

Lääkkeiden saatavuus ja saavutettavuus – lääkkeiden saatavuusongelmat Suomessa ja harvinaislääkkeiden saavutettavuus Euroopassa

→ Kati Sarnola

Tutkija, FaT, LHA
Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea
kati.sarnola@fimea.fi

Proviisori Kati Sarnolan sosiaalifarmasian oppiaineeseen kuulunut väitöskirja ”Lääkkeiden saatavuus ja saavutettavuus, Tutkimus lääkkeiden saatavuusongelmista Suomessa ja harvinaislääkkeiden saavutettavuudesta Euroopassa” (Availability and accessibility of medicines, A study of medicine shortages in Finland and accessibility of orphan medicines in Europe) tarkastettiin Itä-Suomen yliopistossa terveystieteiden tiedekunnassa 17.8.2018. Vastaväittäjänä toimi professori Erkki Palva ja tilaisuuden valvojana Johanna Timonen Itä-Suomen yliopistosta. Väitöskirja on luettavissa kokonaisuudessaan Itä-Suomen yliopiston UEF Electronic Publications -palvelussa: <http://epublications.uef.fi/index.php>

Väitöskirja perustuu seuraaviin julkaisuihin:

- Heiskanen K, Ahonen R, Karttunen P, Kanerva R, Timonen J: Medicine shortages – A study of community pharmacies in Finland. Health Pol 119: 232–238, 2015
- Heiskanen K, Ahonen R, Kanerva R, Karttunen P, Timonen J: The reasons behind medicine shortages from the perspective of pharmaceutical companies and pharmaceutical wholesalers in Finland. PLoS One 12(6): e0179479, 2017
- Sarnola K, Ahonen R, Martikainen JE, Timonen J: Policies and availability of orphan medicines in outpatient care in 24 European countries. Eur J Clin Pharmacol 74(7): 895–902, 2018

TIIVISTELMÄ

Johdanto: Lääkkeiden hyvä saatavuus on viime aikoina noussut kansainväliseen keskusteluun. Tutkimuksessa selvitettiin lääkkeiden saatavuusongelmien yleisyyttä, syitä ja vaikutuksia suomalaisille apteekkeille sekä saatavuusongelmien syitä lääkeyritysten ja lääketukkukauppojen näkökulmasta Suomessa. Lisäksi selvitettiin, onko harvinaislääkkeille käytössä erillistä hinta- tai korvattavuussääntelyä, sekä tutkittiin kymmenen harvinaislääkkeen saatavuutta, jakelukanavia ja potilaan omavastuukäytäntöä avohoidossa Euroopassa.

Aineistot ja menetelmät: Lääkkeiden saatavuusongelmien yleisyyttä, syitä ja vaikutuksia tutkittiin 129 suomalaisen apteekin (66 %, n=195) raportoinneista. Saatavuusongelmien syitä selvitettiin lisäksi haastattelututkimuksella Suomessa toimivien lääkeyritysten ja lääketukkukauppojen edustajille (n=30). Harvinaislääkkeiden saavutettavuutta tutkittiin viranomaiskyselyllä 24:ssä Euroopan maassa.

Tulokset: Lähes 80 prosentilla apteekeista oli saatavuusongelmia päivittäin tai lähes päivittäin. Saatavuusongelmien syy oli tiedossa apteekkeille 11 prosentissa saatavuuskatkostapauksista. Kolmasosa tapauksista aiheutti ongelmia apteekkeille. Lääkkeiden saatavuusongelmien syynä olivat tavallisimmin Suomen lääkemarkkinoiden pieni koko (n=29) ja äkilliset kysynnän muutokset (n=28). Suurimmassa osassa Euroopan maista ei ollut erillistä hinta- (n=20) tai korvattavuussääntelyä (n=22) harvinaislääkkeille. Kymmenestä harvinaislääkkeestä keskimäärin viisi oli saatavilla. Lääkkeet toimitettiin yleisimmin apteekeista. Apteekeista toimitetuista lääkkeistä potilaat maksoivat yleensä osan lääkkeen hinnasta itse. Muista terveydenhuollon yksiköistä potilaat saivat lääkkeet yleensä veloitetusta.

Johtopäätökset: Lääkkeiden saatavuusongelmat ovat yleisiä suomalaisille apteekkeille. Valtaosa saatavuuskatkostapauksista ei aiheuta ongelmia apteekkeille. Lääkkeiden saatavuusongelmien taustalta löytyi tyypillisemmin tarjonnasta kuin kysynnästä johtuvia syitä. Suurimmassa osassa Euroopan maista ei ole erillistä sääntelyä päätettäessä harvinaislääkkeiden hinnasta tai korvattavuudesta. Kymmenen tutkimuksessa tarkastellun harvinaislääkkeen saatavuus, jakelukanavat ja potilaan omavastuukäytäntö vaihtelevat maittain.

