

6.5.2014

Dnro
1896/60.02.01/2014

UUSIEN SAIRAALALÄÄKKEIDEN NOPEA ARVIOINTI ERVA-YHTEISTYÖNÄ

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimean ja arviointiylilääkäreiden verkoston ehdotus toimintatavaksi.

Miten uusia sairaalalääkkeitä voitaisiin jatkossa arvioida erityisvastuualueiden (erva), kliinisten asiantuntijoiden, lääkkeen myyntiluvan haltijan ja Fimean yhteistyönä?

- Fimea ja arviointiylilääkärit ehdottavat, että uusien sairaalalääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnissa noudatetaan **kuviossa 1** (sivu 4) esitettyä toimintatapaa. Tällöin nopea arviointi perustuisi myyntiluvan haltijan (MH) toimittamaan materiaaliin. MH:n toimittaman materiaalin lisäksi arvioinnissa olisi mahdollista hyödyntää myös muuta materiaalia, kuten Euroopan lääkeviraston tuottamaa julkista arviointilausuntoa (European public assessment report, EPAR)
- MH:n toimittaman materiaalin kriittisestä arvioinnista vastaisivat:
 - Erva-alueiden edustajat (esim. arviointiylilääkärit),
 - Erva-alueiden nimeämät kliiniset asiantuntijat sekä
 - Fimean asiantuntijat, jotka ovat perehtyneet lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointiin.

Mitä uudella sairaalalääkkeellä tarkoitetaan?

- Sairaalalääkkeellä tarkoitetaan tässä yhteydessä vain sairaalassa käytettäväksi tarkoitettua lääkettä, joka ei kuulu sairausvakuutuksen piiriin.
- Uudella lääkkeellä tarkoitetaan tässä yhteydessä juuri myyntiluvan saanutta lääkettä tai lääkettä, jolle on myönnetty merkittävä käyttöaiheen laajennus.

Mitä hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnilla tarkoitetaan?

- Hoidollisella arvolla tarkoitetaan arvioitavan lääkkeen terveysvaikutuksille, erityisesti hyöty–haitta-taseelle annettua merkitystä vaihtoehtoiseen hoitoon verrattuna.
- Taloudellisella arvolla tarkoitetaan sitä, voidaanko arvioitavan lääkehoidon avulla saavutettuja hyötyjä pitää riittävinä suhteessa lääkehoidosta aiheutuviin kustannuksiin.
- Tietoa uuden lääkkeen hoidollisesta ja taloudellisesta arvosta tarvitaan esimerkiksi sen jälkeen, kun lääke on saanut myyntiluvan ja sen käyttöönottoa mietitään sairaalassa. Arviointi perustuu osittain eri kriteereihin kuin myyntiluvan myöntäminen.

Miten arviointi toteutettaisiin käytännössä?

- Ehdotus uusien sairaalalääkkeiden nopean arvioinnin prosessista on esitetty **kuviossa 1**.
 - Arviointi käynnistyy, kun MH toimittaa selvityksen uuden sairaalalääkkeen hoidollisista ja taloudellisista vaikutuksista Fimealle. Selvitys noudattaa vakiorakennetta (**liite 1**).
 - Fimea käy MH:n toimittaman materiaalin läpi ja pyytää tarvittaessa MH:lta täydennyksiä ja täsmennyksiä selvitykseen.
 - MH voi halutessaan täydentää ja täsmentää selvitystä, minkä jälkeen Fimea toimittaa lopullisen selvityksen erva-edustajille sekä kliinisille asiantuntijoille.
 - Erva-edustajat ja kliiniset asiantuntijat sekä MH:n ja Fimean edustajat kokoontuvat keskustelemaan selvityksestä (**liite 2**).
 - MH kirjoittaa kokouksesta keskustelumuistion (**liite 3**), joka toimitetaan hyväksyttäväksi kaikille läsnäolijoille muutaman päivän kuluessa kokouksesta.
 - Fimealla, erva-edustajilla ja kliinisillä asiantuntijoilla on kaksi viikkoa aikaa toimittaa kirjallinen arvionsa MH:n toimittaman selvityksen eri osa-alueista (**liite 1**). Fimea koordinoi eri osapuolten arvioiden lisäyksen selvitykseen.

