean tai invalidisoivan migreenikohtauksen ensisijaishoidoksi ehdotetaan triptaaneja. Kaikki triptaanit ovat serotoniinin 5-HT_{1B/1D}-reseptorin agonisteja ja supistavat migreenikohtauksessa laajentuneita aivoverisuonia. Hoitovaste migreenikohtauksessa (kovan tai kohtalaisen päänsäryn muuttuminen lieväksi tai häviäminen kokonaan 2 tunnissa lääkkeen otosta), kun triptaaneja otetaan suun kautta, on 60-77 % (lumelääkkeellä 22-40 %). Migreeni uusiutuu triptaaneittain 14-40 %:lla ensimmäisen annoksen jälkeen. Tämä uusiutumiskorrello triptaanin puoliintumisaikaan. Tulehduskipulääkkeen yhdistäminen triptaaniin parantaa tehoa verrattuna vain jommankumman niistä käyttämiseen. Triptaaneja ei voi migreenin hoidossa asettaa paremmuusjärjestykseen. Ellei jokin triptaani sovi potilaalle, kannattaa kokeilla toista. Triptaanien jatkuva, lähes päivittäinen (10-18 pv/kk:ssa) käyttö aiheuttaa lääkepäänsäryn kaltaisen triptanisman. Lääkeriippuvuuden kehittymisen estämiseksi triptaanien päivittäinen käyttö on pyrittävä lopettamaan. Tehottomasti hoidettuihin ja pitkittyneisiin migreenikohtauksiin oletetaan liittyvän sentraalisen kipuradaston hermistymisen riski. Jos kipuhemoradat hermistyvät, triptaanit menettävät ainakin osan tehostaan.

Migreenin estohoito voidaan aloittaa, jos potilaalla esiintyy muutamia kohtauksia kuukaudessa, mutta se ei ole tarpeen tiheidenkään kohtausten vuoksi, jos potilas on tyytyväinen kohtauslääkitykseen. Migreenin estohoito voidaan toteuttaa lääkkeettömänä (laukaisevien tekijöiden välttäminen, psykologiset/psykobiologiset hoidot, fysikaaliset hoidot), lääkkeellisenä tai näiden yhdistelmänä. Hoitomuoto valitaan yhdessä potilaan kanssa huolellisten perusselvittelyjen jälkeen niin, että huomioidaan potilaan yksilölliset oireet, muut sairaudet ja mahdolliset oireita laukaisevat tekijät.

Migreenin ehkäisevän lääkehoidon mahdolliset aiheet ovat seuraavat:

- Migreenikohtauksia esiintyy kuukaudessa vähintään 2 tai 3, ja särkypäiviä on kuukaudessa vähintään 5.
- Migreenikohtaukset hankaloittavat jokapäiväistä elämää.
- Migreenikohtaukset ovat vaikeita, ja potilaan on vaikea tottua niihin.
- Migreenikohtausten akuuttihoito on hankalaa tehon vähäisyyden tai haittavaikutuksien takia.
- Hoidon tehon seuraamiseksi on suotavaa pitää jonkinlaista päänsärkypäiväkirjaa, mieluiten jo kuukauden verran ennen hoidon aloitusta. Hyvänä hoitovasteena voidaan pitää sitä, että kohtausten esiintyvyyttä tai voimakkuus pienenee 50%.

Estolääkitys annetaan riittävän pitkäksi aikaa, vähintään 2–3 kk:ksi, jotta sen teho nähtäisiin. Hoidon aloituksen jälkeen potilaita seurataan 2–3 kk:n välein. Hoidon pituus pitää arvioida yksilöllisesti. Onnistuneenkin hoidon aikana arvioidaan hoidon tarve 6–12 kk:n välein.

Migreenin estohoitolääkkeet ja aikuisten annokset (Käypä hoito-suositus 4.9.2015):

TÄULUKKO 4. Migreenin estohoitolääkkeet ja aikuisten annokset.		
	Annos (mg/vrk)	Teho
Reniini-angiotensiini-järjestelmään vaikuttavat lääkkeet		
Kandesartaani	8–32	++
Lisinopriili	5–20	+
Beetasalpaajat		
Propranololi	40–240	++
Metoprololi	47,5–190	++
Atenololi	50–150	++
Bisoprololi	5–10	++
Kalsiumsalpaajat		
Verapamiili	16–320	+/-
Trisykliset masennuslääkkeet		
Amtriptyliini	10–50	++
Nortriptyliini	10–50	+
Muut masennuslääkkeet		
Venlafaksiini	37,5–150	+
Neuromodulaattorit		
Natriumvalproaatti	500–1500	++
Topiramaatti	50–200	++
Botuliinitoksiini		
Episodinen migreeni	50–200	Tehoton
Krooninen migreeni	155–195 yksikköä	++

Rimegepantille ja CGRP-vasta-aineille on myönnetty myyntilupa suosituksen julkaisun jälkeen, joten niitä ei ole mainittu suosituksessa. Käypä hoito-suositusta tuoreempia hoitosuosituksia ovat hakemuksen liitteinä olevat European Headache Foundationin ja European Academy of Neurologyn (EHF/EAN, Eigenbrodt ym. 2021) sekä American Headache Societyn (AHS, Ailani ym. 2021) konsensuslausunnnot migreenin hoidosta.

Eurooppalaisessa EHF/EAN-konsensuslausunnossa ditaanien (lasmiditaani) ja gepanttien (ubrogepantti ja rimegepantti) käyttöä suositellaan harkitsemaan akuutin migreenin hoidossa kolmannessa hoitolinjassa, mikäli millään käytettävissä olevista triptaaneista ei ole saavutettu riittävää hoitovastetta. Ensilinjan hoitona suosituksessa mainitaan NSAID-lääkkeet (ASA, ibuprofeeni tai diklofenaakki) ja toisen linjan hoitona triptaanit sekä suositellaan harkitsemaan nopeavaikutteisten NSAID-lääkkeiden yhdistämistä triptaaneihin, mikäli potilaalla esiintyy oireiden uusiutuminen 48 tunnin sisällä. Jos suun kautta otettavat triptaanit eivät ole tuottanut vastetta, päänsärky kehitty nopeasti voimakkaaksi tai niitä ei voida käyttää pahoinvoinnin takia, ihonalainen sumatriptaani saattaa olla hyödyllinen. Migreenin estohoidossa ensilinjan lääkehoito-vaihtoina mainitaan beetasalpaajat, joilla ei ole ISA-vaiikutusta (atenololi, bisoprololi, metoprololi tai propranololi), topiramaatti ja kandesartaani. Toisen linjan lääkehoitovaihtoehtoina ovat flunaritsiini, amitriptyliini ja natriumvalproaatti sekä kolmannen linjan vaihtoehtoina neljä monoklonaalista CGRP-vasta-ainetta (erenumabi, fremanetsumabi, galkanetsumabi ja eptinetsumabi). Rimegepanttia ei ole asemoitu migreenin estohoidossa. Amerikkalaisessa suosituksessa gepanttien (ubrogepantti ja rimegepantti) tai ditaanien (lasmiditaani) käyttöä akuutin migreenin lääkehoitona suositellaan, mikäli i) triptaanien käyttö on vasta-aiheista tai ne eivät ole siedettyjä tai ii) vaste kahdelle tai useammalle suun kautta otetulle triptaanille ei ole ollut riittävä. Suosituksessa mainitaan, että rimegepantilla on osoitettu olevan tehoa migreenin estohoidossa, mutta sitä ei ole erikseen mainittu estohoitolääkkeiden yhteydessä.

