

Potilasjärjestöjen lääkkeitä antamat lausunnot Lääkkeiden hintalautakunnalle ja Terveystieteiden tutkimuskeskukselle vuosina 2017–2021

Mirjami Tran Minh*

FM, väitöskirjatutkija
Väestön terveyden tohtoriohjelma
Helsingin yliopisto
mirjami.tran@helsinki.fi

Marja Airaksinen

FaT, professori
Kliinisen farmasian ryhmä
Farmasian tiedekunta
Helsingin yliopisto

Leena Saastamoinen

FaT, dosentti, tutkimuspäällikkö
Kela 31.10.2022 asti, 1.11.2022 alkaen Fimea

Tuuli Lahti

FT, dosentti
Lääketieteellinen tiedekunta
Helsingin yliopisto;
Yliopettaja
Terveys ja hyvinvointi
Turun ammattikorkeakoulu

*Kirjeenvaihto

Tran Minh M, Airaksinen M, Saastamoinen L, Lahti T: Potilasjärjestöjen lääkkeitä antamat lausunnot Lääkkeiden hintalautakunnalle ja Terveystieteiden tutkimuskeskukselle vuosina 2017–2021. Dosis 39: 196–216, 2023

Tiivistelmä

Johdanto

Potilaiden ja kansalaisten osallisuus terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa ja lääkkeiden korvattavuutta käsittelevässä päätöksenteossa on vahvistunut viime vuosina. Suomessa sekä Lääkkeiden hintalautakunta (Hila) että Terveystieteiden tutkimuskeskuksen palveluvalikoimaneuvosto (Palko) ovat mahdollistaneet vuodesta 2016 lähtien sen, että potilasjärjestöt ja kansalaiset voivat antaa niille kirjallisia lausuntoja.

Tässä tutkimuksessa tutkittiin, minkä verran Hila ja Palko ovat saaneet potilasjärjestöiltä lausuntoja käsiteltävänä olevista lääkehoidoista vuosina 2017–2021, mitä lääkkeitä tai lääkeryhmiä lausunnot ovat koskeneet ja miten niiden lukumäärä on vaihdellut vuosittain.

Aineisto ja menetelmät

Tutkimuksen aineistona olivat Hilan ja Palkon vastaukset tutkijan näille lähettämään tietopyyntöön ja organisaatioiden verkkosivuilta löydetty avoimesti saatavilla olevat tiedot. Tietopyynnössä viranomaisia pyydettiin toimittamaan lukumäärä saapuneista potilasjärjestöjen lausunnoista, jotka liittyivät Hilan hinta- ja korvattavuushakemuksiin tai Palkon suositusluonnoksiin. Lisäksi Palkolta pyydettiin tiedot potilaiden, asiakkaiden tai heidän omaistensa antamista lausunnoista. Kuvaileva tilastollinen analyysi tehtiin Excel-ohjelmalla.

Tulokset

Hila sai tarkastelujaksolla (2017–2021) yhteensä 109 potilasjärjestölausuntoa myyntiluvanhaltijan toimittamiin lääkevalmisteiden hinta- tai korvattavuushakemuksiin. Potilasjärjestölausuntoja tuli vuosittain 12–31. Lausuntojen määrä kasvoi tasaisesti vuosina 2017–2020, mutta väheni hieman vuonna 2021. Lausunnoista 39 % (n = 42) käsittelee syöpälääkkeiden ja immuunivasteen muuntajien ryhmään (ATC-luokka L) kuuluvia valmisteita, pääosin antineoplastisia lääkkeitä (n = 23) ja immunosuppressantteja (n = 18). Lausunnoista 17 % (n = 18) koski ruuansulatuselinten sairauksien ja aineenvaihduntasairauksien lääkkeitä (ATC-luokka A), joista suurimpana ryhmänä olivat diabeteksen hoidossa käytettävät valmisteet (n = 15). Potilasjärjestölausuntoja annettiin vain pieneen osaan (1,4–3,5 %:iin) Hilan vuosittain käsittelemistä hakemuksista. Palko sai potilasjärjestöiltä tai yksittäisiltä kansalaisilta Ota kantaa -lausuntoja 40 %:iin (n = 12) lääkeaiheista suositusluonnoksista (n = 30). Näiden lausuntojen kokonaismäärä oli 50, vaihteluväli 0–26 lausuntoa vuodessa. Lausunnot käsitelivät erityisesti spinaalisen lihasatrofian hoitoon käytettäviä harvinaislääkkeitä (ATC-luokka M, 78 % lausunnoista) ja syövän immunologisia hoitoja (ATC-luokka L, 22 %).

Johtopäätökset

Vaikka potilasjärjestöt ja yksittäiset kansalaiset ovat hyödyntäneet mahdollisuutta lausuntojen antamiseen Hilalle ja Palkolle, on näiden lausuntojen määrä ollut vähäinen suhteessa käsiteltyjen korvattavuushakemusten tai suositusluonnosten kokonaismäärään. Tutkimusta lausuntojen valmistelusta potilasjärjestöissä, lausuntoprosesseista ja lausuntojen merkityksestä tarvitaan lisää.

Avainsanat: lääkkeet, korvattavuus, palveluvalikoima, potilasjärjestöt, potilasjärjestölausunnot, Lääkkeiden hintalautakunta, Terveystieteiden tutkimuskeskuksen palveluvalikoimaneuvosto

Johdanto

Potilaiden ja potilasjärjestöjen osallisuus on viime vuosikymmeninä vahvistunut niin terveydenhuollossa, terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa kuin hoitojen korvattavuuteen liittyvässä päätöksenteossa (European Patient's Forum 2013, Whitty 2013, Abelson ym. 2016, Facey ym. 2017). Tämä on lisännyt terveydenhuoltoon liittyvän yhteiskunnallisen päätöksenteon läpinäkyvyyttä ja tuonut kokemuskäytännön yhä vahvemmin mukaan myös lääkealan viranomaistahojen arviointi- ja päätöksentekoprosesseihin (Health Technology Assessment International 2014, Facey ym. 2017, Livingstone 2021). Osallisuuden toteuttamistapoja on erilaisia, ja ne voivat asettua eri vaiheisiin terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa ja menetelmien käyttöönottoa koskevassa päätöksenteossa. Potilasjärjestöt ja potilasedustajat voivat esimerkiksi antaa kirjallisia lausuntoja tai tuoda kokemusasiantuntijan roolissa näkökulmia yksittäiseen arviointiin tai olla mukana pysyvinä edustajina ja kumppaneina arviointia toteuttavissa tai päätöksissä tekevässä elimissä. Osallisuus ja osallistuminen voidaan nähdä jatkumona, joka etenee viranomaisen johdolla toteutetusta tiedottamisesta ja palaute- ja lausuntomahdollisuuksista yhteistyöhön ja tasaveroiseen kumppanuuteen. (Whitty 2013, Weeks ym. 2017, Majid ja Gagliardi 2019).

Myös Suomessa potilaiden ja asiakkaiden mahdollisuudet osallisuuteen ovat lisääntyneet. Lääkkeiden hintalautakunta (Hila) avasi vuonna 2016 potilasjärjestöille mahdollisuuden antaa kirjallisia lausuntoja lääkkeiden hoidollisesta arvosta potilasnäkökulmasta, ja samana vuonna Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto (Palko) avasi suositusluonnoksensa avoimesti kommentoitavaksi oikeusministeriön verkkopohjaiseen Ota kantaa -palveluun (Sosiaali- ja terveysministeriö 2022). Tässä artikkelissa tarkoitamme lausunnolla sekä Hilalle tulleita kirjallisia potilasjärjestölausuntoja että Palkolle verkkopalvelun kautta lähetettyjä Ota kantaa -kommentteja, joiden antajana on ollut potilaita edustava järjestö tai yksittäinen kansalainen.

