

21.2.2023

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

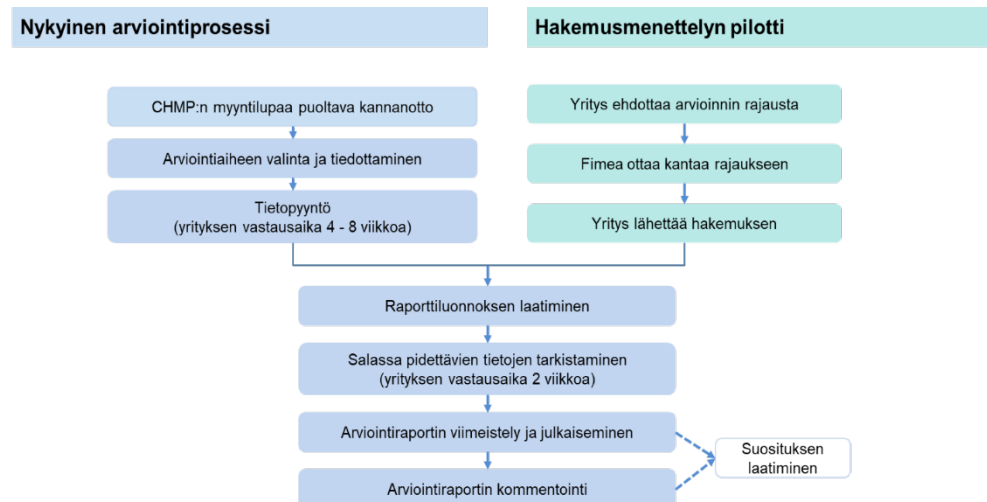
Hakemusmenettelyn pilotointi käynnistetään vuoden 2023 aikana. Hakemusmenettelyyn pilotointiin voidaan ottaa mukaan ensi kertaa markkinoille tulevia valmisteita, jotka on tarkoitettu sairaalakäyttöön ja joille ei ole tarkoitus hakea korvattavuutta avohoidossa. Hakemusmenettelyn pilotointiin voidaan kuitenkin harkita myös sellaista sairaalalääkettä, jota ei ole aiemmin arvioitu ja joka ei ole käytössä. Käytössä 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 tarvittaessa toteuttaa sairaalalääkkeiden arviointeja myös nykyisen sairaalalääkkeiden arviointimallin mukaisesti.

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

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 Fimeaa uudesta sairaalalääkkeestä ja hakemuksen jättämisen ennakoitusta ajankohdasta sekä ehdottaa arvioinnin rajausta (PICO-määrittely). Fimea ottaa kantaa arvioinnin rajaukseen sekä aiheen soveltuvuuteen hakemusmenettelypiloteihin. Arviointi tehdään lähtökohtaisesti myyntiluvan mukaisella indikaatiolla. Yritys voi halutessaan esittää rajausta käyttöaihetta suppeampaan kohderyhmään. Arvioinnin rajauksen jälkeen Fimea 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. Hakemusmenettelyn pilotoinnilla ei ole tarkoitus muuttaa PALKOn suosituksen laatimiseen ja hankintamenettelyyn liittyviä vaiheita.



Kuva 1. Sairaalalääkearvioinnin nykyinen prosessi ja hakemusmenettelyn pilotointi

Arviointien käynnistyminen pilottivaiheessa

Yritys ottaa yhteyttä Fimeaan ja ehdottaa arvioinnin rajauksia (PICO). Ensivaiheen yhteydenotot pyydetään asiointipostilaatikkoon hta@fimea.fi. 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 vakiomuotoisen sopimuksen².

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 hakemuserusteiseen menettelyyn sekä tiedustellaan mahdollista arvioinnin ajankohtaa. Fimea ratkaisee selvityksen jälkeen, käynnistetäänkö arviointi viranomaisaloitteisesti nykyisen toimintamallin mukaan vai jäädäänkö odottamaan hakemusmateriaalia.

Fimea julkaisee kuukausittain listausta aihevalinnoista CHMP:n puoltavien kannanottojen perusteella. Hakemusmenettelyssä mukana olevat aiheet ovat mukana samalla listauksella, mutta niitä ei erikseen eritellä.

Hakemuksen ohjeisto

Hakemusmateriaalin ohjeistossa hyödynnetään soveltuvin osin lääkkeiden hintalautakunnan uuden lääkevalmisteen korvattavuuden hakemusohjeita³ sekä terveystaloudellisen selvityksen laatimisen ohjetta⁴. Sairaalalääkkeiden arviointiin Fimealle lähetettäviä hakemuksia varten on laadittu erillinen hakemusohjeiden soveltamisohje (liitteenä). Soveltamisohjeet päivitetään pilottien kokemusten perusteella.

Pilottien arviointi ja prosessin kehittäminen

Pilotteihin voi hakeutua vuodesta 2023 lähtien ja kokemuksia kerätään ensivaiheessa noin vuoden ajalta. 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 hakemuserusteiseen menettelyyn viranomaisaloitteisen menettelyn sijaan. Jatkossa selvitettäväksi tulee myös arviointien päivittämiseen ja käyttöönoton jälkeisen lisänäytön keräämiseen liittyvät menettelytavat.

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 hakemuserusteisesta menettelystä riippumatta osassa arvioinneista ei ole saatavilla EU-mekanismissa tuotettua kliinistä arviointia.

² [Sairaalalääkearvioinnin prosessikuvaus, liite 2](#)

³ https://www.hila.fi/content/uploads/2021/05/Uusi_valmiste_ohje_250521.pdf

⁴ 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 hakemusohjeita⁵ sekä terveystaloudellisen selvityksen laatimisen ohjetta⁶, joiden soveltamista Fimean sairaalalääkearvioinneissa tämä ohjeisto kuvaa. Hintalautakunnan sähköisen asiointipalvelun käyttöä koskeva ohjeistus ei kosketa Fimeaan toimitettavaa materiaalia. Ensivaiheen yhteydenotot pyydetään asiointipostilaatikkoon hta@fimea.fi. Varsinainen hakemusmateriaali toimitetaan Fimean turvapostipalvelulla⁷ 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 arviointia varten yrityksellä on mahdollisuus esittää ehdotus luottamukselliseksi hinnaksi tai hinnoittelumalliksi. Selvityksissä tulee kuitenkin aina esittää tiedot perustuen myös valmisteen julkiseen tukkuhintaa.

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 vertailuhoitoja.

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

⁵ https://www.hila.fi/content/uploads/2021/05/Uusi_valmiste_ohje_250521.pdf

⁶ https://www.hila.fi/content/uploads/2020/01/Hakemusohje_TTS_2019.pdf

⁷ https://www.fimea.fi/tietoa_fimeasta/yhteystiedot/turvaposti