European Headache Federation (EHF, Sacco ym. 2022) on triptaani-hoidon epäonnistumisen kolmitasoisesti: 1) puutteellinen vaste yhdelle triptaanille (triptan non-responder) 2) puutteellinen vaste kahdelle triptaanille (triptan-resistant), ja 3) puutteellinen vaste ≥ 3 :lle triptaanille, joista yksi on ihon alle annosteltava valmiste (triptan-refractory).

[REDACTED]

Vertailuhoidot, hoitokustannukset ja korvattavuuden rajoittaminen

Vydura 75 mg 2 tbl –valmistetta käytettäessä yhden lääkeannoksen arvonlisäverollinen vähittäismyyntihinta potilaalle on peruskorvattuna 18,40 euroa. Lääkkeiden vuosiomavastuu vuonna 2023 on 592,16 euroa. Näin ollen tarvittaessa käytettäessä potilaan vuosittainen omavastuu ylittyy käytettäessä yli 32 annosta. Estohoidossa kustannus (vmh+alv) suositusannoksella 75 mg vuorokaudessa joka toinen päivä olisi potilaalle 2 944 euroa. Potilaan vuosiomavastuu ylittyy estohoidossa. Kyseessä on erityisen kallis lääkevalmiste. Vydura-hoidosta voisi laajassa käytössä aiheutua kohtuuttomia kustannuksia saavutettavaan hyötyyn nähden.

Ihon alle pistettävät, migreenin estohoidossa käytettävät CGRP-vasta-ainelääkevalmisteet ovat rajoitetusti peruskorvattavia. Korvattavuuden rajaukset on esitetty esitysmuistiossa kohdassa: Valmisteen vertailu muihin saman sairauden hoitoon käytettäviin hoitoihin.

Yhteenveto

Rimegepanttia sisältävälle Vydura-valmisteelle haetaan rajoitettua peruskorvattavuutta i) aikuisten aurallisen tai aurattoman migreenin akuuttiin hoitoon potilaille, joilla on kokeiltu vähintään kahta tripta anivalmistetta, eikä niistä ole saatu riittävää vastetta tai ne eivät ole siedettyjä, tai potilaille, joille triptaanit ovat vasta-aiheisia sekä ii) episodisen migreenin ennaltaehkäisevään hoitoon aikuisille, joilla esiintyy keskimäärin vähintään 8 migreenipäivää kuukaudessa, ja on kokeiltu vähintään kahta migreenin estohoitolääkettä, eikä niillä ole saatu aikaan riittävää vastetta, ne ovat vasta-aiheisia tai ne eivät ole siedettyjä.

Rimegepantti-hoidon kustannukset ovat niin korkeat, että potilaan vuotuinen omavastuu täyttyisi jatkuvassa käytössä. Vydura-valmisteella on osoitettu olevan hoidollista arvoa migreenin kohtaushoidossa sekä episodisen migreenin estohoidossa. Valmisteen rajoitettu peruskorvattavuus haetussa laajuudessa on perusteltua.

Kohtuullinen tukkuhinta

SVL:n 6 luvun 4 §:n 2 momentin mukaan tukkuhinnan vahvistamista koskevassa hakemuksessa hakijan on esitettävä yksilöity ja perusteltu ehdotus valmisteelle vahvistettavasta kohtuullisesta tukkuhinnasta.

SVL:n 6 luvun 7 §:n 1 momentin mukaan lääkkeiden hintalautakunnan on lääkevalmisteen korvausperusteeksi hyväksyttävän tukkuhinnan kohtuullisuutta arvioidessaan otettava huomioon seuraavat seikat: 1) saman sairauden hoidossa käytettävien vastaavien lääkevalmisteiden hinnat Suomessa; 2) lääkevalmisteen hinnat muissa Euroopan talousalueen maissa; 3) lääkevalmisteen käytöstä aiheutuvat hoitokustannukset ja käytöllä saavutettavat hyödyt potilaan sekä terveyden- ja sosiaalihuollon kokonaiskustannusten kannalta; 4) käytettävissä olevista muista hoitovaihtoehdoista aiheutuvat hyödyt ja kustannukset; 5) korvauksiin käytettävissä olevat varat.

SVL:n 6 luvun 7 §:n 4 momentin mukaan 7 §:n 1 momentin 1 kohdassa tarkoitetussa arvioinnissa ei oteta huomioon sellaisten lääkevalmisteiden hintoja, joille on hyväksytty ehdollinen korvattavuus SVL:n 6 luvun 6 a §:n perusteella.

Lääkevalmisteen valmistus-, tutkimus- ja tuotekehityskustannukset voidaan SVL:n 6 luvun 7 §:n 2 momentin mukaan ottaa huomioon lääkevalmisteelle ehdotetun tukkuhinnan kohtuullisuutta arvioitaessa, jos kustannuksista on esitetty riittävän yksilöityjä, vertailukelpoisia ja luotettavia lääkevalmistekohtaisia tietoja.

Valmisteen ja vertailuhoitojen käytöstä aiheutuvat kustannukset ja hyödyt potilaan sekä terveyden- ja sosiaalihuollon kokonaiskustannusten kannalta

Hakijan arvio valmisteen myynnistä ja käyttäjien määrästä

Hakijan ilmoittama myyntiarvio tukkuhinnoin (21.8.2023), €:

Vahvuus, lääkemuoto, pakkauskoko	2022	2023	2024	2025
■■■■■	●	■■■■■	■■■■■	■■■■■
■■■■■	●	■■■■■	■■■■■	■■■■■
■■■■■	●	■■■■■	■■■■■	■■■■■
Yhteensä	●	■■■■■	■■■■■	■■■■■ ⁴

Hakijan ilmoittama myyntiarvio arvonlisäverollisin vähittäismyyntihinnoin (21.8.2023), €:

Vahvuus, lääkemuoto, pakkauskoko	2022	2023	2024	2025
■■■■■	●	■■■■■	■■■■■	■■■■■
■■■■■	●	■■■■■	■■■■■	■■■■■
■■■■■	●	■■■■■	■■■■■	■■■■■
Yhteensä	●	■■■■■	■■■■■	■■■■■