Tutkimuksia potilaiden ja kansalaisten osallistumisesta lääkehoitojen arviointi- ja korvattavuusprosesseihin ei ole Suomessa

aiemmin tehty, vaikka Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea julkaisi jo vuonna 2012 suosituksen potilasnäkökulman huomioidemisesta lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnissa sekä siihen liittyvässä lääkeinformaatiossa (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea 2012, Kleme ym. 2014, Hämeen-Anttila ym. 2016). Tässä tutkimuksessa kartoitamme, miten paljon kirjallisia lausuntoja Hila ja Palko vastaanottivat potilailta ja potilasjärjestöiltä vuosina 2017–2021 ja miten nämä lausunnot jakaantuivat lääkeaineryhmittäin.

Hilan toiminta ja ohjeet potilasjärjestöille

Hila päättää avohuollon (asiakkaan apteekista ostamien) lääkevalmisteiden, perusvoiteiden ja kliinisten ravintovalmisteiden korvattavuudesta ja kohtuullista tukkuhinnoista (Sairausvakuutuslaki 21.12.2004/1224, Ruskoaho 2018, Lääkkeiden hintalautakunta 2022a). Nämä päätökset perustuvat myyntiluvan haltijan eli lääkeyrityksen Hilalle toimittamiin hakemuksiin. Hakemustyyppinä on erilaisia riippuen esimerkiksi siitä, onko kyseessä uusi vaikuttava lääkeaine tai muu uusi lääkevalmiste, uusi rinnakkaisvalmiste, uusi lääke- muoto, uusi vahvuus, uusi pakkausmuoto/pakkausmuoto, uusi erityislupavalmiste, laajennushakemus tai uusintahakemus (Lääkkeiden hintalautakunta 2023a).

Sairausvakuutuslain mukaan Hila voi pyytää tarvittaessa lausunnot Kelalta ja Hilan asiantuntijaryhmältä päätöksentekonsa tueksi. Myyntiluvan haltijan lähettämän hakemuksen ja edellä mainittujen lausuntojen lisäksi Hila voi päätöksissään ottaa huomioon myös muuta, kyseistä lääkevalmistetta koskevaa tietoa, kuten potilasjärjestöjen lausuntoja lääkevalmisteen hoidollisesta arvosta potilasnäkökulmasta katsottuna (Lääkkeiden hintalautakunta 2022b).

Hila julkaisee verkkosivuillaan kuukausittain listan edellisen kuukauden aikana saapuneista, lääkeyritysten lähettämistä hakemuksista. Lisäksi lista lähetetään sähköpostitse niille potilasjärjestöille, jotka ovat ilmoittautuneet Hilan sähköpostilistalle. Tämän tiedon saatuaan potilasjärjestöillä on noin kuukausi aikaa toimittaa oma lausuntonsa Hilalle (Lääk-

keiden hintalautakunta 2022b). Hila on julkaissut sivuillaan potilasjärjestöille suunnatun dokumentin *Ohje potilasjärjestöjen lääkevalmistesta antamiin lausuntoihin*, joka antaa suuntaviivat lausuntojen sisällölle ja rakenteelle. Ohjeessa kehoitetaan sisällyttämään lausuntoon näkökulmia erityisesti lääkevalmisteen tarpeesta ja suhteesta muihin nykyisen hoitokäytännön mukaisiin lääke- tai lääkkeettömiin hoitoihin, käyttäjien kokemuksista lääkevalmistesta ja sen vaikutuksista toimintakykyyn, arjessa selviytymiseen ja elämänlaatuun sekä lääkevalmisteen käyttöä mahdollisesti rajoittavista tekijöistä. Hila ohjeistaa lausunnon antajia ilmoittamaan myös asiaan tai hakemukseen liittyvät sidonnaisuutensa (Lääkkeiden hintalautakunta 2022c).

Palkon toiminta ja suositusluonnosten kommentointi Ota kantaa -palvelussa

Palko antaa suosituksia siitä, mitkä palvelut kuuluvat julkisen varoin rahoitettuun terveydenhuollon palveluvalikoimaan, ja päättää oireettoman henkilön kuvantamisen kriteereistä. Palkon lääkejaosto valmistelee erityisesti sairaalalääkkeitä koskevia suosituksia ottaen käsittelyyn käytännössä kaikki Fimean arvioimat sairaalalääkkeet (Ruskoaho 2018). Fimea ottaa arvioitavien sairaalalääkkeiden valinnassa huomioon muun muassa terveysongelman yleisyyden, vakavuuden ja sairaustaakan sekä lääkkeen talousvaikutukset (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea 2022).

Palkon valmistelemat suositusluonnokset julkaistaan Ota kantaa -palvelussa, jossa kaikki aiheesta kiinnostuneet voivat kommentoida suositusluonnoksia. Kommentointia varten Ota kantaa -palvelussa on verkkolomake, jossa pyydetään kommentoimaan suositusluonnoksen eri osa-alueita, esimerkiksi suosituksen kohdetta, rajausta ja tietopohjaa, arvioitavaa menetelmää ja nykyistä hoitokäytäntöä, vaikuttavuutta, turvallisuutta, kustannuksia ja kustannusvaikuttavuutta sekä eettisiä ja järjestämiseen liittyviä näkökohtia (Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto 2022b, Sosiaali- ja terveysministeriö 2022). Ota kantaa -palvelussa pyydetään lisäksi ilmoittamaan vastaajan tausta eli, mistä näkökulmasta vastaaja kommentoi suositusluonnosta. Lomakkeella mää-

riteltyjä vastaajaryhmiä ovat esimerkiksi Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, Viranomaisen, Lääkevalmistajan, maahantuojan tai markkinoijan sekä tässä tutkimuksessa käsitellyt vastaajaryhmät Potilas, asiakas tai heidän omaisensa ja Potilaita ja asiakkaita edustava järjestö

Palko tiedottaa käynnissä olevista arvioinneista ja Ota kantaa -palvelussa kommentoitavana olevista suositusluonnoksista verkkosivuillaan ja uutiskirjeessään, jonka voi tilata Palkon kotisivuilta. Suositusluonnos on Ota kantaa -palvelussa avoimena noin kolmen viikon ajan (Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto 2022b). Palko järjestää potilasjärjestöille myös kuulemistilaisuuksia, mutta näitä tapaamisia on toistaiseksi ollut vain muutamia.

Aineisto ja menetelmät

Tutkimuksen aineisto kerättiin lähettämällä kirjallinen tietopyyntö Hilalle ja Palkolle perustuen lakiin viranomaisten toiminnan julkisuudesta (21.5.1999/621). Tietopyynnöt vuosilta 2016–2020 lähetettiin viranomaisille syyskuussa 2021 ja vuodelta 2021 huhtikuussa 2022. Tietopyynnöt Hilalle käsittivät organisaation vuosittain vastaanottamien potilasjärjestölausuntojen lukumäärän lääkevalmisteittain. Tietoa pyydettiin myös hakemustyyppistä ja anatomis-terapeuttis-kemiallisesta (Anatomical Therapeutic Chemical, ATC) -luokasta. Palkosta pyydettiin lausuntojen lukumäärää jokaisesta lääkehoitoa käsittelevästä suositusluonnoksesta jaoteltuna vastaajan taustan mukaan siten, että poimintaan sisällytetään vastaajaryhmät: Potilaita tai asiakkaita edustava järjestö (jatkossa tästä vastaajaryhmästä käytetään tässä tutkimuksessa termiä potilasjärjestö) ja Potilas, asiakas tai heidän omaisensa (jatkossa tästä vastaajaryhmästä käytetään tässä tutkimuksessa termiä yksittäiset kansalaiset). Viranomaiset toimittivat vastaukset tietopyyntöihin Excel-tiedostoina tai taulukkona sähköpostin viestikentässä.

Hila toimitti listauksen niistä hakemuksista, joihin Hila oli vastaanottanut potilasjärjestölausunnon tai -lausuntoja. Lista oli koottu hakemuksen diaarinumero, lausunnon saapumisvuosi, asiakirjatyypin ja lääkevalmisteen nimi. Uusintahakemukset ja erityislupavalmisteet oli merkitty erikseen. Hila

Taulukko 1. Hintalautakunnalle saapuneiden hinta- ja korvattavuushakemusten ja potilasjärjestölausuntojen lukumäärät vuosina 2017–2021.

