

**HANNA VENTOLA**

FM, senioriprojektipäällikkö  
MedEngine Oy

**AINO VESIKANSA**

FT, tieteellinen projektipäällikkö  
MedEngine Oy

**TIMO SIITONEN**

dosentti, sisätautien ja kliinisen  
hematologian erikoislääkäri  
OYS, medisiininen tulosalue

**JARI JOKELAINEN**

FM, data-analyytikko  
MedEngine Oy  
Oulun yliopisto, elinikäisen  
terveyden tutkimusyksikkö

**PIA ETTALA**

LL, sisätautien erikoislääkäri,  
kliiniseen hematologiaan  
erikoistuva lääkäri  
Turun yliopisto ja  
TYKS, hematologia ja  
kantasolujensiirtoyksikkö

**OUTI LAINE**

dosentti, apulaisylilääkäri,  
sisätautien ja kliinisen  
hematologian erikoislääkäri  
TAYS, sisätautien klinikka

**ELINA LEHTINEN**

dosentti, kliinisen hematologian  
erikoislääkäri  
Helsingin yliopistollinen sairaala,  
hyttymishäiriöyksikkö  
HYKS Syöpäkeskus

**AINO LEPÄNTALO**

LT, HM, kliinisen hematologian  
erikoislääkäri  
Helsingin yliopistollinen sairaala,  
hyttymishäiriöyksikkö

**ANU PARTANEN**

LL, sisätautien ja kliinisen  
hematologian erikoislääkäri  
KYS

**TERO YLISAUKKO-OJA**

FT, toimitusjohtaja  
MedEngine Oy  
Oulun yliopisto, elinikäisen  
terveyden tutkimusyksikkö

**RIITTA LASSILA**

LKT, professori, osastonylilääkäri,  
sisätautien erikoislääkäri  
Helsingin yliopistollinen sairaala,  
hyttymishäiriöyksikkö  
HYKS Syöpäkeskus, Research  
Program in Systems Oncology,  
Helsingin yliopisto,  
lääketieteellinen tiedekunta

# Hemofilian hoito ja kustannukset Suomessa

**LÄHTÖKOHDAT** Hemofilia on harvinainen verenvuototauti. Potilaat suosittaan hoidettavan verenvuototautien hoitoon erikoistuneissa keskuksissa. HemoHEOR-tutkimuksessa kartoitimme aikuisten potilaiden hoidon toteutumista ja kustannuksia Suomen yliopistosairaaloissa.

**MENETELMÄT** Tiedot yliopistosairaaloissa hoidossa olleiden täysi-ikäisten A- ja B-hemofiliapotilaiden (n = 168) terveyspalvelu- ja lääkekäytöstä sekä lääkemääräyksistä kerättiin potilaskertomuksista. Hoidon suorat kustannukset arvioitiin lääkkeiden tukkumyyntihintojen ja terveydenhuollon yksikkökustannusten perusteella.

**TULOKSET** Vuosien 2012–16 aikana arviolta 72 % aikuisista A-hemofilia- ja 67 % B-hemofiliapotilaista oli hoidossa yliopistosairaaloissa. Verenvuotojen vuosittaisen määrän mediaani oli aineistossa pieni, eikä neljäsosalla hemofiliapotilaista ollut vuotoja tutkimusjakson aikana. Enemmän kuin 80 % potilaista sai hyytymistekijäkorvaushoitoa, joka muodosti noin 97 % hemofilian hoidon suorista vuosittaisista kokonaiskustannuksista.

**PÄÄTELMÄT** Hemofilian hoidon tulokset suomalaisissa yliopistosairaaloissa ovat kansainvälisesti verrattuna erinomaisia ja hoitomuodon potilaskohtainen valinta onnistunutta. Potilaiden ohjaamista keskitetyn hoidon piiriin on edelleen tehostettava.

Hemofilia on harvinainen X-kromosomaalisesti periytyvä verenvuototauti, jota sairastaa noin 400 suomalaista. Sairaus johtuu veren hyytymistekijä VIII:n (A-hemofilia) tai IX:n (B-hemofilia) vajeesta tai toiminnan häiriöstä. Lievää hemofiliaa sairastavilla (hyttymistekijätaso yli 5 IU/dl, mutta alle 40 IU/dl) tauti ilmenee lähinnä pitkittyneinä vuotoina vamman tai leikkauksen yhteydessä.