[REDACTED]

Hakija on [REDACTED]

Kelan tilastotiedot

Kelan tilastotietojen mukaan migreenin kohtaushoitoon käytettävistä triptaaneista ja esitoitoon käytettävistä CGRP-antagonisteista maksettiin korvauksia vuonna 2021 seuraavasti:

	Saajat	Kustannukset (€)	Korvaukset yhteensä (€)	Kustannukset/ saaja (€)	Korvaukset/ saaja (€)
<i>Migreenilääkkeet yhteensä</i>	95 089	38 233 207	29 604 150	402	311
Erenumabi	2 755	13 250 776	12 000 337	4810	4356
Fremanetsumabi	2 180	9 523 003	8 799 908	4368	4037
Galkanetsumabi	829	3 349 815	3 151 479	4041	3802
Almotriptaan	6 328	811 587	374 882	128	59
Sumatriptaan	55 841	7 021 767	3 344 999	126	60
Tsolmitriptaan	9 958	1 188 584	560 388	119	56
Ritsatriptaan	11 291	1 228 239	561 699	109	50
Frovatriptaan	10 221	1 001 722	440 344	98	43
Naratriptaan	1 642	135 868	57 294	83	35
Eletriptaan	9 565	721 845	312 819	75	33

Eptinetsumabiasisältävä Vyepti-valmiste on ollut korvattava vasta 1.2.2023 alkaen.

Keskimääräinen vuorokausiannos ja hoitokustannus

Hakija viittaa valmisteyhteenvedoon, jonka mukainen valmisteen suositeltu annos migreenin akuuttihoidossa on 75 mg kerran päivässä tarpeen mukaan. Migreenin ennaltaehkäisyssä valmisteen suositeltu annos on 75 mg joka toinen päivä. Valmisteen enimmäisannos vuorokautta kohden on 75 mg rimegepanttia.

Hakijan esittämä hoitokustannus tukkuhinnoin (Th) ja arvonlisäverollisin vähittäismyyntihinnoin (Vmh+alv),

	Vrk-annos	THsALV	THsALV €/tbl	VMHcALV	VMHcALV €/tbl
Vydura 75 mg 2 tbl	75 mg x 1	37,80	18,90	57,15	28,57
Vydura 75 mg 8 tbl	75 mg x 1	151,20	18,90	208,46	26,06
Vydura 75 mg 16 tbl	75 mg x 1	302,40	18,90	399,73	24,98

Valmisteen vertailu muihin saman sairauden hoitoon käytettäviin hoitoihin

Migreenin akuutti kohtaushoito

Lääkärin käsikirjan (migreeni, Marja-Liisa Sumelahti, 28.2.2022) mukaan lievän migreenikohtauksen hoidoksi sopivat parasetamoli tai tulehduskipulääkkeet. Vaikeissa kohtauksissa triptaani on ensisijaislääke (tabletti-

ti, nenäsuihke tai ihonalainen pistos). Ihon alle pistettävä triptaani imeytyy nopeasti ja tehoaa voimakkaasakin kivussa. Tablettien vaikutus alkaa yleensä tunnin kuluessa. Pitkittyvissä kohtauksissa lääkeannos joudutaan uusimaan. Triptaaneja voi käyttää 2 annosta/vrk. Pahoinvointilääke metoklopramidin yhdistäminen migreenin kohtauslääkkeisiin parantaa niiden kaikkien imeytymistä. Kannattaa kokeilla ainakin kolmea eri triptaania, ennen kuin voidaan sanoa, että triptaanit eivät auta. Triptaanien käytön vasta-aiheita ovat iskeeminen sydänsairaus, Prinzmetalin angiina, TIA, aivoinfarkti, SAV, hoitamaton tai muuten korkea verenpaine ja vaikea munuaisten vajaatoiminta. Muuna lääkehoitovaihtoehtona mainitaan diatsepaami.

Hakijan mukaan

Alla olevassa taulukossa on esitetty lääkkeiden hintalautakunnan laskemia hoitokustannuksia migreenin kohtaushoidossa käytettäville lääkkeille. Vertailussa on käytetty valmisteyhteenvedon mukaisia annoksia, hakemusvalmisteele ehdotettua tukkuhintaa ja vertailuvalmisteille voimassa olevia vahvistettuja tukkuhintoja/enimmäistukkuhintoja ja edullisinta rinnakkaisvalmistetta:

Lääkeaine	Valmiste	Th, €	annostelu	Th, €/vrk min	max
rimegepantti	Vydura 75 mg, tabl., kylmäkuivattu, 2	37,80	75 mg/vrk	18,90	
	Vydura 75 mg, tabl., kylmäkuivattu, 8	151,20	75 mg/vrk	18,90	
	Vydura 75 mg, tabl., kylmäkuivattu, 16	302,40	75 mg/vrk	18,90	
almotriptaani	Almogran 12,5 mg, tabl. kalvopääll., 12	26,90	12,5 mg (-25 mg)	2,24	4,48
eletriptaani	useita valmisteita, 40 mg, tabl. kalvopääll., 18	40,30	40 mg (-80 mg)	2,24	4,48
frovatriptaani	useita valmisteita, 2,5 mg, tabl. kalvopääll., 6	12,07	2,5 mg (-5 mg)	2,01	4,02
naratriptaani	useita valmisteita, 2,5 mg, tabl. kalvopääll., 6	9,52	2,5 mg (-5 mg)	1,59	3,17
ritsatriptaani	Maxalt Rabitab tabl. kylmäkuivattu, 10 mg, 18	42,96	10 mg (-20 mg)	2,39	4,77
sumatriptaani	useita valmisteita, 50 mg, tabl. kalvopääll., 12	32,70	50 mg (-300 mg)	2,73	(16,35)
	useita valmisteita, 100 mg, tabl. kalvopääll., 18	56,38	50 mg (-300 mg)	3,13	9,40
	Imigran 10 mg, nenäsumute, 6	19,38	10 mg (-40 mg)	3,23	12,92
	Imigran 20 mg, nenäsumute, 6	32,29	20 mg (-40 mg)	5,38	10,76
	Imigran 12 mg/ml, injektioneste, 2 x 0,5 ml	30,79	6 mg (-12 mg)	15,40	30,79*
tsolmitriptaani	Zomig Nasal 5 mg/annos, nenäsumute, 2	16,12	5 mg (-10 mg)	8,06	16,12
	useita valmisteita, 2,5 mg, tabl., 6	15,91	2,5 mg (-10 mg)	2,65	10,61
sumatriptaani + naprokseeni	Nomigrin 85 mg/500 mg, tabl., kalvopääll., 9	25,70	1(-2) tabl.	2,86	5,71

*Injektionesteen valmisteyhteenvedon mukainen suositeltu annos aikuisille on 6 mg ihonalaisena injektiona. Jos potilas ei saa helpotusta ensimmäisestä Imigran-annoksesta, ei samaan kohtaukseen pidä ottaa toista annosta. Jos ensimmäinen annos on vienyt oireet, mutta ne uusiutuvat voidaan antaa toinen 6 mg:n ihonalainen annos seuraavan 24 tunnin aikana edellyttäen, että vähintään yksi tunti on kulunut ensimmäisestä annoksesta. Suurin vuorokausiannos on 12 mg.