Vuosi	2017	2018	2019	2020	2021
Hilalle saapuneiden hinta- ja korvattavuushakemusten kokonaismäärä	847	756	883	883	823
Uutta lääkettä ja muuta uutta valmistetta koskevia hinta- ja korvattavuushakemuksia	53	55	56	56	49
Potilasjärjestölausuntojen lukumäärä	12	17	27	31	22
Potilasjärjestölausuntojen määrä suhteessa Hilalle saapuneiden hinta- ja korvattavuushakemusten kokonaismäärään	1,4 %	2,3 %	3,1 %	3,5 %	2,7 %

pyysi huomioimaan, että Hilassa oli otettu uusi asianhallintajärjestelmä käyttöön vuonna 2017, minkä takia tätä aikaisempia lausuntoja ei saatu esille sähköisesti uudesta järjestelmästä. Tiedot Hilalta saatiin siten vuosilta 2017–2021. Hila pyysi lisäksi huomioimaan, että yhtä hakemusta/lääkevalmistetta kohden Hila on voinut vastaanottaa yhden tai useamman lausunnon ja/tai yksi lausunto on voinut koskea useampaa hakemusta/lääkevalmistetta.

Palkon vastauksessaan toimittamat koonnit sisälsivät pyydettyjen vastaajaryhmien toimittamat lääkehoitoja koskevat lausuntojen lukumäärät vuosina 2015–2020 ja 2021. Lista oli koottu lausuntojen määrä jokaista lääkehoitoa koskevasta suosituksesta. Lausuntojen määrä oli eritelty sen mukaan, oliko lausunnonantajina potilasjärjestö vai yksittäinen kansalainen. Tähän tutkimukseen sisällytettiin vuosien 2017–2021 aikana tulleet lausunnot, jotta tarkastelujakso olisi sama kuin Hilan tiedoissa. Vuosina 2015–2016 Palko julkaisi ainoastaan yhden lääkehoitoja koskevan suositusluonnoksen (Silmänpohjan koston ikärappeuman hoito silmänsisäisellä bevasitsumabilla), johon ei liittynyt Ota kantaa -lausuntoja.

Hilan ja Palkon toimittamat vastaukset

koottiin Excel-tiedostoon. Vastaukset jaoteltiin lääkeryhmittäin ATC-luokkiin ja ryhmiteltiin vuosittain. Jokaisen valmisteen ATC-koodi tarkistettiin Fimean lääkehaku-palvelusta (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea 2023). Palkon vastauksissa oli lisäksi eritelty potilasjärjestöjen ja yksittäisten kansalaisten antamien lausuntojen määrä. Vastauksista analysoitiin Excel-ohjelmaa käyttäen ryhmien (ATC-luokka, vuosi, Palkon kohdalla myös vastaajan tausta) lukumäärät ja prosentiosuudet. Lisätietoja Hilan vuosittaisista hakemusmääristä kerättiin organisaation kotisivuilta (Lääkkeiden hintalautakunta 2023b). Eettistä ennakoarviointia tai tutkimuslupaa ei tarvittu, koska tutkimuksessa käytetty tieto on julkista viranomaistietoa, jossa ei ollut mukana henkilötietoja.

Tulokset

Lausunnot Hilalle

Hila vastaanotti vuosien 2017–2021 aikana yhteensä 109 potilasjärjestölausuntoa myyntiluvan haltijan toimittamiin hinta- ja korvattavuushakemuksiin (Liite 1). Määrä kasvoi vuosien 2017–2020 aikana, mutta väheni vuonna

2021 edellisvuoteen verrattuna (Taulukko 1). Lukumäärässä on huomioitava, että yhtä hakemusta/lääkevalmistetta kohden Hila on voinut vastaanottaa yhden tai useamman lausunnon ja/tai yksi lausunto on voinut koskea useampaa hakemusta/lääkevalmistetta. Lausuntojen kohteena olevien hinta- ja korvattavuushakemusten lukumäärä voi siten olla hieman eri kuin lausuntojen lukumäärä. Hilan toimittaman tiedon perusteella esimerkiksi vuonna 2021 on tullut kaksi lausuntoa hakemukseen 00339/2021 ja vuonna 2017 kaksi lausuntoa hakemukseen 00806/2017 (Liite 1).

Hila on saanut tarkastelujaksolla myyntiluvan haltijoilta vuosittain 756–883 hinta- ja korvattavuushakemusta (Lääkkeiden hintalautakunta 2023b). Potilasjärjestölausuntoja annettiin siten muutamaan prosenttiin (1,4–3,5 %) hakemuksista (Taulukko 1).

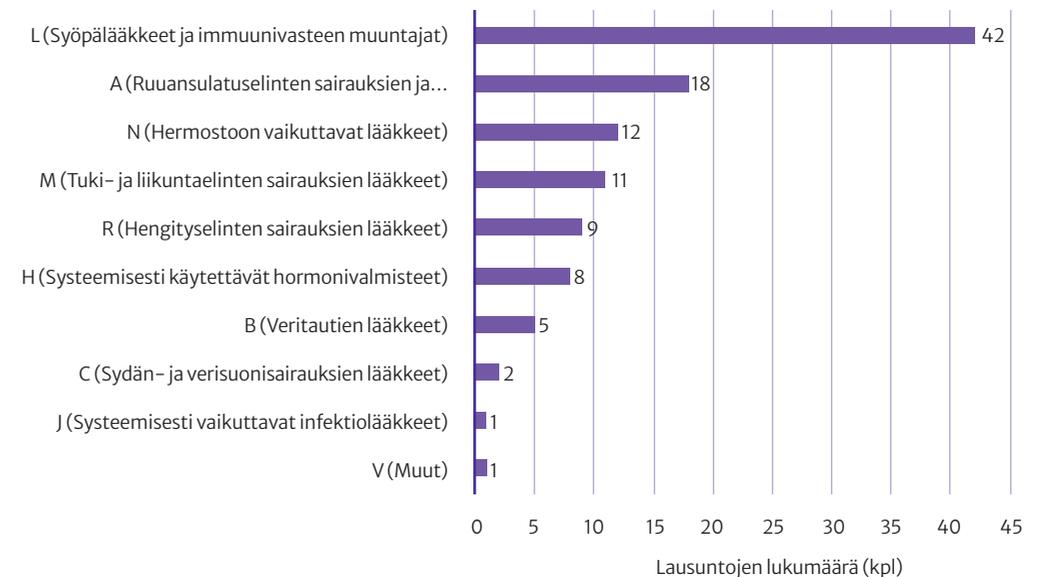
Yli kolmannes (39 %, n = 42) Hilan vuosina 2017–2021 vastaanottamista lausunnoista annettiin syöpälääkkeiden ja immuunivasteen muuntajien ryhmään (ATC-luokka L) kuuluvista valmisteista. Toiseksi eniten annettiin lausuntoja Ruuansulatuselinten sairauksien ja aineenvaihduntasairauksien hoitoon käytettä-

vien lääkkeiden hakemuksista (ATC-ryhmä A) (17 %, n = 18). (Kuva 1)

ATC-luokkaa L koskevat lausunnot jakaantuivat pääasiassa kahteen alaryhmään: 55 % (n = 23) lausunnoista koski alaryhmään L01 anti-neoplastiset lääkkeaineet ja 43 % (n = 18) alaryhmään L04 immunosuppressantit kuuluvia valmisteita. Näistä puolet (n = 9) kuului kalsineuriinin estäjien alaryhmään L04AD ja noin neljäsosa (n = 4) selektiivisten immunosuppressanttien alaryhmään L04AA (Liite 1).

