



**TURUN  
YLIOPISTO**  
Kauppakorkeakoulu

# **Uusien syöpälääkkeiden kustannusvaikuttavuus ja korvattavuus Suomessa**

Taloustiede, Taloustieteen laitos  
Kandinaatintutkielma

Laatija:  
Veera Hokkanen

Ohjaaja:  
KTT Timo Virtanen

15.12.2025  
Turku

Opiskelijan lausunto tekoölyn käytöstä tähän tutkielmaan liittyen:

**En ole käyttänyt tekoölyä hyödyntäviä työkaluja** tätä tutkielmaa kirjoittaessani.

**Olen käyttänyt tekoölyä hyödyntäviä työkaluja** tätä tutkielmaa kirjoittaessani. Tämä käyttö on dokumentoitu tutkielman liitteessä. Vakuutan, että tekoölyä käytettiin yliopiston ohjeistuksen mukaisella tavalla.

Turun yliopiston laatujärjestelmän mukaisesti tämän julkaisun alkuperäisyys on tarkastettu Turnitin OriginalityCheck -järjestelmällä.

Kandidaatintutkielma

**Oppiaine:** Taloustiede

**Tekijä:** Veera Hokkanen

**Otsikko:** Uusien syöpälääkkeiden kustannusvaikuttavuus ja korvattavuus Suomessa

**Ohjaaja:** KTT Timo Virtanen

**Sivumäärä:** 35 sivua + liitteet 1 sivu

**Päivämäärä:** 15.12.2025

## **Tiivistelmä**

Viime vuosikymmeninä uusien avohoidon syöpälääkkeiden kustannukset ja osuus lääkekorvausmenoista ovat kasvaneet Suomessa merkittävästi. Uudet syöpälääkkeet ovat aiempia lääkkeitä huomattavasti kalliimpia ja ne tulevat markkinoille nopeammin sekä usein epävarmimmalla kliinisellä näytöllä, mikä lisää niiden kustannusvaikuttavuuden epävarmuutta. Epävarmuus vaikeuttaa terveydenhuollon resurssien tarkoituksenmukaista allokointia ja korostaa taloudellisten arviointien, erityisesti kustannusvaikuttavuus- ja kustannus-tiliteetti-analyysien, merkitystä uusien syöpälääkkeiden korvattavuuspäätöksenteossa.

Tämän tutkielman tavoitteena on tarkastella tekijöitä, jotka aiheuttavat epävarmuutta uusien syöpälääkkeiden kustannusvaikuttavuuteen, sekä arvioida, miten tämä epävarmuus vaikuttaa niiden korvattavuuteen Suomessa. Lisäksi tutkielmassa tarkastellaan kustannusvaikuttavuuden roolia syöpälääkkeiden korvattavuuspäätöksissä kansainvälisesti. Kansainvälinen tarkastelu perustuu aiempien tutkimusten tarkasteluun Ruotsista, Iso-Britanniasta ja Kanadasta.

Tutkielman tulosten perusteella uusien syöpälääkkeiden kustannusvaikuttavuuden arviointia vaikeuttavat erityisesti lääkkeiden korkeat hinnat, epävarmat tutkimusasetelmat sekä nopeutetut hyväksymisprosessit. Suomessa epävarmuutta hallitaan ehdollisella korvattavuudella ja siihen liittyvillä riskinjakosopimuksilla. Riskinjakosopimukset kuitenkin heikentävät korvattavuuspäätöksenteon avoimuutta.

Kansainvälisessä vertailussa kustannusvaikuttavuudella oli vahva rooli päätöksenteossa kaikissa tarkastelluissa maissa. Kustannusvaikuttavuuden heikkeneminen yhdistettiin erityisesti rajoitettuihin ja ehdollisiin korvattavuuspäätöksiin. Tuloksia ei kuitenkaan voida suoraan yhdistää Suomeen, sillä maiden korvattavuuteen vaikuttavissa tekijöissä on eroja. Maiden välillä voidaan silti tunnistaa samankaltainen kehityssuunta, sillä suurin osa uusista syöpälääkkeistä hyväksytään korvattavaksi, mutta useimmiten vain rajallisesti tai ehdollisesti. Lisäksi voidaan tunnistaa, että syöpälääkkeille hyväksytään usein tavanomaista korkeampia kustannusvaikuttavuuden kynnyksarvoja.

Tutkielma osoittaa, että uusien syöpälääkkeiden kustannusvaikuttavuuden epävarmuus on merkittävä haaste terveydenhuoltojärjestelmien kestävyuden kannalta. Jotta terveydenhuollon rajalliset resurssit kohdentuisivat mahdollisimman tehokkaasti, tulisi lääkkeiden korvattavuuspäätöksenteossa hyödyntää laadukkaampaa lisänäyttöä lääkkeen vaikuttavuudesta sekä yhdenmukaisempia ja läpinäkyvämpiä arviointikäytäntöjä. Näin voidaan varmistaa, että yhteiskunnan resurssit kohdistuvat lääkkeisiin, jotka tuottavat mahdollisimman paljon terveyshyötyjä.

**Avainsanat:** kustannusvaikuttavuus, kustannusvaikuttavuusanalyysi, taloudellinen arviointi, terveydenhuollon resurssien allokointi, niukkuus

# SISÄLLYS

<b>1</b>	<b>Johdanto</b>	<b>5</b>
<b>2</b>	<b>Päätöksenteko terveydenhuollossa</b>	<b>7</b>
2.1	Niukkojen resurssien allokointi	7
2.2	Taloudellinen arviointi	8
2.2.1	Kustannusvaikuttavuusanalyysi	10
2.2.2	Kustannus-utiliteettianalyysi ja laatupainotettu elinvuosi	11
2.2.3	Inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde ja kynnyksarvot	11
2.3	Epävarmuus ja epäsymmetrinen informaatio	13
<b>3</b>	<b>Suomen lääkekorvausjärjestelmän yleispiirteet</b>	<b>16</b>
3.1	Järjestelmän rakenne	16
3.2	Ehdollinen korvattavuus	17
3.3	Lääkkeen korvattava hinta	18
<b>4</b>	<b>Uusien syöpälääkkeiden korvattavuus Suomessa</b>	<b>19</b>
4.1	Uusien syöpälääkkeiden korvattavuuden arvioinnin haasteet	19
4.1.1	Korkea hinta	19
4.1.2	Pieni potilasmäärä ja epävarmat tutkimusasetelmat	20
4.1.3	Nopea markkinoille tulo	21
4.2	Yhteenvedo ja ratkaisuja päätöksentekoon	22
<b>5</b>	<b>Kustannusvaikuttavuuden rooli syöpälääkkeiden korvattavuudessa kansainvälisesti</b>	<b>24</b>
5.1	Ruotsi	24
5.2	Iso-Britannia	25
5.3	Kanada	26
5.4	Johtopäätökset	27
<b>6</b>	<b>Yhteenvedo</b>	<b>29</b>
	<b>Lähteet</b>	<b>31</b>
	<b>Liite 1 Selvitys tekoälyn käytöstä</b>	<b>36</b>

# 1 Johdanto

Vuonna 2023 syövän hoidon kokonaiskustannukset olivat Suomessa lähes 1,5 miljardia euroa (Syöpäsäätiö). Lääkekustannusten osuus tästä oli noin 40 %. Lääkkeitä käytetään syövän liitännäishoitoina pienentämään taudin uusiutumiseriskiä sekä levinneen syövän etenemisen hidastamiseksi. (Antikainen ym. 2024, 1798.) Maailman terveysjärjestö WHO (2018, 7–8) on nimennyt uusien syöpälääkkeiden korkeat hinnat ja kasvavat kustannukset merkittäviksi uhiksi terveydenhuoltojärjestelmien kestävyydelle.

Huomattava osa uusista syöpälääkkeistä on tarkoitettu avohoitoon eli myytäväksi avohuollon apteekeissa (Kansaneläkelaitos Kela 2022). Suomessa avohoidon lääkkeiden kustannuksia korvataan sairausvakuutukseen kuuluvasta lääkekorvausjärjestelmästä, jota rahoitetaan valtion osuuksilla ja vakuutettujen maksamalla vakuutusmaksuilla (Sosiaali- ja terveysministeriö). Vuonna 2024 syöpälääkkeistä ja immuunivasteen muuntajista maksettiin lääkekorvauksia yhteensä 675 miljoonaa euroa, mikä on yli kolmannes kaikista lääkekorvauksista (Kela 2025).

Terveydenhuollossa joudutaan tekemään valintoja siitä, mitä hoitoja ja lääkkeitä yhteiskunta rahoittaa ja missä määrin. Näissä valinnoissa on huomioitava vaihtoehtokustannukset, sillä resurssien kohdentaminen yhteen hoitoon tarkoittaa luopumista jostakin toisesta hoitomahdollisuudesta. Taloudellinen arviointi mahdollistaa hoitojen kustannusten ja niillä saavutettavien terveyshyötyjen systemaattisen vertailun vaihtoehtoihin hoitoihin. Lääkkeiden arvioinnissa keskeinen haaste on kuitenkin se, että kliinisissä tutkimuksissa osoitettu teho ei välttämättä kuvaa lääkkeen vaikuttavuutta todellisessa hoitoympäristössä.

Suomessa lääkkeiden korvattavuudesta päättää Lääkkeiden hintalautakunta (Hila), joka hyödyntää päätöksenteossaan terveystaloudellisia selvityksiä. Uusille syöpälääkkeille on tyypillistä, että niiden vaikuttavuudesta on saatavilla rajallista tai epävarmaa näyttöä lääkkeen tullessa markkinoille tai korvattavuuspäätösten yhteydessä (Kurko ym. 2022). Tällöin arvioinnissa ja korvattavuuspäätöksenteossa korostuu epävarmuuden hallinta. Uusien kalliiden syöpälääkkeiden käyttöönotto rasittaa lääkekorvausjärjestelmän taloudellista kantokykyä, minkä takia niiden kustannusvaikuttavuutta on arvioitava, jotta terveydenhuollon rajalliset resurssit voidaan kohdentaa mahdollisimman tehokkaasti.

Tässä tutkielmassa tarkastellaan uusien syöpälääkkeiden kustannusvaikuttavuuden arviointia ja siihen liittyä haasteita Suomen lääkekorvausjärjestelmän näkökulmasta. Tutkielmassa tavoitteena on selvittää, mitkä tekijät selittävät uusien syöpälääkkeiden kustannusvaikuttavuuden epävarmuutta

sekä, miten epävarmuus vaikuttaa niiden korvattavuuteen Suomessa. Lisäksi tarkastellaan, miten kustannusvaikuttavuus vaikuttaa uusien syöpälääkkeiden korvattavuuteen kansainvälisesti.

Tutkielmassa käsitellään Suomen näkökulmasta avohoidon lääkkeitä, joten lääkkeiden arviointikäytäntöjen käsittely rajataan niille olennaisiin osiin. Taloudellisten arviointimenetelmien tarkastelu rajataan kustannusvaikuttavuusanalyysiin ja sen erikoistapaukseen, kustannus-utiliteettianalyysiin, jotka ovat vakiintuneita menetelmiä lääkkeiden taloudellisessa arvioinnissa. Kansainvälinen tarkastelu rajataan tutkimuksiin Ruotsista, Iso-Britanniasta ja Kanadasta. Maat on valittu saatavilla olevien tutkimusten sekä lääkkeiden arvioinnin systemaattisuuden perusteella.

Tutkielman luvussa 2 tarkastellaan terveydenhuollon päätöksenteon taloustieteellisiä lähtökohtia, kuten niukkojen resurssien allokointia, taloudellista arviointia ja epävarmuutta. Luvussa 3 kuvataan Suomen lääkekorvausjärjestelmän rakennetta ja korvattavuuspäätöksentekoprosessia. Luvussa 4 tarkastellaan syöpälääkkeiden erityispiirteitä ja niiden vaikutusta korvattavuuteen Suomessa sekä esitetään mahdollisia keinoja korvattavuuspäätöksenteon kehittämiseksi. Luvussa 5 käsitellään kansainvälisiä tutkimuksia syöpälääkkeiden korvattavuuspäätöksiin vaikuttavista tekijöistä. Viimeisessä luvussa 6 kootaan tutkielman keskeiset havainnot ja johtopäätökset.

## 2 Päätöksenteko terveydenhuollossa

### 2.1 Niukkojen resurssien allokointi

Taloustieteessä hyödyke on niukka, jos sen kysyntä nollihinnalla ylittää sen tarjonnan. Ihmisten tarpeiden voidaan olettaa olevan rajattomia, mutta niiden tyydyttämiseen tarvittavat resurssit, kuten luonnonvarat, työvoima ja pääoma, ovat rajallisia. Niukkuus estää kaikkien tarpeiden täysimääräisen tyydyttämisen, minkä takia yhteiskunnassa joudutaan tekemään valintoja ja priorisoimaan rajallisten resurssien allokointia. Koska resurssien käytöstä saavutetaan hyötyä (engl. utility), jokainen allokointipäätös sisältää myös menetettyä hyötyä, joka olisi voitu saavuttaa vaihtoehtoisella resurssien kohdentamisella. Tätä parhaasta ei-valitusta vaihtoehdosta menetettyä hyötyä kutsutaan vaihtoehtoiskustannukseksi (engl. opportunity cost). (Sintonen & Pekurinen 2009, 10, 28.)

Terveydenhuollossa resurssien allokoinnin tavoitteena on usein terveyden maksimointi siten, että se jakautuu väestössä mahdollisimman tasapuolisesti. Näitä tavoitteita kutsutaan tehokkuus- ja oikeudenmukaisuuspyrkimyksiksi. Resurssien niukkuus aiheuttaa kuitenkin tehokkuuden ja oikeudenmukaisuuden välille tunnetun vaihtosuhteen (engl. equity-efficiency tradeoff), minkä vuoksi myös yhteiskunnan arvoilmasto vaikuttaa allokointipäätöksiin. (Sintonen & Pekurinen 2009, 10–11.)

