

Luonnos 22.12.2022

Hakemusmenettelyn pilotointi uusien sairaalalääkkeiden arvioinnissa

Johdanto

Sosiaali- ja terveysministeriön käynnistämän lääkeasioiden uudistuksen yhtenä tavoitteena on avo- ja sairaalalääkkeiden käyttöönottoon liittyvien arviointien periaatteiden yhdenmukaistaminen.¹ Nykyisin näissä järjestelmissä on eroavaisuuksia, joiden vuoksi lääkkeen annostelutapa ja sen myötä jako avo- ja sairaalalääkkeisiin saattaa vaikuttaa käyttöönottopäätökseen osin epätarkoituksenmukaisella tavalla. Lisäksi sairaalalääkkeiden käyttöönottoon liittyviä menettelyjä on pidetty joiltain osin vaikeasti ennakoitavina.

Nyt käynnistettävän kokeilun tavoitteena on löytää uusi tapa organisoida Fimean sairaalalääkkeiden arviointitoimintaa ja erityisesti arviointien käynnistymiseen liittyviä menettelytapoja. Tavoitteena ei sen sijaan ole muuttaa arvioinnin sisältöä tai vaikuttaa sen jälkeiseen suositus- ja hankintamenettelyyn.

Tällä hetkellä arviointien käynnistymisen tapa (avohoidon lääkkeissä hakemusmenettely ja sairaalalääkkeissä viranomaisaloitteinen malli) on keskeinen periaatteellinen ero avo- ja sairaalalääkkeiden käyttöönottomenetelmissä. Tämän kokeilun aikana tehtävissä piloteissa otetaan käyttöön osittainen hakemusmenettely Fimean sairaalalääkkeiden arviointien käynnistämiseksi. Myöhemmässä vaiheessa mahdollinen siirtyminen hakemusmalliin voisi mahdollistaa avo- ja sairaalalääkkeiden arvioinnin menettelyjen yhdenmukaistamisen esimerkiksi hakemusvaatimusten tai –maksujen osalta. Tämä lisäisi myös sairaalalääkkeiden arviointien kattavuutta, ennakoitavuutta ja oikea-aikaisuutta.

Pilotit ja aikataulu

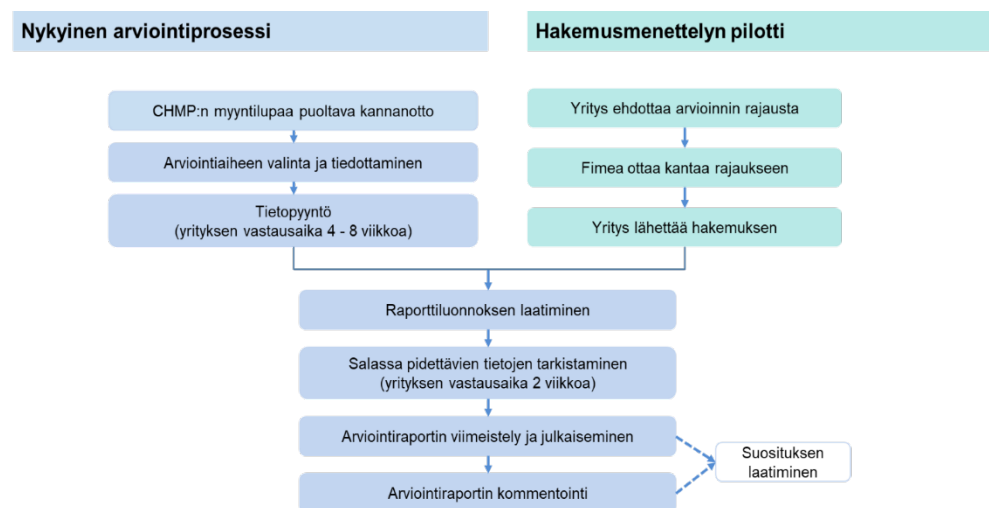
Hakemusmenettelyn pilotointi käynnistetään vuoden 2023 aikana. Hakemusmenettelyyn pilotointiin voidaan ottaa mukaan ensi kertaa markkinoille tulevia valmisteita, jotka on tarkoitettu sairaalakäyttöön ja joille ei ole tarkoitus hakea korvattavuutta avohoidossa. Markkinoilla olevien valmisteiden käyttöaiheiden laajennukset eivät kuulu tässä vaiheessa pilotoitavan menettelyn piiriin. Näiden osalta toimintamalli vastaa nykyprosessin mukaista menettelyä ja niissä ei tässä vaiheessa sovelleta tai tarjota mahdollisuutta hakemusperusteiseen menettelyyn. Rokotteita ei myöskään oteta mukaan kokeiluun. Pilottivaiheen aikana Fimea voi

¹ STM: [Näkökulmia lääkehoitoon ja lääkkeiden jakeluun liittyvistä muutostarpeista](#). Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2019:5.

tarvittaessa toteuttaa sairaalalääkkeiden arviointeja myös nykyisen sairaalalääkkeiden arviointimallin mukaisesti.