Avainsanat: lääkkeet; saatavuus; saavutettavuus; puutteet; harvinaiset taudit; lääkepolitiikka; kyselytutkimus; haastattelututkimus

JOHDANTO

Lääkkeiden hyvän saatavuuden turvaaminen on viime vuosina noussut kansainväliseen keskusteluun, sillä potilaat eivät aina saa tarvitsemiaan lääkkeitä käyttöönsä. Lääke on potilaan saatavilla, kun se on olemassa, sille on myönnetty myyntilupa ja se on tuotu markkinoille (Thieren 2005, Habl ja Bachner 2011). Lääkkeen saatavuusongelmalla tarkoitetaan hankintaongelmaa, joka vaikuttaa potilaan hoitoon ja jonka johdosta tavanomaisia hankinta- ja toimintatapoja joudutaan muuttamaan (Besançon ja Chaar 2013). Kansainvälisten tutkimusten mukaan lääkkeiden saatavuusongelmat ovat sairaaloissa yleisiä ja niiden määrä on kasvussa (Claus ym. 2015). Saatavuusongelmia esiintyy yleisesti käytetyissä lääkeryhmissä, kuten keskushermostoon vaikuttavissa lääkkeissä ja infektio- ja lääkkeissä. Avohoidossa lääkkeiden saatavuusongelmien yleisyydestä ja lääkeryhmistä, joita ongelmat koskettavat, on vain vähän tietoa, sillä aiheesta on julkaistu vasta yksittäisiä tutkimuksia (esim. Canadian Pharmacists' Association 2010).

Lääkkeiden saatavuusongelmien tiedetään vaikuttavan negatiivisesti esimerkiksi potilaiden hoitoon ja terveydenhuollon ammattilaisten työhön (McLaughlin ym. 2013, Tan ym. 2016). Saatavuusongelmat aiheuttavat esimerkiksi lääkehoidon ja leikkauksien viivästyistä ja lisäävät terveydenhuollon ammattilaisten työtaakkaa. Saatavuusongelmat lisäävät myös terveydenhuollon kustannuksia, sillä niiden vuoksi voidaan joutua valitsemaan lääkehoito, joka on alkuperäistä hoitoa kalliimpi (Kaakeh ym. 2011). Vaikka saatavuusongelmien haitalliset vaikutukset tunnetaan, niiden taustalla olevat syyt ovat harvoin tiedossa (Hawley ym. 2016). Ongelmien taustalla voivat olla esimerkiksi tuotannolliset syyt, raaka-ainepuutokset tai kysynnän muutokset (Claus ym. 2015, Hawley ym. 2016).

Lääkkeiden hyvän saatavuuden turvaaminen voi olla erityinen haaste tietyille potilasryhmille, kuten harvinaissairauksia sairastaville potilaille. Harvinaissairaudet ovat hengenvaarallisia tai kroonisesti invalidisoivia sairauksia, joita sairastaa Euroopan unionin alueella enintään viisi potilasta 10 000 asukasta kohti (European Commission 2000). Harvinaissairauksia sairastavia potilaita on Euroopassa noin 30 miljoonaa ja Suomessa yli 300 000 (Penttilä 2016). Harvinaislääkkeet ovat näiden sairauksien hoitoon, ennaltaehkäisyyn tai diagnosointiin tarkoitettuja lääkkeitä (European Medicines Agency 2017).

Markkinoille tuotujen harvinaislääkkeiden määrä oli vähäinen vielä 2000-luvun alkupuolella (Tiwari

2015). Euroopassa vuonna 2000 käyttöön otettu harvinaislääkeasetus on vauhdittanut harvinaislääkkeiden kehittämistä, ja harvinaislääkestatuksen ja myyntiluvan saaneiden harvinaislääkkeiden määrä on lisääntynyt merkittävästi (European Medicines Agency 2018). Harvinaislääkkeiden kustannukset potilaille ja yhteiskunnalle ovat kuitenkin korkeat (Gammie ym. 2015). Esimerkiksi vuosina 2002–2010 markkinoille tuotujen harvinaislääkkeiden keskimääräiset kustannukset potilasta kohden olivat yli 32 000 euroa vuodessa (Schey ym. 2011). Lääkkeen korkea hinta ja korvattavuuden puuttuminen heikentävät lääkkeiden saavutettavuutta eli potilaan mahdollisuuksia hankkia lääkettä ilman hallinnollisia tai taloudellisia esteitä (WHO Collaborating Centre for Pharmaceutical Pricing and Reimbursement Policies 2018).

Tässä tutkimuksessa selvitettiin lääkkeiden saatavuusongelmien yleisyyttä, syitä ja vaikutuksia suomalaisille apteekkeille sekä saatavuusongelmien syitä lääkeyritysten ja lääketukkukauppojen näkökulmasta Suomessa. Lisäksi selvitettiin, onko harvinaislääkkeille käytössä erillistä hinta- tai korvattavuussääntelyä, sekä tutkittiin kymmenen harvinaislääkkeen saatavuutta, jakelukanavia ja potilaan omavastuukäytännöä avohoidossa Euroopassa.