Lähes kaikki vaikeaa (hyttymistekijätaso alle 1 IU/dl) ja osa keskivaikeaa (1–5 IU/dl) tautimuotoa sairastavista potilaista kärsii myös spontaaneista nivel- ja pehmytkudosvuodoista. Heillä on merkittävästi suurentunut henkeä uhkaavien vuotokomplikaatioiden riski. Toistuvat nivelvuodot altistavat kroonisille tuki- ja liikuntaelimestön vaurioille, kuten hemofiliselle artropatialle ja artroosille. Ne heikentävät huomattavasti potilaiden toimintakykyä ja elämänlaatua (1).

Koska hemofilia on harvinaissairaus, sen hoito ja seuranta vaativat ammatillista erityisosaamista. Nykyhoito perustuu hyytymistekijäkorvaushoitoon. Vaikeaa tautimuotoa sairastaville suositellaan profylaktista korvaushoitoa vuotojen vähentämiseksi ja pysyvien haittojen ehkäisemiseksi (2,3). Eliniän kestävä hoito on hy-

vin kallista: vaikeaa hemofiliaa sairastavien hoidon keskimääräiseksi suoriksi vuosikustannuksiksi on eurooppalaisessa tutkimuksessa arvioitu 193 363 euroa (4). Yksilöllisten tarpeiden mukaan räätälöity korvaushoito mahdollistaa kuitenkin hyvän taudin hallinnan, ja oikealla hoidolla potilaiden toimintakyky ja elinajanennuste ovat nykyään normaaleja (5).

Suomessa hemofilian hoitoketjua on kehitetty määrätietoisesti usean vuosikymmenen ajan. Lapsipotilaiden hoito keskitettiin 1990-luvulla yliopistosairaaloihin, ja tulokset ovat olleet erinomaisia (6). 2000-luvun alussa Helsingin yliopistolliseen sairaalaan perustettiin Hyytymishäiriöyksikkö, joka on valittu eurooppalaisen hemofilian hoitoverkoston (European Haemophilia Network, EUHANET) kokonaisvaltaisen hoidon keskuksiksi (European Haemophilia Comprehensive Care Centres, EHCCC). Tampereen, Turun ja Kuopion yliopistollisille sairaaloille on puolestaan myönnetty EUHANET:n Hemophilia Treatment Center -status (HTC) ja Oulun yliopistollisella sairaalalla on meneillään kyseisen statuksen haaku.

Eurooppalaisten hoitosuosittelusten mukaan kaikkien hemofiliapotilaiden hoito ja seuranta