Käyttöaiheittain tarkasteltuna potilasjärjestölausuntojen kohteina oli ATC-luokassa L01 muun muassa keuhkosityövän, melanooman, myelooman, munuaissyövän, gynekologisten syöpien ja idiopaattisen keuhkofibroosin hoitoon käytettäviä valmisteita ja luokassa L04 elinsiirron tai luuytimen tai kantasolujen siirron jälkeisen hyljinnän ehkäisy sekä autoimmuunisairauksien kuten multippeliskleroosin (MS-taudin), reuman ja psoriasiksen hoito (Liite 1).

Ruuansulatuselinten sairauksien ja aineenvaihduntasairauksien hoitoon käytettävien lääkkeiden (ATC-luokka A) hakemuksia koskevat lausunnot jakaantuivat alaryhmiin A10



Kuva 1. Hintalautakunnalle saapuneiden potilasjärjestölausuntojen lukumäärät ATC-luokittain (Anatomical Therapeutic Chemical eli anatomis-terapeutis-kemiallinen) vuosien 2017–2021 aikana.

(diabeteksen hoidossa käytettyjä lääkevalmisteita koskevat hakemukset, 83 % n = 15) ja A07 (ripulin ja suolistoinfektioiden hoitoon käytettäviä lääkkeitä koskevat hakemukset, 17 % n = 3). Diabeteslääkkeissä korostuivat GLP-1-valmisteita koskevat hakemukset (Liite 1).

Potilasjärjestölausuntoja oli annettu myös useista osteoporoosin, kystisen fibroosin ja parkinsonin taudin hoitoon käytettävistä valmisteista ja migreenin uusista biologisista estolääkkeistä (Liite 1).

Hintalautakunnan antamien tietojen mukaan potilasjärjestölausunnoista 29 % (n = 32) koski uusintahakemuksia ja 6 % (n = 6) erityislupavalmisteita. Lausunnoista 65 % koski siten muita hakemustyyppisiä (uudet korvattavat lääkeaineet tai laajennukset, joita ei ollut aineistossa tarkemmin eritelty). Osasta valmisteita oli annettu useita lausuntoja, tämä koski erityisesti ryhmään L04D kuuluvia siklosporiinivalmisteita (Liite 1).

Lausunnot Palkolle

Vuosien 2015–2021 aikana Palko julkaisi 31 lääkehoitoa koskevaa suositusluonnosta. Tässä tutkimuksessa käsitellään vuosina 2017–2021 julkaistuja suosituksia, joita oli yhteensä 30 (Liite 2). Palkon lääkeaiheisten suositusluonnosten määrä vaihteli runsaasti vuosittain, samoin saapuneiden Ota kantaa -lausuntojen lukumäärä (Kuva 2). Palko sai potilasjärjestöiltä tai yksittäisiltä kansalaisilta lausuntoja 40 %:iin Ota kantaa -palvelussa julkaistuista suositusluonnoksista (n = 12). Lausuntoja tuli yhteensä 50. Niistä 17 (34 %) oli potilasjärjestöiltä ja 33 (66 %) yksittäisiltä kansalaisilta (Kuva 2 ja Liite 2).

Palkon vastaanottamista lausunnoista 78 % (n = 39) annettiin kolmesta spinaalisen lihasatrofian eli SMA-taudin hoidon suositusluonnoksesta, jotka olivat Nusinerseeni SMA-taudin hoidossa, Nusinerseeni – jatkohoidon kriteerit ja Onasemnogeneeniparvovekki (Zolgensma) SMA-taudin hoidossa. Loput potilasjärjestöiltä tai yksittäisiltä kan-

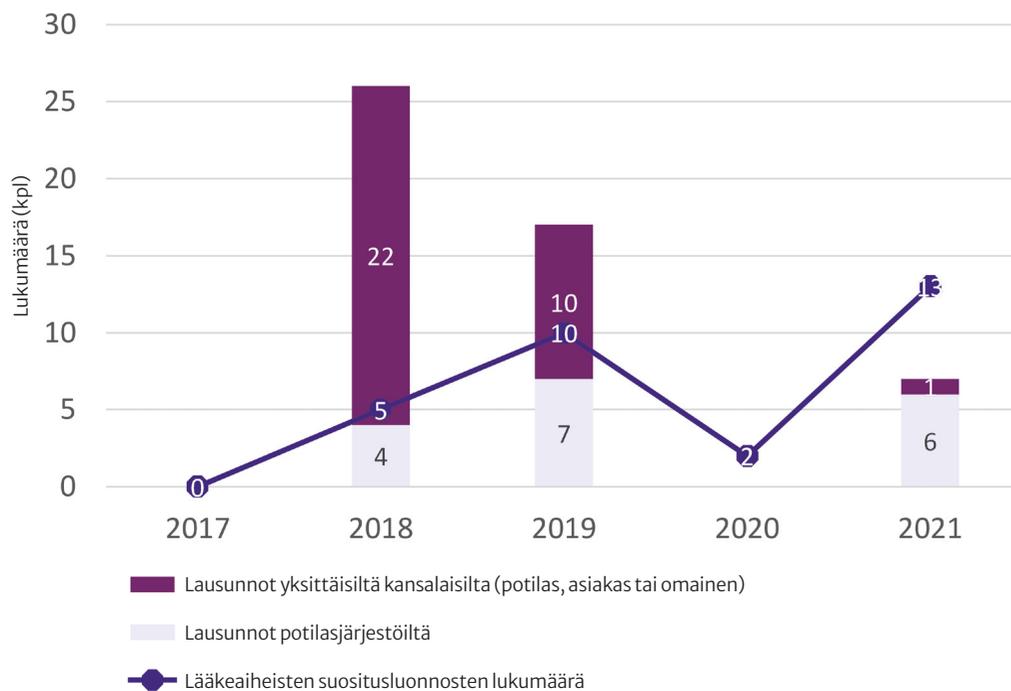
salaisilta tulleet lausunnot (22 %, n = 11) liittyivät syövän immunologisten hoitojen suositusluonnoksiin (Liite 2). Palkolle annetuista lausunnoista määrällisesti suurin osa kohdittui suositusluonnoksiin, joiden mukaan hoito ei kuuluisi kansalliseen palveluvalikoimaan (64 %, n = 32).

ATC-luokittain tarkasteltuna Palkon vastaanottamat lausunnot jakaantuivat tuki- ja liikuntaelinten sairauksien hoidossa käytettävien lääkkeiden (ATC-luokka M) sekä syöpälääkkeiden ja immuunivasteen muuntajien (ATC-luokka L) ryhmiin (Kuva 3). Muiden sairauksien hoitoa koskeviin suositusluonnoksiin ei tullut lausuntoja potilasjärjestöiltä tai yksittäisiltä kansalaisilta.

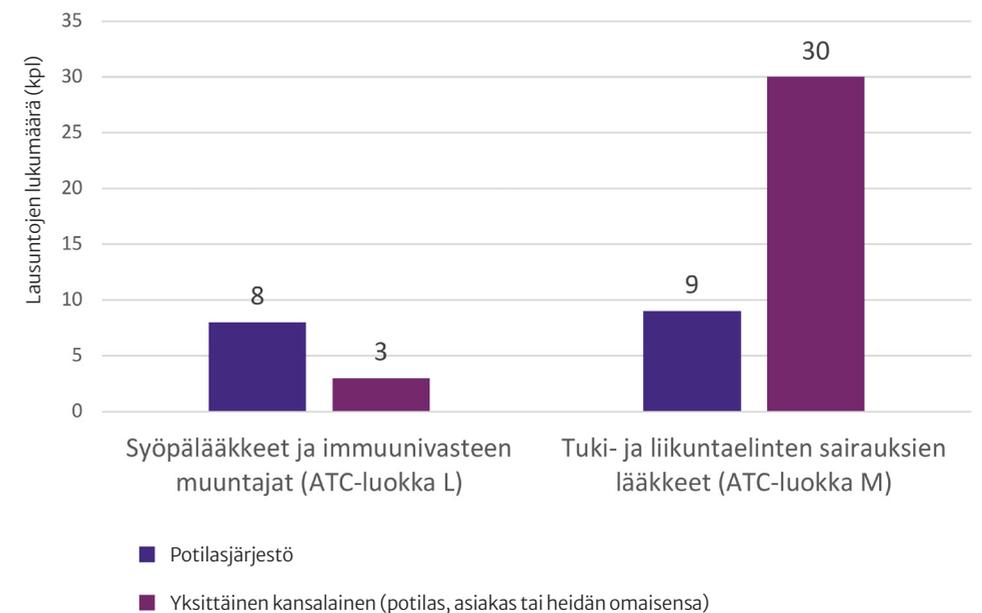
Pohdinta

Hilalle annettujen potilasjärjestölausuntojen määrä kasvoi tasaisesti vuosien 2017–2020 aikana, mutta vuonna 2021 se väheni hieman edellisvuodesta. Lausuntoja on annettu vain hyvin pienestä osasta Hilan käsittelemiä hakemuksia. Lausunnoista valtaosa koski syöpälääkkeiden ja immuunivasteen muuntajien ryhmään kuuluvia valmisteita sekä diabeteslääkkeitä.