AINEISTOT JA MENETELMÄT

Tutkimus apteekkeille

Apteekit raportoivat tilauksistaan saamatta jääneet lääkkeet sekä saatavuusongelmien syyt ja vaikutukset apteekille lähes kuukauden mittaisen seuranta-jakson aikana syys–lokakuussa 2013. Tutkimukseen kutsutut yksityiset apteekit (n=194) valittiin satunnaisotannalla Suomen Apteekkariliiton jäsenrekisteristä niin, että ne edustivat kolmasosaa jäsenrekisterin apteekkeista. Tutkimukseen kutsuttiin lisäksi yksi yliopiston apteekin toimipiste. Aineisto analysoitiin kuvailevalla analyysillä käyttäen suoria jakaumia ja ristiintaulukointia (IBM SPSS Statistics 21.0).

Tutkimus lääkeyritysten ja lääketukkukauppojen edustajille

Haastattelututkimus Suomessa toimivien lääkeyritysten ja lääketukkukauppojen edustajille toteutettiin maaliskesäkuussa 2016. Tutkimukseen kutsuttiin 41 toimijaa; lääkeyrityksistä Lääketeollisuus ry:n (n=30) ja Rinnakkaislääketeollisuus ry:n jäsenyritykset (n=7) sekä lääkeyritys, joka on merkittävä toimija Suomen lääkemarkkinoilla, mutta joka ei kuulu edellä mainittuihin etujärjestöihin. Lääketukkukaupoista tutkimukseen kutsuttiin ne, joilla on koko maan kat-

tava jakeluverkosto (n=3). Haastattelut toteutettiin puolistrukturoituna puhelinhaastatteluina. Haastattelujen riittävä määrä varmistettiin saturaatiolla (Hennink ym. 2016). Haastattelut nauhoitettiin haastateltavien suostumuksella ja litteroitiin sanatarkasti. Aineisto analysoitiin teemoittelemalla (Microsoft Office 2016 Word) (Hirsjärvi ja Hurme 2014, s. 173). Saatavuusongelmien syiden tyypillisyyden selvittämiseen käytettiin laskemista ja taulukointia (Hirsjärvi ja Hurme 2014, s. 172).

Tutkimus lääkkeiden hinta- ja korvattavuusviranomaisille

Sähköinen kysely Pharmaceutical Pricing and Reimbursement Information (PPRI) -verkostoon kuuluville lääkkeiden hinta- ja korvattavuusviranomaisille 46 maassa lähetettiin huhtikuussa 2016. Kysely sisälsi kysymyksiä harvinaislääkkeiden hinnoittelusta ja korvattavuuspäätöksiin liittyvistä säännöksistä sekä kysymyksiä kymmenen harvinaislääkkeen saatavuudesta, jakelukanavista ja potilaan omavastuukäytännöstä. Tutkimukseen valituilla harvinaislääkkeillä (**Taulukko 1**) oli keskitetty myyntilupa ja harvinaislääkestatus. Lääkkeet poimittiin Euroopan lääkeviraston julkisten arviointiraporttien rekisteristä (EPAR) myyntiluvan myöntämispäivämäärän mukaisessa takautuvassa järjestyksessä vuoden 2013 lopusta. Vuosi 2013 valittiin myöhäisimmäksi myyntiluvan myöntämisaikakohdaksi, jotta lääkkeiden hintataso ja korvattavuuskäytännöt olisivat tutkimushetkellä vakiintuneet. Tutkimus keskittyi avohoidossa käytettäviin harvinaislääkkeisiin ja näin ollen injektiot ja infuusiot rajattiin tutkimuksen ulkopuolelle. Aineisto analysoitiin kuvailevalla analyysillä käyttäen suoria jakaumia (IBM SPSS Statistics 23.0). Aineiston säännönmukaisuuksien tunnistamiseen käytettiin lisäksi taulukointia (Microsoft Office 2016 Excel).

TULOKSET

Tutkimus apteekkeille

Tutkimukseen osallistui 129 apteekkia (66 % kutsutuista), jotka edustivat reseptuuriltaan ja sijainniltaan hyvin kaikkia Suomen apteekkeja. Aineisto koostui 3311 raportointilomakkeesta.

Seurantajakson aikana lähes 80 prosentilla apteekkeista oli saatavuusongelmia päivittäin tai lähes päivittäin. Lääkkeiden saatavuusongelmia oli yleisimmin keskushermostoon vaikuttavissa lääkkeissä (31 %) ja sydän- ja verisuonisairauksien lääkkeissä (18 %). Saatavuusongelmien syy oli tiedossa ap-

teekeissa 11 prosentissa saatavuuskatkostapauksista. Apteekkien henkilökunnan mukaan tavallisin saatavuusongelmien syy oli tuotteen loppuminen toimittajalta (49 %). Lääkkeiden saatavuusongelmat aiheuttivat ongelmia apteekkeille kolmasosassa saatavuuskatkostapauksista. Tavallisimmin saatavuusongelmat aiheuttivat tyytymättömyyttä asiakkaissa (54 %) ja pitkittivät asiakaspalvelutilanteita (53 %). Lääkkeiden saatavuusongelmat eivät aiheuttaneet ongelmia apteekkeille kahdessa kolmasosassa saatavuuskatkostapauksista, useimmiten koska korvaava valmiste oli saatavilla (49 %).

