

2.7.2015

Dnro
1896/60.02.01/2014

UUSIEN SAIRAALALÄÄKKEIDEN NOPEA ARVIOINTI

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea ja arviointiylilääkäreiden verkosto

1 Arviointiprosessin suunnittelun tausta ja tavoitteet

Sairaalalääkkeille ei ole Suomessa ollut toistaiseksi keskitettyä tai yhtenäistä arviointiprosessia. Uuden lääkkeen tullessa markkinoille sairaalat ovat kukin tahoillaan joutuneet arvioimaan, onko lääkkeen käyttöönotto järkevää. Käytännöt eri sairaaloissa ovat vaihtelevia. Sairaalalääkkeiden nopean arvioinnin tavoitteena on:

- lisätä lääkkeen käyttöönottopäätöksissä tarvittavaa tietoa
- vähentää sairaaloiden päällekkäistä työtä uuden lääkkeen käyttöönoton yhteydessä
- edistää alueellista yhdenvertaisuutta hoitojen saatavuudessa

Esitetyn toimintatavan suunnittelun keskeisenä lähtökohtana on ollut, että arviointitieto olisi käytettävissä mahdollisimman pian lääkkeen markkinoille tulon jälkeen. Toimintatapa mahdollistaisi arviointiresurssien tehokkaan hyödyntämisen sekä oikea-aikaisen tiedon tuottamisen sairaalalääkkeisiin liittyvän päätöksenteon tueksi. Fimea on valmistellut sairaalalääkkeiden nopean arvioinnin prosessia yhdessä erityisvastuualueiden arviointiylilääkärien kanssa. Lisäksi arvioinnin menettelytavoista on kuultu laajemmin muita yhteistyötahoja ja sidosryhmiä, esimerkiksi lääketeollisuutta ja sairaanhoitopiirejä.

Ehdotettu toimintatapa ei vastaa sisällöltään ja menettelyiltään kaikilta osin täysimittaista HTA-arviointia. Keskeisimpänä tavoitteena on kuitenkin kehittää tarkoituksenmukainen ja eri sidosryhmien tarpeet huomioiva nopea arviointiprosessi. Prosessin tavoitteena on tuottaa tietoa uuden sairaalassa käytettävän lääkkeen hoidollisista ja taloudellisista vaikutuksista tilanteessa, jossa lääkkeen käyttöönottoa harkitaan sairaalassa. Arviointi perustuu osittain eri kriteereihin kuin myyntiluvan myöntäminen. Nopeita arviointeja voidaan tarvittaessa toteuttaa myös muulloin kuin myyntiluvan myöntämisen yhteydessä.

2 Prosessissa arvioitavat lääkehoidot

Prosessin tavoitteena on arvioida uusia sairaalalääkkeitä. Sairaalalääkkeille ei ole olemassa yksiselitteistä määritelmää, mutta niitä voidaan luonnehtia esimerkiksi seuraavasti:

- lääke on tarkoitettu käytettäväksi pääasiallisesti julkisen terveydenhuollon sairaaloissa
- lääkkeen pääasiallinen ostaja Suomessa on sairaala
- käyttö tai käyttökuntoon saattaminen edellyttää yleensä sairaalamaisia olosuhteita

Uudella lääkkeellä tarkoitetaan tässä yhteydessä juuri myyntiluvan saanutta lääkettä tai lääkettä, jolle on myönnetty merkittävä käyttöaiheen laajennus.

3 Arvioinnin toteutus

3.1 Arviointiin osallistuvat tahot ja ehdotettu roolitus

Myyntiluvanhaltija

- Voi toimittaa arviointiin aineistoa, jota pyritään hyödyntämään arviointiraporttia laadittaessa
- Kommentoi halutessaan arvioinnin niitä osia, joissa on hyödynnetty myyntiluvanhaltijan toimittamaa julkaisematonta aineistoa

Erityisvastuualueiden arviointiylilääkärit

- Toimivat yhteyshenkilöinä erityisvastuualueilla
- Tuovat erityisvastuualueiden näkökulmia arviointiprosessiin ja arviointimenettelyihin

Fimea

- Koordinoi arviointitoimintaa
- Tuottaa ja julkaisee arviointiraportin käytettävissä olevan materiaalin pohjalta