Toimintamalli hakemusmenettelypiloteissa

Toimintatapa hakemusmenettelypiloteissa vastaa pääosin sairaalalääkkeiden arvioinnin prosesseja ja käytäntöjä. Arvioinnit käynnistyvät kuitenkin toisella tavalla (ks. Kuva 1). Fimean tavanomaisissa sairaalalääkearvioinneissa Fimea valitsee arvioinnin aiheet kuukausittain CHMP:n puoltavien kannanottojen joukosta ja lähettää yritykselle tietopyynnön, mikä käynnistää arvioinnin. Hakemusmenettelypiloteissa aloite tulee yrityksen suunnalta. Yritys tiedottaa Fimea uudesta sairaalalääkkeestä ja hakemuksen jättämisen ennakoidusta ajankohdasta sekä ehdottaa arvioinnin rajausta (PICO-määrittely). Fimea ottaa kantaa arvioinnin rajaukseen sekä aiheen soveltuvuuteen hakemusmenettelypiloteihin. Tämän jälkeen arviointi jää odottamaan yrityksen lähettämää hakemusta. Odotusaikana allekirjoitetaan tietojen luovuttamiseen ja käyttöön liittyvä salassapitosopimus. Hakemuksen saapumisen jälkeen varsinainen arviointi ja sen jälkeiset vaiheet viedään läpi sairaalalääkkeiden arvioinnista totutulla tavalla. Arviointiraportti vastaa nykyistä sairaalalääkearviointien raporttia rakenteeltaan ja sisällöltään. PALKOn suositukseen ja hankintamenettelyyn liittyvät vaiheet viedään läpi nykyisellä tavalla.



Kuva 1. Sairaalalääkearvioinnin nykyinen prosessi ja hakemusmenettelyn pilotointi

Arviointien käynnistyminen pilottivaiheessa

Yritys ottaa yhteyttä Fimeaan ja ehdottaa arvioinnin rajauksia (PICO). Tässä yhteydessä yritys ilmoittaa arvionsa hakemuksen jättämisen ajankohdasta. Yhteydenottohetkellä yrityksellä tulee olla hyvä käsitys odotetusta CHMP:n kannanoton ajanhetkestä sekä käyttöaiheesta.

Fimea ottaa kantaa arvioinnin rajaukseen sekä hyväksyy tai hylkää aiheen hakemusmenettelyn pilotiksi.

Yritys jättää hakemuksen ja arviointi käynnistyy. Hakemuksen voi jättää aikaisintaan CHMP:n puoltavan kannanoton ajanhetkellä. Ennen

hakemuksen toimittamista Fimeaan, yritys ja Fimea laativat tietojen luovutukseen ja käyttöön liittyvän sopimuksen.

Fimea julkaisee kuukausittain listausta aihevalinnoista. Tässä yhteydessä tiedotetaan myös hakemusta odottavista arvioinneista.

Mikäli hakemuksen jättämisestä ei ole sovittu ennen CHMP:n puoltavaa kannanottoa (ks. vaiheet 1 ja 2 edellä), Fimea on yhteydessä myyntiluvan haltijaan normaalien aihevalintaan liittyvien menettelyjensä yhteydessä. Tässä yhteydessä selvitetään aiheen soveltuvuus ja edellytykset hakemusperusteiseen menettelyyn sekä tiedustellaan mahdollista arvioinnin ajankohtaa. Fimea ratkaisee selvityksen jälkeen, käynnistetäänkö arviointi viranomaisaloitteisesti nykyisen toimintamallin mukaan vai jäädäänkö odottamaan hakemusmateriaalia.

Hakemuksen ohjeisto

Hakemusmateriaalin ohjeistossa hyödynnetään soveltuvin osin lääkkeiden hintalautakunnan uuden lääkevalmisteen korvattavuuden hakemusohjeita² sekä terveystaloudellisen selvityksen laatimisen ohjetta³. Sairaalalääkkeiden arviointiin Fimealle lähetettäviä hakemuksia varten on laadittu erillinen hakemusohjeiden soveltamisohje (liitteenä). Soveltamisohjeet päivitetään pilottien kokemusten perusteella.

Pilottien arviointi ja prosessin kehittäminen

Pilotit käynnistetään vuoden 2023 aikana. Pilotoinnin aikana arvioidaan menettelystä saatuja kokemuksia Fimean ja keskeisten sidosryhmien osalta sekä täsmennetään menettelykuvauksia ja ohjeistoa sekä muita toimintatapoja. Pilottien kokemusten perusteella harkitaan mahdollista siirtymistä hakemusperusteiseen menettelyyn viranomaisaloitteisen menettelyn sijaan.