Mikä on nopean arvioinnin lopputuote?

- Arvioinnin lopputuote on yksi dokumentti (**liite 1**), joka sisältää
 - MH:n toimittaman selvityksen ja
 - Fimean, erva-edustajien sekä kliinisten asiantuntijoiden arviot.
- Lopputuote on julkinen ja se voidaan julkaista.

Mihin asioihin erva-edustajat, kliiniset asiantuntijat ja Fimea voisivat kiinnittää huomioita arvioinnissaan?

- Arvioinneissa on hyvä näkyä eri tahojen asiantuntemus:
 - Erva-edustajat: esim. kokonaiskuva; budjettirajoitteiden ja vaihtoehtokustannusten arviointi.
 - Kliiniset asiantuntijat: esim. uuden lääkkeen asema sairauden hoidossa; potilasryhmät jotka todennäköisesti hyötyvät eniten uudesta lääkkeestä; millä perusteella päätös hoidosta ja hoidon lopettamisesta tulisi tehdä.
 - Fimea: esim. terveydenhuollon menetelmien arviointiin (HTA) liittyvä osaaminen; näytön uskottavuuden/validiteetin ja hyödynnettävyyden arviointi käyttöönottopäätöksissä.
- Erva-edustajat ja kliiniset asiantuntijat voivat halutessaan ottaa kantaa lääkkeiden hoidolliseen ja taloudelliseen arvoon tai tehdä suosituksia uuden lääkkeen käytöstä, esimerkiksi seuraavasti:
 - Näkemyksemme mukaan [uuden lääkkeen] vaikutukset ovat [vähäiset / kohtalaiset / merkittävät] verrattuna [sen hoitovaihtoehtoon] [sairauden X] hoidossa.
 - Näkemyksemme mukaan [uuden lääkkeen] aiheuttamat kustannukset ovat [kohtuulliset / korkeat / kohtuuttomat] suhteessa niiden käytöstä aiheutuviin lisähyötyihin [sen hoitovaihtoehtoon] verrattuna.
 - Näkemyksemme mukaan [uuden lääkkeen] käyttö tulisi rajata seuraavaan potilasryhmään...

Milloin sairaalalääkkeiden nopea arviointi toteutetaan?

- Arviointi voidaan toteuttaa esimerkiksi myyntiluvan myöntämisen yhteydessä MH:n aloitteesta.
- Tavoitteena on, että arviointi on julkaistu noin kuukauden kuluttua myyntiluvan myöntämisestä. Lopullinen aikataulu riippuu kuitenkin siitä, koska myyntiluvan haltija toimittaa arvioinnissa hyödynnettävän selvityksen.

Voiko Fimea vaatia myyntiluvan haltijaa toimittamaan selvityksen?