Palkon vastaanottamien lausuntojen määrä vaihteli suuresti vuosittain tutkimusajankohdasta 2017–2021, eikä lausuntoja annettu joka vuosi. Toisaalta myös Palkon julkaisemien, lääkehoitoa koskevien suositusluonnosten määrä vaihteli vuosittain. Tarkastelujakson alussa, vuonna 2017, Palko oli vasta rakentamassa yhteistyöprosesseja Fimean kanssa sairaalalääkkeiden arvioinnista (Terveystieteiden tutkimuskeskus ja Fimean yhteistyöprojekti 2017), mikä vaikutti julkaistujen suositusten määrään. Palkolle toimitetuista Ota kantaa -lausunnoista suurin osa oli yksittäisten kansalaisten teke-



Kuva 2. Terveystieteiden tutkimuskeskuksen vastaanottamat Ota kantaa -lausuntojen ja lääkeaiheisten suositusluonnosten lukumäärät vuosina 2017–2021.



Kuva 3. Palkolle saapuneiden potilasjärjestöjen tai yksittäisten kansalaisten toimittamien lausuntojen lukumäärä ATC-luokittain (Anatomical Therapeutic Chemical eli anatomis-terapeuttis-kemiallinen) vuosina 2017–2021.

miä. Lausunnoista suurin osa koski kahta nusinerseenihoitoa käsittelevää suositusluonnosta.

Hilan vastaanottamat potilasjärjestölausunnot

Yleisin Hilan myyntiluvan haltijoilta vastaanottama hakemustyyppi on määräaikaisen korvattavuuden ja tukkuhinnan uusintahakemus (Lääkkeiden hintalautakunta 2023b). Uusintahakemuksiin tulee suhteellisesti vähemmän potilasjärjestölausuntoja, sillä potilasjärjestölausunnot koskevat pääasiassa muita hakemustyyppisiä (uusien vaikuttavien lääkeaineiden hakemuksia tai laajennushakemuksia). Tämä selittää osaltaan lausuntojen suhteellisen vähäisen määrän suhteessa Hilalle saapuneiden hakemusten kokonaismäärään. Uusien lääkeaineiden perus- ja erityiskorvattavuushakemuksissa ovat korostuneet syöpälääkkeiden ja immuunivasteen muuntajien ryhmään kuuluvat lääkkeet (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea ja Kansaneläkelaitos 2021), mikä selittää osaltaan lausuntojen muita runsaamman määrän tässä lääkeaineryhmässä.

Potilasjärjestölausuntojen kohteena olevat valmistetut heijastelevat lääkehoitojen kehitystä ja uusien myyntilupien jakautumista lääkeaineryhmittäin (European Medicines Agency 2021). Uusissa myyntiluvissa painottuvat onkologiaan, hematologiaan, immunologiaan, endokrinologiaan ja neurologiaan liittyvät valmistetut sekä harvinaislääkkeet. Myös skotlantilaisessa tutkimuksessa havaittiin, että potilasjärjestöjen tai -ryhmien lausunnot koskivat useammin syöpään ja harvinaissairauksien hoitoon käytettäviä valmisteita kuin muita lääkkeitä (Hamilton ym. 2016).

Syöpälääkkeiden kehitys viimeisen kymmenen vuoden aikana on ollut kiivasta, ja esimerkiksi edenneen ei-pienisoluisen keuhkosyövän EGF-, ALK-, ROS- ja KRAS-alatyyppeihin ja BRAF-positiivisen melanooman hoitoon on tullut useita uusia täsmälääkehoitoja (Vihiinen ym. 2017, Koivunen ja Iivanainen 2021). Myös myelooman hoitoon on hyväksytty useita uusia tablettimuotoisia valmisteita (Silvennoinen 2016). Vaikeahoitoisen migreenin biologisia täsmälääkkeitä on myös tullut markkinoille useita (Artto ym. 2021).

Samat lääkeaineryhmät ovat olleet esillä myös Fimean ja Kelan lääketilastoissa myy-

dyimpien valmisteiden joukossa. Viime vuosina eniten ovat kasvaneet migreenilääkkeiden, syöpälääkkeiden ja immuunivasteen muuntajien sekä diabeteslääkkeiden myynti. Esimerkiksi GLP-1-analogien kulutus lisääntyi Fimean ja Kelan tilastojen perusteella Suomessa 4,2 % ja migreenin hoidossa käytettävien CGRP-agonistien 94 % vuonna 2020 edellisvuoteen verrattuna. (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea ja Kansaneläkelaitos 2020).

Huomattavan pieni määrä potilasjärjestölausunnoista koski sydän- ja verisuonisairauksien lääkkeitä (ATC-luokka C) ja veritautien hoitoon kuuluvia lääkkeitä (ATC-luokka B), vaikka esimerkiksi veritautien lääkeryhmään on tullut uusia valmisteita ja niiden myynti on kasvanut viime vuosina (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea ja Kansaneläkelaitos 2020). Syy näitä lääkeryhmiä koskevien lausuntojen puuttumiseen ei ole tiedossa. Tämä saattaa johtua esimerkiksi sairausryhmiä edustavien potilasjärjestöjen toiminnan painotuksista, resurssien puutteesta tai muista, toistaiseksi tuntemattomista syistä. On myös mahdollista, että korvattavuuslausuntoja tehdään valikoidusti erityisen kalliista lääkehoidoista, joita ovat tyypillisesti syövän täsmälääkkeet ja uudet biologiset lääkkeet.

Hilalle annettujen potilasjärjestölausuntojen suhteellisen vähäiseen määrään voivat vaikuttaa muun muassa potilasjärjestöjen toiminnan painotukset ja vaihtoehtoiskustannukset, kuten työajan käyttäminen järjestön muihin tehtäviin, sekä tiedonpuute lausuntomahdollisuudesta ja lääkehoitojen arvioinnista (European Patient's Forum 2013, Mercer ym. 2020, Tran Minh ym. 2022). Kansainvälisissä tutkimuksissa henkilö- ja taloudellisten resurssien ja tiedon puute sekä vaikeus löytää potilaskokemuksia lausuntoja varten on havaittu hankaloittavan lausuntojen antamista (European Patient's Forum 2013, Mercer ym. 2020).

Palkon vastaanottamat lausunnot

Eniten lausuntoja annettiin kahdesta nusinerseenihoidon suosituksesta. Nusinerseenihoidosta ja sen hinnasta käytiin runsaasti lääkkeitä hoitojen priorisointiin liittyvää julkista keskustelua vuosina 2017–2019, mikä on voinut osittain vaikuttaa kansalaisten aktiivisuuteen

antaa lausuntoja Ota kantaa -palvelussa (Yle uutiset 20.12.2017, Repo 2019). Syöpähoitoja koskevista suositusluonnoksista lausunnon antajana oli useimmiten potilasjärjestö, eikä nusinerseenihoitoihin liittyvää yksittäisten kansalaisten aktiivisuutta ollut lausuntojen määrän perusteella havaittavissa. Suurin osa lausunnoista kohdistui suositusluonnoksiin, joiden mukaan hoito ei kuuluisi kansalliseen palveluvalikoimaan. Toisaalta monia Palkon kielteisiä suositusluonnoksia ei kommentoitu ollenkaan. Mahdolliset syyt lausuntojen vähäiselle määrälle ovat samat kuin Hilalla.