Tutkimus lääkeyritysten ja lääketukkukauppojen edustajille

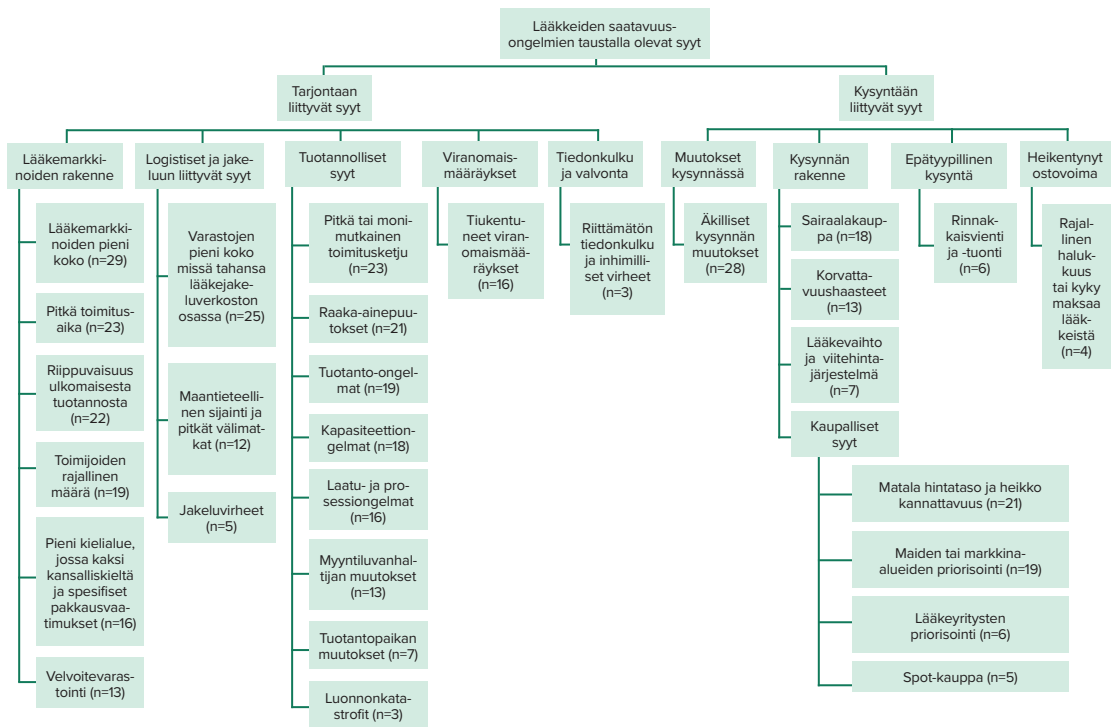
Tutkimukseen osallistui 30 yritystä; 27 lääkeyritystä ja 3 lääketukkukauppaa. Tutkimushaastatteluun osallistui yksi henkilö kustakin yrityksestä lukuun ottamatta kahta yritystä, joiden toiveesta haastatteluun osallistui kaksi henkilöä, jotka edustivat yrityksen eri lääkkeiden saatavuuteen liittyviä toimintoja. Aineisto saturoitui 22 haastattelun jälkeen. Haastattelut kestivät keskimäärin 34 minuuttia (vaihteluväli 21–58 minuuttia).

Lääkkeiden saatavuusongelmien taustalla oli monia syitä, jotka jakautuivat kahteen kategoriaan: ”Tarjontaan liittyvät syyt” ja ”Kysyntään liittyvät syyt” (**Kuva 1**). Tarjonnasta johtuvista syistä yleisin lääkkeiden saatavuusongelmien syy oli Suomen lääkemarkkinoiden pieni koko (n=29). Haastateltavat kertoivat, että Suomen lääkemarkkinat ovat pienet verrattuna muun Euroopan tai maailman lääkemarkkinoihin. Tarjonnasta johtuvista syistä myös varastojen pieni koko missä tahansa lääkejaketuuskoston osassa (n=25) aiheutti saatavuusongelmia. Haastateltavien mukaan lääkkeiden varastointi on Suomessa kalliimpaa kuin joissakin muissa Euroopan maissa, mikä saattaa vähentää lääkeyritysten tai lääketukkukauppojen halukkuutta pitää suuria varastoja Suomessa.

Kysynnästä johtuvat syyt liittyivät yleisimmin muutoksiin kysynnässä. Haastateltavien mukaan äkilliset kysynnän muutokset (n=28) aiheutuivat yleisimmin tuotteiden myynnin kausivaihtelusta tai toisten lääkeyritysten tuotteiden saatavuusongelmista. Tuotteiden myynnin kausivaihtelua voidaan ennustaa melko luotettavasti, mutta toisten lääkeyritysten tuotteiden saatavuusongelmista saadaan harvoin tietoa etukäteen. Näin ollen lääkeyritysten on vaikea ennakoida omien tuotteiden kysynnän äkillistä kasvua ja syntyy saatavuusongelmia.

Taulukko 1. Tutkimukseen valitut harvinaislääkkeet.