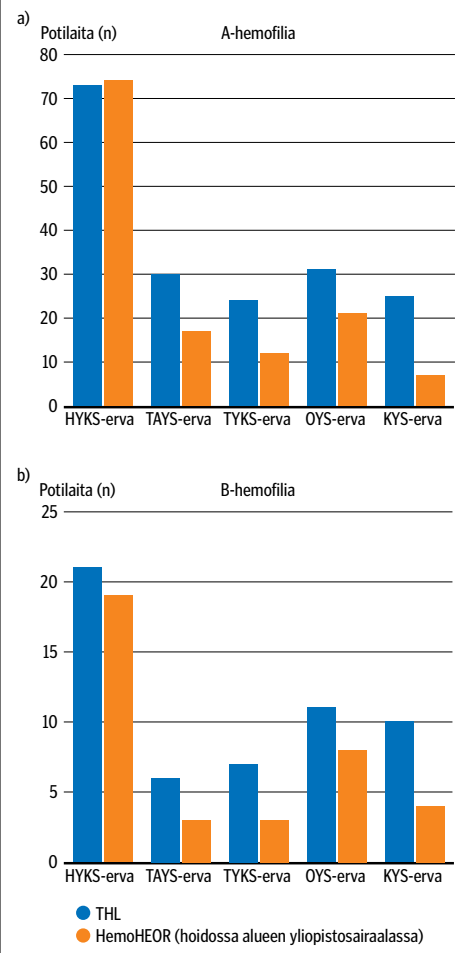
## KIRJALLISUUTTA

- 1 Forsyth AL, Witkop M, Lambing A ym. Associations of quality of life, pain, and self-reported arthritis with age, employment, bleed rate, and utilization of hemophilia treatment center and health care provider services: Results in adults with hemophilia in the HERO study. *Patient Preference Adherence* 2015;9:1549-60.
- 2 Peyvandi F, Garagiola I, Young G. The past and future of haemophilia: diagnosis, treatments, and its complications. *The Lancet* 2016;388:187-97.
- 3 Colvin BT, Astermark J, Fischer K ym. European principles of haemophilia care. *Haemophilia* 2008;14:361-74.
- 4 O'Hara J, Hughes D, Camp C, Burke T, Carroll L, Garcia-Diego D-A. The cost of severe haemophilia in Europe: the CHES study. *Orphanet J Rare Dis* 2017;12:106.
- 5 Armstrong E, Lassila R. Hemofiliain hoidon edistysaskelia. *Duodecim* 2017;133:325-6.
- 6 Vepsäläinen K, Riikonen P, Lassila R ym. Long-term clinical and economic outcomes in previously untreated paediatric patients with severe haemophilia A: A nationwide real-world study with 700 person-years. *Haemophilia* 2018;24:36-44.
- 7 Kapiainen S, Väisänen A, Haula T. Terveiden- ja sosiaalihuollon yksikkökustannukset Suomessa vuonna 2011. *THL raportti 3/2014*.
- 8 Österholm K, Puustjärvi-Sunabacka K, Lassila R, Alberty A, Armstrong E. Vaikeaa verenvuotautia sairastavat potilaat hyötyvät moniammatillisesta hoidosta. *Suom Lääkäril* 2012;42:3015-20.
- 9 Zhou ZY, Koerper MA, Johnson KA ym. Burden of illness: direct and indirect costs among persons with hemophilia A in the United States. *J Med Econ* 2015;18:457-65.
- 10 Chen CX, Baker JR, Nichol MB. Economic Burden of Illness among Persons with Hemophilia B from HUGS Vb: Examining the Association of Severity and Treatment Regimens with Costs and Annual Bleed Rates. *Value Heal* 2017;20:1074-82.
- 11 Chen SL. Economic costs of hemophilia and the impact of prophylactic treatment on patient management. *Am J Manag Care* 2016;2:126-33.
- 12 Peters R, Harris T. Advances and innovations in haemophilia treatment. *Nat Rev Drug Discov* 2018;17:493-508.

 KUVIO 1.

### Hemofiliapotilaiden hoitoon sijoittuminen

Kaikkien vuosina 2012–16 Suomessa hoidossa olleiden täysi-ikäisten hemofiliapotilaiden lukumäärä erityisvastuualueittain (THL:n tilasto), ja saman ajanjakson aikana alueen yliopistosairaaloissa hoidossa olleiden potilaiden määrä (HemoHEOR-kohortti). a) A-hemofiliapotilaat, b) B-hemofiliapotilaat.



tulisi toteuttaa näissä erikoistuneissa asiantuntijayksiköissä (3). Harvinaissairauksien keskitetty hoito parantaa hoidon laatua ja saatavuutta sekä luo edellytykset kustannussäästöille ja uusien hoitomuotojen arvioinnille (3).

Aikuisten hemofiliapotilaiden hoitokäytäntöjä tai hoidon kustannuksia ei ole johdonmukaisesti kartoitettu Suomessa. Tämän HemoHEOR (Hemophilia Health Economics and Outcomes Research) -tutkimuksen tarkoitus oli sel-

vittää hoitoon sijoittumista sekä hoidon toteutumista ja kustannuksia Suomen yliopistosairaaloissa.

### Aineisto ja menetelmät

HemoHEOR-tutkimuskohortti (n = 168) sisälsi kaikki A- ja B-hemofiliaa (ICD-10: D66 tai D67) sairastavat vähintään 18-vuotiaat potilaat, joilla oli vuosina 2012–16 ainakin yksi kontakti suomalaiseseen yliopistosairaalaan (kuvio 1). Tiedot kerättiin manuaalisesti sähköisistä potilastietojärjestelmistä strukturoidulle tietojenkeräyslomakkeelle. Vaikka osa potilaista oli neljän seuranta vuoden aikana hoidossa useammassa kuin yhdessä yliopistosairaalassa, analyysissä hoitopaikaksi määriteltiin se sairaala, jossa potilas oli ollut pisimpään.