Kohtaushoidossa hakemusvalmisteelle haetaan korvattavuutta potilaille, joilla on kokeiltu vähintään kahta triptaani-valmistetta, eikä niistä ole saatu riittävää vastetta tai ne eivät ole siedettyjä tai ovat vasta-aiheisia. Markkinoilla on useita eri triptaani-valmisteita (yht. 7 triptaania), joiden välillä on eroja niin tehossa kuin siedettävyydessä sekä lääkeaineiden välillä kuin potilaskohtaisestikin (Vyduran myyntiluvan arviointilausunto s. 119). Triptaaneja on markkinoilla tabletteina, nenäsumutteina sekä ihon alle pistettävänä lääkemuo-tona. Potilaan kokemukseen riittämättömästä vasteesta voi migreenin hoidossa liittyä myös esimerkiksi vaikutuksen alkaminen, kuten Lipton ym. 2023 *"took too long to relieve headache pain"*. Tähän vaikuttaa lääkeaineen lisäksi lääkemuo-to.

Triptaaneista korkein hoitokustannus on sumatriptaania sisältävällä Imigran-injektionesteellä. Kyseinen lääke nousee eurooppalaisessa EHF/EAN-suosituksessa mahdolliseksi hoitovaihtoehdoksi, jos suun kautta otettavat triptaanit eivät ole tuottanut vastetta, päänsärky kehittyy nopeasti voimakkaaksi tai niitä ei voida käyttää pahoinvoinnin takia. Julkaisussa Ashina ym. 2021 esitettyssä vertailussa sumatriptaani-injektioneste oli triptaani-hoitovaihtoehtoehtoista tehokkain, ja rimegepanttia parempi. Imigran-injektionesteen suurin vuorokausikohtainen kustannus (30,79€) muodostuu tilanteessa, jossa ensimmäinen annos on vienyt oi-reet, mutta oireet uusiutuvat 24 tunnin sisällä, jolloin voidaan antaa toinen 6 mg:n annos.

Vydura-valmisteesta ei ole käytettävissä suoraa vertailevaa tutkimustietoa triptaaneihin. Saatavilla olevan tiedon perusteella rimegepantti vaikuttaa teholtaan markkinoilla olevia triptaaneja heikommalta. Meta-analyysin Yang ym. 2021 mukaan kivuttomuus tai kivun lieventyminen 2 h lääkkeen otosta saavutetaan useimmilla triptaaneilla todennäköisemmin kuin rimegepantilla. Sumatriptaanin ihonalaisesti annosteltava lääkemuo-to ei sisältynyt analyysiin. [REDACTED]

[REDACTED] Yang ym. 2021 –julkaisussa rimegepantin eduksi triptaanei-hin verraten arvioidaan sydän- ja verisuonihaittavaikutusprofiili. Käytettävissä oleva näyttö huomioiden tähän etuun liittyy kuitenkin toistaiseksi epävarmuutta, ja julkaisussa de Boer ym. (2023) huomautetustikin, pitkäaikaisnäyttöä kardiovaskulaariturvallisuudesta vielä kaivataan tämä osoittamaan.

Hoitokustannus hakemusvalmisteella on triptaaneja korkeampi. Toisin kuin rimegepantilla, triptaaniannos voidaan tarvittaessa toistaa saman vuorokauden sisällä, mikä tällöin kaksinkertaistaa triptaanin hoitovuorokauden kustannuksen. Triptaanien kahden vuorokausiannoksen kustannusta tarkasteltaessa, hake-mus-valmiste on edelleen triptaaneja pääosin hoitokustannuksiltaan korkeampi, lukuun ottamatta sumatriptaanin ihon alle annosteltavan lääkemudon korkeimman vuorokausiannoksen kustannusta. Hoitokustannus-vertailua tarkasteltaessa on lisäksi huomioitava rimegepantille haettu korvattavuuden raja-us.

Migreenin estohoito

Lääkärin käsikirjassa (Sumelahti, 28.2.2022) estolääke suositellaan aloitettavaksi, jos kohtaustaajuus tai -voimakkuus häiritsee toimintoja. Jos migreenikohtauksia on 4 tai enemmän kuukaudessa, voidaan harkita estolääkehoitoa. Mahdollisista estolääkkeistä mainitaan beetasalpaajat (propranololi, metoprololi), kandesartaani, amitriptyliini, nortriptyliini, topiramaatti, valproiinihappo, erenumabi, fremanetsumabi ja galkanetsumabi. Botuliinitoksiini on osoitettu tehokkaaksi vain kroonisen migreenin estohoidossa. Ei-lääkkeellisinä estohoidon muotoina mainitaan liikunta, fysioterapia, akupunktio ja rentoutusharjoitteet. Ensimmäisessä vaiheessa suositellaan kokeiltavaksi tablettilääkitystä. Hoitojakson kesto on pääsääntöisesti 3–6 kk, minkä jälkeen arvioidaan jatkolääkinnän tarve. Tablettimuotoisten estolääkkeiden teho tuo parhaimmillaan 30–50 %:n helpotuksen kohtausten taajuuteen ja kivun voimakkuuteen. Estolääkehoitoa jatke-taan tilanteen mukaan. Usein riittää muutama kuukausi, joskus tarvitaan vuosien hoitoa. Joskus joudutaan yhdistämään eri estolääkkeitä, jotta saadaan toivottu vaikutus. Estolääkehoidossa olevien tilannetta on seurattava säännöllisesti kliinisesti ja päänsärkypäiväkirjan avulla.