Hilan ja Palkon erilaiset roolit

Hilan ja Palkon roolit ja tehtävät ovat erilaiset, eikä niille toimitettuja lausuntoja voida siten suoraan vertailla. Hila käsittelee vuosittain yli 800 myyntiluvan haltijan lähettämää hinta- ja korvattavuushakemusta, kun taas Palkon arvioimien lääkehoitojen määrä vaihteli vuosittain 0 ja 13 välillä. Palko käsittelee käytännössä ainoastaan sairaalassa annosteltavia, Fimean arvioimia lääkkeitä, ja suositusten aihepiiriin vaikuttavat siten Fimean arviointiresurssit ja arvioitavien lääkkeiden valintakriteerit, kuten terveysongelman yleisyys, vakavuus ja sairaustaakka sekä lääkkeen talousvaikutukset (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea 2022). Organisaatioiden erilaisten tehtävien ja roolien lisäksi myös se, että Hila ja Palko käyttävät kansalaisten kuulemiseen eri kanavia (Hilalle lausunnot toimitetaan sähköpostilla, Palkolle Ota kantaa -verkkolomakkeella), voi vaikuttaa lausuntojen määrään. Sosiaali- ja terveysministeriön johtamassa lääkeasioiden uudistuksessa yhtenä tavoitteena on sairaala- ja avohoidon lääkkeiden arviointitoiminnan periaatteiden yhtenäistäminen (Rajaniemi 2023). Näissä arviointitoiminnan kehittämistavoitteissa on huomioitu myös lääkkeen käyttäjien osallisuus ja toimintamallin kehittämisen lääkkeitä käyttäjien näkökulman huomiointiin.

Osallisuuden toteutuminen

Potilasjärjestölausuntojen määrän kasvu sekä potilasjärjestöjen roolin ja osallisuuden vahvistuminen ovat kansainvälisiä ilmiöitä (Hamilton 2016, European Medicine's Agency 2017 ja 2018–2019, Norburn ja Thomas 2020).

Myös Suomessa osallisuus nähdään yhä tärkeämpänä osana terveyspalveluiden kehittämistä (Terveystieteiden ja hyvinvoinnin laitos 2022). Sen toteutumisen tai vaikuttavuuden seurantaan ei kuitenkaan ainakaan vielä toistaiseksi ole saatavilla vakiintuneita menetelmiä (Facey ym. 2017, Weeks ym. 2017, Mason ym. 2020, Mercer ym. 2020). Potilasjärjestölausuntojen määrän seuranta on yksi keino seurata osallisuuden kehitystä, mutta myös potilasjärjestöjen ja viranomaisten kokemusten ja lausuntojen merkityksen sekä niiden vaikutuksen tutkiminen olisi tärkeää. Tutkimuksemme seuraavassa vaiheessa tarkoituksenamme on tutkia, mitä näkemyksiä ja kokemuksia potilasjärjestöjen edustajilla on Hilalle ja Palkolle toimitettavista lausunnoista ja miten näitä lausuntoja järjestöissä valmistellaan. Lisäksi tavoitteena on jatkossa tutkia potilasjärjestöjen kokemuksia osallisuuden toteutumisesta lausuntoprosessissa ja viranomaisten näkemyksiä potilasjärjestöjen organisaatioille toimittamista lausunnoista. Tässä yhteydessä tarkastelemme myös keinoja osallisuuden edistämiseksi.

Tässä tutkimuksessa ei arvioitu potilasjärjestöjen tai potilaiden tuottamien lausuntojen vaikutusta Hilan korvattavuuspäätöksiin tai Palkon lopullisen suosituksen muotoon. Potilasjärjestölausuntojen vaikutusta Hilan päätöksentekoon on vaikea arvioida esimerkiksi sen vuoksi, että potilasjärjestöillä ei lausuntoa tehdessään ole tarkkaa tietoa Hilan vastaanottaman hakemuksen yksityiskohdista, sillä korvattavuushakemuksen sisältö (esimerkiksi haettavat käyttöaiheet tai korvattavuusluokan muutos) eivät tule esille Hilan potilasjärjestöille lähettämästä listasta.

Tutkimuksen heikkoudet ja vahvuudet

Tässä tutkimuksessa aineistona käytettiin viranomaisten tuottamia materiaaleja. Mahdollisia virhelähteitä ovat tietojen arkistointiin tai luokitteluun liittyvät puutteet lausuntoja vastaanottavissa organisaatioissa sekä mahdolliset virheet aineiston tulkinnessa. Tutkimuksen vahvuutena toisaalta on, että käytävissä olivat tiedot Hilan ja Palkon vastaanottamista lausunnoista usealta vuodelta. Hilalla ja Palkolla oli mahdollisuus tarkistaa käsikirjoituksen sisältö ennen sen julkaisua. Hilalta ja Palkolta tulleiden kommenttien perus-

teella yhteen lauseeseen on tarkennettu Palkolle saapuneiden lausuntojen kokonaismäärä, Hilan korjaus vuosiluvusta ja tarkennus siitä, että yhtä hakemusta/lääkevalmistetta kohden Hila on voinut vastaanottaa yhden tai useamman lausunnon ja/tai yksi lausunto on voinut koskea useampaa hakemusta/lääkevalmistetta.

Johtopäätökset

Potilasjärjestöt ja yksittäiset kansalaiset ovat hyödyntäneet Hilan ja Palkon avaamia mahdollisuuksia lausuntojen antamiseen arvioitava olevista lääkehoidoista. Lausunnot ovat kohdistuneet erityisesti niihin lääkeryhmiin, joille uusia myyntilupia on myönnetty eniten. Vaikka lausuntojen määrä on varsin vähäinen, annettujen lausuntojen ja lausuntomahdollisuuksien voi nähdä heijastavan potilasjärjestöjen ja yksittäisten kansalaisten muuttuvaa, aktiivista roolia yhteiskunnassa.

Tutkimusta lausuntojen valmistelusta potilasjärjestöissä sekä niiden hyödyntämisestä ja merkityksestä viranomaistoiminnassa tarvitaan lisää. Toiminnan kehittämiseksi on tärkeää tarkastella myös kansainvälisiä ohjeistuksia, suosituksia sekä osallisuutta tukevia toimintamalleja lääkehoitojen arviointi- ja päätöksentekoprosesseissa.

Summary

Patient organisations' submissions on medicinal products to the Pharmaceutical Pricing Board and Council for Choices in Health Care in Finland during 2017–2021

Mirjami Tran Minh*

MSc, PhD researcher
Doctoral Programme for Population Health
University of Helsinki
mirjami.tran@helsinki.fi

Marja Airaksinen

PhD (Pharm), professor
Faculty of Pharmacy
University of Helsinki

Leena Saastamoinen

PhD (Pharm), adjunct professor, research manager
The Social Insurance Institution until 31.10.2022,
from 1.11.2022 Finnish Medicines Agency

Tuuli Lahti

PhD, adjunct professor
Faculty of Medicine, University of Helsinki
Principal Lecturer
Turku University of Applied Sciences

*Correspondence

Introduction

The involvement of patients and citizens in health technology assessment and decision making on the reimbursement of medicines has strengthened in recent years. In Finland, both the Pharmaceuticals Pricing Board (PPB) and Council for Choices in Health Care (COHERE) have opened their operations to patient organisations and citizens since 2016 by enabling the submission of written input.