Potilaan perustiedot kerättiin retrospektiivisesti seurantajakson ensimmäisen käyntikerran potilaskertomuksesta. Komplikaatioiden osalta tietoja täydennettiin tarvittaessa myöhempien käyntikertojen kirjauksien pohjalta. Taudin vaikeusasteen luokitus (lievä/keskivaikea/vaikea) perustuu lääkärin potilaskertomukseen kirjattuihin tietoihin. Vuosittainen verenvuotojen määrä (Annual Bleeding Rate, ABR) arvioitiin potilaan neljän vuoden seurantajakson aikana raportoimien vuototapahtumien keskiarvona. Tieto artropatiasta perustuu ICD-koodiin (M36.2) ja sairauskertomusteksteihin.

Terveyspalvelujen käytön arvioimiseksi kerättiin manuaalisesti tiedot kaikista potilaan erikoissairaanhoidon poliklinikkakäynneistä, sairaalahoitojaksoista ja leikkaushoidoista. Poliklinikkakäynneihin laskettiin mukaan sekä säännölliset seurantakäynnit että muut hemofiliain hoitoon liittyvät käynnit. Kustannusarviot perustuvat käyntikertojen määrään ja THL:n yksikkökustannuksia listaavaan raporttiin (7).

Korvaushoidon kustannusarviot perustuvat potilastietojärjestelmästä kerättyihin hyytymistekijävalmisteiden käyttömääriin (potilaan raportoima käyttö ja lääkemääräykset) ja lääkkeiden tukkumyyntihintoihin.

Tieto hemofiliapotilaiden kokonaismäärästä erityisvastuualueittain (ERVA) perustuu THL:n ylläpitämään terveydenhuollon hoitoilmoitusrekisteriin (Hilmo). THL:n potilasaineistoon sisältyvät kaikki vuosina 2012–16 Suomessa julkisen terveydenhuollon piirissä ICD-10-koodilla D66 tai D67 hoidossa olleet vähintään 18-vuotiaat potilaat (n = 238).

## Tulokset

### Kohortin perustiedot

Potilaiden perustiedot on esitetty taulukossa 1. Keskimääräinen seuranta-aika oli A-hemofiliapotilailla 3,4 (keskihajonta  $\pm$  0,8) vuotta ja B-hemofiliapotilailla 3,6 ( $\pm$  0,7) vuotta.

Yleisin seuranta-aikana havaittu komplikaatio oli verenvuoto. Neljän vuoden aikana 73 %:lla (n = 96) A-hemofiliapotilaista ja 70 %:lla (n = 26) B-hemofiliapotilaista raportoitiin vähintään yksi verenvuoto. Hemofiilistä artropatiaa raportoitiin 31 %:lla (n = 40) A-hemofiliaa ja 24 %:lla (n = 9) B-hemofiliaa sairastavista potilaista.

## Harvinaissairauksien keskitetty hoito parantaa hoidon laatua sekä luo edellytykset kustannussäästöille.

### Hemofiliapotilaiden hoitoon sijoittuminen

THL:n rekisterin mukaan Suomessa oli vuosien 2012–16 aikana julkisen terveydenhuollon piirissä hoidossa 238 vähintään 18-vuotiasta hemofiliapotilasta, joista noin 77 %:lla (n = 183) oli A-hemofilia ja 23 %:lla (n = 55) B-hemofilia (kuvio 1). HemoHEOR-tutkimuskohorttiin kuului 168 yliopistosairaaloissa hoidossa olevaa vähintään 18-vuotiasta potilasta, joista 78 %:lla (n = 131) oli A-hemofilia ja 22 %:lla (n = 37) B-hemofilia.

Kuvio 1 osoittaa HemoHEOR-kohortin ja THL:n aineiston potilaiden jakautumisen yliopistosairaaloittain ja erityisvastuualueittain (erva). THL:n aineistoon kuuluvien hemofiliapotilaiden osuudet jakautuivat erityisvastuualueittain seuraavasti: HYKS-erva 39 % (n = 94), TAYS-erva 15 % (n = 36), TYKS-erva 13 % (n = 31), KYS-erva 15 % (n = 35) ja OYS-erva 18 % (n = 42). Yliopistosairaaloissa hoidossa olevista hemofiliapotilaista (HemoHEOR-kohortti) yli puolet, 55 % (n = 93), oli hoidossa Helsingissä. Tampereella oli hoidossa 13 % (n = 21), Turussa 9 % (n = 16), Kuopiossa 7 % (n = 11) ja Oulussa 17 % (n = 29).