3.2 Arvioinnissa käytettävä materiaali

Arviointi perustuu julkaistuihin tutkimuksiin, Euroopan lääkeviraston tuottamaan julkiseen arviointilautsuntoon sekä muista lähteistä saataviin tietoihin. Lisäksi arvioinnissa voidaan hyödyntää myyntiluvanhaltijan toimittamaa aineistoa, kuten budjettivaikutusarviointia. Myyntiluvanhaltijalla ei kuitenkaan ole veloitetta toimittaa aineistoa. Arviointi voidaan suorittaa myös ilman myyntiluvanhaltijan toimittamaa aineistoa.

Myyntiluvanhaltijan toimittama aineisto voi sisältää liike- tai muun salaisuuden nojalla salassa pidettävää tietoa. Aineiston toimittamisesta ja siihen liittyvistä käytännöistä sovitaan myyntiluvanhaltijan kanssa erillisellä sopimuksella (liite 2).

3.3 Arvioinnin prosessi

Arviointi pyritään käynnistämään siten, että arvioinnin tulos on käytettävissä mahdollisimman pian myyntiluvan myöntämisen jälkeen. Aloitteen arvioinnin käynnistämiseksi voi tehdä esimerkiksi Fimea, myyntiluvanhaltija tai sairaala.

Fimea aikatauluttaa arvioinnin etenemisen ja tiedottaa arviointiin liittyviä tahoja hyvissä ajoin. Arvioinnin alussa Fimea koostaa arviointiraportin luonnoksen kaikesta käytettävissä olevasta materiaalista. Aikaa tähän vaiheeseen kuluu 3-4 viikkoa.

Tämän jälkeen myyntiluvanhaltija voi halutessaan kommentoida arvioinnin niitä osia, joissa on hyödynnetty myyntiluvanhaltijan toimittamaa julkaisematonta aineistoa. Lisäksi myyntiluvanhaltija peittää tiedot, jotka se katsoo liikesalaisuuksiksi. Aikaa tähän varataan kaksi viikkoa.

Lopuksi Fimea viimeistelee arviointiraportin ja julkaisee sen verkkosivuillaan sekä tiedottaa arvioinnista siihen liittyville tahoille. Malli arviointiraportin rakenteesta ja siinä käsiteltävistä asioista on liitteessä 1.

Arvioinnin lopputuotetta voi kommentoida. Kommentit lähetetään Fimean kirjaamoon. Kommentit ja kommentoijan tiedot ovat julkisia, ja ne voidaan tarvittaessa julkaista.

4 Arviointiprosessin kehittäminen ja käyttöönotto

Arvioinnin laajuuden ja sisällön havainnollistamiseksi ja kehittämiseksi toteutettiin kaksi pilottiarviointia kevään ja alkukesän 2015 aikana. Arvioinnit on julkaistu Fimean verkkosivuilla. Syksyn 2015 aikana toteutetaan vielä ainakin yksi pilottiarviointi arvioinnin prosessin testaamiseksi. Nopeiden arviointien laajamittaisempi käyttöönotto ja menettelyn vakiinnuttaminen ajoittuu vuosille 2016 - 2017.

Tavoitteena on, että tulevaisuudessa kaikki uudet sairaalalääkkeet käyvät läpi nopean arvioinnin ennen käyttöönottopäätöstä. Jatkossa pyritään löytämään menettelytapa, joka johtaisi kansalliseen suositukseen lääkkeen käytöstä ja siihen liittyvistä mahdollisista rajauksista.

LIITE 1. Arvioinnin sisältö ja arviointiraportin rakenne

Arviointiraportti jakaantuu alla kuvattuihin osa-alueisiin. Kussakin osa-alueessa esitetään tulokset sekä niihin liittyvä pohdinta.