The aim of the study was to examine the extent to which the PPB and COHERE have received submissions from patient organisations on the medicinal products under assess-

ment in 2017–2021, which medicines or groups of medicines these submissions have concerned, and how their number has varied from year to year.

Material and methods

The material for the study was the responses of PPB and COHERE to the requests for information sent to them by the researcher. In the request for information, the authorities were asked to provide the number of received submissions by patient organisations related to PPB's price and reimbursement applications or COHERE's draft recommendations. In the case of COHERE, also the number of submissions by patients, customers or carers was requested. Descriptive statistical analysis was carried out using the Microsoft Excel program.

Results

From 2017 to 2020, the number of patient organisations submissions to the PPB increased steadily but decreased slightly in 2021. During the review period, the PPB received 109 patient organisations submissions (12–31 per year) on price or reimbursement applications submitted by marketing authorisation holders. Altogether 39% (n = 42) of the submissions concerned medicinal products belonging to the group of antineoplastic and immunomodulating agents (Anatomic Therapeutic Chemical ATC class L), mainly antineoplastic drugs (n = 23) and immunosuppressants (n = 18) and 17% (n = 18) of the submissions concerned medicinal products used to treat diseases of the alimentary tract and metabolism (ATC class A), mainly medicines used in the treatment of diabetes (n = 15). Only a very small proportion (1.4–3.5%) of the price and reimbursement applications processed annually by the PPB received submissions by patient organisations.

COHERE received submissions from patient organisations or individual citizens on 40% of the draft recommendations on pharmacotherapies (n = 12, 30 recommendations in total). The total number of submissions was 50 (0–26 per year). Submissions for COHERE dealt in particular with orphan drugs used in the treatment of spinal muscular atrophy (ATC class M, 78%) and cancer immunotherapies (ATC class L, 22%).

Conclusions

Although patient organisations and individual citizens have taken the opportunity to give submissions to the PPB and COHERE, the number of these submissions has been rather small when compared to the total number of reimbursement applications or draft recommendations processed. More research is needed on the preparation of submissions in patient organisations, submission processes and the significance of patient input.

Key words: medicines, reimbursement, health services, patient organisations, patient engagement, Pharmaceutical Pricing Board, Council for Choices in Healthcare in Finland

Sidonnaisuudet

Tran Minh: Työnantajat: Suomen Syöpäpotilaat ry 2017–2020, SOSTE Suomen sosiaali ja terveystyö ry 2022–. Johtoryhmän jäsen: EUPATI Suomi 2018–2022. Hallituksen jäsen: Suomen Migreeniyhdistys ry.

Airaksinen: Ei sidonnaisuuksia.

Saastamoinen: Työnantaja 2007–2022 Kansaneläkelaitos, työtehtävänä lausuntojen antaminen Lääkkeiden hintalautakunnalle tulleistä hakemuksista.

Lahti: Työnantaja: SOSTE Suomen sosiaali ja terveys ry 2017–2020, Turun ammattikorkeakoulu 2020–. Johtoryhmän jäsen: EUPATI Suomi; Women in Global Health Finland. Hallituksen jäsen: Käpy Lapsikuolemaperheet ry; Edistyskeskitys tiedeliitto ry.

Kiitokset

Lämmin kiitos Lääkkeiden hintalautakunnalle ja Terveystieteiden tutkimuskeskuksen palveluvalikoimaneuvostolle vastauksista tietopyyntöihin. Kiitämme myös vertaisarvioijia arvokkaasta palautteesta.

Kirjallisuus

Abelson J, Wagner F, DeJean D ym.: Public and patient involvement in Health Technology Assessment: A framework for action. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 32: 256–264, 2016

Artto V, Sumelahti M-L, Kallela M: Vaikeahoitoisen migreenin estohoito CGRP-reitin monoklonaalisilla vasta-aineilla. *Lääketieteellinen aikakauskirja Duodecim* 137: 1031–1038, 2021.
www.duodecimlehti.fi/xmedia/duo/duo16233.pdf

European Medicines Agency EMA: Stakeholder Engagement Report 2017.
www.ema.europa.eu/en/documents/report/stakeholder-engagement-report-2017_en.pdf

European Medicines Agency EMA: Stakeholder Engagement Report 2018–2019.
www.ema.europa.eu/en/documents/report/stakeholder-engagement-report-2018-2019_en.pdf

European Medicines Agency EMA: Human medicine highlights 2021.
www.ema.europa.eu/en/documents/report/human-medicines-highlights-2021_en.pdf

European Patient's Forum: Patient involvement in health technology assessment in Europe: results of the EPF survey, 2013.
www.eu-patient.eu/globalassets/projects/hta/hta-epf-final-report2013.pdf

Facey K.M., Hansen H.P., Single A.N.V. (toim.): Patient Involvement in Health Technology Assessment. Springer Nature Singapore, 2017.
<https://doi.org/10.1007/978-981-10-4068-9>

Hamilton KA, Griffiths M, Hanman K: Patient Group Submissions (PGSS) in Health Technology Assessment (HTA) In Scotland: Prevalence And Impact Value in Health Vol 19, Issue 7, PA440, ISPOR 19th Annual European Conference Research Abstracts, Vienna Nov 01, 2016.
<https://doi.org/10.1016/j.jval.2016.09.540>

Health Technology Assessment International (HTAi): Values and standards for patient involvement in HTA. *Health Technology Assessment International* 2014 (viitattu 12.7.2022).
<https://htai.org/interest-groups/pcig/values-and-standards/>.

Hämeen-Anttila K, Komulainen J, Enlund H ym.: Incorporating patient perspectives in health technology assessments and clinical practice guidelines. *Res Social Adm Pharm* 12: 903–913, 2016

Kleme J, Pohjanoksa-Mäntylä M, Airaksinen M ym.: Patient perspective in health technology assessment of pharmaceuticals in Finland. *Int J Technol Assess Health Care* 30: 306–311, 2014

Koivunen J ja Iivanainen S: Edenneen ei-pienisoluisen keuhkosityövän lääkehoito: molekyyli-genetiikka, täsmälääkkeet ja immuno-onkologia tiennäyttäjänä. Lääketieteellinen aikakauskirja Duodecim 137: 2653–2658, 2021.
www.duodecimlehti.fi/duo16497

Livingstone H, Verdiel V, Crosbie H, Upadhyaya S, Harris K, Thomas L: Evaluation of the impact of patient input in health technology assessments at NICE. International Journal of Technology Assessment in Health Care 37, e33,1–13, 2021. doi:10.1017/S0266462320002214

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea: Fimean suositus potilasnäkökulman huomioimisesta haastattelututkimuksella lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnissa sekä siihen liittyvässä lääkeinformaatiossa. Fimea kehittää, arvioi ja informoi -julkaisusarja 3/2012. Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus 2012.
<https://urn.fi/URN:ISBN:978-952-5624-24-3>

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea ja Kansaneläkelaitos. Suomen lääketilasto 2020. Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus 2020.
www.julkari.fi/handle/10024/143550

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea ja Kansaneläkelaitos. Suomen lääketilasto 2021. Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus 2021.
www.julkari.fi/handle/10024/145776

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea. Lääkehoitojen arviointi. Aihevalinta (viitattu 5.10.2022).
https://www.fimea.fi/kehittaminen_ja_hta/laakehoitojen_arviointi/aihevalinta

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea. Lääkehaku (viitattu 4.5.2023).
www.fimea.fi/laakehaut_ja_luettelot/laakehaku

Lääkkeiden hintalautakunta (viitattu 5.7.2022a).
www.hila.fi

Lääkkeiden hintalautakunta. Potilasjärjestöjen kuuleminen (viitattu 30.3.2022b).
www.hila.fi/hakeminen-ja-ilmoitukset/potilasjarjestojen-kuuleminen/

Lääkkeiden hintalautakunta. Ohje potilasjärjestöjen lääkevalmisteesta antamiin lausuntoihin (viitattu 5.7.2022c).
www.hila.fi/content/uploads/2021/07/Ohje-potilasjarjestoille.pdf

Lääkkeiden hintalautakunta. Hakeminen ja ilmoitukset (viitattu 14.4.2023a).
www.hila.fi/hakeminen-ja-ilmoitukset/

Lääkkeiden hintalautakunta. Tilastot (viitattu 14.4.2023b).
www.hila.fi/toiminta-ja-organisaatio/tilastot/

Majid U, Gagliardi A: Clarifying the degrees, modes, and muddles of "meaningful" patient engagement in health services planning and designing. Patient Educ Couns 102: 1581–1589, 2019. doi: 10.1016/j.pec.2019.04.006.