### Taudin vaikeusaste ja hoitomuoto

Potilaiden taudin vaikeusaste, hoitomuoto ja vuosittaisen vuotojen määrän (ABR, annual bleeding rate) mediaani on esitetty taulukossa 2.

TAULUKKO 1.

### HemoHEOR-potilaskohortin karakterisointi

	A-hemofilia	B-hemofilia
<b>n = 168</b>	131	37
<b>Sukupuoli</b>		
Mies	130	37
<b>Ikä, mediaani</b>	44,0	37,0
keskihajonta	16,1	15,6
vaihteluväli	23,0–89,0	24,0–81,0
<b>Painoindeksi, keskiarvo</b>	26,2	26,3
keskihajonta	4,1	5,3
vaihteluväli	18,5–44,8	18,9–43,2
<b>Tupakointi, n (%)</b>		
Kyllä	34 (26)	7 (19)
Ei	50 (38)	13 (35)
Ei tietoa	47 (36)	17 (46)
<b>Vuototapahtumia, n (%)</b>	96 (73)	26 (70)
<b>Artropatiadiagnoosi, n (%)</b>	40 (31)	9 (24)
<b>Työtilanne, n (%)</b>		
Töissä tai opiskelee	78 (60)	25 (68)
Työtön	6 (5)	4 (11)
Työkyvyttömyyseläkkeellä	16 (12)	< 3
Eläkkeellä	8 (6)	3 (8)
Ei tiedossa	16 (12)	3 (8)
Muu <sup>1</sup>	7 (5)	0
<b>Seuranta-aika, vuosia</b>		
keskiarvo	3,5	3,6
keskihajonta	0,8	0,7

<sup>1</sup> Esimerkiksi osa-aikaeläkkeellä, turvapaikanhakija.

Valtaosalla (55 %, n = 72) tutkimuskohortin A-hemofiliapotilaista oli vaikea tautimuoto. B-hemofiliapotilailla keskivaikea tautimuoto oli yleisin (43 %, n = 8). Seurantajakson aikana 82 % (n = 107) A-hemofiliapotilaista ja 84 % (n = 31) B-hemofiliapotilaista sai hyytymistekijäkorvaushoitoa. Kaikki vaikeaa tautimuotoa sairastavat A- ja B-hemofiliapotilaat saivat hyytymistekijävalmistetta. Vaikeaa tautimuotoa sairastavilla profylaktista korvaushoitoa saavien osuus oli A-hemofiassa 85 % (n = 57) ja B-hemofiassa 75 % (n = 6).

Verenvuotojen vuosittaisen määrän (ABR) mediaani oli A-hemofiliapotilailla 1,0 (vaihteluväli 0,0–62,3) ja B-hemofiliapotilailla 0,5 (0,0–30,5).



TAULUKKO 2.

**Taudin vaikeusaste, hoitomuoto ja vuosittainen vuotojen määrä**

HemoHEOR-kohortin potilaat. Vuotomäärät ilmoitettu hoitoryhmittäin (ABR = Annual bleeding rate, vuosittainen vuotojen määrä) paitsi ryhmistä, joissa potilaita on alle kolme.

	A-hemofilia (n = 131)				B-hemofilia (n = 37)			
	Lievä n (%)	Keskivaikea n (%)	Vaikea n (%)	Ei tiedossa n (%)	Lievä n (%)	Keskivaikea n (%)	Vaikea n (%)	Ei tiedossa n (%)
	35 (27)	15 (12)	72 (55)	9 (7)	10 (27)	16 (43)	8 (22)	3 (8)
<b>Hoitomuoto</b>								
Verenvuotoja ehkäisevä hoito (profylaksia) n (%)	1 (3)	5 (33)	61 (85)	6 (67)	–	4 (25)	6 (75)	1 (33)
ABR, mediaani (vaihteluväli)	–	0,4 (0,0–3,3)	1,0 (0,0–21,5)	5,5 (0,0–26,1)	–	0,6 (0,0–8,9)	0,9 (0,4–5,7)	–
Tarpeenmukainen hoito (on-demand) n (%)	10 (29)	10 (67)	11 (15)	3 (33)	7 (70)	10 (63)	2 (25)	1 (33)
ABR, mediaani (vaihteluväli)	0,9 (0,0–4,5)	1,3 (0,0–6,0)	1,5 (0,0–30,5)	19,2 (0,0–61,5)	0,0 (0,0–0,8)	0,7 (0,0–30,5)	–	–
Ei hyytymistekijää kotihoidossa, n (%)	24 (69)	–	–	–	3 (30)	2 (13)	–	1 (33)
ABR, mediaani (vaihteluväli)	0,0 (0,0–2,1)	–	–	–	–	–	–	0,0 (0,0–0,5)