Valmistenimi	Vaikuttava aine	Indikaatio	Myyntiluvan myöntämispäivämäärä
Bosulif	bosutinibi	krooninen myeloinen leukemia	27.3.2013
Bronchitol	mannitoli	kystinen fibroosi	13.4.2013
Iclusig	ponatinibi	akuutti lymfoblastinen leukemia, krooninen myeloinen leukemia	17.2.2013
Imnovid	pomalidomidi	multippeli myelooma	5.8.2013
Kalydeco	ivakaftori	kystinen fibroosi	23.7.2012
Opsumit	masitentaani	pulmonaarihypertensio	20.12.2013
Orphacol	koolihappo	synnynnäiset aineenvaihdunnan häiriöt ja sairaudet	12.9.2013
Procybsi	merkaptamiini-bitartraatti	kystinoosi	6.9.2013
Vyndaqel	tafamidiisiini-meglumiini	amyloidoosi	16.11.2011
Xaluprine	merkaptopuriini-monohydraatti	lymfoidinen leukemia	9.3.2012



Kuva 1. Lääkkeiden saatavuusongelmien syyt Suomessa. (n = niiden haastattelujen lukumäärä, joissa kyseinen syy tuotiin spontaanisti esille, tehdystä 30 haastattelusta Suomessa toimivien lääkeyritysten ja lääketukkukauppojen edustajille. (Sarnola 2018, kuva julkaistu ensimmäisen kerran Itä-Suomen yliopiston "Publications of the University of Eastern Finland – Dissertations in Health Sciences" -julkaisusarjassa)

Tutkimus lääkkeiden hinta- ja korvattavuusviranomaisille

Yhden muistutuksen jälkeen kyselyyn vastasi 24 maata (52 % kutsutuista). Kaikki tutkimukseen osallistuneet maat olivat Euroopan maita, ja niistä 18 oli Euroopan unionin jäsenmaita, jotka hyväksyvät Euroopan lääkeviraston myöntämät myyntiluvat sellaisenaan. Vastanneet maat ja tulokset yksittäisistä vastaajamaista löytyvät kokonaisuudessaan alkuperäisjulkaisusta Sarnola ym. (2018).

Suurimmassa osassa Euroopan maista ei ollut erillistä hinta- (n=20) tai korvattavuussäätelyä (n=22) harvinaislääkkeille, vaan päätökset tehtiin samalla tavalla kuin muissakin lääkkeissä. Joissain maissa (n=13) oli kuitenkin otettu käyttöön muita harvinaislääkkeiden hinnoittelu- tai korvattavuuspäätöksiin liittyviä järjestelyitä, kuten erilliset budjetit, joista harvinaislääkkeitä korvataan.

Kymmenen harvinaislääkkeen saatavuutta ja jakelukanavia koskeviin kysymyksiin vastasi 23 maata. Kymmenestä lääkkeestä keskimäärin viisi oli saatavilla kyselyyn vastanneissa maissa. Vaihtelu maiden välillä oli kuitenkin suurta. Valtaosa lääkkeistä oli saatavilla monessa Keski- ja Länsi-Euroopan maassa, ja esimerkiksi Alankomaissa, Maltalla ja Puolassa kaikki kymmenen lääkettä olivat saatavilla. Sen sijaan joissakin Itä-Euroopan maissa lääkkeistä oli saatavilla alle puolet ja neljässä maassa (Latvia, Liettua, Turkki ja Valko-Venäjä) ei yhtään kymmenestä lääkkeestä. Harvinaislääkkeet toimitettiin potilaille tavallisimmin apteekkeista (n=8). Myös toimittaminen muista terveydenhuollon yksiköistä, kuten sairaaloista tai terveyskeskuksista oli yleistä (n=5).

Kymmenen harvinaislääkkeen potilaan omavastuuta koskeviin kysymyksiin vastasi 19 maata. Vastuksia potilaan omavastuuta koskeviin kysymyksiin pyydettiin silloin, kun lääkkeet olivat saatavilla avohoidossa kyseisessä maassa. 14 maassa potilaat maksoivat yleensä osan lääkkeen hinnasta itse tai saivat lääkkeet veloitusetta. Kun lääkkeet toimitettiin potilaille apteekkeista, potilaat maksoivat yleensä osan niiden hinnasta itse. Kun lääkkeet toimitettiin potilaille muista terveydenhuollon yksiköistä, potilaat saivat ne yleensä veloitusetta. Viidessä maassa lääkkeet olivat pääosin ei-korvattavia, eli potilaat maksoivat lääkkeiden hinnan kokonaan itse. Lääkkeet toimitettiin potilaille apteekkeista ja muista terveydenhuollon yksiköistä.

POHDINTA

Lääkkeiden saatavuusongelmat Suomessa

Lääkkeiden saatavuusongelmat ovat yleisiä suomalaisille apteekkeille, ja niitä esiintyy yleisesti käytetyissä lääkeryhmissä. Valtaosa lääkkeiden saatavuuskatko- tapauksista ei aiheuta ongelmia apteekkeille. Saatavuusongelmilla voi silti olla merkittävä vaikutus apteekkien arkeen. Tutkimuksen tulokset korostavatkin hyvän tiedonkulun tärkeyttä. Puutteelliset tiedot lääkkeiden saatavuusongelmien syistä ja lääkkeiden seuraavista toimitusajankohdista vaikeuttavat apteekkihenkilökunnan työtä asiakaspalvelutilanteissa ja vievät työaikaa. Siksi tiedonkulkua lääkeryityksiltä ja lääketukkukaupoilta apteekkeihin tulisi parantaa. Tietoa voidaan jakaa esimerkiksi apteekkien tietojärjestelmien kautta, jolloin se on käytettävissä asiakasta palveltaessa.