Migreenin estohoidossa hakija katsoo [REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Migreenin hoidossa rajoitetusti korvattavien lääkevalmisteiden korvattavuuden rajaukset:

Vydura – Haettu rajaus:	• aikuisten aurallisen tai aurattoman migreenin akuuttiin hoitoon - o potilaille, joilla on kokeiltu vähintään kahta triptaanivalmistetta, eikä niistä ole saatu riittävää vastetta tai ne eivät ole siedettyjä, tai - o potilaille, joille triptaanit ovat vasta-aiheisia. • episodisen migreenin ennaltaehkäisevään hoitoon aikuisille, joilla esiintyy keskimäärin vähintään 8 migreenipäivää kuukaudessa, ja on kokeiltu vähintään kahta migreenin estohoitolääkettä, eikä niillä ole saatu aikaan riittävää vastetta, ne ovat vasta-aiheisia tai ne eivät ole siedettyjä. - o Hoidon teho arvioidaan ensimmäisen kerran 12 viikon hoitokokeilun jälkeen ja uudelleen aina vähintään kerran vuodessa hoidon aloittamisen jälkeen, jolloin arvioidaan myös tarve jatkohoidolle. Hoidon jatkamisen kannalta riittävänä hoitovasteena voidaan pitää sitä, että potilaan migreenipäivien esiintyminen kuukaudessa vähenee vähintään 50 % lähtötilanteeseen verrattuna.
Vyepti	Migreenin estohoitoon aikuispotilaille, joilla esiintyy vähintään 8 migreenipäivää kuukaudessa ja joille on kokeiltu migreenin estohoitoon tarkoitettuja lääkevalmisteita vähintään kahta, eivätkä nämä saa aikaan riittävää vastetta, ovat vasta-aiheisia tai eivät ole siedettyjä. Hoidon teho arvioidaan ensimmäisen kerran 12 viikon hoitokokeilun jälkeen tai hoitokokeilun kestänyt 16 viikkoa, jos annosta on nostettu viikolla 12, ja uudelleen aina vähintään kerran vuodessa hoidon aloittamisen jälkeen, jolloin arvioidaan myös tarve jatkohoidolle. Hoidon jatkamisen kannalta riittävänä hoitovasteena voidaan pitää sitä, että potilaan migreenipäivien esiintyminen kuukaudessa vähenee vähintään 50 % lähtötilanteeseen verrattuna.
Aimovig	Migreenin estohoitoon aikuispotilaille, joilla esiintyy vähintään 8 migreenipäivää kuukaudessa ja joille on kokeiltu migreenin estohoitoon vähintään kahta muuta lääkevalmistetta, eivätkä nämä saa aikaan riittävää vastetta, ovat vasta-aiheisia tai eivät ole siedettyjä. Hoidon teho arvioidaan ensimmäisen kerran 12 viikon hoitokokeilun jälkeen ja uudelleen aina vähintään kerran vuodessa hoidon aloittamisen jälkeen, jolloin arvioidaan myös tarve jatkohoidolle. Hoidon jatkamisen kannalta riittävänä hoitovasteena voidaan pitää sitä, että potilaan migreenipäivien esiintyminen kuukaudessa vähenee vähintään 50 % lähtötilanteeseen verrattuna.
Emgality	Migreenin estohoitoon aikuispotilailla, joilla esiintyy vähintään 8 migreenipäivää kuukaudessa ja joille on kokeiltu migreenin estohoitoon vähintään kahta muuta lääkevalmistetta, eivätkä nämä saa aikaan riittävää vastetta, ovat vasta-aiheisia tai eivät ole siedettyjä. Hoidon teho arvioidaan ensimmäisen kerran 12 viikon hoitokokeilun jälkeen ja uudelleen aina vähintään kerran vuodessa hoidon aloittamisen jälkeen, jolloin arvioidaan myös tarve jatkohoidolle. Hoidon jatkamisen kannalta riittävänä hoitovasteena voidaan pitää sitä, että potilaan migreenipäivien esiintyminen kuukaudessa vähenee vähintään 50 % lähtötilanteeseen verrattuna.
Ajovy	Migreenin estohoitoon aikuispotilaille, joilla esiintyy vähintään 8 migreenipäivää kuukaudessa ja joille on kokeiltu migreenin estohoitoon vähintään kahta muuta lääkevalmistetta, eivätkä nämä saa aikaan riittävää vastetta, ovat vasta-aiheisia tai eivät ole siedettyjä. Hoidon teho arvioidaan ensimmäisen kerran 12 viikon hoitokokeilun jälkeen ja uudelleen aina vähintään kerran vuodessa hoidon aloittamisen jälkeen, jolloin arvioidaan myös tarve jatkohoidolle. Hoidon jatkamisen kannalta riittävänä hoitovasteena voidaan pitää sitä, että potilaan migreenipäivien esiintyminen kuukaudessa vähenee vähintään 50 % lähtötilanteeseen verrattuna.
Botox	oireiden vähentäminen kroonisen migreenin kriteerit (päänsärkyä ≥ 15 päivänä kuukaudesta, joista vähintään 8 päivänä migreeni) täyttävillä aikuispotilailla, joiden vaste migreenin estolääkitykseen ei ole ollut riittävä tai joille estolääkitys ei ole sopinut.

Alla olevassa taulukossa on esitetty lääkkeiden hintalautakunnan laskemia hoitokustannuksia migreenin estohoidossa käytettäville lääkkeille. Taulukossa on käytetty valmisteyhteenvedon mukaisia annoksia, hakemusvalmisteele ehdotettua tukkuhintaa ja vertailuvalmisteille voimassa olevia vahvistettuja tukkuhintoja/enimmäistukkuhintoja ja edullisinta rinnakkaisvalmistetta:

Lääkeaine	Valmiste	Th, €	annostelu	Th, €/vuosi
rimegepantti	Vydura 75 mg, tabl., kylmä-kuivattu, 2	37,80	75 mg joka toinen päivä (max 75 mg/vrk)#	3 449
	Vydura 75 mg, tabl., kylmä-kuivattu, 8	151,20	75 mg joka toinen päivä (max 75 mg/vrk)#	3 449
	Vydura 75 mg, tabl., kylmä-kuivattu, 16	302,40	75 mg joka toinen päivä (max 75 mg/vrk)#	3 449
eptinetsumabi	Vyepti 100 mg infuusiokon-sentraatti, liuosta varten, 1 injektioplo*	971,60	100 mg/12 vko	4 210
			300 mg/12 vko	12 631
erenumabi	Aimovig 70 mg inj. neste, liuos, 1 esitäyt. kynä*	338,50	70 mg (2 x 70 mg)/4 vko	4 401 (-8 801)
	Aimovig 140 mg inj. neste, liuos, 1 esitäyt. kynä*	338,50	140 mg/4 vko	4 401
galkanetsumabi	Emgality 120 mg inj. neste, liuos, 1 esitäyt. kynä*	369,00	240 mg/kk (aloitusannos)	4 797 (1.vuosi)
			120 mg/kk (ylläpitoannos)	4 428
fremanetsumabi	Ajovy 225 mg inj. neste, liuos, 1 esitäyt. kynä*	367,75	225 mg/kk tai 675 mg/3 kk	4 413
	Ajovy 225 mg inj. neste, liuos, 1 esitäyt. ruisku*	367,75	225 mg/kk tai 675 mg/3 kk	4 413
	Ajovy 225 mg inj. neste, liuos, 1 esitäyt. ruisku*	367,75	225 mg/kk tai 675 mg/3 kk	4 413
botuliinitoksiini tyyppi A**	Botox 100 U inj. kuiva-aine, liuosta varten**	183,47	155–195 yksikköä/12 vko	1 590**
	Botox 200 U inj. kuiva-aine, liuosta varten**	330,24	155–195 yksikköä/12 vko	1 430**
topiramaatti	useita		50-200 mg/vrk	147-464
propranololi	useita		20-40 mg x3/vrk	61–54
metoprololi	useita		95-190 mg/vrk	66–138
atenololi	useita		50-100 mg/vrk	24–45
bisoprololi	useita		5-10 mg/vrk	24–36

*Ehdollinen korvattavuus (taloudellinen sopimus).