1 ARVIOINTIKYSYMYKSEN MÄÄRITTELY

P	Väestö (population, patients)
I	Arvioitava lääkehoito (intervention)
C	Vertailuhoito (comparison, comparators)
O	Lopputulokset (outcomes)
(T)	Aikahorisontti (time)
(S)	Hoitoympäristö (setting)

2 ARVIOITAVAN LÄÄKEHOIDON JA SEN HOITOVAIHTOEHTOJEN KUVAUS

Osiossa vastataan seuraaviin kysymyksiin:

- 2.1 Mikä arvioitava lääke on ja mihin sitä käytetään?
- 2.2 Miten arvioitavaa lääkettä käytetään?
- 2.3 Mitä hoitovaihtoehtoja arvioitavalle lääkkeelle on jo käytössä?
- 2.4 Miten arvioitava lääke eroaa nykykäytössä olevista hoitovaihtoehtoista?

3 KLIININEN VAIKUTTAVUUS

Osiossa vastataan seuraaviin kysymyksiin:

- 3.1 Missä tutkimuksissa arvioitavan lääkkeen vaikutuksia on arvioitu?
- 3.2 Mitä tutkimuksia arvioitavan lääkkeen vaikutuksista on vielä meneillään tai julkaisematta?
- 3.3 Mikä on arvioitavan lääkkeen vaikutus kokonaiselossaoloaikaan sen hoitovaihtoehtoihin verrattuna?
- 3.4 Mikä on arvioitavan lääkkeen vaikutus tautitapahtumien ilmaantumiseen hoitovaihtoehtoihin verrattuna?
- 3.5 Mikä on arvioitavan lääkkeen vaikutus potilaiden raportoimiin lopputuloksiin hoitovaihtoehtoihin verrattuna? (esimerkiksi elämänlaatu, toimintakyky)
- 3.6 Mikä on arvioitavan lääkkeen vaikutus korvikelopputuloksiin hoitovaihtoehtoihin verrattuna?
- 3.7 Onko hoidon vaikutus erilainen eri potilasryhmissä (alaryhmät)?
- 3.8 Millainen on tutkimustulosten sovellettavuus olemassa oleviin hoitokäytäntöihin nähden?

4 TURVALLISUUS

Osiassa vastataan seuraaviin kysymyksiin:

- 4.1 Millaisia haittoja arvioitavan lääkkeen käyttö voi aiheuttaa potilaalle?
- 4.2 Ovatko tietyt potilasryhmät muita alttiimpia arvioitavan lääkkeen haitoille?
- 4.3 Millainen on arvioitavan lääkkeen turvallisuus hoitovaihtoehtoihin verrattuna?
- 4.4 Onko arvioitavalla lääkkeellä todettu haitallisia yhteisvaikutuksia?

5 KUSTANNUKSET

Osiassa vastataan seuraaviin kysymyksiin:

- 5.1 Mikä on arvioitavan lääkkeen ja sen hoitovaihtoehtojen hinta?
- 5.2 Millainen on arvioitavan lääkehoidon kokonaiskustannus potilasta kohti hoitovaihtoehtoihin verrattuna?
- 5.3 Mitä epävarmuustekijöitä arvioihin liittyy?

6 MUUT TEKIJÄT (tarvittaessa)

Osiassa vastataan tarvittaessa seuraaviin kysymyksiin:

- 6.1 Liittyykö lääkehoitoon eettisiä, organisatorisia, sosiaalisia tai juridisia näkökohtia, jotka tulisi huomioida arvioinnissa?
- 6.2 Liittyykö lääkehoitoon erityisiä potilasnäkökulmia, jotka tulisi huomioida arvioinnissa?

LIITE 2. Sopimus lääkehoitojen arviointiin liittyvien tietojen toimittamisesta ja käytöstä**1. Osapuolet**

xxxxxx Oy, Ky, Ay (jäljempänä yritys)
(y-tunnus xxx)
Osoite

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus (jäljempänä Fimea)
(y-tunnus 0921536-6)
PL 55, 00034 FIMEA

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskuksesta ja yritys Oy:stä käytetään jäljempänä yhdessä nimitystä osapuolet.

2 Yhteyshenkilöt

Fimean yhteyshenkilö/-henkilöt:

Etunimi Sukunimi
virkanimike
puhelinnumero
sähköpostiosoite

Yritys Oy:n yhteyshenkilö/-henkilöt:

Etunimi Sukunimi
virkanimike
puhelinnumero
sähköpostiosoite

Fimea asioi ainoastaan yrityksen ja sen yhteyshenkilöiden kanssa tämän sopimuksen mukaisissa asioissa.