Lääkkeiden saatavuusongelmien taustalla on monia syitä, jotka voivat vaikuttaa myös samanaikaisesti. Suomen lääkemarkkinoiden koko on pieni verrattuna moneen muuhun maahan. Markkinoiden pieni koko voi vähentää markkinoilla olevien toimijoiden määrää ja pienentää lääkkeiden varastointimääriä (Besançon ja Chaar 2013). Pienet varastointimäärät missä tahansa lääkejakeluverkoston osassa voivat puolestaan ehtyä nopeasti ja aiheuttaa saatavuusongelmia. Lisäksi äkilliset kysynnän muutokset heikentävät lääkeryitysten omien tuotteiden kysynnän ennakoitavuutta. Lääkeryitysten näkökulmasta liiketoiminnan heikko ennustettavuus voi vähentää yritysten halukkuutta tuoda lääkkeitä markkinoille (Besançon ja Chaar 2013). Tässä tutkimuksessa esille tulleet saatavuusongelmien syyt korostavat varautumissuunnittelun merkitystä. Saatavuusongelmiin varaudutaan Suomessa esimerkiksi lainsäädännöllä (laki lääkkeiden velvoitevarastoinnista 979/2008). Velvoitevarastointilaki turvaa erityisesti suurten terapiaryhmien lääkkeiden saatavuutta (Juhola 2017). Saatavuusongelmiin varaudutaan lisäksi viranomais-toimin. Viranomaiset arvioivat esimerkiksi saatavuushäiriöiden vaikutuksia ja tekevät kansallisen riskiarvion jälkitoimitukseen jääneen lääkkeen kriittisyydestä (Linnolahti 2017). Potilaiden hoidon kannalta kriittisten lääkkeiden saatavuus voidaan turvata esimerkiksi myyntiluvan haltijoille myönnettävillä poikkeusluvilla.

Harvinaislääkkeiden saavutettavuus

Euroopassa

Euroopan maissa on harvoin käytössä erillistä hinta- tai korvattavuussääntelyä harvinaislääkkeille. Sääntelyn tarpeesta käydään kuitenkin kansainvälistä keskustelua, koska nykyiset lääkkeiden hinnoittelu- ja korvausjärjestelmät eivät välttämättä sovellu harvinaislääkkeille (Schlander ym. 2016). Ratkaisuna tähän on ehdotettu esimerkiksi eurooppalaista yhteistyötä harvinaislääkkeiden hinnoittelu- ja korvattavuuspäätöksiä varten tehtävässä arvioinnissa (Habl ja Bachner 2011, Euroopan parlamentti 2017). Tämä voisi vähentää päällekkäistä työtä ja mahdollistaa harvinaislääkkeiden arvioinnin nykyistä keskitetymin.

Tutkimukseen valittujen kymmenen harvinaislääkkeen saatavuus, jakelukanavat ja potilaan omavastuukäytäntö vaihtelevat Euroopan maiden välillä. Suurin osa lääkkeistä on saatavilla Keski- ja Länsi-Euroopan maissa, kun taas Itä-Euroopassa lääkkeitä on saatavilla vähemmän tai ei lainkaan. Tämä voi johtua siitä, että Keski- ja Länsi-Euroopan maiden korkeammat bruttokansantuotteet ja suuremmat terveydenhuollon budjetit mahdollistavat myös kalliiden lääkkeiden sisällyttämisen korvausjärjestelmään, jolloin lääkkeitä saatetaan tuoda markkinoille enemmän (OECD 2008, Habl ja Bachner 2011). Lääkkeiden sisällyttäminen korvausjärjestelmään voi paitsi lisätä markkinoille tuotavien lääkkeiden määrää, myös parantaa lääkkeiden saavutettavuutta potilaiden näkökulmasta, sillä potilaat eivät tällöin joudu maksamaan apteekkeista toimitettavien lääkkeiden hintaa kokonaan itse (Gammie ym. 2015). Toisaalta harvinaislääkkeiden jakeleminen sairaaloista tai terveyskeskuksista voi parantaa niiden saavutettavuutta, sillä tällöin potilaat saavat lääkkeitä usein veloitusetta. Lääkkeiden saavutettavuutta voidaan kuitenkin arvioida luotettavasti vasta, kun lääkkeiden hinta sekä potilaan omavastuuosuuden suuruus, tulotaso ja muut terveydenhuollon kulut otetaan huomioon (EURORDIS 2011). Näin ollen olisi tärkeää, että harvinaislääkkeiden rahoitus- ja jakelukanavia tarkasteltaisiin kokonaisuutena.