** Lääkekustannuksen lisäksi Botox-hoitoon liittyy neurologin valvonnassa toteutettavan hoidon annostelukustannus. Botox-valmisteella on käyttöaihe vain kroonisen migreenin hoitoon (vs. Vydura: episodinen migreeni).

Vydura-valmisteen annossuositus kohtausoidossa on 75 mg rimegepanttia kerran päivässä tarpeen mukaan ja estohoidossa 75 mg rimegepanttia joka toinen päivä. Enimmäisannos vuorokautta kohden on 75 mg rimegepanttia.

CGRP-vasta-aine-estohoidon aikana ilmentyvää migreenikohtausta hoidetaan joko kipulääkkeillä (parasetamoli tai NSAID) tai tarvittaessa triptaaneilla. Rimegepantti-estohoidolla olevan potilaan on valmisteyhteenvedon mukaisesti mahdollista annostella lääkkeitä vuorokauden aikana tarvittaessa akuutin kohtauksen hoitoon yksi 75 mg:n rimegepantti-annos. Jos rimegepantti tällöin korvaisi rimegepanttia edullisempien triptaani-valmisteiden käyttöä, nostaisi tämä migreenin hoidon kokonaislääkekustannusta.

Tuoreiden, alustavien suoran vertailututkimuksen tietojen perusteella galkanetsumabia sisältävän Emgalityn ei kuitenkaan voitu osoittaa olevan rimegepanttia parempi ensisijaisena päätetapahtumana ollutta vähintään 50%:n vähenemä kuukausittaisissa migreeni päivissä (MMD) saavuttanutta potilasosuuutta tarkasteltaessa (lehdistötiedote, Lilly 16.6.2023).

Terveystaloudellinen selvitys

HAKIJAN ESITTÄMÄ TERVEYSTALOUDELLINEN SELVITYS

[REDACTED]	[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]
[REDACTED] [REDACTED]	[REDACTED] [REDACTED]

	[REDACTED]
[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]
[REDACTED] [REDACTED]	[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]
[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]	[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]
[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]	[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]

[illegible]

	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]

Lääkkeiden hintalautakunnan arvion perusteella hakijan esittämän terveystaloudellisen selvityksen tuloksia tulkittaessa tulee huomioida seuraavat asiat:

[REDACTED]	[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]
[REDACTED] [REDACTED]	[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]
[REDACTED] [REDACTED]	[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]

Lausunnot

Asiantuntijaryhmän lausunto 9.2.2023

Asiantuntijaryhmän arvion mukaan rimegepantilla on osoitettavissa vähäistä suurempaa hoidollista arvoa migreenin akuuttihoitossa sekä episodisen migreenin estohoidossa, joten Vyduro-valmisteen peruskorvattavuus on perusteltua. Valmistesta voi laajassa käytössä aiheutua kohtuuttomia kustannuksia saavutettavaan hyötyyn nähden, joten sen peruskorvattavuutta on perusteltua rajoittaa. Rajoitettua peruskorvattavuutta haetussa laajuudessa voidaan pitää perusteltuna. Asiantuntijaryhmän lausunnossa todetaan lisäksi seuraavaa:

Rimegepantilla ei ole tehty suoria vertailevia tutkimuksia muihin akuuttien migreenikohtausten hoitossa tai episodisen migreenin estohoidossa käytettäviin lääkeaineisiin. [REDACTED] artikkeliin [Ashina ym. 2021], jonka epäsuoran vertailun perusteella NNT-luvulla arvioituna triptaaneilla saavutettiin pääsääntöisesti parempi hoitovaste akuutin migreenin hoitossa kuin rimegepantilla ja triptaaneista tehokkain oli ihonalainen sumatriptaani. Toisaalta on arvioitu, että ihonalainen annosteltu aiheuttaa herkemmin haittavaikutuksia. CHMP:n arviointilausunnossa rimegepantin teho molempien ensisijaisten päätapahtumien osalta lumeeseen verrattuna arvioitiin kohtuullisen vaatimattomaksi. Eurooppalaisessa konsensushoitosuosituksessa rimegepantin käyttöä suositellaan harkitsemaan akuutin migreenin hoitossa kolmannessa hoitolinjassa, mikäli millään käytettävissä olevilla triptaaneilla ei ole saavutettu riittävää hoitovastetta. Rimegepantille haettu korvattavuuden rajaus akuutissa migreenissä mahdollistaisi sen käytön, kun kahdelle triptaanille ei ole saatu riittävää hoitovastetta.

Migreenin estohoidossa vaste rimegepantille jäi myyntilupatutkimuksessa lumeeseen verrattuna sekä tilastollisesti että kliinisesti vähäisemmäksi kuin migreenin akuuttihoitossa. Estohoidossa käytettävistä CGRP-vasta-aineista erenumabi sitoutuu CGRP-reseptoriin eli sen vaikutusmekanismi on samankaltainen kuin rimegepantilla. Erenumabilla migreenin estohoidossa tehdyssä tutkimuksessa saavutettiin sekä 70 mg että 140 mg annoksilla 6.6 migreenipäivän keskimääräinen vähenemä kuukaudessa ja ero lumeeseen oli 2.5 vrk/kk. Vähintään 50 %:n vähenemän kuukausittaisissa migreenipäivissä saavutti 40-41 % erenumabia käyttäneistä ja 24 % lumelääkitystä käyttäneistä eli ero vasteen saavuttaneiden osuudessa oli suurempi kuin rimegepanttitutkimuksessa. Muista CGRP-vasta-aineista fremanetsumabi ja galkanetsumabi sitoutuvat CGRP:hen ja estävät sen isoformeja sitoutumasta reseptoriinsa. Käytetystä annoksesta, annostelutiheydestä ja migreenityypistä riippuen fremanetsumabilla kuukausittaiset migreenipäivät vähenivät lumeeseen verrattuna 1.2-1.4 päivää/kk ja galkanetsumabilla 1.9.-2.0 päivää/kk. Eri valmisteilla tehtyjen tutkimusten sisäänottokriteerit eivät olleet identtisiä mm. migreenityypin (episodinen tai krooninen migreeni) osalta ja niissä käytettiin erilaisia annosteluprotokollia, joten tulokset eivät ole suoraan rinnastettavissa keskenään. Eurooppalaisessa hoitosuosituksessa migreenin estohoidossa suositellaan harkitsemaan kolmannessa linjassa vaihtoehtoina neljää monoklonaalista CGRP-vasta-ainetta (erenumabi, fremanetsumabi, galkanetsumabi ja eptinetsumabi), mutta gepantteja ei ole asemoitu migreenin estohoidossa. Hakijan rajausehdotuksessa rimegepantti rinnastuisi kolmannen linjan estohoitovaihtoehtona CGRP-vasta-aineisiin.