Weinstein ja Zeckhauser (1973) esittävät rajoitettuun optimointiin perustuvan mallin julkisten varojen allokointiin, jota voidaan soveltaa myös terveydenhuollon päätöksentekoon. Tarkastellaan seuraavaksi Weinsteinin ja Zeckhauserin (1973) mallia Al ym. (2005) muotoilemassa muodossa, jossa rationaalinen päätöksentekijä valitsee terveyttä tuottavien toimenpiteiden rahoittamisen eli käyttöönoton rajoitetulla budjetilla. Mallissa päätöksentekijä ottaa toimenpiteiden kustannukset ja terveyshyödyt annettuina. Toimenpiteiden oletetaan olevan riippumattomia, vakio skaalatuottoisia, täydellisesti jaettavissa (engl. perfect divisibility) sekä määrältään äärellisiä ja kiinteitä. Lisäksi oletetaan, ettei kaikkia mahdollisia toimenpiteitä voida ottaa käyttöön. Päätöksentekijän maksimoi:

$$\max_{d_i} \sum_{i=1}^n d_i e_i \text{ siten, että } \sum_{i=1}^n d_i c_i \leq B,$$

missä  $n$  on toimenpiteiden lukumäärä,  $c_i$  toimenpiteen  $i$  kustannukset,  $e_i$  sen tuottamat terveysvai-  
kutukset,  $d_i \in [0,1]$  kuvaa toimenpiteen käyttöönoton astetta ja  $B$  on terveydenhuollon kiinteä  
budjetti. Optimointiongelman ratkaisu voidaan esittää seuraavasti:

$$\frac{c_i}{e_i} < \alpha \Rightarrow d_i^* = 1$$

$$\frac{c_i}{e_i} > \alpha \Rightarrow d_i^* = 0$$

$$\frac{c_i}{e_i} = \alpha \Rightarrow d_i^* = \pi,$$

missä parametrit  $\alpha$  ja  $\pi$  valitaan siten, että budjettirajoite täyttyy. Parametri  $\alpha$  voidaan tulkita kriittisenä arvona, joka edustaa suurinta hyväksyttävää kustannusvaikuttavuussuhdetta annetulla budjettilla. Jos toimenpiteen kustannusvaikuttavuussuhde alittaa kriittisin arvon, sen käyttöönotto on kustannusvaikuttavaa. Vastaavasti, jos suhde ylittää kriittisen arvon, toimenpiteen käyttöönottoa ei pidetä kustannusvaikuttavana. Jos suhde on yhtä suuri kuin kriittinen arvo, toimenpide otetaan käyttöön osittain parametrin  $\pi$  mukaisesti. (Al ym. 2005, 656–657.)

Esitetty malli yksinkertaistaa todellisuutta useilla oletuksilla. Esimerkiksi toimenpiteiden skaalatuotot eivät todennäköisesti ole vakioisia (Elbasha & Messonnier 2004, 22). Weinsteinin ja Zeckhauserin (1973) malli on kuitenkin ensimmäinen esitys, jossa resurssien allokoinnin optimiratkaisu perustuu kustannusvaikuttavuussuhteen vertaamiseen kynnyksarvoon. Tämä kynnyksarvoihin perustuva ajattelu on säilynyt kustannusvaikuttavuusanalyysien teoreettisessa taustassa. (Eichler ym. 2004, 519.)

## 2.2 Taloudellinen arviointi

Terveydenhuollon resurssien allokoinnissa hyödynnetään usein taloudellista arviointia (engl. economic evaluation). Taloudellisessa arvioinnissa tarkastellaan terveyttä tuottavan toimenpiteen kustannuksia ja sen tuottamia terveyshyötyjä suhteessa vaihtoehtoisin toimenpiteisiin. Arvioinnin tavoitteena on tuottaa päätöksentekijöille tietoa toimenpiteiden kustannusvaikuttavuudesta (engl. cost-effectiveness) verrattuna vaihtoehtoisin toimenpiteisiin. (Drummond ym. 2015, 3–4, 11.)

Taloudellisen arvioinnin päämenetelmiä ovat kustannusten minimointianalyysi (engl. cost-minimization analysis, CMA), kustannusvaikuttavuusanalyysi (engl. cost-effectiveness analysis, CEA) ja kustannus-hyötyanalyysi (engl. cost-benefit analysis, CBA). Kustannus-utiliteettianalyysi (engl. cost-utility analysis, CUA) voidaan nähdä kustannusvaikuttavuusanalyysin erikoistapauksena. Kustannusten minimointianalyysissä oletetaan, että tarkasteltavat toimenpiteet ovat yhtä vaikuttavia, jolloin vertailu kohdistuu ainoastaan kustannuksiin. Myös muissa menetelmissä kustannukset arvotetaan rahamääräisinä, mutta vaikuttavuutta mitataan eri yksiköissä. Kustannus-hyötyanalyysissä terveyshyödyt mitataan rahamääräisinä, kun taas kustannusvaikuttavuus- ja kustannus-utiliteettianalyysissä vaikutuksia mitataan luonnollisina yksiköinä. (Drummond ym. 2015, 5–6, 8, 10)

Taloudellisten arviointimenetelmien teoreettisista perustaa ei ole yksiselitteisesti määritelty. Aina-kin hyvinvointitaloustiede (engl. welfare economics) ja extra-welfarismi (engl. extra-welfarism) ovat vaikuttaneet arviointimenetelmien kehitykseen. Hyvinvointitaloustieteen viitekehyksessä taloudellisen arvioinnin tavoitteena on ohjata resurssien allokointia siten, että yhteiskunnan hyötyfunktio maksimoituu. Yhteiskunnan hyötyfunktio on muodostettu yksilöiden hyötyfunktioista, ja yksilöt saavat hyötyä terveyspalveluiden käyttämisestä preferenssiensä mukaisesti. Extra-welfaristisesta lähestymistavassa allokoinnin tavoitteena on väestön terveyden maksimointi annetulla terveydenhuollon budjetilla. Näiden paradigmojen tarkkaa eroa ei ole määritelty, mutta yleisesti ne eroavat toisistaan maksimoitavan ulottuvuuden perusteella. (Brouwer ym. 2008.)

Taloudellisten arviointien tuloksiin vaikuttaa myös niissä käytetty näkökulma. Näkökulma määrittää, mitkä kustannukset ja vaikutukset huomioidaan arvioinneissa. (Drummond ym. 2015, 24–25.) Tavallisimpia näkökulmia ovat yhteiskunnan ja terveydenhuollon näkökulma. Yhteiskunnan näkökulmasta analyysissä huomioidaan kaikki terveysvaikutukset ja kustannukset riippumatta siitä, mille sektorille ne kohdistuvat (Sintonen & Pekurinen 2009, 252). Lisäksi yhteiskunnallisessa näkökulmassa budjetin oletetaan yleensä olevan joustava ja toimenpiteiden käyttöönotto voidaan rahoittaa myös sektorin ulkopuolisilla tuloilla (Wouterse ym. 608–610). Terveystalouden näkökulmassa tarkastelu rajataan puolestaan terveydenhuollon sektorin kustannuksiin ja vaikutuksiin. Tällöin terveydenhuollolle yleensä oletetaan kiinteä budjetti, josta uusien toimenpiteiden käyttöönotto rahoitetaan, jolloin kaikki vaihtoehtokustannukset kohdistuvat terveydenhuollon sektoriin. Yleensä taloudellisissa arvioinneissa suositellaan käytettävän yhteiskunnan näkökulmaa, sillä liian rajoitetun näkökulman käyttäminen voi johtaa kustannusten tai vaikutusten aliarviointiin. (Meltzer ym. 2016, 41.)

Suomessa lääkkeiden taloudellisissa arvioinneissa tulee huomioida maksajasta riippumatta kaikki suorat terveydenhuollon ja sosiaalihuollon kustannukset, jotka liittyvät vertailtaviin lääkkeisiin. Arvioinnissa tulee esittää kaikki käytetyt resurssit sekä niiden yksikkökustannukset. Jos arvioinnissa huomioidaan mahdolliset sairaudesta johtuvat tuotannonmenetykset, tulee kustannukset esittää myös ilman niitä. (Hila 2025, 5). Tuotannon menetykset ovat esimerkki toimenpiteiden epäsuorista kustannuksista. Näiden epäsuorien kustannuksien huomioimisesta arvioinneissa ei kuitenkaan ole yksimielistä näkemystä. (Garber & Phelps 1997, 3–4.)

Näkökulman lisäksi arvioinnissa on valittava ajanjakso jolta kustannuksia ja vaikutuksia tarkastellaan. Terveysvaikutukset ja kustannukset tulee esittää yhtä pitkältä ajanjaksolta. Päätöksenteossa edellytetään usein riittävän pitkää aikaväliä, jotta kaikki olennaiset kustannukset ja terveysvaikutukset tulevat huomioituksi. (Hila 2025, 4.)

### 2.2.1 Kustannusvaikuttavuusanalyysi

Kustannusvaikuttavuusanalyysin tavoitteena on ohjata resurssien allokointi siten, että väestön terveys tai hyvinvointi maksimoidaan käytettävissä olevalla budjetilla (Wouterse ym. 2023, 607). Analyysissä terveysvaikutukset mitataan luonnollisina yksiköinä, kuten lisäelinvuosina tai kliinisinä tulomuuttujina (Kiviniemi & Rannanheimo 2020, 185). Kustannusvaikuttavuussuhde on yleisimmän käytetty tehokkuuskriteeri, ja pienempi arvo merkitsee tehokkaampaa toimenpidettä (Sintonen & Pekurinen 2009, 253).

Kustannusvaikuttavuusanalyysi voidaan toteuttaa joko vertailututkimuksen tai mallintamisen avulla. Mallintamisen etuna on mahdollisuus yhdistää tietoa useista eri lähteistä. Tämän takia mallintamista hyödynnetään erityisesti silloin, kun kaikkea oleellista tietoa toimenpiteen kohderyhmästä, vaikutuksista ja kustannuksista ei ole kerätty yhdessä tutkimuksessa. Usein käytettyjä malleja ovat ositetut elinaikamallit (engl. partitioned survival model), Markovin mallit sekä päätöksentekopuut. Mallintamisen avulla voidaan myös ekstrapoloida toimenpiteen terveysvaikutusten ja kustannusten kehittymistä kliinisen tutkimuksen seurantajakson jälkeen. (Kiviniemi & Rannanheimo 2020, 186–188.)

Kustannusvaikuttavuusanalyysissä raportoidaan tavallisesti perusanalyysi sekä erilaisia herkkyys-, skenaario- ja alaryhmäanalyysyjä. Perusanalyysi on paras mahdollinen arvio toimenpiteen kustannusvaikuttavuudesta, ja siinä noudatetaan ennalta sovittuja periaatteita, kuten näkökulmaa, aikaväliä sekä kustannusten ja vaikutusten diskonttausta. (Kiviniemi & Rannanheimo 2020, 186, 188.) Suomessa yli vuoden kuluttua toteutuvat kustannukset ja terveysvaikutukset diskontataan yleensä kolmen prosentin diskonttokorolla (Hila 2025, 8). Herkkyys-, skenaario- ja alaryhmäanalyysien avulla voidaan tunnistaa tekijöitä, jotka vaikuttavat merkittävästi kustannusvaikuttavuusanalyysien lopputuloksiin sekä arvioida analyysihin liittyvää epävarmuutta. (Kiviniemi & Rannanheimo 2020, 186, 188.)

Kustannusvaikuttavuusanalyysihin liittyvä epävarmuus voidaan jakaa parametri-, menetelmä- ja malliepävarmuuteen. Parametripävarmuus tarkoittaa mallin kustannus- ja vaikutusparametreihin liittyvää satunnaisvaihtelua. Esimerkiksi arvioitavana olevan toimenpiteen kliinisen näytön laatu vaikuttaa parametripävarmuuden suuruuteen. Menetelmäpävarmuus puolestaan liittyy analyysissä käytettyihin menetelmiin, kuten diskonttokorkoon tai aikaväliin. Malliepävarmuus on seurausta mallin rakenneoletuksista. (Kiviniemi & Rannanheimo 2020, 187–188.)

## 2.2.2 Kustannus-utiliteettianalyysi ja laatu-painotettu elinvuosi

Kustannus-utiliteettianalyysissa terveysvaikutukset mitataan tavallisesti laatu-painotettuina elinvuosina (quality-adjusted life years, QALY), mikä mahdollistaa elämänlaadun ja odotettavissa olevan elinajan yhdistämisen yhdeksi mittariksi (Drummond ym. 2015, 127). Suomessa lääkkeiden vaikutavuutta tulee ensisijaisesti mitata laatu-painotettuina elinvuosina (Hila 2025, 7).

Kustannus-utiliteettianalyysissä tehokkuuskriteerinä käytetään kustannus-utiliteettisuhdetta, jossa utiliteetti tarkoittaa QALYjen muutosta suhteessa toimenpiteestä aiheutuviin kustannuksiin. Kustannus-utiliteettianalyysi noudattaa pitkälti samoja periaatteita kuin kustannusvaikuttavuusanalyysi, mutta sen etuna on mahdollisuus vertailla eri sairauksien ja toimenpiteiden tuottamia terveyshyötyjä keskenään. (Sintonen & Pekurinen 2009, 253–254).

QALY-mittarin taustalla on oletus, että terveydenhuollon tavoitteena on sekä elinajan pidentäminen että terveyteen liittyvän elämänlaadun (engl. health-related quality of life, HRQoL) parantaminen. Laatu-painotetut elinvuodet lasketaan arvioimalla toimenpiteen jälkeiset elinvuodet ja painottamalla kukin vuosi laatu-kertoimella. Laatu-kertoimet käyttävät yleensä asteikkoa 0–1, jossa nolla vastaa kuolemaa ja yksi täydellistä terveydentilaa. (Sintonen & Pekurinen 2009, 253–254). Kertoimet perustuvat väestön preferensseihin eri terveydentiloja kohtaan. (Sintonen ym. 2022, 119–120.)