JOHTOPÄÄTÖKSET

Lääkkeiden saatavuusongelmat ovat yleisiä suomalaisille apteekkeille. Vaikka valtaosa saatavuuskatkospauksista ei aiheuta ongelmia apteekkeille, saatavuusongelmilla voi olla merkittävä vaikutus apteekkien arkeen. Tiedonkulun parantaminen lääkealan toimijoiden välillä voisi sujuvoittaa asiakaspalvelutilanteita ja helpottaa siten lääkkeiden saatavuusongelmien käsittelemistä apteekkeissa.

Lääkkeiden saatavuusongelmien taustalla on monia syitä, kuten Suomen lääkemarkkinoiden pieni koko ja äkilliset kysynnän muutokset. Tutkimuksen tulokset korostavat varautumissuunnittelun tärkeyttä, jotta lääkkeiden hyvä saatavuus saadaan turvattua.

Euroopassa on harvoin käytössä erillistä sääntelyä päätettäessä harvinaislääkkeiden hinnasta tai korvattavuudesta. Tutkimukseen valittujen kymmenen harvinaislääkkeen saatavuus, jakelukanavat ja potilaan omavastuukäytäntö vaihtelevat maittain. Harvinaislääkkeiden saavutettavuutta tulee tutkia sekä arvioida lisää kansallisella ja kansainvälisellä tasolla. Lisää tietoa tarvitaan esimerkiksi siitä, miten harvinaislääkkeiden hinnoittelu- ja korvattavuuspäätöksiä varten tehtävä arviointi tulisi toteuttaa sekä siitä, mitkä ovat lääkkeiden saavutettavuuden ja lääkehoidon vaikuttavuuden kannalta sopivimmat jakelu- ja rahoituskanavat harvinaislääkkeille.

SUMMARY

Availability and accessibility of medicines – Medicine shortages in Finland and accessibility of orphan medicines in Europe

→ Kati Sarnola

Research scientist, PhD (Pharm.),
Specialist in Medication Review
Finnish Medicines Agency
kati.sarnola@fimea.fi

M.Sc. (Pharm.) Kati Sarnola's Doctoral Thesis "Availability and accessibility of medicines, A study of medicine shortages in Finland and accessibility of orphan medicines in Europe" was inspected in the University of Eastern Finland, Faculty of Health Sciences, School of Pharmacy (social pharmacy) in August 17th 2018. Professor Erkki Palva acted as the opponent and Johanna Timonen from the University of Eastern Finland acted as custodian. The Doctoral Thesis can be found from University of Eastern Finland UEF Electronic Publications -database: <http://epublications.uef.fi/index.php>

Background: Availability of medicines has become one of the priority health issues worldwide. This study aimed to explore the frequency, the reasons behind and the consequences of medicine shortages to Finnish community pharmacies, and the reasons behind shortages from the perspective of pharmaceutical companies and pharmaceutical wholesalers in Finland. Additionally, this study aimed to study, whether special policies had been implemented for assessing the reimbursement status or pricing of orphan medicines, and the availability and distribution settings of ten recently authorised orphan products suitable for outpatient care, and whether patients receive these products free of charge or have to pay some or all of the costs themselves.

Methods: The frequency, the reasons behind, and the consequences of medicine shortages were studied by reporting from 129 pharmacies (66%, n=195). The reasons behind shortages were also studied by interviewing 30 representatives of pharmaceutical companies and pharmaceutical wholesalers operating in Finland. The accessibility of orphan medicines

was studied by a survey to competent authorities in 24 European countries.

Results: Almost 80% of the pharmacies had medicine shortages daily or almost daily. The reasons behind medicine shortages were reported to the pharmacies in 11% of the shortage cases. One third of shortage cases caused problems to the pharmacies. Medicine shortages were most commonly caused by the small size of the pharmaceutical market (n=29) and sudden or fluctuating demand (n=28). Most European countries had not implemented specific pricing (n=20) or reimbursement (n=22) policies for orphan medicines. Of the ten studied orphan medicines, the average number of available products per country was five. Products were most commonly dispensed from community pharmacies. When products were dispensed from community pharmacies, patients typically paid part of the price themselves. Products dispensed from other health care units were often free of charge for the patients.

Conclusions: Medicine shortages are common to Finnish community pharmacies. Majority of medicine shortages don't cause problems for the pharmacies. The reasons behind shortages are rarely reported to the pharmacies. The reasons behind shortages are more often supply-related than demand-related. Special policies on pricing and reimbursement on orphan medicines are rarely implemented in European countries. Availability, distribution settings and patients' share of the costs of ten orphan medicines varies between countries.