Hakijan vastine asiantuntijaryhmän lausuntoon 24.2.2023

[REDACTED]

[illegible]

Hakija viittaa

Suomen Migreeniyhdistys ry:n lausunto 23.1.2023

Lausunnossa tuodaan esiin, että migreeni on merkittävästi työ- ja toimintakykyä sekä sosiaalista elämää haittaava neurologinen sairaus. Suussa liukenevana tablettina otettava Vydura on erittäin helppoa ottaa kaikissa tilanteissa ja on helpotus heille, joille itse pistettävien migreenilääkkeiden käyttö ei sovi. Suomen Migreeniyhdistyksen mielestä peruskorvattavuus on myönnettävä Vyduralle. Yhdistys pitää erittäin tärkeänä sitä, että se tulee korvattavaksi usein toistuvaa, komplisoitunutta ja kroonista migreeniä sairastaville, joiden elämää migreenikohtaukset huomattavasti rajoittavat ja jotka eivät ole saaneet riittävää apua aiemmin käytetyistä lääkkeistä.

Käsittely hilan kokouksissa ja toimitettu lisämateriaali

Hilan kokous 4.4.2023

Lääkkeiden hintalautakunta käsitteli Vydura-valmisteen hakemusta kokouksessaan 4.4.2023 ja päätti toimittaa hakijalle lisäselvityspyynnön,

Hakijan lisäselvitys 20.4.2023

Hakija

Hakijan mukaan

Hakijalle

Hakijan mukaan

[REDACTED]

Hakija [REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

[REDACTED]

Päätösluonnoksessa todetaan, [REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

[REDACTED] hakija toteaa, [REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Hakija [REDACTED]

Hakija on 22.5.2023 toimittanut vastineena hilan sihteeristön lisäselvityspyyntöön (8.5.2023) lisäselvitystä terveystaloudellisiin selvityksiin.

[REDACTED]
[REDACTED]

Hakijan lisäselvitys 21.8.2023

Hakija [REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Hakija [REDACTED]

Ehdollinen korvattavuus

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Esittelijän päätösehdotus

Rimegepanttia sisältävälle Vydura-valmisteelle haetaan rajoitettua peruskorvattavuutta ja kohtuullisten tukkuhintojen vahvistamista.

Migreeni on kohtauksellinen neurovaskulaarinen sairaus, jonka esiintyvyys aikuisväestössä on noin 10 %. Migreeni on luonteeltaan episodinen, kun päänsärkypäiviä on kuukaudessa vähemmän kuin 15. Migreeniä nimitetään krooniseksi, kun päänsärkypäiviä on kuukaudessa ainakin 15 ja päänsärky täyttää migreenin kriteerit ainakin kahdeksana päivänä kuukaudessa. Vydura on tarkoitettu vain episodisen, ei kroonisen, migreenin estohoitoon. Migreeni on merkittävästi työ- ja toimintakykyä alentava sairaus.

Rimegepantti sitoutuu kalsitoniinigeeniin liittyvän peptidin (CGRP) reseptoriin ja estää sen toimintaa. Rimegepantin tehoa ja turvallisuutta migreenikohtausten akuuttihoitossa on tutkittu kolmessa ja estohoidossa yhdessä myyntilupatutkimuksessa. Kohtaushoidossa rimegepanttia verrattiin lumelääkitykseen aikuispotilailla kolmessa protokollaltaan lähes identtisessä faasin III tutkimuksessa. Kohtauslääkityksenä oli joko rimegepantti 75 mg x1/vrk (yhteensä n=1749) tai lumelääke (n=1758) 45 vuorokauden hoitojakson aikana. Tehon ensisijaisina rinnakkaisina päätetapahtumina olivat kivuttomuus ja MBS-oireettomuus (Most Bothering Symptom; valonarkuus/ääniarkuus/pahoinvointi) kahden tunnin kuluttua tutkimuslääkkeen ottamisesta. Migreenin kohtaushoitotutkimuksissa kivuttomuuden kahden tunnin kuluessa lääkkeen otosta saavutti rimegepantilla 19-21 % ja lumelääkkeellä 11-14 %. Ero rimegepantin ja lumelääkityksen välillä oli kaikissa kolmessa tutkimuksessa tilastollisesti merkitsevä, joskin verrattain vaatimaton. Myös ero MBS-oireettomuudessa oli tilastollisesti merkitsevä rimegepanttiryhmiin (35-38 %) ja lumelääkitysryhmiin (25-28 %) välillä. Toissijaista päätetapahtumista migreenikivun lievittyminen ja pitkäkestoista kivuttomuutta (2-48 h) koskevat tulokset tukivat tutkimusten ensisijaistuloksia. Kohtaushoitotutkimuksissa alle 1 % potilaista

keskeytti tutkimuksen. Tutkimusten yhdistetyistä tuloksista aiemman triptaanien käytön perusteella tehdyn post hoc- alaryhmäanalyysin perusteella ero rimegepantin ja lumeen välillä kivuttomuuden ja MBS-vasteen saavuttaneiden osuuksissa oli vastaava kuin koko potilasjoukossa myös niillä potilailla, jotka eivät olleet saaneet riittävää vastetta yhdelle tai vähintään kahdelle triptaanille. Näyttö haetussa korvattavuuden laajuudessa perustuu pieneen potilasaineistoon: yhdistetyssä aineistossa vähintään 2 triptaania oli aiemmin käyttänyt 325 eli 9 %. Triptaanien tiheään käyttöön kohtaushoidossa liittyy riski lääkityksen aiheuttamaan lääkepäänsärkyyn. Tämänhetkisen tiedon perusteella rimegepantin käyttöön ei vaikuta liittyvät lääkepäänsärkyriskiä.

