

Kalliiden syöpälääkkeiden kansallinen arviointi on välttämätöntä

Sinikka Sihvo, Vesa Kiviniemi, Kati Koskinen, Sirkku Jyrkkiö

Syöpää sairastavat potilaat, heidän läheisensä ja usein myös hoitavat ammattilaiset ovat huolissaan siitä, että uudet syöpälääkkeet saadaan käyttöön liian hitaasti. Lääkkeiden nopean käyttöönoton tarve korostuu tilanteissa, joissa tehokasta hoitoa ei ole aiemmin ollut saatavilla.

Uudet lääkkeet ovat kuitenkin tyypillisesti kalliita ja hyödyt usein marginaalisia, eikä jokaista myyntiluvan saanutta lääkettä ole syytä ottaa ilman arviointia käyttöön.

Länsimaissa lääkkeet otetaan käyttöön julkisessa terveydenhuollossa huolellisen arviointiprosessin jälkeen. Suomessa Fimea arvioi sairaalassa käytettävien syöpälääkkeiden hoidollista ja taloudellista arvoa ja Palveluvalikoimaneuvosto Palko antaa näistä puoltavan, ehdollisesti puoltavan tai poissulkevan suosituksen.

Suomi on uusien lääkkeiden arvioinnissa ja suosituksen valmistelussa usein liikkeellä varhain. Tavoitteena on nopea päätöksenteko.

Fimeassa lääkearviointi kestää 3–4 kuukautta. Tämän jälkeen suositusten valmistelu ja hyväksyminen Palkossa kestää noin 4–5 kuukautta. Ehdollisesti myönteistä suositusta tosin seuraa vielä neuvottelu lääkkeen hinnasta.

Euroopan lääkevirosto Ema puoltaa uusien lääkkeiden myyntilupia yhä useammin vähäisellä tutkimusnäytöllä (1). Tällä mahdollistetaan uusien lääkkeiden pääsy markkinoille aikaisessa vaiheessa. Tutkimusnäyttö lääkkeen pidemmän aikavälin tehosta ja haitoista on tässä vaiheessa osin epävarmaa ja edellyttää jatkoseurantaa.

Eman hyväksymien syöpälääkkeiden vaikuttavuutta on tutkittu myyntiluvan myöntämisen jälkeen. Lähes joka kolmannen myyntiluvan saaneen uuden syöpälääkkeen ei pitkäaikaisseurannassa voitu osoittaa pidentävän elossaoloaika (2). Silti nämä lääkkeet näyttävät pysyvän markkinoilla ja käytössä.

Yhdysvalloissa FDA:n vuosien 2003–21 myyntilupa-aineistoja tarkasteltaessa uusien syöpälääkkeiden todettiin vähentäneen kuoleman ja taudin etenemisen riskiä, mutta vaikutus elinaikaan oli varsin marginaalinen, keskimäärin 2,8 kuukautta (3).

Belgiassa puolestaan tehtiin laaja selvitys uusien innovatiivisten syöpälääkkeiden vaikuttavuudesta (1). Mukana oli yli 800 000:n vuosina 2004–17 diagnosoidun syöpäpotilaan tiedot. Päätelmänä oli, että kustannukset nousivat huomasti mutta lääkkeiden tuottama lisähyöty elinaikaan jäi usein osoittamatta.

Suurin haaste uusien syöpälääkkeiden käyttöönotossa eivät ole byrokraattiset viiveet, vaan epävarmuus näiden usein erittäin kalliiden lääkkeiden vaikuttavuudesta ja lisäarvosta nykyhoitoon verrattuna. Lääkkeiden käytön seurantamekanismit ovat kehittymättömiä, ja on vaikeaa varmentaa, mikä on todellinen kliininen hyöty potilaille.

Nykytilanteessa yhtenä haasteena on uusien lääkkeiden pitkäaikaisvaikuttavuuden systemaattisen seurannan puuttuminen. Ratkaisuksi toivotaan arkivaikuttavuustietoa, mutta toistaiseksi tietojärjestelmät eivät ole riittävän kehittyneitä reaaliaikaisen vaikuttavuustiedon keräämiseen (4).

Lääkearviointiprosessin sujuvuutta on myös syytä kehittää. Viiveet tulee minimoida, ja päätösten tulee perustua riittävän vahvaan näyttöön.

Kirjoittajat

Sinikka Sihvo
FT, dosentti, erityisasiantuntija
Palveluvalikoimaneuvosto, STM

Vesa Kiviniemi
FL, arviointipäällikkö
Fimea

Kati Koskinen
TtM, pääsihteeri
Palveluvalikoimaneuvosto, STM

Sirkku Jyrkkiö
LT, dosentti, syöpätautien erikoislääkäri, vs. sairaalajohtaja
Tyks
Palkon lääkejaoston puheenjohtaja

Sidonnaisuudet

Sinikka Sihvo, Vesa Kiviniemi, Kati Koskinen, Sirkku Jyrkkiö: Ei sidonnaisuuksia.

Kirjallisuutta

- 1 Neyt M, Devos C, Thiry N ym. Benefits and costs of innovative oncology drugs in Belgium (2004-2017). Health Technology Assessment (HTA) Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE). 2021. KCE Reports 343. D/2021/10.273/23.
- 2 Grössmann N, Robausch M, Rosian K ym. Monitoring evidence on overall survival benefits of anticancer drugs approved by the European Medicines Agency between 2009 and 2015. Eur J Cancer 2019;110:1–7. <https://doi.org/10.1016/j.ejca.2018.12.026>
- 3 Michaeli DS, Michaeli T. Overall survival, progression-free survival, and tumor response benefit supporting initial US Food and Drug Administration approval and indication extension of new cancer drugs, 2003-2021. J Clin Oncol, verkossa 3.8.2022. doi: 10.1200/JCO.22.00535
- 4 Sihvo S, Jyrkkiö S. Arkivaikuttavuustietoa saatavilla niukasti lääkkeiden vaikuttavuuden arviointiin. Palkon puheenvuorot kolumni 3.6.2022. [palveluvalikoima.fi](https://www.palveluvalikoima.fi)