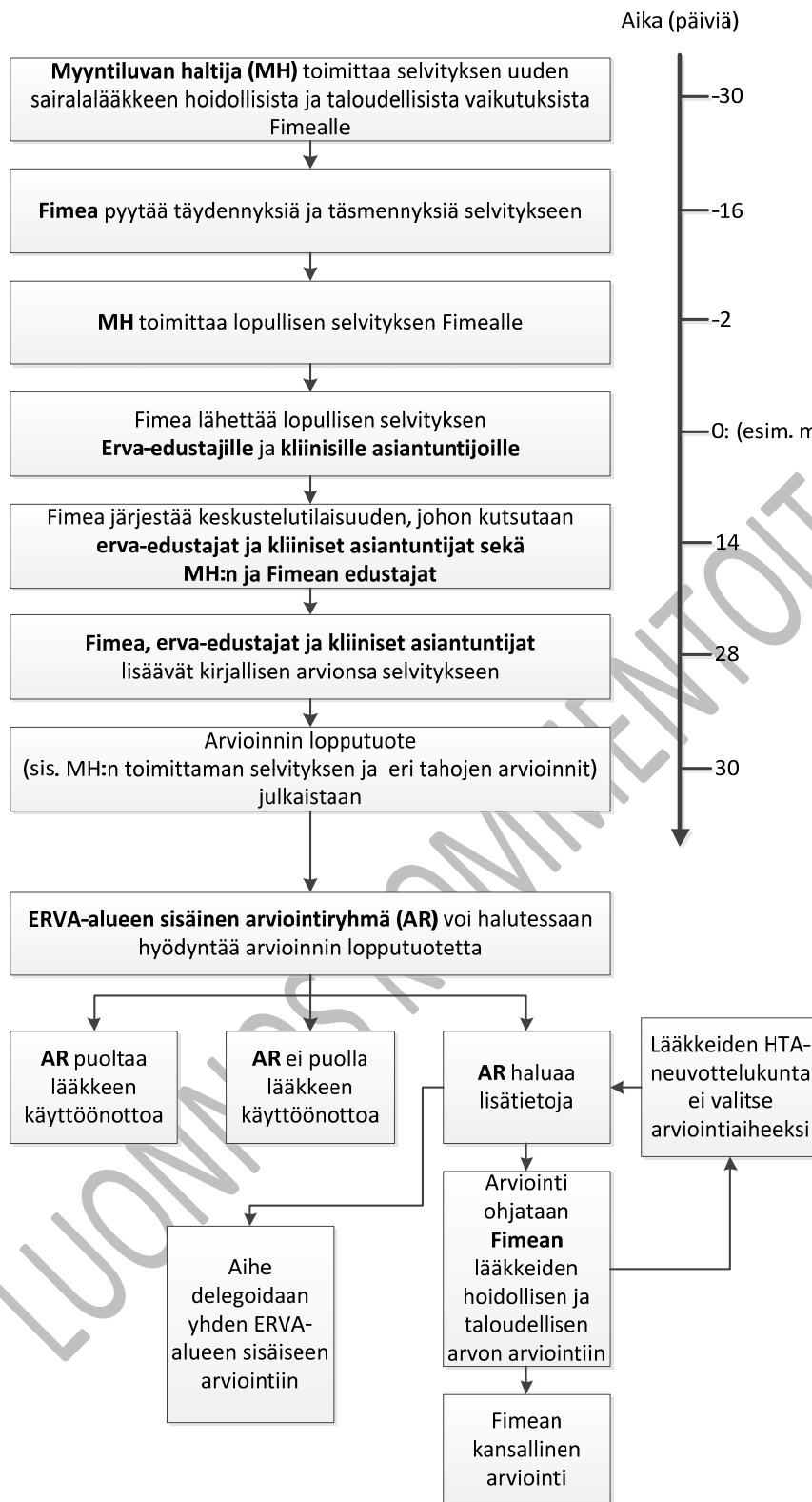
- Myyntiluvan haltijalla ei tällä hetkellä ole lakisääteistä velvoitetta toimittaa selvitystä.

Miksi Fimea ja arviointiylilääkärit ehdottavat tällaista toimintatapaa?

- Suunnittelun keskeisenä tavoitteena on, että arviointitieto on käytettävissä mahdollisimman pian lääkkeen markkinoille tulon jälkeen. Tarvittaessa voidaan tehdä myös yksityiskohtaisempia arvioiteja, jotka noudattavat Fimean suosituksessa määriteltyjä lähestymistapoja lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointiin
(http://www.fimea.fi/instancedata/prime_product_julkaisu/fimea/embeds/fimeawwwstructure/21537_Fimea_KAI_JULKAISUSARJA_2_2012_netti.pdf).
- Toimintatapa mahdollistaa vähäisten arviointiresurssien tehokkaan hyödyntämisen sekä oikea-aikaisen tiedon tuottamisen sairaalalääkkeisiin liittyvän päätöksenteon tueksi.
- Fimea ja arviointiylilääkärit korostavat, ettei ehdotettu toimintatapa kaikilta osin vastaa nykyistä käsitystä HTA-arviointien toteutuksesta. Keskeisimpänä tavoitteena on kuitenkin kehittää tarkoituksenmukainen ja eri sidosryhmien tarpeet nopeasti huomioiva prosessi.