Yhteyshenkilöiden tehtävänä on seurata ja valvoa sopimuksen toteutumista, tiedottaa siitä oman organisaationsa sisällä ja toiselle osapuolelle sekä toimittaa ja vastaanottaa tässä sopimuksessa mainittuja ilmoituksia ja tietopyyntöjä. Yhteyshenkilön vaihtumisesta tai yhteyshenkilön yhteystietojen muutoksista on viipymättä ilmoitettava toisen osapuolen yhteyshenkilölle. Yhteyshenkilöllä ei ole oikeutta muuttaa tämän sopimuksen sisältöä.

3. Määritelmät

Tässä sopimuksessa tarkoitetaan

arvioinnilla Fimean arvioinnin kohteena olevan lääkkeen hoidollisten ja taloudellisten vaikutusten arviointia;

arviointiraportilla arviointia koskevaa Fimean julkaisua;

aineistolla yrityksen Fimealle toimittamaa aineistoa, jota voidaan käyttää tai hyödyntää arvioinnissa ja arviointiraporttia laadittaessa.

4. Sopimuksen tausta ja tarkoitus

Fimeasta annetun lain (593/2009) 2 §:n 1 momentin 8 kohdan mukaan Fimea tuottaa ja kokoaa lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointeja ja koordinoi tätä koskevaa yhteistyötä. Tätä tehtävää toteuttaessaan Fimea tekee yhteistyössä alan toimijoiden kanssa lääkkeiden hoidollisia ja taloudellisia arviointeja. Fimean tekemät arvoinnit julkaistaan.

Tässä sopimuksessa sovitaan aineiston toimittamisesta arviointia varten sekä käytännön menettelytavoista ja salassapidosta, kun yritys on päättänyt luovuttaa Fimealle aineistoa.

Samaan arviointiin voi liittyä muita yrityksiä. Näiden muiden yritysten kanssa Fimea voi tehdä vastaavan erillisen sopimuksen lääkehoitojen arviointiin liittyvien tietojen toimittamisesta ja käytöstä.

5. Arvioinnin kohteena oleva lääke

Arviointi koskee lääkkeen x hoidollisia ja taloudellisia vaikutuksia sairauden z hoidossa. Yritys on lääkkeen x myyntiluvan haltija.

6. Fimealle luovutettava aineisto

Fimea saa käyttöoikeuden aineistoon. Aineisto voi sisältää esimerkiksi taloudellisessa arvioinnissa hyödynnettävän tietoteknisen sovelluksen ja kirjallisia selvityksiä. Aineiston käyttöoikeus sisältää oikeuden käyttää, kopioida, muokata ja julkaista aineistoa.

Aineistoa käytetään vain tämän sopimuksen mukaisessa arvioinnissa Fimean tarpeelliseksi katsomassa laajuudessa. Fimea voi päättää olla kokonaan käyttämättä aineistoa arvioinnissa.

Yritys vastaa siitä, että sen Fimealle toimittama aineisto ei loukkaa voimassaolevia kolmannen osapuolen patenti-, tekijän- tai muita immateriaalioikeuksia.

Jos Fimeaa vastaan esitetään immateriaalioikeuksiin perustuvia vaatimuksia, yritys on velvollinen vastaamaan vaatimuksiin Fimean puolesta omalla kustannuksellaan. Yritys vastaa Fimealle siitä, ettei immateriaalioikeuksia koskevista vaatimuksista tai velvoitteista aiheudu Fimealle oikeudenkäyntikuluja eikä vahingonkorvaus- tai muita kolmannelle osapuolelle maksettavia kustannuksia tai muita vastuita kolmatta osapuolta kohtaan.

7. Julkisuus ja salassapito

Aineisto voi sisältää liike- tai muun salaisuuden nojalla salassa pidettävää tietoa.