Laatu-kertoimien määrittäminen edellyttää elämänlaadun mittaamista joko geneerisillä tai sairausspesifeillä mittareilla. Päätöksenteossa suositaan geneerisiä mittareita, koska ne tuottavat vertailukelpoista tietoa elämänlaadusta eri sairauksien välillä. Suomessa yleisimmin käytettyjä geneerisiä elämänlaatumittareita ovat 15D-mittari ja EQ-5D-mittari, joissa terveys määritellään perusulottuvuuksien ja niiden tasojen avulla. Mittareiden perusteella muodostetaan indeksiluku, joka kuvaa terveyteen liittyvää elämänlaatua. (Sintonen ym. 2022, 119–120.)

Kirjallisuudessa kustannusvaikuttavuus- ja kustannus-utiliteettianalyysin välinen ero ei aina ole yksiselitteinen. Molempia saatetaan kutsua yleisesti kustannusvaikuttavuusanalyysiksi, ja QALY-mittaria saatetaan käyttää molemmissa analyysissä. Teoreettisesti analyysit, joissa vaikutuksia mitataan laatu-painotettuina elinvuosina, luokitellaan kuitenkin kustannus-utiliteettianalyysiksi.

## 2.2.3 Inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde ja kynnyksarvot

Weinsteinin ja Zeckhauserin (1973) esittämässä optimointiongelmassa päätöksentekijä priorisoi toisistaan riippumattomia toimenpiteitä, jolloin päätöksenteossa voidaan hyödyntää keskimääräisiä kustannusvaikuttavuussuhteita. Usein päätöksentekoon liittyy kuitenkin toisensa poissulkevien

toimenpiteiden vertailu. Tämä tarkoittaa esimerkiksi tilannetta, jossa tietyn sairauden hoitoon on saatavilla useita vaihtoehtoisia lääkkeitä, joista tulee valita yksi rahoitettavaksi. Tällöin vertailussa käytetään inkrementaalisia kustannusvaikuttavuussuhteita (engl. incremental cost-effectiveness ratio, ICER). (Johannesson & Weinstein 1993, 460.)

Inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde kuvaa sitä, kuinka paljon arvioitavan toimenpiteen tuottama lisähyöty-yksikkö, kuten yksi QALY, maksaa verrattuna vaihtoehtoiseen toimenpiteeseen. Jos tarkasteltavana on kaksi toimenpidettä, toimenpide A ja B, ICER lasketaan seuraavasti:

$$ICER = \frac{c_A - c_B}{e_A - e_B} = \frac{\Delta c}{\Delta e},$$

missä  $c_A$  ja  $e_A$  ovat toimenpiteen A keskimääräiset kustannukset ja terveysvaikutukset ja vastaavasti  $c_B$  ja  $e_B$  ovat toimenpiteen B keskimääräiset kustannukset ja terveysvaikutukset. Kustannusvaikuttavuusanalyysien tulokset ilmoitetaan usein inkrementaalisina kustannusvaikuttavuussuhteina ja niiden hyödyntäminen päätöksenteossa on yleistä. (Kiviniemi & Rannanheimo 2020, 185.)

Tilanteista, joissa toimenpide on sekä kustannuksiltaan pienempi että vaikutuksiltaan suurempi kuin vertailtava vaihtoehto, sanotaan toimenpiteen olevan vahvasti dominoiva. Jos toimenpide on parempi vain toisen tarkasteltavan ominaisuuden osalta, se on heikosti dominoiva. Sekä vahvasti että heikosti dominoivan toimenpiteen käyttöönottoa voidaan pitää kustannusvaikuttavana. Mikäli toimenpiteiden kustannukset ja vaikutukset ovat yhtä suuria, toimenpiteet ovat tasaveroisia. Sen sijaan tilanteissa, joissa toimenpide on sekä kalliimpi että vaikuttavampi kuin vertailuvaihtoehto, päätös ei ole yksiselitteinen, vaan tarvitaan kustannusvaikuttavuuden kynnsarvon arviointia. (Sintonen 2009, 270–271.)

Weinsteinin ja Zeckhauserin (1973) mallin mukaisesti päätöksenteossa ICER-lukua voidaan verrata johonkin kustannusvaikuttavuuden kynnsarvoon (engl. cost-effectiveness thresholds). Jos ICER on alittaa kustannusvaikuttavuuden kynnsarvon, toimenpidettä voidaan pitää kustannusvaikuttavana. Jos ICER ylittää kynnsarvon, niin toimenpidettä ei pidetä kustannusvaikuttavana ja oletetaan, että se tuottaa vähemmän terveyshyötyjä, kuin toimenpide, josta tulisi luopua uuden toimenpiteen rahoittamiseksi. (Kiviniemi & Rannanheimo 2020, 185.) Kynnsarvoon verrattaessa oletetaan lisäksi, että kaikki vahvasti dominoidut toimenpiteet on jo poistettu tarkastelusta (Meltzer ym. 2016, 49).

Kustannusvaikuttavuuden kynnsarvo voidaan määrittää usealla eri tavalla. Riippumatta siitä, käytetäänkö taloudellisessa arvioinnissa yhteiskunnallista vai terveydenhuollon näkökulmaa, kynnsarvon tulisi edustaa suurinta hyväksyttävää kustannusta yhdestä lisäterveysyksiköstä eli yhteiskunnan

maksuhaluukkuutta lisäterveydestä (Wouterse ym. 2023, 608). Resurssien allokoinnissa yleensä hyödynnetään rahoittajan eli tarjontapuolen kynnsarvoja, joissa kynnsarvo usein edustaa toimenpiteen käyttöönoton vaihtoehtoiskustannusta. Tällöin päätöksentekijöiden tulee arvioida sekä se terveys, joka voitaisiin saavuttaa muilla toimenpiteillä samoja resursseja käyttäen, että ne terveyshyödyt, jotka menetetään, jos uutta toimenpidettä ei oteta käyttöön. (Bertram ym 2016, 925.)

Yleisesti ei suositella käyttämään yhtä kiinteää kynnsarvoa ainoana päätöksentekosääntönä. Taloudellisiin arviointeihin liittyvä epävarmuus voi vääristää kustannusvaikuttavuussuhdetta, mikä voi johtaa virheellisiin resurssien allokointipäätöksiin. Lisäksi tuottajat voivat käyttää kynnsarvoa toimenpiteiden strategiseen hinnoitteluun, jolloin hinta asetetaan juuri kynnsarvon suuruiseksi. (Bertram ym. 2016, 926; Wouterse ym. 2020, 615.) Myös terveydenhuollon järjestelmissä, joissa eksplisiittisiä kynnsarvoja käytetään, niihin sovelletaan tyypillisesti joustoa. Joustoa perustellaan usein arvoihin liittyvillä tekijöillä, sillä korkeampia kynnsarvoa voidaan pitää hyväksyttävänä esimerkiksi harvinaisten sairauksien hoidossa tai tilanteissa, joissa vaihtoehtoisia hoitoja ei ole saatavilla (Kiviniemi & Rannanheimo 2020, 185).

### **2.3 Epävarmuus ja epäsymmetrinen informaatio**

Terveyden ja terveydenhuollon markkinat eroavat olennaisesti normaalien hyödykkeiden markkinoista. Arrow (1963) nimeää epävarmuuden ja epäsymmetrisen informaation terveydenhuollon markkinoiden keskeisiksi erityispiirteiksi. Nämä erityispiirteet selittävät markkinoiden epäonnistumisia ja julkisen sektorin vahvaa roolia terveyspalveluiden rahoituksessa ja järjestämisessä.

Terveyteen itsestään liittyy epävarmuutta, sillä sairastuminen, sen ajankohta ja siitä parantuminen ovat ennalta arvaamattomia tapahtumia. Tästä seuraa, että terveydenhuollon kysyntä on epäsäännöllistä ja vaikeasti ennustettavaa. (Arrow 1963.) Epävarmuus vaikuttaa myös resurssien allokointiin, koska toimenpiteiden kustannusten ja vaikutusten arviointiin liittyy epävarmuutta. Epävarmuus voidaan sisällyttää taloudelliseen arviointiin odotetun hyödyn teorian avulla.

Al ym. (2005) laajentavat Weinsteinin ja Zeckhauserin (1973) mallia sisällyttämällä epävarmuuden päätöksentekoon. Mallissa yhteiskunnan hyöty muodostuu kulutuksesta ja terveydestä. Päätöksentekijä voi kohdentaa resursseja joko terveydenhuoltoon tai vaihtoehtoiseen kulutukseen sektorin ulkopuolelle. Terveydenhuoltoon kohdistuvien investointien eli toimenpiteiden käyttöönoton oletetaan tuottavan terveyttä ja siten lisäävän yhteiskunnan hyötyä. Toisin kuin aikaisemmassa mallissa, terveydenhuollon budjetin ei oleteta olevan kiinteä, vaan toimenpiteitä voidaan rahoittaa myös

terveydenhuollon sektorin ulkopuolelta. Lisäksi toimenpiteiden kustannusten ja terveysvaikutusten oletetaan olevan toisistaan riippumattomia. (Al ym. 2005, 659–660.)

Mallissa päätöksentekijä valitsee toimenpiteiden käyttöönottoasteet  $d_i$  siten, että odotettu hyöty maksimoituu:

$$\max_{d_i} E[U(M - c, e)], \quad 0 \leq d_i \leq 1,$$

missä toimenpiteiden kokonaiskustannukset ovat  $c = \sum_i d_i c_i$ , kokonaisvaikutukset  $e = \sum_i d_i e_i$  ja  $M$  on budjetti. Optimin ensimmäisen kertaluvun ehdot voidaan esittää seuraavasti:

$$E[e_i U_2 - c_i U_1] > 0 \Rightarrow d_i^* = 1,$$

$$E[e_i U_2 - c_i U_1] < 0 \Rightarrow d_i^* = 0$$

$$E[e_i U_2 - c_i U_1] = 0 \Rightarrow 0 < d_i^* < 1,$$

missä  $U_1 = \frac{\partial U}{\partial (M-c)}$  kuvaa rahan rajahyötyä ja  $U_2 = \frac{\partial U}{\partial e}$  terveysvaikutuksien rajahyötyä. Mallin perusteella toimenpide otetaan kokonaan käyttöön, jos sen odotettujen terveyshyötyjen ja kustannusten erotus painotettuina rajahyödyillä on positiivinen. Jos päätöksentekijän hyötyfunktion oletetaan olevan lineaarinen  $U = (M - c) + a * e$ , saadaan rajahyödyiksi  $U_1 = 1$  sekä  $U_2 = a$ , jolloin päätöksäntö yksinkertaistuu muotoon:

$$\frac{E(c_i)}{E(e_i)} < a \Rightarrow d_i^* = 1$$

$$\frac{E(c_i)}{E(e_i)} > a \Rightarrow d_i^* = 0$$

$$\frac{E(c_i)}{E(e_i)} = a \Rightarrow 0 < d_i^* < 1,$$

missä  $a$  on kriittinen arvo. Ratkaisu siis vastaa Weinsteinin ja Zeckhauserin (1973) tulosta, mutta perustuu nyt odotettuihin kustannuksiin ja odotettuihin terveysvaikutuksiin. (Al ym. 2005, 660.)

Al ym. (2005) esittämä malli on yksinkertainen, mutta se havainnollistaa odotetun teorian hyödyn keskeisiä lähtökohtia kustannusvaikuttavuusanalyysien taustalla. Oletus päätöksentekijän lineaarisesta hyötyfunktioista ei kuitenkaan ole kovin realistinen, sillä se implikoi päätöksentekijän riskineutraalisuutta. (Al ym. 2005, 660) Taloustieteessä yksilöiden oletetaan yleensä olevan riskiä karttavia (engl. risk-averse), minkä takia on perusteltua olettaa, että rationaalinen päätöksentekijä on

ainakin riskiä karttava terveysvaikutuksille ja vähintään riskineutraali kustannusten suhteen (Al ym. 2005, 559–660; Samuelson & Nordhaus 2009, 215). Realistisempien hyötyfunktioiden käyttö mallissa usein kuitenkin edellyttää numeerisia optimointimenetelmiä (Al ym. 2005, 660).

Koska ihmiset ovat lähtökohtaisesti riskiä karttavia, terveyteen liittävä epävarmuus ja riskit muodostaa tarpeen vakuutusmarkkinoille. Ihmiset ovat valmiita maksamaan siitä, että sairastuessaan vakuutus korvaa aiheutuneet menetykset joko kokonaan tai osittain. Maksettavan vakuutusmaksun suuruus riippuu sekä riskin todennäköisyydestä että odotettujen menetyksien suuruudesta. Vakuutus voidaan järjestää julkisen sektorin toimesta, yksityisten markkinoiden kautta tai näiden yhdistelmänä. (Sintonen & Pekurinen 2009, 67.)

Markkinoiden epäonnistumisien takia usein julkinen sektori ainakin jossain määrin ohjaa vakuutusmarkkinoita. Keskeisiä vakuutusmarkkinoiden epäonnistumisista ovat moraalikato (engl. moral hazard) ja haitallinen valikoituminen (engl. adverse selection). Moraalikato tarkoittaa tilannetta, jossa vakuutetut ihmiset muuttavat käyttäytymistään vakuutuksen seurauksena siten, että riskien todennäköisyydet muuttuvat (Samuelson & Nordhaus 2009, 217). Moraalikadon vaaraa voidaan pienentää esimerkiksi rajoittamalla vakuutuksesta korvattavia palveluita, asettamalla korvauksille ylärajoja tai määrittelemällä omavastuuosuuksia (Sintonen & Pekurinen 2009, 79). Haitallinen valikoituminen puolestaan tarkoittaa tilannetta, jossa vain suuremman riskin ihmiset ostavat vakuutuksen, mikä vääristää markkinoita ja nostaa vakuutuksien hintoja (Samuelson & Nordhaus 2009, 217).