Miten sairaalalääkkeiden nopea arviointi voitaisiin käynnistää?

- **Kevät 2014:** Fimea ja arviointiylilääkärit luonnostelevat ehdotuksen uusien sairaalalääkkeiden nopeasta arvioinnista erva-yhteistyönä. Ehdotus lähetetään kommentoitavaksi sidosryhmille.
- **Syksy 2014:** Tarvittaessa Fimea kutsuu sidosryhmät keskustelemaan nopean arvioinnin käytännöistä.
- **Syksy 2014:** Fimea pyytää Lääketeollisuus ry:tä etsimään halukkaat myyntiluvan haltijat pilottiarviointeihin.
- **Kevät 2015:** Toteutetaan 2–3 pilottia.
- **Syksy 2015:** Viimeistellään nopeiden arviointien prosessi yhdessä sidosryhmien kanssa.
- **2016–2017:** Nopeiden arviointien laajamittaisempi käyttöönotto.
- Tavoitteena on, että jossain vaiheessa kaikki uudet sairaalalääkkeet käyvät läpi nopean arvioinnin ennen käyttöönottopäätöstä.
- Käyttöönottopäätöksiä tekevien tahojen tarpeista riippuen nopeita arvioiteja voitaisiin toteuttaa myös muissa tilanteissa kuin myyntiluvan myöntämisen yhteydessä.



Kuvio 1. Fimean ja arviointiylieläkkäreiden ehdotus uusien sairaalälääkkeiden nopean arvioinnin prosessista (aikataulu on ohjeellinen).

JAKELU:

Anu Sulamaa / Lääketeollisuus ry
Heikki Bothas / Rinnakkaislääketeollisuus ry

Johtajaylilääkärit:

Aino-Liisa Oukka
Antti Turunen
Auvo Rauhala
Ermo Haavisto
Jukka Toivonen
Eva Salomaa
Hannu Puolijoki
Jorma Penttinen
Jouni Mutanen
Juha Kursu
Kari-Matti Hiltunen
Samuli Saarni
Markku Järvinen
Markku Mäkijärvi
Vesa Kataja
Kati Myllymäki
Olli Wanne
Sakari Telimaa
Samuli Saarni

Sairaala-apteekit:

Etelä-Karjalan keskussairaala
Etelä-Savon sairaanhoitopiiri
HUS-apteekki
Kainuun keskussairaala
Kanta-Hämeen keskussairaala
Keski-Pohjanmaan keskussairaala
Keski-Suomen keskussairaala
Kuopion yliopistollinen sairaala
Kymenlaakson sairaala-apteekki
Lapin sairaanhoitopiiri
Oulun yliopistollinen sairaala
Pirkanmaan sairaanhoitopiiri
Pohjois-Karjalan keskussairaala
Päijät-Hämeen sosiaali- ja terveysyhtymä
Satakunnan keskussairaala
Savonlinnan keskussairaala
Seinäjoen keskussairaala
Turun yliopistollinen keskussairaala

Jaana Leipälä / STM
Marjukka Mäkelä / Finohta, THL
Jorma Komulainen / Käypä hoito -yksikkö, Suomalainen Lääkäriseura Duodecim
Lääkkeiden HTA-neuvottelukunta

LIITE 1. SELVITYS UUDEN SAIRAALALÄÄKKEEN HOIDOLLISISTA JA TALOUDELLISISTA VAIKUTUKSISTA (Maksimipituus n. 30 sivua liitteineen + kommentit)**ARVIOINTIKYMYKSEN MÄÄRITTELY**