Yritys saa Fimealta nähtäväkseen arviointiraportista luonnoksen siltä osin, kun siinä on raportoitu yrityksen toimittamaa julkaisematonta aineistoa. Yrityksellä on kaksi viikkoa aikaa merkitä luonnokseen sellaiset tiedot, jotka se katsoo julkisuuslain nojalla liike- tai muun salaisuuden perusteella salassa pidettäväksi tai ilmoittaa, että luonnos ei sisällä salassa pidettävää tietoa. Arviointiraportista julkaistaan versio, jossa yrityksen merkittävät julkisuuslain nojalla salassa pidettävät tiedot on peitetty.

Fimea voi lisäksi ennen arviointiraportin julkaisemista toimittaa arviointiraportin luonnoksen tahoille, joille se on päättänyt erikseen varata mahdollisuuden antaa luonnoksesta kommentteja. Fimea voi myös antaa luonnoksen julkisesti kommentoitavaksi esimerkiksi Fimean verkkosivuille. Kommentoitavaksi annetaan luonnos, jossa yrityksen merkitsemät julkisuuslain nojalla salassa pidettävät tiedot on peitetty.

Mikäli arviointiraporttiin ei sisällytetä yrityksen toimittamaa julkaisematonta aineistoa, Fimea ei toimita yritykselle raportin luonnosta mahdollisten salassa pidettävien tietojen merkitsemistä varten.

Osapuolet sitoutuvat pitämään salassa toiselta osapuolelta saamansa luottamukselliseksi katsottavat tiedot ja asiakirjat, jotka ovat viranomaisen toiminnan julkisuutta koskevan lainsäädännön perusteella salassa pidettäviä sekä olemaan käyttämättä niitä muihin kuin sopimuksen mukaisiin tarkoituksiin. Osapuolet toteavat lisäksi erikseen, että tämä sopimus liitteineen on julkinen.

8. Kustannukset

Osapuolet vastaavat kumpikin omalta osaltaan tähän sopimukseen mahdollisesti liittyvistä kustannuksista.

9. Sopimuksen voimassaolo ja päättymisen

Sopimus on voimassa siihen saakka, kunnes arviointi päättyy arviointiraportin julkaisemiseen.

Voimassaolon päättymisellä arviointiraportin julkaisemiseen ei ole vaikutusta siihen mitä tässä sopimuksessa on sovittu Fimealle luovutettavasta aineistosta, julkisuudesta ja salassapidosta, kustannuksista, vahingonkorvausvelvollisuudesta, sopimuksen siirtämisestä, kielestä ja sovellettavasta laista sekä erimielisyyksien ratkaisemisesta.

10. Sopimuksen siirtäminen ja muuttaminen

Osapuolilla on oikeus siirtää sopimus sellaiselle kolmannelle osapuolelle, jolle sen tehtävät siirtyvät kokonaan tai osittain. Sopimuksen siirrosta on ilmoitettava toiselle osapuolelle.

Muutokset on tehtävä kirjallisesti. Kirjallisiksi sopimusmuutoksiksi katsotaan myös sähköisessä muodossa tehdyt muutokset.

11. Kieli

Tämä sopimus on laadittu ja allekirjoitettu suomen kielellä. Sopimuksesta voidaan laatia tarvittaessa englanninkielinen allekirjoittamaton käännös, joka on epävirallinen. Jos suomen- ja englanninkieliset tekstit ovat keskenään ristiriidassa, sovelletaan ensisijaisesti suomenkielistä sopimustekstiä.

12. Sovellettava laki ja erimielisyyksien ratkaiseminen

Tähän sopimukseen sovelletaan Suomen lakia. Tästä sopimuksesta mahdollisesti aiheutuvat erimielisyydet pyritään ratkaisemaan keskinäisin neuvotteluin. Mikäli erimielisyyttä ei voida sopia, se ratkaistaan ensiasteena Helsingin käräjäoikeudessa.

13. Voimaantulo ja allekirjoitukset

Tämä sopimus tulee voimaan, kun molempien osapuolten allekirjoittamiseen toimivaltaiset henkilöt ovat sen allekirjoittaneet.

Tätä sopimusta on laadittu kaksi (2) samasanaista kappaletta, yksi kummallekin sopijapuolelle.

LÄÄKEALAN TURVALLISUUS- JA KEHITTÄMISKESKUS

paikka, aika

NN
virkanimike

NN
virkanimike

YRITYS

paikka, aika

NN
nimike

NN
nimike