**Terveyspalvelujen käyttö ja kustannukset**

Suomalaisten hemofiliapotilaiden terveystalvelujen käyttöä ja suoria hoitokustannuksia on kuvattu taulukossa 3. Yli 95 %:lla kaikista kohortin potilaista oli poliklinikakäyntejä seurantajakson aikana. A-hemofiliapotilailla oli keskimäärin 2,6 (keskihajonta, SD ± 2,2; mediaani, Md 2,0; kvartiiliväli, KV 1,2–3,3) ja B-hemofiliapotilailla 2,0 (SD ± 1,8; Md 1,5; KV 1,0–2,3) poliklinikakäyntiä vuodessa.

### *Osa potilaista voi olla edelleen säännöllisen seurannan ulkopuolella.*

Seurantajakson aikana leikkauksia oli vajaalla puolella A-hemofiliapotilaista ja noin puolella B-hemofiliapotilaista. Sairaalahoitotaksoja oli lähes puolella kaikista hemofiliapotilaista, ja niiden keskimääräinen pituus oli A-hemofiliapotilailla 4,9 (SD ± 3,1; Md 4,0; KV 2,2–6,8) ja B-hemofiliapotilailla 3,8 (SD ± 1,7; Md 3,5; KV 2,0–5,0) päivää.

Hemofilian hoidon vuosittaisten suorien kokonaiskustannusten keskiarvo oli A-hemofiliapotilailla 111 237 euroa (SD ± 136 630; Md 74 596; KV 3 334–185 584) ja B-hemofiliapotilailla 74 405 euroa (SD ± 80 648; Md 32 289; KV 4171–134 621). Korvaushoitovalmisteen kustannukset muodostivat noin 97 % sekä A- että

B-hemofiliapotilaiden hoidon vuosittaisista kokonaiskustannuksista.

**Päätelmät**

HemoHEOR-projekti on ensimmäinen reaali-maailman tietoon pohjautuva tutkimus, jossa selvitetään hemofilian hoitokäytäntöjä, hoitotuloksia sekä terveydenhuollon resurssien käyttöä ja kustannuksia aikuispotilailla Suomessa. Tutkimus muodostaa yhdessä viime vuonna julkaistun lapsipotilaiden hoidosta tehdyn kartoituksen kanssa kattavan käsityksen hemofilian hoidon nykytilasta (6).

Tutkimus osoittaa, että hoidon tulokset yliopistosairaaloissa ovat erinomaisia, mutta aikuisten hemofiliapotilaiden tunnistamisessa ja ohjaamisessa keskitetyn hoidon piiriin on edelleen puutteita. A-hemofiliapotilaista arviolta 72 % (n = 131) ja B-hemofiliapotilaista 67 % (n = 37) oli hoidossa yliopistosairaaloissa vuosien 2012–16 aikana.

Lievää tai keskivaikeaa hemofiliaa sairastavat potilaat eivät usein miellä itseään sairaiksi, ja on mahdollista, että osa potilaista on edelleen kokonaan säännöllisen seurannan ulkopuolella. Kuitenkin myös lievempiä tautimuotoja sairastavat kuuluvat verenvuotojen riskiryhmään. Heillä verenvuodot esimerkiksi vamman tai perusterveydenhuollon toimenpiteen yhteydessä voivat olla vakavia, ja toimenpiteet vaativat siksi verenvuotoja ehkäisevää korvaushoitoa.



TAULUKKO 3.