P	väestö (population, patients)
I	arvioitava lääkehoito (intervention)
C	vertailuhoito (comparison, comparators)
O	lopputulokset (outcomes)
(T)	aikahorisontti (time)
(S)	hoitoympäristö (setting)

ARVIOITAVAN LÄÄKEHOIDON KUVAUS

1. Mikä arvioitava lääke on ja mihin sitä käytetään? (kauppanimi, vaikuttava-aine, lääkemuoto ja käyttöaihe)
2. Miten arvioitava lääke vaikuttaa?
3. Miten arvioitavaa lääkettä käytetään?
4. Arvioijien kommentit [lisätään keskustelutilaisuuden jälkeen]
 - a. Erva-edustajat
 - b. Kliiniset asiantuntijat
 - c. Fimea

TERVEYSONGELMA JA HOITOVAIHTOEHTOJEN KÄYTÖN NYKYTILANNE

1. Kuinka moni kuuluu hoidon kohderyhmään?
2. Mitä hoitovaihtoehtoja arvioitavalle lääkkeelle on jo käytössä?
3. Miten arvioitava lääke eroaa nykykäytössä olevista hoitovaihtoehtoista?
4. Kuinka paljon arvioitavan lääkkeen hoitovaihtoehtoja tällä hetkellä käytetään?
5. Arvioijien kommentit [lisätään keskustelutilaisuuden jälkeen]
 - a. Erva-edustajat
 - b. Kliiniset asiantuntijat
 - c. Fimea

KLIININEN VAIKUTTAVUUS

1. Missä tutkimuksissa arvioitavan lääkkeen vaikutuksia on arvioitu?
2. Mitä tutkimuksia arvioitavan lääkkeen vaikutuksista on vielä meneillään tai julkaisematta?
3. Mikä on arvioitavan lääkkeen vaikutus kuolleisuuteen sen hoitovaihtoehtoihin verrattuna?
4. Mikä on arvioitavan lääkkeen vaikutus tautitapahtumien ilmaantumiseen hoitovaihtoehtoihin verrattuna?
5. Mikä on arvioitavan lääkkeen vaikutus potilaiden raportoimiin lopputuloksiin hoitovaihtoehtoihin verrattuna? (esimerkiksi elämänlaatu, toimintakyky)
6. Mikä on arvioitavan lääkkeen vaikutus korvikelopputuloksiin hoitovaihtoehtoihin verrattuna? (esimerkiksi laboratorioarvot)
7. Mitkä potilasryhmät (alaryhmät) voisivat erityisesti hyötyä hoidosta?
8. Arvioijien kommentit [lisätään keskustelutilaisuuden jälkeen]
 - a. Erva-edustajat
 - b. Kliiniset asiantuntijat
 - c. Fimea

TURVALLISUUS

1. Minkälaisia haittoja arvioitavan lääkkeen käyttö voi aiheuttaa potilaalle?
2. Ovatko tietyt potilasryhmät muita alttiimpia arvioitavan lääkkeen haitoille?
3. Millainen on arvioitavan lääkkeen turvallisuus hoitovaihtoehtoihin verrattuna?
4. Onko arvioitavalla lääkkeellä todettu haitallisia yhteisvaikutuksia?
5. Arvioijien kommentit [lisätään keskustelutilaisuuden jälkeen]
 - a. Erva-edustajat
 - b. Kliiniset asiantuntijat
 - c. Fimea

KUSTANNUKSET

1. Mikä on arvioitavan lääkkeen ja sen hoitovaihtoehtojen listahinta?
2. Mitkä ovat arvioitavan lääkehoidon kokonaiskustannukset sairaalalle per potilas vuodessa?
3. Millainen on arvioitavan lääkehoidon kokonaiskustannus hoitovaihtoehtoihin verrattuna?
4. Mitä kustannuksia aiheutuu muille tahoille? (esimerkiksi potilas, Kela)
5. Mitä epävarmuustekijöitä talouslukuihin liittyy?