Keywords: medicines; availability; accessibility; medicine shortages; health policy; surveys and questionnaires, interviews

KIRJALLISUUSVIITTEET

Besaçon L, Chaar B: Report of the international summit on medicines shortage. International Pharmaceutical Federation (FIP), Toronto 2013

Canadian Pharmacists Association: Canadian Drug Shortages Survey – Final report, Ottawa 2010

Claus B, Pauwels K, Baert M ym.: [Drug shortages in the hospital: management, causes and budget impact]. *J Pharm Belg* 1: 24–34, 2015

Euroopan parlamentti: P8_TA-PROV(2017)0061. Vaihtoehdot lääkkeiden saatavuuden parantamiseksi. Euroopan parlamentin päätöslauselma 2. maaliskuuta 2017 EU:n vaihtoehtoista lääkkeiden saatavuuden parantamiseksi (2016/2057(INI))

European Commission: Regulation (EC) No. 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 November 1999 on orphan medicinal products

European Medicines Agency: Orphan designation. 2017 (viitattu 9.10.2018). Saatavilla Internetissä: www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000029.jsp&mid=WC0b01ac0580b18a41

European Medicines Agency: Orphan medicines figures 2000-2017. 2018 (viitattu 9.10.2018). Saatavilla Internetissä: www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2015/04/WC500185766.pdf

EURORDIS: Position Paper. Patients' Priorities and Needs for Rare Disease Research 2014–2020, Amsterdam 2011

Gammie T, Lu CY, Babar ZU-D: Access to orphan drugs: A Comprehensive Review on Legislations, Regulations and Policies in 35 countries. *PLoS One* 10(10): e0140002, 2015

Habl C, Bachner F: EMINET – Initial investigation to assess the feasibility of a coordinated system to access orphan medicines. Commissioned by the European commission, Directorate-General Enterprise and Industry, Vienna 2011

Hawley KL, Mazer-Amirshahi M, Zocchi MS, Fox ER, Pines JM: Longitudinal Trends in U.S. Drug Shortages for Medications Used in Emergency Departments (2001-2014). *Acad Emerg Med* 23: 63–69, 2016

Hennink NM, Kaiser BN, Marconi VC: Code Saturation versus Meaning Saturation: How Many Interviews are Enough? *Qual Health Res* 1–18, 2016

Hirsjärvi S, Hurme H: Tutkimushaastattelu – Teemahaastattelun teoria ja käytäntö. Gaudeamus Helsinki University Press, Helsinki 2014

Juhola R: Lääkkeiden velvoitevarastointi varmistaa lääkehuollon jatkuvuutta. *SIC!* 3–4: 24–25, 2017

Kaakeh R, Sweet BV, Reilly C: Impact of drug shortages on U.S. health systems. *Am J Health Syst Pharm* 68: 1811–1819, 2011

Linnolahti J: Fimean toiminta lääkkeiden saatavuuden turvaamiseksi. *SIC!* 3–4: 6–10, 2017

McLaughlin M, Kotis D, Thomson K ym.: Effects on patient care caused by drug shortages: a survey. *J Manag Care Spec Pharm* 19: 783–788, 2013

OECD: OECD Health Policy Studies: Pharmaceutical Pricing Policies in the Global Market, Paris 2008

Penttilä K: Harvinaislääkkeiden kehitystä tuetaan Euroopassa. *SIC!* 4: 1–6, 2016

Sarnola K: Lääkkeiden saatavuus ja saavutettavuus: tutkimus lääkkeiden saatavuusongelmista Suomessa ja harvinaislääkkeiden saavutettavuudesta Euroopassa. Publications of the University of Eastern Finland. Dissertations in Health Sciences 470, University of Eastern Finland, Kuopio 2018

Schlander M, Garattini S, Kolominsky-Rabas P ym.: Determining the value of medical technologies to treat ultra-rare disorders: a consensus statement. *J Mark Access Health Policy* 4: 33039, 2016

Tan YX, Moles RJ, Chaar BB: Medicine shortages in Australia: causes, impact and management strategies in the community setting. *Int J Clin Pharm* 38: 1133–1141, 2016

Thieren M: World Health Organization. Technical Meeting for the Development of a Framework for Universal Access to HIV/Aids Prevention, Treatment and Care in the Health Sector. Background paper on the concept of universal access, Geneva 2005

Tiwari J: Navigating through orphan medicinal product regulations in EU and US – Similarities and differences. Regul Toxicol Pharmacol 71: 63–67, 2015

WHO Collaborating Centre for Pharmaceutical Pricing and Reimbursement Policies: Preferred terms. (viitattu 9.10.2018). Saatavilla Internetissä: <http://whocc.goeg.at/Glossary/PreferredTerms/Access>

Onko sinulla julkaistavaksi sopivaa materiaalia tai aihevinkkejä?

Dosis on ainoa suomenkielinen farmasian alan tieteellinen lehti. Siinä julkaistaan farmasian ja sen lähialojen alkuperäistutkimuksia, katsauksia, tieteellisiä kommentteja ja referaatteja sekä väitöskirjojen tiivistelmiä.

Jos sinulla on Dosikseen soveltuvaa materiaalia tai aihevinkkejä, lähetä sähköpostia osoitteeseen dosis@farmasialiitto.fi tai anneli.ritala@vtt.fi

DOSIKSEN TOIMITUSKUNTA

Päätoimittaja

Dosentti Anneli Ritala-Nurmi

Toimituskunnan jäsenet

Dosentti Katri Hämeen-Anttila

Proviisori, toksikologi Antti Kataja

Yliopistonlehtori Anne Lecklin

Farmasian tohtori Minna Matikainen

Neuvotteleva virkamies, farmasian tohtori Ulla Närhi

Farmasian tohtori Joni Palmgrén

Farmasian tohtori Marika Pohjanoksa-Mäntylä

www.dosis.fi



FARMASIA
LIITTO