Estohoidossa rimegepanttia verrattiin lumeeseen faasin II/III RCT-tutkimuksessa. Tutkimuspotilailla tuli olla vähintään neljä ja enintään 18 keskivaikeaa/vaikeaa migreenikohtausta kuukaudessa. Tutkimuslääkityksenä oli rimegepantti 75 mg joka toinen päivä annosteltuna (n=348) tai vastaava lumelääkitys (n=347) enintään 12 viikon ajan, jonka jälkeen potilaiden oli mahdollista siirtyä avoimeen 52 viikon jatkotutkimukseen. Tehon ensisijaisena päätetapahtumana oli kuukausittaisen migreenipäivien keskimääräinen muutos lähtötilanteesta viikoille 9-12. Tutkimuksessa kuukausittaiset migreenipäivät vähenivät rimegepantti-ryhmässä keskimäärin 4,3 vrk/kk ja lumeryhmässä 3,5 vrk/kk eron ollessa tilastollisesti merkitsevä, joskin tässäkin tapauksessa verrattain vaatimaton. Keskivaikeat/vaikeat migreenipäivät vähenivät vähintään 50% rimegepantilla 49 %:lla potilaista vs. lumeella 42 %:lla. Lumelääkekontrolloitua näyttöä rimegepantin tehosta joka toinen päivä -estohoitoannostelulla olevien potilaiden kohtaushoitona (estohoidon välipäivänä annosteltuna) ei ole saatavilla. Estohoitotutkimukseen jatkovaiheen perusteella rimegepantin teho säilyi vuoden kestäneessä hoidossa. Rimegepantti vaikuttaa verrattain hyvin siedetyltä. Myyntilupatutkimuksissa rimegepantin yleisin haittavaikutus oli pahoinvointi. Lisäksi rimegepantin melko harvinaiseksi (1/1000-1/100) haittavaikutukseksi on arvioitu yliherkkyysreaktiot.

Hakija

Vydura-valmisteelle on vahvistettu korvattavuus toistaiseksi viidessä ETA-maassa.

Hakemuksen mukaan

Saatavilla olevan tiedon perusteella rimegepantti vaikuttaa teholtaan triptaaneja heikommalta (Yang ym. 2021, Ashina ym. 2021,) Hoitokustannus hakemusvalmisteella on triptaaneja korkeampi. Toisin kuin rimegepantilla, triptaaniannos voidaan tarvittaessa toistaa saman vuorokauden sisällä, mikä tällöin kaksinkertaistaa triptaanin hoitovuorokauden kustannuksen. Triptaanien kahden vuorokausiannoksen kustannusta tarkasteltaessa, hakemusvalmiste on edelleen triptaaneja pääosin hoitokustannuksiltaan korkeampi, lukuun ottamatta sumatriptaanin ihon alle annosteltavan lääkemuodon kahden vuorokausiannoksen kustannusta. Hoitokustannusvertailua tarkasteltaessa on huomioitava rimegepantille haettu korvattavuuden raja. Migreenin estohoidossa rimegepantille haetaan korvattavuutta migreenin estohoidon kolmanteen hoitolinjaan, jossa hoitovaihtoehtoina ovat myös CGRP-vasta-aineet. Kyseisiä lääkeaineita sisältävät valmisteet ovat mahdollisesti korvattavia, joten hoitokustannusvertailua näihin lääkkeisiin ei voida tehdä. Rimegepantti-estohoidolla olevan potilaan on valmisteyhteenvedon mukaisesti mahdollista annostella lääkkeettömänä vuoropäivänä tarvittaessa akuutin kohtauksen hoitoon rimegepanttia. Jos rimegepantti tällöin korvaisi rimegepanttia edullisempien triptaani-valmisteiden käyttöä, nostaisi tämä migreenin hoidon kokonaislääkekustannusta.

Suoraan galkanetsumabia sisältävää Emgalitya ja rimegepanttia toisiinsa vertaavasta tutkimuksesta on toistaiseksi käytettävissä niukasti tietoja. Niiden perusteella Emgalityn

ei kuitenkaan voitu osoittaa olevan rimegepanttia teholtaan parempi tarkasteltaessa potilasosuutta joka saavutti vähintään 50 %:n vähenemä kuukausittaisissa migreenipäivissä.

Hakemukseen on liitetty

[REDACTED]

SVL:n 6 luvun 6 a §:n mukaan lääkkeiden hintalautakunta voi hyväksyä erityisestä syystä korvattavuuden ja tukkuhinnan ehdollisena myyntiluvalliselle lääkevalmisteelle, jolle on haettu korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan vahvistamista. Hintalautakunta voi tehdä korvattavuus- ja tukkuhintapäätöksen ehdollisena edellyttäen, että uudelle lääkeshoidolle on osoitettu erityinen lääketieteellinen tarve ja hoitokustannuksiin, kyseisen lääkevalmisteen hoidolliseen arvoon, kustannusvaikuttavuuteen tai muihin vastaaviin lääkevalmisteen korvattavuuteen tai tukkuhinnan kohtuullisuuden arviointiin vaikuttaviin tekijöihin liittyy merkittävää epävarmuutta. Ehdollisesta korvattavuudesta päätettäessä ehdotetun tukkuhinnan kohtuullisuutta arvioidaan noudattaen soveltuvin osin mitä SVL:n 6 luvun 7 §:ssä säädetään.

Ehdollista korvattavuutta koskevan päätöksen osana on lääkkeiden hintalautakunnan ja myyntiluvan haltijan keskinäinen sopimus, jossa on määritelty valmisteen terveyshyötyihin, kustannusvaikutavuuteen, kustannuksiin tai muuhun vastaavaan tekijään liittyvän epävarmuuden vastuunjaosta sekä sopimuksen toteutumisen seurannasta ja ehdollisen korvattavuuden päättymisen vaikutuksista.

Hakijan ehdotuksesta lääkkeiden hintalautakunta on neuvotellut hakijan kanssa Vydura-valmisteen korvattavuuteen liittyvästä taloudellisesta sopimuksesta. [REDACTED]

Ehdotan, että hakemus **hyväksytään ehdollinen korvattavuus** seuraavasti:

Vahvistettu korvattavuus: rajoitettu peruskorvattavuus

Vahvistettu korvattavuuden rajaus:

- aikuisten aurallisen tai aurattoman migreenin akuuttiin hoitoon
 - o potilaille, joilla on kokeiltu vähintään kahta triptaanivalmistetta, eikä niistä ole saatu riittävää vastetta tai ne eivät ole siedettyjä, tai
 - o potilaille, joille triptaanit ovat vasta-aiheisia.
- episodisen migreenin ennaltaehkäisevään hoitoon aikuisille, joilla esiintyy keskimäärin vähintään 8 migreenipäivää kuukaudessa, ja on kokeiltu vähintään kahta migreenin estohoitolääkettä, eikä niillä ole saatu aikaan riittävää vastetta, ne ovat vasta-aiheisia tai ne eivät ole siedettyjä.
 - o Hoidon teho arvioidaan ensimmäisen kerran 12 viikon hoitokokeilun jälkeen ja uudelleen aina vähintään kerran vuodessa hoidon aloittamisen jälkeen, jolloin arvioidaan myös tarve jatkohoidolle. Hoidon jatkamisen kannalta riittävänä hoitovasteena voidaan pitää sitä, että potilaan migreenipäivien esiintyminen kuukaudessa vähenee vähintään 50 % lähtötilanteeseen verrattuna.

Voimassaoloaika: 1.12.2023 – 30.11.2025.

Uusinta: 31.5.2025.