6. Arvioijien kommentit [lisätään keskustelutilaisuuden jälkeen]
 - a. Erva-edustajat
 - b. Kliiniset asiantuntijat
 - c. Fimea

MUUT TEKIJÄT?

1. Liittykö arviointiin eettisiä näkökohtia, jotka tulisi huomioida arvioinnissa?
2. Liittykö arviointiin organisatorisia näkökohtia, jotka tulisi huomioida arvioinnissa?
3. Liittykö arviointiin sosiaalisia näkökohtia, jotka tulisi huomioida arvioinnissa?
4. Liittykö arviointiin juridisia näkökohtia, jotka tulisi huomioida arvioinnissa?
5. Liittykö arviointiin erityisiä potilasnäkökulmia, jotka tulisi huomioida arvioinnissa?
6. Arvioijien kommentit [lisätään keskustelutilaisuuden jälkeen]
 - a. Erva-edustajat
 - b. Kliiniset asiantuntijat
 - c. Fimea

ARVIOINTIIN OSALLISTUNEIDEN TAHOJEN KOKOAVAT KOMMENTIT / KANNANOTOT / SUOSITUKSET ARVIOIDUN LÄÄKKEEN KÄYTTÖNOTOSTA

LIITE 2. Keskustelutilaisuuden esityslista

Keskustelutilaisuus (Arvioinnin otsikko)

Aika:

Paikka:

Esityslista

- 1) Tilaisuuden avaus
- 2) Esityslistan hyväksyminen
- 3) Myyntiluvan haltijan toimittaman materiaalin tarkastelu
 - a. Arvioitavan lääkehoidon kuvaus
 - b. Terveysongelma ja hoitovaihtoehtojen käytön nykytilanne
 - c. Kliininen vaikuttavuus
 - d. Turvallisuus
 - e. Muut tekijät
- 4) Muut erva-edustajien kommentit
- 5) Muut kliinisten asiantuntijoiden kommentit
- 6) Muut Fimean kommentit
- 7) Muut myyntiluvan haltijan kommentit
- 8) Kokouksen päättäminen

LUONNOS KOMMENTOITAVAKSI

Liite 3. Keskustelutilaisuuden muistio (Arvioinnin otsikko)**Aika:****Paikka:****Läsnä:**

- 1) Tilaisuuden avaus
- 2) Esityslistan hyväksyminen
- 3) Myyntiluvan haltijan toimittaman materiaalin tarkastelu

Arvioitavan lääkehoidon kuvaus

- I. Erva-edustajien kommentit
- II. Kliinisten asiantuntijoiden kommentit
- III. Fimean kommentit
- IV. Myyntiluvan haltijan kommentit

Terveysongelma ja hoitovaihtoehtojen käytön nykytilanne

- I. Erva-edustajien kommentit
- II. Kliinisten asiantuntijoiden kommentit
- III. Fimean kommentit
- IV. Myyntiluvan haltijan kommentit

Kliininen vaikuttavuus

- I. Erva-edustajien kommentit
- II. Kliinisten asiantuntijoiden kommentit
- III. Fimean kommentit
- IV. Myyntiluvan haltijan kommentit

Turvallisuus

- I. Erva-edustajien kommentit
- II. Kliinisten asiantuntijoiden kommentit
- III. Fimean kommentit
- IV. Myyntiluvan haltijan kommentit

Muut tekijät

- I. Erva-edustajien kommentit
- II. Kliinisten asiantuntijoiden kommentit
- III. Fimean kommentit
- IV. Myyntiluvan haltijan kommentit

- 4) Muut erva-edustajien kommentit
- 5) Muut kliinisten asiantuntijoiden kommentit
- 6) Muut Fimean kommentit
- 7) Muut myyntiluvan haltijan kommentit
- 8) Kokouksen päättäminen