## Terveyspalveluiden käyttö ja kustannukset

	A-hemofilia (n = 131)	B-hemofilia (n = 37)
<b>Potilaat, joilla terveydenhuollon käyntejä seurantaajan aikana, n (% potilaista)</b>		
Poliklinikakäynnit	125 (95)	36 (97)
Sairaalahoitojaksot	63 (48)	17 (46)
Leikkaukset	55 (42)	19 (51)
<b>Suorat kustannukset (euroa / potilas / vuosi), keskiarvo (keskihajonta)</b>		
Kokonaiskustannukset	111 237 (136 630)	74 405 (80 648)
Korvaushoitokustannukset	108 021 (135 591)	72 082 (80 731)
Terveyspalvelukustannukset	3 216 (4 803)	2 323 (3 632)

## SIDONNAISUUDET

Hanna Ventola: Konsultointi, palkkio laitokselle (useita lääke- ja terveysteknologiayrityksiä mm. NovoNordisk, Octapharma, Pfizer, Roche, Sobi)  
 Aino Vesikansa: Konsultointi, palkkio laitokselle (useita lääke- ja terveysteknologiayrityksiä mm. NovoNordisk, Octapharma, Pfizer, Roche, Sobi)  
 Timo Siitonen: Konsultointi (Amgen), luontopalkkiot (Amgen, Janssen, Pfizer, Roche), kokousmatkakulut (Amgen, Gilead, Novartis), korvaus tutkimushoitajan työpanoksesta (MedEngine).  
 Jari Jokelainen: Konsultointi, palkkio laitokselle (useita lääke- ja terveysteknologiayrityksiä mm. NovoNordisk, Octapharma, Pfizer, Roche, Sobi).  
 Pia Ettala: Konsultointi (Amgen), matkakulut (AbbVie, Amgen, Cellegue, Octapharma, Pfizer, Shire).  
 Elina Lehtinen: Konsultointi (Bayer, Novonordisk, Octapharma, Pfizer, Roche, SOBI, Takeda), luontopalkkiot (Bayer, Novonordisk, Octapharma, Pfizer, Roche, SOBI, Takeda), matkakulut (Bayer, Novonordisk, Octapharma, Pfizer, Roche, SOBI, Takeda).  
 Anu Partanen: Round-table palkkio (AbbVie).  
 Tero Ylisaukko-oja: Konsultointi, palkkio laitokselle (useita lääke- ja terveysteknologiayrityksiä mm. NovoNordisk, Octapharma, Pfizer, Roche, Sobi).  
 Riitta Lassila: Konsultointi (Pfizer, Novonordisk, Roche), asiantuntijalausunto (CSL Behring, Roche), luontopalkkiot (CSL Behring, Pfizer, Takeda), EAHADin hallituksen sihteeri.  
 Outi Laine, Aino Lepäntalo:  
 Ei sidonnaisuuksia.

Kokonaisvaltaisen hoidon on osoitettu vähentävän hemofiliapotilaiden sairastavuutta ja kuolleisuutta sekä parantavan hoitoon sitoutumista (3,8). Tutkimuksen tulokset osoittavat, että hemofilian hoidon pitkäjänteinen ja määrätietoinen kehittäminen Suomen yliopistosairaaloissa on tuottanut kansainvälisesti erinomaisia tuloksia. Potilaiden seuranta yliopistosairaaloissa on tiivistä, ja profylaktista korvaushoitoa saavien, vaikeaa tautimuotoa sairastavien potilaiden osuudet ovat eurooppalaista keskiarvoa suurempia (4). Lisäksi vuosittaisten vuotojen määrän (ABR) mediaani oli hoitomuodosta riippumatta kohortissa erittäin pieni verrattuna monissa kansainvälisissä tutkimuksissa havaittuun, eikä neljäsosalla potilaista ilmennyt lainkaan vuotoja neljän seuranta vuoden aikana (1, 9,10).

Hemofilian hoidon kustannukset vaihtelevat merkittävästi taudin vaikeusasteen, hoitomuodon ja komplikaatioiden ilmenemisen mukaan (11). Kuten monissa aiemmissa kansainvälisissä tutkimuksissa on raportoitu, myös tässä tutkimuksessa valtaosa (noin 97 %) hemofiliapotilaiden hoidon kokonaiskustannuksista muodostui korvaushoitovalmisteiden käytöstä (4,11). Tutkimuksen perusteella keskimääräiset kustannukset suomalaisissa yliopistosairaaloissa ovat kansainvälisesti verrattuna ja verenvuotojen esiintymiseen suhteutettuna maltillisia.