Edellä esitetyt markkinoiden epäonnistumiset johtuvat epäsymmetrisestä informaatiosta, sillä vakuutettu osaa arvioida paremmin omaa riskiään kuin vakuutuksen myöntäjä. Yleisesti epäsymmetrinen informaatio tarkoittaa tilannetta, jossa hyödykkeen myyjällä tai valmistajalla on enemmän tietoa sen ominaisuuksista kuin ostajalla (Samuelson & Nordhaus 2009, 217). Terveystieteiden markkinoilla epäsymmetristä informaatiota esiintyy erityisen paljon. Toisin kuin perinteinen kysyntäteoria olettaa, kuluttajat eivät yleensä pysty arvioimaan tarvitsemiaan terveyspalveluita tai niiden laatua. Tämä synnyttää terveydenhuoltoon päämies-agenttisuhteita, joista yksi keskeisimmistä on lääkärin ja potilaan välinen suhde. Lääkäri toimii potilaan agenttina, sillä hänellä on parempi tieto potilaan terveydentilasta sekä hoitovaihtoehdoista, ja siten ohjaa potilaan hoitovalintoja, kuten lääkkeiden käyttöä. (Sintonen & Pekurinen 2009, 46–47.)

### 3 Suomen lääkekorvausjärjestelmän yleispiirteet

Suomessa sairausvakuutukseen kuuluva lääkekorvausjärjestelmä on ollut käytössä vuodesta 1964 alkaen (Fimea & Kela 2025, 38). Sen tarkoitus on antaa taloudellista turvaa sairauden sattuessa tarjoamalla avohoidon tarpeelliset lääkkeet kohtuullisin kustannuksin (Ruskoaho 2018, 16). Lääkekorvaus koskee sairauden hoitoon määrättyjen reseptilääkkeiden, kliinisten ravintovalmisteiden ja pitkäaikaisten ihotautien hoitoon käytettävien perusvoiteiden kustannuksia. Myös itsehoitolääkkeiden kustannuksia voidaan korvata, kun lääkkeet ovat ostettu lääkemääräyksellä ja niiden käyttö on lääketieteellisin perustein välttämätöntä. (Fimea & Kela 2025, 38.)

Myyntilupa on lääkkeen markkinoille tulon edellytys ja lääkeyritys voi myyntiluvan saatuaan hakea lääkkeelle kuulumista korvausjärjestelmään (Fimea & Kela 2025, 46). Euroopan unionin alueella myyntiluvan hakemiseksi on käytössä useita vaihtoehtoisia menettelyitä. Menettelyn mukaan joko Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea tai Euroopan unionin komissio myöntää lääkkeelle myyntiluvan Suomen markkinoille. (Fimea: Myyntiluvat.)

Jos markkinoilla ei ole sopivaa myyntiluvallista lääkettä sairauden hoitoon, Fimea voi myöntää lääkkeelle erityisluvan. Erityislupa tarkoittaa, että myyntiluvaton lääke voidaan ottaa käyttöön haettuun tarkoitukseen. Myös erityisluvallisesta lääkkeestä on mahdollista saada lääkekorvaus. (Kela: Erityisluvalliset lääkkeet.)

#### 3.1 Järjestelmän rakenne

Sosiaali- ja terveysministeriön alainen Lääkkeiden hintalautakunta (Hila) päättää korvausjärjestelmään hyväksyttävistä lääkkeistä, niiden tukkuhinnoista ja korvausluokista. Tukkuhinta tarkoittaa enimmäishintaa, jolla valmistetta saa myydä apteekeille. (Fimea & Kela 2025, 46.) Lääkettä voi myydä myös ilman vahvistettua tukkuhintaa, ja lääkeyritys saa päättää ei-korvattavan lääkkeen tukkuhinnan vapaasti, mutta Hilan vahvistama tukkuhinta on korvattavuuden kriteeri (Fimea & Kela 2025, 46; Lääketeollisuus).

Hila vahvistaa lääkkeen korvattavuuden ja tukkuhinnan hakemusmenettelynä, jossa päätökset perustuvat myyntiluvan haltijan hakemuksiin (Ruskoaho 2018, 35; Fimea & Kela 2025, 46). Hakemuksien tulee sisältää sairausvakuutuslaissa säädetyt tiedot, kuten selvitys lääkkeen hoidollisesta arvosta ja korvattavuuden hyödyistä sekä taloudellisuudesta verrattuna vaihtoehtoisiin lääkkeisiin. Jos hakemus koskee uutta vaikuttavaa lääkeainetta tai korvattavuuden merkittävää laajenemista, hakemukseen tulee aina liittää terveystaloudellinen selvitys. (Sairausvakuutuslaki 6 luku 4§.)

Arvioinneissa lääkettä verrataan parhaimpaan tai yleisimpään hoitoon, joka on käytössä samaan tarkoitukseen (Koskinen ym. 2019, 329). Myyntiluvan haltija voi poistaa lääkkeen korvausjärjestelmästä neljännesvuosittain (Fimea & Kela 2025, 46).

Suomen lääkekorvausjärjestelmässä on alku- ja vuosiomavastuu sekä kolme korvausluokkaa, jotka ovat peruskorvausluokka sekä alempi ja ylempi erityiskorvausluokka. Lääkkeen kustannuksia korvataan korvausluokan mukaisesti vuosittaisen alkuomavastuuosuuden täyttymisen jälkeen. Peruskorvaus on 40 %, alempi erityiskorvaus 65 % ja ylempi erityiskorvaus 100 % lääkkeen hinnasta. Ylemmän erityiskorvausluokan lääkkeitä maksetaan 4,50 euron suuruinen omavastuu jokaisella ostokerralla. Jos vuosiomavastuu eli lääkekatto täyttyy, myönnetään lisäkorvaus, jonka jälkeen loppuvuoden ajan lääkkeitä tulee maksaa jokaisella ostokerralla vain 2,50 euron suuruinen omavastuu. (Kela: Lääkekorvaukset.)

Suomen lääkekorvausjärjestelmä on sairausperusteinen eli lääkkeiden jako korvausluokkiin tehdään sairauden ja lääkehoidon välttämättömyyden perusteella. Hila voi myöntää lääkkeelle korvattavuuden kaikkien haettujen käyttöaiheiden osalta tai rajoittaa perus- tai erityiskorvattavuuden koskemaan tiettyä sairauden muotoa, potilasryhmää tai vaikeusastetta, jolloin puhutaan rajoitetusta korvattavuudesta. Rajoittamalla korvattavuutta pyritään hallitsemaan lääkkeen kokonaiskustannuksia kohdentamalla käyttö kustannusvaikuttaviin potilasjoukkoihin tai käyttöaiheisiin. (Ruskoaho 2018, 16–17, 19–20.)

Kansaneläkelaitos (Kela) toimeenpanee Hilan päätöksiä eli maksaa asiakkaille lääkekorvauksia päätösten mukaisesti. Tavallisesti kerrallaan lääkkeitä korvataan enintään kolmen kuukauden tarvetta vastaava määrä. Jos lääkkeen arvonlisäverollinen hinta on yli 1 000 euroa, lääkettä korvataan kerrallaan enintään yhden kuukauden tarvetta vastaava määrä. (Fimea & Kela 2025, 37–38.) Kela lisäksi päättää korvausoikeuksien edellytyksistä ja tarvittavista selvityksistä korvattavuuskäsittelyssä (Ruskoaho 2018, 50).

### **3.2 Ehdollinen korvattavuus**

Suomessa lääke on voitu hyväksyä ehdollisesti korvattavaksi vuodesta 2017 alkaen. Ehdollinen korvattavuus tarkoittaa riskinjakosopimusta (engl. risk sharing agreements) Hilan ja lääkeyrityksen välillä, jossa sovitaan uuden lääkkeen tai käyttöaiheen käyttöönottoon liittyvän epävarmuuden hallinnasta. Riskinjakosopimuksia kutsutaan myös hallitun käyttöönoton sopimuksiksi (engl. managed entry agreements MEA). (Martikainen & Pelkonen 2020, 200). Ehdollisen korvattavuuden vaatimuksena on, että lääkkeelle on erityinen lääketieteellinen tarve ja sen korvattavuuden arviointiin

vaikuttaviin tekijöihin, kuten hoidolliseen arvoon, kokonaiskustannuksiin tai kustannusvaikuttavuuteen, liittyy merkittävää epävarmuutta (Ruskoaho 2018, 53). Ehdollisesti korvattava lääke on aina myös rajoitetusti korvattava.

Lääkeyritys voi hakea lääkkeelle ehdollista korvattavuutta sen jälkeen, kun on saanut Hilalta ensimmäisen kerran kielteisen päätöksen korvattavuudesta. Riskinjakosopimukset voivat olla taloudellisia tai perustua lääkkeen vaikuttavuuteen. Taloudellisissa sopimuksissa lääkeyhtiö ja Hila neuvottelevat lääkkeen julkista listahintaa alemman hinnan tai sopivat lääkkeen myyntimääriin perustuvista palautusmaksuista. (Martikainen ja Pelkonen 2020, 202.) Sopimuksien sisältö on salaista ja salassapito varmistetaan julkaisemalla vain palautusmaksujen yhteenlasketut kokonaissummat (Ollila ym. 2022, 9).

Vaikuttavuuteen perustuvissa riskinjakosopimuksissa vaaditaan lisänäyttöä lääkkeen hoidollisesta arvosta tarkastelemalla todellisuudessa havaittua vaikuttavuutta. Vaikuttavuuteen perustuvissa sopimuksissa lääkkeiden rahoittaja vastaa vain onnistuneiden hoitojen kustannuksista eli lääkeyritys maksaa niiden hoitojen kustannukset, joiden hoitotulos ei ole odotetun mukainen. (Martikainen ja Pelkonen 2020, 202.) Vaikuttavuuteen perustuvat sopimukset ovat kuitenkin haastavampia toteuttaa ja sen takia harvinaisempia (Ollila ym. 2022, 9).

### **3.3 Lääkkeen korvattava hinta**

Lääkekorvausjärjestelmässä olevat lääkkeet ovat hintasääntelyn alaisia. Lääkekorvaus maksetaan lääkkeen arvolisäverollisesta vähittäismyyntihinnasta, joka muodostuu vahvistetusta tukkuhinnasta ja siihen lisätystä apteekin katteesta. Apteekin myyntikate muodostuu Valtioneuvoston asettaman lääketaksan perusteella. Lääketaksan avulla lääkkeiden hinnat pyritään pitämään kohtuullisina ja samoina kaikissa apteekeissa. (Fimea & Kela 2025, 38, 46.)

Lääkkeiden hintakilpailua lisätään generisellä substituu tiolla eli lääkevaih dolla sekä viitehintajärjestelmällä. Viitehintaryhmän muodostavat samaa lääkeainetta sisältävät vaihtokelpoiset lääkkeet. Ryhmän viitehint a on korkein hinta, josta lääkekorvaus maksetaan ja se muodostetaan lisäämällä ryhmän edullisimman lääkkeen hintaan 0,50 euroa. Viitehintaa edullisimmista lääkkeistä korvaus maksetaan lääkkeen vähittäismyyntihinnan perusteella. Jos asiakas ei suostu vaihtamaan lääkettä, jonka hinta ylittää viitehinnan, maksaa hän omavastuun lisäksi viitehinnan ylittävän osuuden, eikä yli menevä osuus kerrytä lääkekattoa. Lääkkeen määrääjä voi kieltää lääkkeen vaihtamisen vain lääketieteellisistä tai hoidollisista syistä. (Fimea & Kela 2025, 39, 48.)

## 4 Uusien syöpälääkkeiden korvattavuus Suomessa

### 4.1 Uusien syöpälääkkeiden korvattavuuden arvioinnin haasteet

Euroopan unionin alueella kaikki uudet syöpälääkkeet arvioidaan keskitetyssä myyntilupamenettelyssä, jota hallinnoi Euroopan lääkevirasto (engl. European Medicines Agency, EMA). Menettelyssä Euroopan unionin komissio myöntää lääkkeelle myyntiluvan, joka tulee samanaikaisesti voimaan kaikissa EU-jäsenvaltioissa sekä Islannissa, Liechtensteinissa ja Norjassa. (Koskinen ym. 2019, 330.) Koska terveydenhuollon rahoitus ja järjestäminen kuuluvat jäsenvaltioiden kansalliseen toimivaltaan, maat päättävät itsenäisesti julkisesti rahoitettavista lääkkeistä. Lääkkeiden lopullinen korvattavuuspäätös tehdään siis kansallisella tasolla, minkä vuoksi lääkkeiden saatavuus ja korvattavuus voi vaihdella maittain. (Ollilla ym. 2022, 2.)

EMA arvio lääkkeen turvallisuutta ja kliinistä tehoa, mutta ei sen tuottamaa lisähyötyä tai kustannusvaikuttavuutta verrattuna vaihtoehtoisiin hoitoihin (Antikainen ym. 2024, 1799). Suomessa nämä arvioidaan osana tukkuhinta- ja korvattavuuspäätöstä. Vuosina 2010–2021 EMA suositteli myyntilupaa 67 avohoidossa käytettävälle syöpäläkkeelle, joista 47 hyväksyttiin Suomessa lääkekorvausjärjestelmään. Näistä 47 lääkkeestä 35 oli ehdollisesti korvattavia. (Sarnola ym. 2023, 4–6.)

Suomessa siis merkittävä osa uusista syöpäläkkeistä on ehdollisesti korvattavia. Yhtenä kriteerinä ehdolliselle korvattavuudelle on lääkkeen kustannusvaikuttavuuteen liittyvä epävarmuus, joka vaikeuttaa sen korvattavuuden ja tukkuhinnan arviointia. Tarkastellaan seuraavaksi keskeisiä tekijöitä, jotka selittävät uusien syöpälääkkeiden kustannusvaikuttavuuden epävarmuutta.

#### 4.1.1 Korkea hinta

Uudet syöpälääkkeet ovat aikaisemmin käytössä olleita lääkkeitä huomattavasti kalliimpia (Leighl ym. 2021, 1; Prasad ym. 2017, 384). Korkeat hinnat vaikuttavat lääkkeiden kokonaiskustannuksiin sekä kustannusvaikuttavuuteen. Jos korkea hinta kuitenkin perustuu merkittävästi parempaan vaikuttavuuteen, lääke voi olla kustannusvaikuttava hinnasta huolimatta. Yleisesti uusien syöpälääkkeiden ei kuitenkaan ole osoitettu tuottavan merkittäviä lisähyötyjä verrattuna aiempiin lääkkeisiin (Chauca Strand ym. 2023; Davis ym. 2017). Lisäksi syöpälääkkeiden hinnoittelun on havaittu poikkeavan muista lääkkeistä, mikä vaikeuttaa niiden hinta- ja kustannuskehityksen ennustettavuutta.