EU:n HTA-asetuksen myötä arviointien kliininen osa tuotetaan jatkossa EU-yhteisarviointina, jonka käynnistymisvaiheessa jäsenmaat ottavat kantaa arvioinnin rajaukseen. Tämä vaihe voisi korvata prosessista sen vaiheen, jossa Fimea ottaa kantaa arvioinnin rajaukseen, mikäli Fimean sairaalalääkearvioinnissa siirryttäisiin pysyvämmiin hakemusmenettelyyn. Lisäksi EU-yhteisarvioinnit huomioidaan hakemuksen ohjeistossa. Pysyvä EU:n HTA-mekanismi otetaan käyttöön vaiheittain ja sitä sovelletaan täydessä mittakaavassa vasta vuonna 2030. Tähän saakka viranomaisaloitteisesta tai hakemusperusteisesta menettelystä riippumatta osassa arvioinneista ei ole saatavilla EU-mekanismissa tuotettua kliinistä arviointia.

² https://www.hila.fi/content/uploads/2021/05/Uusi_valmiste_ohje_250521.pdf

³ https://www.hila.fi/content/uploads/2020/01/Hakemusohje_TTS_2019.pdf

Liite 1. Lääkkeiden hintalautakunnan (Hila) hakemusohjeiden soveltamisohje

Yleistä

Tätä ohjetta sovelletaan, kun myyntiluvan haltija hakee uudelle sairaalalääkkeelle HTA-arviointia Fimeasta osana hakemusmenettelyn pilotointia. Hakemusmateriaalin sisällössä noudatetaan lääkkeiden hintalautakunnan uuden lääkevalmisteen korvattavuuden hakemusohjeita⁴ sekä terveystaloudellisen selvityksen laatimisen ohjetta⁵, joiden soveltamista Fimean sairaalalääkearvioinneissa tämä ohjeisto kuvaa. Hintalautakunnan sähköisen asiointipalvelun käyttöä koskeva ohjeistus ei kosketa Fimeaan toimitettavaa materiaalia. Hakemusmateriaali toimitetaan Fimean turvapostipalvelulla⁶ erikseen nimetyille yhteyshenkilöille.

Uuden lääkevalmisteen korvattavuuden hakemusohjeen soveltaminen

Fimeaan toimitetaan hakemusohjeessa luetelluista liitteistä ainakin seuraavat:

- voimassa oleva myyntilupapäätös tai CHMP:n myyntiluvan myöntämistä puoltava kannanotto
- voimassa oleva valmisteyhteenvedo tai valmisteyhteenvedon luonnos
- myyntilupaviranomaisen kliininen arviointilausunto tai sen luonnos
- selvitys hoidollisesta arvosta, sis. lähdeluettelo
- selvitys kustannuksista ja taloudellisuudesta
- terveystaloudellinen selvitys, sis. lähdeluettelo
- lähteet

Hoidollisen arvon selvityksessä noudatetaan erityiskorvattavuushakemuksen ohjeistoa Markkinaennuste sekä myynti- ja potilasmäärätiedot voidaan ilmoittaa Hilan hakemusohjeesta poiketen, kuitenkin niin että esitettävät tiedot sisältävät riittävät perusteet budjettivaikutusten arvioinnille.

Kustannusten ja taloudellisuuden selvityksissä käytetään aina valmisteen tukkuhintaa. Yrityksellä on kuitenkin sen lisäksi jo tässä vaiheessa mahdollisuus esittää ehdotus luottamukselliseksi hinnaksi tai hinnoittelumalliksi.

Lisäksi pyydetään toimittamaan viitetiedot (linkit) muiden ETA-maiden ja Kanadan meneillään olevista HTA-arvioinneista sekä tiedot valmistuneiden suositusten tuloksista tai niiden käsittelyn vaiheesta.

Terveystaloudellisen selvityksen laatimisen ohjeen soveltaminen

Hoitovaihtoehtoina tulee käyttää PICO-määrittelyn mukaisia vertailuhaittoja.

Kaikkien terveystaloudellisen selvityksen tietojen tulee ensisijaisesti perustua hoidollisen arvon selvityksessä esitettyyn tietoon. Tulokset voidaan lisäksi esittää käyttäen salassapidettävää sopimushintaa tai hinnoittelumallia.

⁴ https://www.hila.fi/content/uploads/2021/05/Uusi_valmiste_ohje_250521.pdf

⁵ https://www.hila.fi/content/uploads/2020/01/Hakemusohje_TTS_2019.pdf

⁶ https://www.fimea.fi/tietoa_fimeasta/yhteystiedot/turvaposti