ENGLISH SUMMARY | [www.laakarilehti.fi/english](http://www.laakarilehti.fi/english)  
 Treatment of haemophilia and related costs in Finland

## TÄMÄ TIEDETTIIN

- Hemofilia on krooninen harvinaissairaus, joten sen hoito on kallista ja vaatii ammatillista erityisosaamista.
- Suomessa hoitoketjua on kehitetty määrätietoisesti usean vuosikymmenen ajan. Tavoitteena on keskittää potilaiden diagnostiikka ja seuranta kokonaisvaltaisen hoidon keskuksiin.
- Hemofilian hoito on murrosvaiheessa lääkehoitojen kehittyessä.

## TUTKIMUS OPETTI

- Suomessa noin 70 % aikuisista hemofiliapotilaista on hoidossa yliopistosairaaloissa. Niissä hoitotulokset ovat erinomaisia ja kustannukset kohtuullisia.
- Potilaiden ohjaamista keskitetyn hoidon piiriin on edelleen tehostettava.

Perinteiset korvaushoitovalmisteet annostellaan kahdesti tai kolmesti viikossa suoneen. Niiden rinnalle on viime vuosina tullut pitkävaikutteisia korvaushoitovalmisteita ja ihon alle annosteltavia erityisvalmisteita, ja parhaillaan kehitetään geeniterapiaan pohjautuvaa, lähes parantavaa hoitoa (5,12). Tulevaisuudessa hemofilian hoito pyritään muokkaamaan yhä tarkemmin potilaan yksilöllisten tarpeiden ja farmakokinetiikan mukaan ([www.WAPPS-hemo.org](http://www.WAPPS-hemo.org)). Siksi hemofilian kokonaisvaltaiseen hoitoon ja korvaushoitovalmisteiden käyttöön perehtyneen kliinisen hematologin ja sisätautilääkärin rooli on keskeinen hoidon suunnittelussa ja seurannassa.

Tutkimuksen tulokset luovat edellytykset suomalaisen hemofilian hoidon pitkäjänteiselle kehittämiselle sairauteen liittyvät kokonaiskustannukset huomioon ottaen. Keskitetty hoito mahdollistaa hemofilian erikoistuneiden osaajien kokoamisen valtakunnalliseksi verkostoksi ja yhtenäisten toimintamallien kehittämisen. Tavoitteena on potilaiden yksilöllisten tarpeiden asettaminen keskiöön ja ajantasaisen hoidon tarjoaminen kehittyvässä toimintaympäristössä. ●

Kiitokset: Pfizer Oy on tukenut artikkelin kirjoittamista.

**HANNA VENTOLA**  
M.Sc., Senior Scientific Project  
Manager  
MedEngine Oy

**AINO VESIKANSA**  
Ph.D., Medical Writer  
MedEngine Oy

**TIMO SIITONEN, JARI  
JOKELAINEN, PIA ETTALA, OUTI  
LAINE, ELINA LEHTINEN, AINO  
LEPÄNTALO, ANU PARTANEN,  
TERO YLISAUKKO-OJA, RIITTA  
LASSILA**

# Treatment of haemophilia and related costs in Finland

**BACKGROUND** Haemophilia is a rare congenital bleeding disorder. The European Principles of Haemophilia Care recommend centralizing haemophilia treatment to special healthcare units. In this study we assessed clinical practice and costs of haemophilia care in Finland.

**METHODS** The study is based on the nationwide HemoHEOR cohort, which consists of all adult haemophilia A (HA; n = 131) and B (HB; n = 37) patients treated in the five Finnish University Hospitals from 2012–2016. Patient characteristics and data on healthcare utilization and medication were collected from medical records. Direct costs of care were evaluated based on drug reimbursement prices and the Finnish report on standard unit costs.

**RESULTS** During 2012–2016, 72% (n = 131) of adult HA and 67% (n = 37) of HB patients in Finland were treated in University Hospitals. Approximately 25% of patients did not experience bleedings during the 4-year follow-up and the median Annual Bleeding Rate in the cohort was low. Most of the patients (> 80%) received factor-replacement therapy, which accounted for 97% of annual direct costs of haemophilia care.

**CONCLUSIONS** The clinical outcomes of haemophilia care in Finnish University Hospitals are excellent and the costs are reasonable. An important future aim is to centralize care of all haemophilia patients to University Hospitals.