Syöpälääkkeiden korkeita hintoja selittää erityisesti lääkemarkkinoiden rakenne. Uudet lääkkeet ovat patentoituja, mikä estää geneeristen lääkkeiden markkinoille tulon patentin voimassaolon ajan. Geneerinen lääke sisältää samaa vaikuttavaa lääkeainetta ja on tarkoitettu samaan käyttötarkoitukseen kuin

alkuperäisvalmiste, joten ne lisäävät hintakilpailua ja tyypillisesti laskevat hintoja. Patenttijärjestelmä siis luo määräaikaisen monopoliaseman myyntiluvan haltijalle. Lääkeyritykset voivat hyväksikäyttää tätä monopoliasemaa hinnoittelussa, sillä tarvittavien lääkkeiden kysyntä on hintajoustamatonta eivätkä potilaat voi jäädä odottamaan hintojen putoamista (Morgan ym. 2020, 1). Lisäksi syövän merkittävä yhteiskunnallinen vaikutus, kuten taudin kuolleisuus ja sairastavuus, lisäävät hoitojen kysyntää ja maksuhalukkuutta, mikä vahvistaa yritysten hinnoitteluvoimaa (Leighl ym. 2021, 3).

Patenttijärjestelmän tarkoituksena on kannustaa lääkeyrityksiä innovaatioon. Tämän takia korkeampia alkuperäishintoja pidetään hyväksyttävänä, koska patenttisuojan päätyttyä lisääntyvän kilpailun oletetaan laskevan hintoja. (Morgan ym. 2020, 1.) Usein lääkkeiden hinnat reagoivatkin odotetusti kilpailun lisääntymiseen, mutta alkuperäislääkkeiden myyntiluvan haltijat pyrkivät usein viivästyttämään geneeristen lääkkeiden markkinoille tuloa, mikä pidentää monopoliaseman ja korkeiden hintojen ajanjaksoa (Prasad ym. 2017, 386). Kilpailua voivat lisätä myös niin sanotut me-too-lääkkeet, jotka pyrkivät samaan käyttötarkoitukseen kuin alkuperäisvalmiste. Myöhemmin markkinoille me-too-lääkkeiden odotetaan yleensä laskevan hintoja, mutta syöpälääkkeissä ensimmäisenä markkinoille tulleen ja myöhempien vastaavien lääkkeiden hinnoissa ei ole havaittu merkittäviä eroja. Joidenkin syöpälääkkeiden hinnat ovat myös nousseet markkinoille tulon jälkeen, vaikka hintojen tavallisesti odotetaan laskevan ajan kuluessa. (Leighl ym. 2021, 4.)

Lääkkeiden korkeita hintoja perustellaan usein suurilla tutkimus- ja kehityskustannuksilla. Moni lääkeyhtiö käyttää kuitenkin vähemmän rahaa tutkimus- ja kehitystoimintaan kuin muihin liiketoiminnan osaluoihin, kuten markkinoitiin (Prasad ym. 2017, 383). Lisäksi syöpälääkkeiden tuottama voitto ylittää tutkimus- ja kehityskustannukset usein suhteellisen nopeasti. Euroopan lääkeviraston vuosina 1995–2020 hyväksymien uusien syöpälääkkeiden mediaaniaika, jossa mediaani tutkimus- ja kehityskustannukset ylitettiin, oli kolme vuotta. Kahdeksassa vuodessa 91 % lääkkeistä oli kattanut tutkimus- ja kehityskustannuksensa. (Brinkhuis ym. 2024, 7.)

#### 4.1.2 Pieni potilasmäärä ja epävarmat tutkimusasetelmat

Uusien syöpälääkkeiden myyntilupa perustuu yhä useammin tutkimuksiin, joihin liittyy huomattavia epävarmuustekijöitä. Tällöin lääkkeet tulevat markkinoille aiempaa vähäisemmällä ja epävarmalla kliinisellä näytöllä. Yleisiä epävarmuutta aiheuttavia tekijöitä ovat pienet tutkimuspopulaatiot, vertailuryhmättömät tutkimusasetelmat sekä korvikemuuttujien käyttö. (Kurko ym. 2022, 1272.) Nämä tekijät heikentävät tutkimusten luotettavuutta ja lisäävät epävarmuutta lääkkeiden kustannusvaikuttavuudesta. Tällöin päätöksentekoon liittyy suurempi riski korvata lääke, joka myöhemmin ei osoittaudu kustannusvaikuttavaksi

Uudet syöpälääkkeet kohdentuvat yhä pienemmille potilasryhmille, minkä vuoksi moni niistä saavat harvinaislääkkeen (engl. orphan drug) aseman (Kurko ym. 2022, 1272). EMA voi määritellä lääkkeen

harvinaislääkkeeksi, jos sillä hoidettavan sairauden ilmaantuvuus on enintään 5:10 000. Potilasryhmien pienuus vaikeuttaa potilaiden löytämistä tutkimuksiin ja johtaa usein pieniin tutkimuspopulaatioihin (Fimea: Harvinaislääkkeet). Tällöin merkittävien vaikutusten tai haittavaikutusten havaitseminen voi olla vaikeaa. (Kurko ym. 2022, 1272). Samalla lääkkeiden kohdentuminen pienille potilasryhmille kasvattaa myös lääkkeen potilaskohtaisia kustannuksia.

Vertailuryhmättömät tutkimusasetelmat, jossa lääkettä ei verrata mihinkään vaihtoehtoiseen lääkkeeseen tai lumehoittoon, ovat yleistyneet erityisesti syöpälääkkeiden tutkimuksissa. Vuosina 2016–2021 jopa 49 % myyntiluvan saaneiden syöpälääkkeiden päätutkimuksista perustui vertailuryhmättömään tutkimusasetelmaan. Asetelmat rajoittavat lääkkeiden kausaali vaikutuksien arviointia eivätkä tuota vertailukelpoista tietoa terveysvaikutuksista. Samanaikaisesti syöpälääkkeiden vertaaminen aktiivisiin lääkkeisiin on vähentynyt, ja uuden lääkkeen teho perustuu nykyään usein lumehoittoon. (Kurko ym. 2022, 1273.) Nämä tutkimusasetelmat voivat olla perusteltua tapauksissa, joissa sairautteen ei ole aikaisemmin ollut lääkettä. Jos uuden lääkkeen on tarkoitus korvata aiempi lääke, sen tehoa on verrattava aktiiviseen lääkkeeseen, jotta sen kustannusvaikuttavuudesta saataisiin todenmukaista tietoa (Hila 2025, 3).

Korvikemuuttajien käyttö on myös yleistynyt, ja yhä useamman uuden syöpälääkkeen teho perustuu ensisijaisesti niihin (Kurko ym. 2022, 1273). Korvikemuuttajat (engl. surrogate variable) mittaavat terveysvaikutuksia epäsuorasti silloin, kun varsinaista päätetapahtumia, kuten elämänlaadun paranemista tai kokonaiselinajan pidentymistä, ei voida mitata suoraan tutkimuksessa. Syöpälääketutkimuksissa yleisempiä korvikemuuttajia ovat etenemisvapaa elinaika ja hoitovaste (Kemp & Prasad 2017, 1). Vaikka korvikemuuttajien käyttö nopeuttaa ja halventaa tutkimuksia, niihin perustuva näyttö on epävarmempaa kuin varsinaisiin päätetapahtumiin perustava näyttö. Esimerkiksi etenemisvapaa elinaika ei tarkoita elinajan pidentymistä tai hoitovaste ei kerro elämänlaadun parantumisesta (Bognar ym. 2017, 2; Kurko ym. 2022, 1273.) Korvauspäätöksiä tekevien viranomaisten onkin arvioitava, kuinka luotettavasti korvikemuuttajat ennustavat lopullisia terveysvaikutuksia. (Bognar ym. 2017, 5.)

### 4.1.3 Nopea markkinoille tulo

Uusien syöpälääkkeiden oletetaan tarjoavan hoitomahdollisuuksia erityisesti sairauksiin, joihin ei aiemmin ole ollut saatavilla hoitoja. Tämän takia ne usein halutaan nopeasti markkinoille, jolloin EMA voi suositella lääkkeelle myyntilupaa nopeutetussa prosessissa. Nopeutetussa myyntilupamenettelyssä lääkkeelle yleensä myönnetään ehdollinen myyntilupa (Conditional marketing authorisation, CMA), jolloin lupa perustuu alustavaan näyttöön, ja valmistajalle asetetaan velvoite tuottaa lisätietoa lääkkeen tehosta. Suurin osa Euroopassa myönnettyistä ehdollisista myyntiluvista koskee juuri syöpälääkkeitä. (Antikainen ym. 2024, 1799.)

Nopeutettuihin prosesseihin liittyvä keskeneräinen ja osin puutteellinen tieto aiheuttaa haasteita lääkkeiden arvioinnissa. Nopeutettujen menettelyiden kautta hyväksytyjen lääkkeiden on osoitettu tarjoavan useammin negatiivista tai ei-arvioitavaa lisähyötyä verrattuna tavanomaisessa menettelyssä hyväksytyihin lääkkeisiin (Brinkhuis ym. 2024, 10). Päätöksentekijät joutuvatkin tekemään korvattavuuspäätöksiä rajoitetun tiedon varassa arvioiden nopean käyttöönoton mahdollisia terveyshyötyjä

Lisäksi lääketeollisuus, lääkärit, potilasjärjestöt ja media saattavat kohdistaa lääkkeen hyväksymis- ja korvauspäätöksentekoon painetta hyväksyä uusia lupaavia syöpälääkkeitä nopeasti käyttöön. Paine liittyy usein yksittäisiin potilastapauksiin, jossa potilasta voitaisiin hoitaa tietyllä lääkkeellä, joka ei vielä ole saatavilla Suomessa. (Ollila ym. 2022, 6, 12.)

## 4.2 Yhteenveto ja ratkaisuja päätöksentekoon

Syöpälääkkeiden kustannukset sekä niiden osuus lääkekorvausmenoista ovat kasvaneet Suomessa tasaisesti 2000-luvulla. Kustannusten kasvua selittävät sekä väestön ikääntymisen myötä lisääntyneet syöpätapaukset että uusien aiempaa kalliimpien syöpälääkkeiden käyttöönotto. (Kela 2024.) Vuosina 2010–2021 Suomen lääkekorvausjärjestelmään hyväksyttiin 47 syöpälääkettä, joista 35 oli ehdollisesti korvattavia eli sisälsi riskinjakosopimuksen.

Riskinjakosopimusten yleisyys johtuu uusien syöpälääkkeiden erityispiirteistä, jotka vaikeuttavat niiden taloudellista arviointia. Erityisesti lääkkeiden korkeat hinnat, epävarma kliininen näyttö sekä nopea markkinoille tulo lisäävät kustannusvaikuttavuuden epävarmuutta. Korvattavuuspäätöksenteossa tämä tarkoittaa suurempaa riskiä korvata lääkkeitä, jotka myöhemmin osoittautuvat tehottomiksi tai suhteettoman kalliiksi. Suomessa riskinjakosopimusten avulla pyritään hallitsemaan tätä epävarmuutta jakamalla riskiä lääkkeiden rahoittajien ja tuottajien välillä.

Ehdollinen korvattavuus mahdollistaa uusien ja kalliiden syöpälääkkeiden nopean käyttöönoton, jolloin Suomessa voidaan tarjota uusimpia syöpähoitoja. Samalla siihen liittyy kuitenkin merkittäviä haasteita. Riskinjakosopimukset ovat yleensä taloudellisia ja sisältävät salaisia hinnanalennuksia. Hintasalaisuus vaikeuttaa tiedon tasaista jakautumista, kustannusvaikuttavuusanalyysien toteuttamista sekä vaikeuttaa lääkkeen määrääjiä kykyä arvioida lääkkeen taloudellisuutta (Martikainen & Pelkonen 2020; Ollila ym. 2022, 12). Riskinjakosopimusten on myös havaittu olevan yhteydessä lääkkeiden korkeampiin listahintoihin (Gamba ym. 2020, 59). Myös kansainväliset todelliset hinnat ovat salaisia, mikä estää kansainväliset hintavertailut ja mahdollistaa lääkeyrityksien rahastaa eri maksajilta eri summia (Morgan ym. 2020, 2).

Ehdolliseen korvattavuuteen liittyvien haasteiden takia päätöksentekoa tulisi tukea myös muilla keinoilla, jotka edistävät terveydenhuollon resurssien kustannusvaikuttavaa allokoointia. Yksi mahdollinen ratkaisu on reaaliaikaista terveystietoa (RWD) hyödyntävien seurantamekanismien kehittäminen. RWD koostuu potilaiden terveyteen ja terveydenhuollon palveluiden käyttöön liittyvästä tiedosta, jota kertyy erilaisiin tietovarantoihin. RWD:stä koottu arkivaikuttavuustieto RWE (real-world evidence) voisi tarjota lisänäyttönä päätöksentekoon lääkkeiden todellisesta vaikuttavuudesta ja kustannusvaikuttavuudesta sekä mahdollistaa korvattavuuden uudelleenarvioinnin lisätiedon perusteella. (Antikainen ym. 2024, 1803.) Erityisesti RWE voisi parantaa syöpälääkkeiden arviointia, koska niiden tieto vaikuttavuudesta on päätöksenteko hetkellä usein rajallista. Tällä hetkellä RWD:tä hyödyntävät menetelmät eivät kuitenkaan ole riittävän laadukkaita päätöksentekoon, ja huonolaatuiset menetelmät voivat liioitella lääkkeiden hyötyjä (Boyle ym. 2021).

Resurssien kustannusvaikuttavaa allokoointia voitaisiin myös edistää kehittämällä lääkkeiden korvattavuusprosessia Suomessa. Ensinäkin päätöksenteon läpinäkyvyyttä tulisi lisätä, sillä Hilan päätösten perustelut korvattavuudesta eivät ole julkisia, mikä lisää epäsymmetristä informaatiota. Lisäksi tällä hetkellä Suomessa lääkkeiden arviointiprosessi on hajanainen ja jakautunut usealle toimijalle, sillä avohoidon ja sairaalalääkkeiden arviointiprosessit toteutetaan erillään ja eri kriteerein. Hajanaisuutta selittää kaksikanavainen rahoitusjärjestelmä. Koska syöpähoitoihin usein kuuluu sekä avohoidon että sairaalalääkkeitä, erilliset prosessit voivat johtaa epäyhtenäisiin päätöksiin lääkkeiden käyttöönotosta ja korvattavuudesta, mikä vaikeuttaa hoitojen toteuttamista (Ollila ym. 2022, 8). Arvioinnin keskittäminen yhdelle toimijalle voisi parantaa arviointiprosessin yhdenmukaisuutta sekä tehokkuutta, koska arviointiin tarvittavat resurssit eivät jakaantuisi monen toimijan kesken.

Lisäksi lääkkeiden kustannusvaikuttavuusanalyysien toteutuksen ja eturistiriitojen hallinnan parantaminen voisi ohjata terveydenhuollon resurssien kohdentamista tarkoituksenmukaisemmin. Kustannusvaikuttavuusanalyysit ovat yleensä lääkkeen myyntiluvan haltian tuottamia tai rahoittamia, jolloin analyysin tekijöillä on kannustin saada lääke näyttämään todellisuutta kustannusvaikuttavammalta. Onkin osoitettu, että lääketeollisuuden rahoittamassa tutkimuksessa lääkkeet ovat useammin kustannusvaikuttavia, kuin tutkimuksissa, joita lääketeollisuus ei ole rahoittanut (Haslam ym. 2021). Suomessa eturistiriitojen hallintaan vaikeuttaa myös asiantuntijoiden vähäisyys, sillä moni uusien syöpälääkkeiden arviointiin kykenevistä henkilöistä ovat työskennelleet lääkeyhtiöissä, jotka valmistavat näitä lääkkeitä (Ollila ym. 2022, 12). Lisäksi kustannusvaikuttavuusanalyysit toteutetaan usein menetelmillä, jotka eivät tuota päätöksenteon kannalta riittävän luotettavaa tietoa (Yong ym. 2013, Chauca Strand ym. 2022).

## 5 Kustannusvaikuttavuuden rooli syöpälääkkeiden korvattavuudessa kansainvälisesti

### 5.1 Ruotsi

Lääkealan viranomaisen TLV (engl. The Dental and Pharmaceutical Benefits Agency) vastaa Ruotsissa lääkkeiden korvattavuus- ja hintapäätöksistä. TLV:n päätökset perustuvat Hilan tavoin lääkeryhtyksien tekemiin hakemuksiin, joissa tulee esittää lääkkeen kliininen teho, ehdotettu hinta sekä hintaan perustuva kustannusvaikuttavuusanalyysi. Ruotsissa korvattavuuspäätös voi olla täysi, rajoitettu tai ehdollinen. (Chauca Strand ym. 2022, 2.) Päätöksenteossa huomioidaan lääkkeen kustannusvaikuttavuus, hoidon tarve sekä terveyden oikeudenmukainen jakautuminen (TLV: The decision process).

Chauca Strand ym. (2022) tutkivat uusien syöpälääkkeiden kliinisen näytön ja kustannusvaikuttavuustiedon (engl. cost-effectiveness evidence) yhteyttä niiden korvattavuuspäätöksiin Ruotsissa. Aineisto koostui 60 TLV:n arvioimasta hakemuksesta vuosilta 2010–2020, joista 58 sai päätöksen korvattavuudesta. Näistä 79 % päätöksessä lääkkeelle hyväksyttiin korvattavuus haettuun käyttöaiheessa. Tutkimus osoitti kuitenkin, että suuri osa päätöksistä perustui epävarmaan kliiniseen näyttöön, sillä vain kuudessa hakemuksessa raportoitiin elämänlaadun paranevan tilastollisesti merkitsevästi, ja noin puolessa ei osoitettu tilastollisesti merkitsevää paranemista elonjäämisessä tai elämänlaadussa. Vain yksi hyväksytty hakemus perustui tutkimukseen, jossa oli tilastollisesti merkitsevä näyttö sekä elonjäämisestä että elämänlaadun paranemisesta.

Kaikille hakemuksissa raportoiduille kliinisille tutkimuksille, joihin lääkkeen kliininen näyttö perustui, oli toteutettu taloudellinen arviointi. Chauca Strand ym. (2022) osoittivat kustannusvaikuttavuustiedolla olevan yhteys korvattavuuspäätökseen. Hyväksytyjen hakemusten keskimääräinen kustannus yhtä laatupainotettua elinvuotta (QALY) kohti oli 748 560 Ruotsin kruunua (73 583 euroa), kun taas hylättyjen hakemusten keskimääräinen kustannus oli 1 384 200 Ruotsin kruunua (136 067 euroa) QALYä kohti. Inkrementaalisen kustannusvaikuttavuussuhteen (ICER) kasvu 100 000 kruunulla havaittiin pienentävän korvattavuustodennäköisyyttä 9,4–10,7 %, vaikkakin vaikutus ei ollut tilastollisesti merkitsevä. Lisäksi korkeat ICER-luvut liittyivät useammin rajoitettuihin ja ehdollisiin korvattavuuspäätöksiin. (Chauca Strand ym. 2022).

Chauca Strand ym. (2022) tulosten perusteella Ruotsissa suuri osa uusista syöpälääkkeistä korvataan, vaikka niiden kliininen näyttö päätöksentekohetkellä on usein epävarmaa. Korkeampi ICER-luku laskee korvattavuuden todennäköisyyttä, vaikka Ruotsissa ei ole käytössä eksplisiittisiä

kustannusvaikuttavuuden kynnsarvoja. Tämä havainto on yhdenmukainen aiemman tutkimuksen kanssa, jonka mukaan Ruotsissa lääkkeiden ICER-luvun kasvu 1 000 kruunulla pienentää korvattavuuden todennäköisyyttä 0,04–0,06 prosenttiyksikköä (Svensson ym. 2015).

## 5.2 Iso-Britannia

Iso-Britanniassa lääkkeiden arvioinnista vastaavat erilliset instituutiot: Englannissa NICE (the National Institute for Health and Care Excellence), Walesissa AWMSG (All Wales Medicines Strategy Group) ja Skotlannissa SMC (Scottish Medicines Consortium). Ne tuottavat suosituksia lääkkeiden käyttöön otosta ja korvattavuudesta maiden terveydenhuoltojärjestelmille. Syöpälääkkeiden käyttöön otossa myös Walesissa noudatetaan NICE:n suosituksia, ja jos NICE suosittelee lääkettä rutiniinikäyttöön, Englannin ja Walesin terveydenhuoltojärjestelmien on rahoitettava sen käyttöönotto. Skotlannin terveydenhuoltojärjestelmällä ei ole velvollisuutta noudattaa SMC:n suosituksia.

NICE käyttää päätöksenteossa eksplisiittistä kustannusvaikuttavuuden kynnsarvoa, joka on yleensä 20 000–30 000 puntaa QALYä kohti (Anderson ym. 2022). Mallintamalla on osoitettu, että jokainen 1 000 punnan kasvu ICER-luvussa pienentää NICE:n terveydenhuollon menetelmän myönteisen suosituksen todennäköisyyttä 6,9 % (Dakin ym. 2015). NICE soveltaa kuitenkin joustavia kynnsarvoja tietyissä tilanteissa, kuten elämän loppuvaiheen hoidoissa, hoitovaihtoehtojen puuttuessa tai syöpälääkkeiden kohdalla, jolloin hyväksyttävä kynnsarvo voi olla jopa 50 000 puntaa. (Dillon & Landells 2018, 767.) SMC:llä ei ole virallista kynnsarvoa, mutta päätöksenteossa hyödynnetään noin 30 000 punnan kynnsarvoa, jonka ylittyminen vaikuttavaa negatiivisesti suosituksiin (Charokopou ym. 2015).

Agorastos ym. (2025) tarkastelivat NICE:n ja SMC:n immuno-onkologisten lääkkeiden arviointeja vuosilta 2012–2023. Aineisto koostui 58 NICE:n ja 57 SMC:n arvioinnista, joissa suositukset korvattavuudesta ja käyttöön otosta olivat joko täysiä, rajoitettuja tai hylkääviä. NICE:n päätöksistä 94,1 % ja SMC:n päätöksistä 89,7 % oli suosittavia tai rajoitetusti suosittavia. Suosittelevien päätösten suuri osuus osoittaa, että syöpälääkkeiden arvioinnissa sovelletaan korkeampaa kustannusvaikuttavuuden kynnsarvoa, sillä tarkastelluista arvioinneista yli puolissa ylitettiin tavanomainen 30 000 punnan kynnsarvon sekä NICE:n (53,4 %) että SMC:n (61,4 %) tapauksissa.

Suurta syöpälääkkeiden korkeaa hyväksymysprosenttia selittää myös Englannissa käytössä oleva CDF (Cancer Drugs Fund), joka on syöpälääkkeille tarkoitettu erillinen rahoituskanava. NICE voi suositella lääkkeen käyttöä CDF:n kautta, jos kliininen näyttö on lupaavaa, mutta vielä rajoittunutta. Tällöin käyttöönoton kustannukset eivät kohdistu terveydenhuoltojärjestelmään. CDF:n tavoitteena

on mahdollistaa uusien syöpälääkkeiden käyttö ja kerätä samalla lisänäyttöä reaali maailmasta. (Dillon & Landells 2018.) Vastaavia rahoitusmalleja on käytössä myös muualla Iso-Britanniassa.

### 5.3 Kanada

Kanadassa liittovaltio vastaa verotulojen keräämisestä ja yleisestä lainsäädännöstä, mutta terveydenhuollon rahoituspäätökset tehdään alueellisesti provinseissa ja territorioissa. CADTH (Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health) tuottaa kansallisia, mutta ei-sitovia, suosituksia terveydenhuollon menetelmien ja lääkkeiden käyttöönotosta sekä korvattavuudesta. (Skedgel ym. 2018, 469.)

CADTH arvio syöpälääkkeet ja muut lääkkeet erillisissä prosesseissa (McDonald ym. 2015, 236). Syöpälääkkeiden arvioinnista vastaa pCODR (pan-Canadian Oncology Drug Review), joka huomioi päätöksenteossa neljä arvoulottuvuutta, jotka ovat kliininen hyöty, taloudellinen arviointi, potilaslähtöiset arvot (engl. patient-based values) ja käyttöönoton toteutettavuus (engl. adaptation feasibility). Näille ulottuvuuksille ei ole määritelty painoarvoja tai eksplisiittisiä kynnysarvoja, minkä takia päätöksenteko on implisiittistä. pCODR suosittelee lääkkeelle täyttä korvattavuutta, jos kaikki ulottuvuudet täyttyvät. Jos yksi tai useampi ulottuvuus ei toteudu, korvattavuutta ei suositulla. Jos puutteita voidaan korjata muuttamalla jotakin tarkasteltavaa tekijää, kuten hintaa, lääkkeelle voidaan suositella ehdollista korvattavuutta. (Skedgel ym. 2018.)

Skedgel ym. (2018) tutkivat ulottuvuuksien vaikutusta pCODR:n suosituksiin syöpälääkkeiden korvattavuudesta. Aineisto koostui 91 päätöksestä vuosilta 2011–2017, joista täyttä korvattavuutta suositeltiin 14 tapauksessa, ehdollista korvattavuutta 53 tapauksessa ja korvattavuutta ei suositeltu 24 tapauksessa. Tutkimuksessa tunnistettiin hakemuksissa toistuvia tekijöitä, jotka jaettiin eri ulottuvuuksien alle. Kliinisen hyödyn ulottuvuuteen liittyviä tekijöitä olivat kliininen teho, eloonjääminen, suhteellinen eloonjäämisparannus, kliinisen näytön laatu ja haittavaikutusten vakavuus. Taloudellisen arvioinnin ulottuvuuteen kuuluivat ICER ja sen menetelmällinen laatu. Potilaslähtöisiin arvoihin sisältyivät lääkkeen tyyppi ja vaihtoehtoisten hoitojen saatavuus. Käyttöönoton toteutettavuuteen liittyviä tekijöitä olivat puolestaan lääkkeen käyttöön tarvittava infrastruktuuri ja budjetti-vaikutus. Näiden tekijöiden suhteellista vaikutusta pCODR:n päätökseen tutkittiin logististen regressiomallien avulla (Skedgel ym. 2018.)

Tutkimuksen mukaan pCODR:n suositukset korvattavuudesta perustuivat lähes yksinomaan kliinisen hyödyn sekä potilas lähtöisten arvojen ulottuvuuteen. Kliinisen näytön laatu oli ainoa tilastollisesti merkitsevä tekijä, jolla oli yhteys suositukseen korvattavuudesta. Muiden tekijöiden ollessa

vakiona, lääkkeillä, joilla oli korkealaatuinen kliininen näyttö, suurempi suhteellinen eloonjäämisparannus, vähän haittavaikutuksia ja ei vaihtoehtoisia hoitoja, oli pienempi todennäköisyys saada hylkäävä suositus korvattavuudesta. Sen sijaan korvattavuuden tyyppiä selitti ensisijaisesti taloudellisen arvioinnin ulottuvuus. ICER oli ainoa tilastollisesti merkitsevä tekijä täyden ja ehdollisen korvattavuuden suosituksen välillä. Korkeammat ICER-luvut yhdistettiin suurempaan todennäköisyyteen saada suositus ehdollisesta kuin täydestä korvattavuudesta. Jos hakemuksen ICER oli alle 87 500 Kanadan dollaria, sillä oli 50 % korkeampi todennäköisyys saada suositus täydestä korvattavuudesta, ja jokainen 10 000 Kanadan dollarin nousu ICER-luvussa pienensi täyden korvattavuuden todennäköisyyttä 3,3 %. Tutkimuksessa havaittiin noin 140 000 Kanadan dollarin implisiittinen kustannusvaikuttavuuden kynnsarvo eikä yksikään tämän arvon ylittänyt hakemus saanut suositusta täydestä korvattavuudesta. (Skedgel ym. 2018.)

Skedgel ym. (2018) tutkimuksissa kolmen ulottuvuuden, kliinisen hyödyn, taloudellisen arvioinnin ja potilaslähteisten arvojen, osoitettiin olevan yhteydessä pCODR:n päätöksiin. Käyttöönnoton toteutettavuus ei näkynyt käytetyissä malleissa, mikä saattaa johtua siitä, että budjettivaikutukset ovat alueellisia, jolloin niillä on todennäköisesti suurempi rooli provinssien ja territorioden rahoituspäätöksissä.

#### 5.4 Johtopäätökset

Kansainväliset tutkimukset Ruotsista, Iso-Britanniasta ja Kanadasta osoittavat, että syöpälääkkeiden kustannusvaikuttavuus vaikuttaa niiden korvattavuuspäätöksiin. Kaikissa tarkastelluissa maissa kustannusvaikuttavuuden heikkeneminen, mikä ilmaisttiin inkrementaalisen kustannusvaikuttavuussuhteen kasvuna, yhdistettiin pienempään todennäköisyyteen saada korvattavuus tai täysi korvattavuus. Ruotsissa sekä Englannissa ja Walesissa inkrementaalisen kustannusvaikuttavuussuhteen kasvu pienensi korvattavuuden todennäköisyyttä, mutta Kanadassa se vaikutti lähinnä korvattavuuden tyyppiin (Chauca Strand ym. 2022; Dakin ym. 2015; Skedgel ym. 2018).

Tutkimukset osoittavat myös, että syöpälääkkeet muodostavan poikkeuksen tavanomaisiin kustannusvaikuttavuuden kynnsarvoihin. Agorastos ym. (2025) osoittivat, että Iso-Britanniassa suurin osa syöpälääkkeistä suositellaan käyttöönnettäväksi, vaikka niiden inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde ylittää usein yleisen 20 000–30 000 punnan kynnsarvon. Tätä selittävät erityisesti terveydenhuollon rahoituksesta erilliset rahoituskanavat, kuten CDF, jotka mahdollistavat kliinisesti epävarmojen syöpälääkkeiden käyttöönnoton. Myös Ruotsissa ja Kanadassa suuri osa syöpälääkkeistä hyväksytään korvattavaksi, vaikka niiden keskimääräiset kustannukset yhtä QALYä kohden

ovat korkeita. Tällöin kustannuksia hallitaan yleensä rajoitetuilla tai ehdollisilla korvattavuuspäätöksillä. (Chauca Strand ym. 2022; Skedgel ym. 2018)

Kaikki tarkastellut valtiot ovat OECD-maita, joissa on käytössä veropohjainen terveydenhuoltojärjestelmä. Suoraan näiden maiden tutkimuksien tuloksien perusteella ei voida päätellä kustannusvaikuttavuuden roolia uusien syöpälääkkeiden korvattavuuspäätöksenteossa Suomessa. Useat eri tekijät, kuten muun muassa terveydenhuoltojärjestelmien rakenne, sairauden ilmaantuvuus ja valtioiden sosioekonomiset, selittävät maiden välisiä eroja korvattavuuspäätöksissä (Maynou Pujolràs & Cairns 2019). Suomessa ei ole käytössä eksplisiittisiä kustannusvaikuttavuuden kynnsarvoja, kuten Iso-Britanniassa vaan päätöksen teko on implisiittistä, kuten Kanadassa ja Ruotsissa.

Maiden välisiä eroja korvattavuuspäätöksissä voi myös aiheuttaa kustannusvaikuttavuusanalyysissä käytettävät menetelmät, kuten valitut näkökulmat, sillä esimerkiksi NICE tekee arvioinnit terveydenhuollon näkökulmasta, kun taas Ruotsi käyttää yhteiskunnan näkökulmaa (Wouterse ym. 608). Erilaisten menetelmien lisäksi kustannusvaikuttavuusanalyysien tuloksien yleistettävyyttä heikentää niiden maakohtaisuus, ja kansainvälisten kustannusvaikuttavuusanalyysien yleistettävyyden Suomeen on osoitettu olevan heikkoa (Peura ym. 2008).

Syöpälääkkeiden korvattavuudesta voidaan kuitenkin tunnistaa kansainvälisesti yhtenevä kehityssuunta. Sekä Suomessa että tarkastelluissa maissa suurin osa uusista syöpälääkkeistä hyväksytään korvattavaksi, mutta täysi korvattavuus on harvinaista. Sen sijaan sovelletaan yhä enemmän rajoitettuja ja ehdollisia korvauspäätöksiä sekä vaihtoehtoisia rahoitusmuotoja, joiden avulla voidaan parantaa lääkkeiden kustannusvaikuttavuutta. Lisäksi syöpälääkkeistä ollaan valmiita maksamaan muita lääkkeitä enemmän, mikä näkyy korkeampina implisiittisinä tai eksplisiittisinä kynnsarvoina.

## 6 Yhteenveto

Tutkielman tavoitteena oli tarkastella, mitkä tekijät aiheuttavat uusien syöpälääkkeiden kustannusvaikuttavuuden epävarmuutta sekä miten epävarmuus vaikuttaa niiden korvattavuuteen Suomessa. Teoreettisen tarkastelun perusteella terveydenhuollon resurssien allokoinnin lähtökohtana on niukkuus, sillä kaikkia terveyteen positiivisesti vaikuttavia toimenpiteitä ei voida rahoittaa. Resurssien kohdentamisen tavoitteena on maksimoida väestön terveys oikeudenmukaisesti nähtävällä tavalla. Suomessa terveyden oikeudenmukaista jakaantumista pyritään edistämään universaalien sairausvakuutusjärjestelmän avulla, mikä vähentää sairastumisen ja sen kustannuksiin liittyvää epävarmuutta. Sairausten hoitoon käytettävien välttämättömien avohoidon lääkkeiden yhdenvertainen saatavuus varmistetaan sairausvakuutukseen kuuluvan lääkekorvausjärjestelmän avulla.

Lääkekorvausjärjestelmään hyväksyttävien lääkkeiden kohdalla on arvioitava niiden korvattavuuden aiheuttamaa vaihtoehtoiskustannusta. Taloudellisen arvioinnin menetelmät mahdollistavat kustannusvaikuttavampien lääkkeiden tunnistamisen ja siten resurssien tehokkaamman allokoinnin. Taloudellinen arviointi ei kuitenkaan aina tuota yksiselitteistä ratkaisua, sillä uusi lääke voi olla sekä aiempia lääkkeitä kalliimpi että vaikuttavampi. Tällöin päätöksenteossa hyödynnetään eksplisiittisiä tai implisiittisiä kustannusvaikuttavuuden kynnyksiarvoja, jotka kuvaavat suurinta hyväksyttävää kustannusta yhtä lisäterveysyksikköä, kuten laatupainotettua elinvuotta, kohti.

Tutkielman perusteella uusien syöpälääkkeiden kustannusvaikuttavuuteen liittyvä epävarmuus tekee niiden korvattavuuden arvioinnista erityisen haastavaa. Epävarmuutta aiheuttavat lääkkeiden korkeat hinnat, epävarmoihin tutkimusasetelmiin perustuva kliininen näyttö sekä lääkkeiden markkinoille tulo nopeutetuilla prosesseilla. Nämä tekijät lisäävät lääkkeiden taloudellisten arviointien epävarmuutta ja pakottavat päätöksentekijät usein tekemään ratkaisuja vielä puutteellisen tiedon varassa. Tämä kasvattaa riskiä korvata lääke, joka myöhemmin ei osoittaudu kustannusvaikuttavaksi.

Suomessa lääkkeisiin liittyvää epävarmuutta on pyritty hallitsemaan ehdollisten korvattavuuksien eli riskinjakosopimusten avulla. Pääsääntöisesti riskinjakosopimukset ovat olleet taloudellisia, ja niiden tavoitteena on pienentää lääkkeiden käyttöönoton kustannuksia sekä parantamaan kustannusvaikuttavuutta. Riskinjakosopimuksiin liittyy kuitenkin merkittäviä haasteita. Sopimusten sisältö, kuten alennetut hinnat, ovat salaisia, mikä lisää epäsymmetristä informaatiota ja heikentää päätöksenteon läpinäkyvyyttä. Tämä vaikeuttaa taloudellisten arviointien ja kansainvälisten hintavertailujen toteuttamista sekä estää lääkkeen määrääjiä arvioimasta lääkkeen todellista taloudellisuutta. Heikentynyt läpinäkyvyys voi pahimmillaan johtaa tehottomiin korvattavuuspäätöksiin.

Mahdollisia ratkaisuja lääkkeiden arvioinnin haasteisiin ovat muun muassa reaali maailman terveystietojen hyödyntämiseen perustuvien seurantamekanismien kehittäminen, mikä mahdollistaisi lisänäytön keräämisen lääkkeen vaikuttavuudesta. Lisäksi lääkkeiden korvattavuuspäätöksenteon läpinäkyvyyden parantaminen ja arviointikäytäntöjen ja -kriteerien yhtenäistäminen voisivat parantaa päätöksenteon johdonmukaisuutta ja tehokkuutta Suomessa.

Tutkimuksessa tarkasteltiin myös kustannusvaikuttavuuden roolia syöpälääkkeiden korvattavuuspäätöksissä kansainvälisesti. Tutkimuksien perusteella kustannusvaikuttavuus on keskeinen tekijä korvattavuuden arvioinnissa useissa maissa, mutta sen vaikutus vaihtelee maiden välillä. Ruotsissa Chauca Strand ym. (2022) osoittavat, että inkrementaalisen kustannusvaikuttavuuden kasvu pienentää lääkkeen korvattavuuden todennäköisyyttä. Vastaavaa vaikutus on mallinnettu myös Englannin ja Walesin arviointiviranomaisen NICE:n suosituksissa terveydenhuollon menetelmien käyttöön otosta (Dakin ym. 2015). Agorastos ym. (2025) tutkimus Iso-Britanniasta osoittaa, että syöpälääkkeille sallitaan normaalia korkeammat kustannukset, sillä suuri osa uusista syöpälääkkeistä korvataan Iso-Britanniassa, vaikka niiden inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde ylittää yleisesti sovelletun kustannusvaikuttavuuden kynnyksiarvon. Tätä selittävät osin Iso-Britanniassa hyödynnettävät ehdolliset ja rajoitetut käyttöön oton suositukset sekä vaihtoehtoiset rahoitusmuodot syöpälääkkeille. Skedgel ym. (2018) osoittavat, että Kanadassa kustannusvaikuttavuus vaikuttaa erityisesti korvattavuuden tyyppiin eli onko kyseessä täysi, ehdollinen vai rajoitettu korvattavuus eikä välttämättä suoraan päätökseen hyväksyä tai hylätä korvattavuus.

Tutkimus osoittaa, että uusien syöpälääkkeiden kustannusvaikuttavuuteen liittyvä epävarmuus on keskeinen haaste terveydenhuoltojärjestelmien kestävyydelle. Korvattavuuspäätöksenteon tueksi tarvitaan sekä laadukkaampaa vaikuttavuusnäyttöä että läpinäkyvämpiä ja yhdenmukaisempia arviointikäytäntöjä. Suomessa kustannusvaikuttavuuden tai muiden tekijöiden vaikutusta lääkkeen korvattavuuspäätökseen ei ole toistaiseksi tutkittu. Sairausvakuutuslain edellytykset terveystaloudellisista selvityksistä sekä riskinjakosopimusten yleistymisen viittaavat kuitenkin siihen, että kustannusvaikuttavuus vaikuttaa korvattavuuspäätöksenteossa. Olisikin mielenkiintoista saada tutkimustietoa korvattavuuteen vaikuttavista tekijöistä ja niiden painoarvoista Suomesta.

## Lähteet

- Agorastos, G. – Pavi, E. – Vozikis, A. – Athanasakis, K. (2025) The Characteristics of Immunoncology Drugs Appraised by NICE and SMC: A Retrospective Analysis 2012–2023. *Journal of Cancer Policy*, 45, Article 100599.
- Al, M. J. – Feenstra, T. L. – Hout, B. A. van. (2005) Optimal allocation of resources over health care programmes: dealing with decreasing marginal utility and uncertainty. *Health Economics*, 14(7), 655–667.
- Anderson, M. – Drummond, M. – Taylor, D. – McGuire, A. – Carter, P. – Mossialos, E. (2022) Promoting innovation while controlling cost: The UK’s approach to health technology assessment. *Health Policy (Amsterdam)*, 126(3), 224–233.
- Antikainen, T. – Kinnunen, K. – Koivuvuuta, N. – Marttila-Vaara, M. – Pakarinen, S. – Parkkila, A.-K. – Liinamaa, J. – Linna, M. – Jauhonen, H.-M. (2024) Uuden syöpälääkkeen hyväksymisprosessi ja käyttöönotto. *Duodecim*, 140(21), 1798–1804.
- Arrow, K. J. (1963) Uncertainty and the Welfare Economics of Medical Care. *The American Economic Review*, 53(5), 941–973.
- Bertram, M. – Lauer, J. – De Joncheere, K. – Edejer, T. – Hutubessy, R. – Kieny, M.-P. – Hill, S. (2016) Cost-effectiveness thresholds: pros and cons. *Bulletin of the World Health Organization*, 94(12), 925–930.
- Bognar, K. – Romley, J. A. – Bae, J. P. – Murray, J. – Chou, J. W. – Lakdawalla, D. N. (2017) The role of imperfect surrogate endpoint information in drug approval and reimbursement decisions. *Journal of Health Economics*, 51, 1–12.
- Boyle, J.M. – Hegarty, G. – Frampton, C. – Harvey-Jones, E. – Dodkins, J. – Beyer, K. – George, G. – Sullivan, R. – Booth, C. – Aggarwal, A. (2021) Real-world outcomes associated with new cancer medicines approved by the Food and Drug Administration and European Medicines Agency: A retrospective cohort study. *European Journal of Cancer*, 155, 136-144.
- Brinkhuis, F. – Goettsch, W. G. – Mantel-Teeuwisse, A. K. – Bloem, L. T. (2024) Added benefit and revenues of oncology drugs approved by the European Medicines Agency between 1995 and 2020: retrospective cohort study. *BMJ*, 384, e077391.
- Brouwer, W. B. F. – Culyer, A. J. – van Exel, N. J. A. – Rutten, F. F. H. (2008) Welfarism vs. extra-welfarism. *Journal of Health Economics*, 27(2), 325–338.
- Charokopou, M. – Majer, I. M. – Raad, J. de – Broekhuizen, S. – Postma, M. – Heeg, B. (2015) Which Factors Enhance Positive Drug Reimbursement Recommendation in Scotland? A Retrospective Analysis 2006–2013. *Value in Health*, 18(2), 284–291.

- Chauca Strand, G. – Bonander, C. – Jakobsson, N. – Johansson, N. – Svensson, M. (2022) Assessment of the clinical and cost-effectiveness evidence in the reimbursement decisions of new cancer drugs. *ESMO Open*, 7(5).
- Chauca Strand, G. – Johansson, N. – Jakobsson, N. – Bonander, C. – Svensson, M. (2023) Cancer Drugs Reimbursed with Limited Evidence on Overall Survival and Quality of Life: Do Follow-Up Studies Confirm Patient Benefits? *Clinical Drug Investigation*, Vol.43 (8), 621-633.
- Dakin, H. – Devlin, N. – Feng, Y. – Rice, N. – O’Neill, P. – Parkin, D. (2015) The Influence of Cost-Effectiveness and Other Factors on Nice Decisions. *Health Economics*, 24(10), 1256–1271.
- Davis, C. – Naci, H. – Gurpinar, E. – Poplavska, E. – Pinto, A. – Aggarwal, A. (2017) Availability of evidence of benefits on overall survival and quality of life of cancer drugs approved by European Medicines Agency: retrospective cohort study of drug approvals 2009-13. *BMJ (Online)*, 359, Article j4530.
- Dillon, A. – Landells, L. J. (2018) NICE, the NHS, and Cancer Drugs. *JAMA : The Journal of the American Medical Association*, 319(8), 767–768.
- Drummond, M. F. – Sculpher, M. F – Claxton, K. – Stoddart, G. L. – Torrance, G. W. (2015). *Methods for the economic evaluation of health care programmes* (uud. 4. p.). Oxford University Press
- Eichler, H.-G. – Kong, S. X. – Gerth, W. C. – Mavros, P. – Jönsson, B. (2004) Use of Cost-Effectiveness Analysis in Health-Care Resource Allocation Decision-Making: How Are Cost-Effectiveness Thresholds Expected to Emerge? *Value in Health*, 7(5), 518–528.
- Elbasha, E. H. – Messonnier, M. L. (2004) Cost-effectiveness analysis and health care resource allocation: decision rules under variable returns to scale. *Health Economics*, 13(1), 21–35.
- Euroopan lääkevirasto EMA. Conditional marketing authorisation. < <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/marketing-authorisation/conditional-marketing-authorisation>> haettu 5.11.2025.
- Gamba, S. – Pertile, P. – Vogler, S. (2020) The impact of managed entry agreements on pharmaceutical prices. *Health Economics*, 29(S1):47-62.
- Garber, A. M. – Phelps, C. E. (1997) Economic foundations of cost-effectiveness analysis. *Journal of Health Economics*, 16(1), 1–31.
- Haslam, A. – Lythgoe, M. P. – Greenstreet Akman, E. – Prasad, V. (2021) Characteristics of Cost-effectiveness Studies for Oncology Drugs Approved in the United States From 2015-2020. *JAMA Network Open*, 4(11), Article e2135123.

- Johannesson, M. – Weinstein, M. C. (1993) On the decision rules of cost-effectiveness analysis. *Journal of Health Economics*, 12(4), 459–467.
- Kansaneläkelaitos (2022) Uudet syöpälääkkeet tulevat käyttöön yhä nopeammin, mutta epävarmimmalla tutkimusnäytöllä. Päivitetty 22.1.2025. < <https://tietotarjotin.fi/tutkimusblogi/481527/uudet-syopalaakkeet-tulevat-kayttoon-yha-nopeammin-mutta-epavarmemalla-tutkimusnaytolla>>, haettu 22.10.2025.
- Kansaneläkelaitos (2024) Uudet lääkkeet nostavat lääkekorvausten kustannuksia, tutkija peräänkuuluttaa näyttöä hoidon tehosta. < <https://www.kela.fi/ajankohtaista/6189758/uudet-laakkeet-nostavat-laakekorvausten-kustannuksia-tutkija-peraanakuuluttaa-nayttoa-hoidon-tehosta>>, haettu 3.11.2025.
- Kansaneläkelaitos (2025) Lääkekorvaukset kasvoivat 124 miljoonaa euroa vuonna 2024 – kasvu kiihtyi taas maltillisempien vuosien jälkeen. Päivitetty 9.4.2025. <<https://tietotarjotin.fi/uutinen/1176631/laakekorvaukset-kasvoivat-124-miljoonaa-euroa-vuonna-2024-kasvu-kiihtyi-taas-maltillisempien-vuosien-jalkeen>>, haettu 19.9.2025.
- Kansaneläkelaitos: Erityisluvalliset lääkkeet. < <https://www.kela.fi/erityisluvalliset-laakkeet>>, haettu 27.11.2025.
- Kansaneläkelaitos: Lääkekorvaukset. < <https://www.kela.fi/laakkeet> >, haettu 3.11.2025.
- Kemp, R. – Prasad, V. (2017) Surrogate endpoints in oncology: when are they acceptable for regulatory and clinical decisions, and are they currently overused? *BMC Medicine*, 15(1), 134.
- Kiviniemi, V. – Rannanheimo, P. (2020) Lääkehoitojen kustannusvaikuttavuuden arviointi: perusteista käytäntöön. *Duodecim*, 136(2), 184–191.
- Koskinen, H. – Juntunen, L. – Junttila, T. – Kurko, T. (2019) Korvausjärjestelmään hyväksytyt uudet syöpälääkkeet. Kohtaavatko saatavuus ja hyödyt? *Suomen Lääkärilehti*, 74(6), 327–330.
- Kurko, T. – Koskinen, H. – Sarnola, K. (2022) Uusien syöpälääkkeiden kliiniseen näyttöön liittyvä epävarmuutta, *Suomen Lääkärilehti* 32, 1272–1274.
- Leighl, N. B. – Nirmalakumar, S. – Ezeife, D. A. – Gyawali, B. (2021) An Arm and a Leg: The Rising Cost of Cancer Drugs and Impact on Access. *American Society of Clinical Oncology Educational Book*, 41(41), 1–12.
- Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea: Myyntiluvat. < <https://fimea.fi/myyntiluvat> > haettu 22.10.2025.
- Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea– Kansaneläkelaitos (2025) *Suomen lääketilasto 2024* (3. p.).
- Lääkkeiden hintalautakunta Hila (2025) Terveystaloudellisen selvityksen laatiminen lääkevalmisteen korvattavuus- ja tukkuhintahakemukseen. Hakemusohje Terveystaloudellinen selvitys

28.3.2025 < [https://www.hila.fi/content/uploads/2025/03/Hakemusohje\\_TTS\\_280325.pdf](https://www.hila.fi/content/uploads/2025/03/Hakemusohje_TTS_280325.pdf)>  
haettu 3.11.2025.

Lääketeollisuus ry: Lääkkeiden hinnat < <https://www.laaketeollisuus.fi/tietoa-laakkeista/laakkeiden-hinnat.html> > haettu 22.10.2025.

Maailman terveysjärjestö WHO (2018) Technical report: pricing of cancer medicines and its impacts: a comprehensive technical report for the World Health Assembly Resolution 70.12: operative paragraph 2.9 on pricing approaches and their impacts on availability and affordability of medicines for the prevention and treatment of cancer.

Martikainen, J. – Pelkonen, L. (2020) Lääkkeiden ehdollinen korvattavuus ja järkevä lääkehoito. *Duodecim*, 136(2), 200-205.

Maynou, L. – Cairns, J. (2019) What is driving HTA decision-making? Evidence from cancer drug reimbursement decisions from 6 European countries. *Health Policy (Amsterdam)*, 123(2), 130–139.

McDonald, H. – Charles, C. – Elit, L. – Gafni, A. (2015) Is There an Economic Rationale for Cancer Drugs to Have a Separate Reimbursement Review Process for Resource Allocation Purposes? *Pharmacoeconomics*, 33(3), 235–241.

Meltzer, D. O. – Basu, A. – Sculpher, M. J. (2016). Theoretical Foundations of Cost-Effectiveness Analysis in Health and Medicine. In J. E. Siegel, P. J. Neumann, L. B. Russell, T. G. Ganiats, & G. D. Sanders (Eds.), *Cost-Effectiveness in Health and Medicine*. Oxford University Press.

Morgan, S. G. – Bathula, H. S. – Moon, S. (2020) Pricing of pharmaceuticals is becoming a major challenge for health systems. *BMJ (Online)*, 368, Article 14627.

Ollila, E. – Kataja, V. – Sailas, L. (2022) A David and Goliath set-up: a qualitative study of the challenges of ensuring the introduction of cost-effective new cancer medicines in Finland. *Journal of Pharmaceutical Policy and Practice*, Vol.15 (1), 1–16.

Peura, P. – Purmonen, T. – Turunen, J. – Martikainen, J. (2008) Voiko ulkomaisia lääkkeiden kustannusvaikuttavuusanalyysjä hyödyntää Suomessa? *Suomen Lääkärilehti* 63(38), 3116–3117.

Prasad, V. – De Jesús, K. – Mailankody, S. (2017) The high price of anticancer drugs: origins, implications, barriers, solutions. *Nature Reviews. Clinical Oncology*, 14(6), 381–390.

Ruskoaho, H. (2018) Lääkekorvausjärjestelmän kehittäminen, selvityshenkilön loppuraportti. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 20/2018. STM 2018.

Sairausvakuutuslaki 21.12.2004/1224. < [https://www.finlex.fi/fi/lainsaadanto/2004/1224#part\\_2\\_\\_chp\\_6\\_\\_sec\\_7a](https://www.finlex.fi/fi/lainsaadanto/2004/1224#part_2__chp_6__sec_7a)>, haettu 3.11.2025.

- Samuelson, P. A. – Nordhaus, W. D. (2009) *Economics* (uud. 19. p.). McGraw-Hill Education.
- Sarnola, K. – Koskinen, H. – Klintrup, K. – Astrup, C. – Kurko, T. (2023) Uptake and availability of new outpatient cancer medicines in 2010–2021 in Nordic countries – survey of competent authorities. *BMC Health Services Research*, 23(1), Article 1437.
- Sintonen, H., – Pekurinen, M. (2009) *Terveyystaloustiede*. WSOY.(Sanoma Pro Helsinki)
- Sintonen, H. – Roine, R.P. – Ryyänen, O.-P. – Blom, M. – Hytönen, M. (2022) Terveyshyödyn mittarit valintojen tueksi. *Suomen Lääkärilehti*, 77(3-4), 118-120.
- Skedgel, C. – Wranik, D. – Hu, M. (2018) The Relative Importance of Clinical, Economic, Patient Values and Feasibility Criteria in Cancer Drug Reimbursement in Canada: A Revealed Preferences Analysis of Recommendations of the Pan-Canadian Oncology Drug Review 2011–2017. *PharmacoEconomics*, 36(4), 467–475.
- Sosiaali- ja terveystieteiden ministeriö: Lääkekorvaukset. < <https://stm.fi/laakekorvaukset> >, haettu 3.11.2025.
- Svensson, M. – Nilsson, F. O. L. – Arnberg, K. (2015) Reimbursement Decisions for Pharmaceuticals in Sweden: The Impact of Disease Severity and Cost Effectiveness. *PharmacoEconomics*, 33(11), 1229–1236.
- Syöpäsäätiö: Vuosittain päivittyvä tilasto syövän kustannuksista. < <https://syopasaatio.fi/tutkimus/vuosittain-paivittyva-tilasto-syovan-kustannuksista/>>, haettu 3.11.2025.
- Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket TLV The decision process. Päivitetty 2.8.2022 < <https://www.tlv.se/in-english/medicines/apply-for-reimbursement/the-decision-process.html>>, haettu 27.11.2025.
- Yong, J. H. E. – Beca, J. – Hoch, J. S. (2013) The Evaluation and Use of Economic Evidence to Inform Cancer Drug Reimbursement Decisions in Canada. *PharmacoEconomics*, 31(3), 229–236.
- Weinstein, M. – Zeckhauser, R. (1973) Critical ratios and efficient allocation. *Journal of Public Economics*, 2(2), 147–157.
- Wouterse, B. – van Baal, P. – Versteegh, M. – Brouwer, W. (2023) The Value of Health in a Cost-Effectiveness Analysis: Theory Versus Practice. *PharmacoEconomics*, 41(6), 607–617.

## Liite 1 Selvitys tekoälyn käytöstä

Tämän tutkielman teossa olen hyödyntänyt generatiivista tekoälyä tukitehtävissä. Käyttämäni työkalut sekä niiden käyttötarkoitus on kuvattu alla. Vakuutan, että tekoälytyökalujen käyttäminen ja siitä ilmoittaminen on tehty yliopiston ohjeiden mukaisesti sekä otan täyden vastuun tässä tutkielmassa esitetystä sisällöstä.

### 1. Työkalu: OpenAI:n ChatGPT (GPT-5-versio)

- **Käyttövaihe:** Tekstin kirjoittaminen ja editointi
- **Käyttötarkoitus:** Käytin tekoälyyn perustuvia oikeinkirjoituksen korjauksia koko kirjoitusprosessin ajan, jonka tarkoituksena oli parantaa tekstin selkeyttä. Lisäksi hyödynsin työkalua tekstien kääntämiseen.
- **Varmistus:** Tarkistin kaikki ehdotetut muutokset, että tekstin alkuperäinen sisältö ei muuttunut ja akateeminen sisältö pysyi paikkansapitävänä. Säilytin täyden päätösvalan lopullisen tekstin suhteen.