Mason R, Searle KM, Bombard Y ym.: Evaluation of the impact of patient involvement in health technology assessments: A scoping review. International Journal of Technology Assessment in Health Care 36: 217–223, 2020

Mercer RE, Chambers A, Mai H, McDonald V, McMahon C, Chan KKW: Are We Making a Difference? A Qualitative Study of Patient Engagement at the pan-Canadian Oncology Drug Review: Perspectives of Patient Groups. Value Health 23: 1157–1162, 2020

Norburn, L ja Thomas L: Expertise, experience, and excellence. Twenty years of patient involvement in health technology assessment at NICE: An evolving story. International Journal of Technology Assessment in Health Care 10;37:e15, 2020

Rajaniemi S: 2023. Lääkehoidon ohjauksen kehittäminen - selvityshenkilön raportti.
https://stm.fi/documents/1271139/2013549/Selvitys+SR+15.1.23_final.pdf/000f9c8b-159b-5c32-5874-4c204a9c610f/Selvitys+SR+15.1.23_final.pdf?t=1675761745353

Repo P: Kallis lääke auttoi perinnöllistä sairautta sairastavaa Lucas Räisästä, ja nyt lääkitys saa jatkoa. Helsingin sanomat 20.9.2019.
www.hs.fi/kotimaa/art-200006245715.html

Ruskoaho H: Lääkekorvausjärjestelmän kehittäminen. Selvityshenkilön loppuraportti. Sosiaali- ja terveystieteiden ministeriön raportteja ja muistioita 20/2018.
<http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-3933-2>

Silvennoinen R: Multiple myeloma treatment in the era of novel agents: Special reference to minimal residual disease, stem cell mobilization and drug sensitivity testing. University of Eastern Finland, 2016.
www.finna.fi/Record/fikka.4263173

Sosiaali- ja terveystieteiden ministeriö: Ota kantaa -palvelu. Vaikuta terveydenhuollon palveluvalikoi- maan - kommentoi suositusluo- noksia (viitattu 5.7.2022).
www.otakantaa.fi/fi/hankkeet/62

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto: Toimintakertomus, 2017. Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto 2017. <https://palveluvalikoima.fi/suunnitelmat-ja-kertomukset>

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto (viitattu 30.9.2022a). <https://palveluvalikoima.fi/>

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, Suositusten käsittelyprosessi (viitattu 30.9.2022b). <https://palveluvalikoima.fi/suositteluprosessi>

Terveyden ja hyvinvoinnin laitos. Asiakkaat ja osallisuus (viitattu 13.7.2022). <https://thl.fi/fi/web/sote-uidistus/palvelujen-tuottaminen/asiakkaat-ja-osallisuus>.

Tran Minh M, Tamminen M, Tamminen-Sirkiä J, Majumder MM, Tabassum R, Lahti T: Quantitative online survey of self-perceived knowledge and knowledge gaps of medicines research and development among Finnish general public. *BMJ Open*. 2022 May 9;12(5):e053693. doi: 10.1136/bmjopen-2021-053693.

Vihinen P, Mäkelä S, Hernberg M, Tyynelä-Korhonen, Koivunen J: Edenneen ihomelanooman kehittyvä lääkehoito. *Lääketieteellinen aikakauskirja Duodecim* 133: 1207-121, 2017. www.duodecimlehti.fi/duo13770

Weeks L, Polisenä J, Scott AM, Holtorf A-P, Staniszevska S, Facey K: Evaluation of patient and public involvement in initiatives in health technology assessment: A survey of international agencies. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 33: 715-723, 2017

Whitty JA: An international survey of the public engagement practices of health technology assessment organizations. *Value Health* 16: 155-163, 2013

Yle uutiset 20.12.2017: Ahjopalo J, Vaikeaa lihassairautta potevan 11-vuotiaan pojan äiti pettyi – yhteiskunta ei aio kustantaa kallista uutuuslääkettä. (viitattu 5.7.2022) www.yle.fi/uutiset/3-9986125

Tran Minh M, Airaksinen M, Saastamoinen L, Lahti T: Potilasjärjestöjen lääkkeitä antamat lausunnot Lääkkeiden hintalautakunnalle ja Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvostolle vuosina 2017–2021. *Dosis* 39: 196–216, 2023

Liite 1.

Hila, vastaus tietopyyntöön. Hilan vastaanottamat potilasjärjestölausunnot, kooste vuosilta 2017–2021.

Lausunnon saapumisvuosi	Diaarinumero	Valmisteen nimi	Lisätieto
2021	01180/2020	Rozlytrek	
2021	01149/2020	DARZALEX	
2021	00165/2021	PROLIA	Uusintahakemus
2021	00187/2021	ACLASTA	Uusintahakemus
2021	00190/2021	FORSTEO	Uusintahakemus
2021	00182/2021	SANDIMMUN NEORAL	Uusintahakemus
2021	00339/2021	Translarna	
2021	00249/2021	ADVAGRAF	Uusintahakemus
2021	00251/2021	PROGRAF	Uusintahakemus
2021	00491/2021	Evrysdi	
2021	00339/2021	Translarna	
2021	00560/2021	HUMIRA (Abacus Medicine)	Laajennushakemus
2021	00594/2021	RETSEVMO	
2021	00629/2021	ASACOL	
2021	00682/2021	Kaftrio,	Laajennushakemus
2021	00683/2021	Kalydeco,	Laajennushakemus
2021	00686/2021	TAGRISSO	Laajennushakemus
2021	00652/2021	VENCLYXTO	Laajennushakemus
2021	00594/2020	LYNPARZA	Laajennushakemus
2021	00775/2021	PROLIA	Uusintahakemus
2021	00655/2021	OFEV	Laajennushakemus
2021	00877/2021	Bimzelx	
2020	01027/2020	Ongentys	
2020	01034/2020	HEMLIBRA	
2020	01016/2020	Kaftrio	
2020	00885/2020	VICTOZA	Uusintahakemus
2020	00886/2020	OZEMPIC	Uusintahakemus
2020	00894/2020	LYXUMIA	Uusintahakemus
2020	00851/2020	BYETTA	Uusintahakemus
2020	00852/2020	BYDUREON	Uusintahakemus
2020	00883/2020	TRULICITY	Uusintahakemus
2020	00715/2020	OFEV	
2020	00884/2020	THYROXIN	Uusintahakemus
2020	00474/2020	TAKHZYRO	
2020	01121/2019	Crysvita	
2020	00593/2020	Entyvio	
2020	00576/2020	Besremi	
2020	00581/2020	ALUNBRIG	
2020	00472/2020	WAKIX	
2020	00558/2020	Targaxan	
2020	00372/2020	Fotivda	
2020	00377/2020	Kalydeco	
2020	00378/2020	Symkevi	
2020	00431/2020	Orkambi	
2020	00126/2020	Lecigon	

Lausunnon saapumisvuosi	Diaarinumero	Valmisteen nimi	Lisätieto
2020	00127/2020	Ongentys	
2020	00211/2020	OZEMPIC	
2020	00275/2020	Evenity	
2020	00181/2020	ROACTEMRA	
2020	00106/2020	TOUJEO SOLOSTAR	
2020	00074/2020	PREVYMIS	
2020	00099/2020	EMGALITY	
2020	01441/2019	SAXENDA	
2019	01074/2019	FOSRENOL	Uusintahakemus
2019	01018/2019	MEDITHYROX	
2019	01072/2019	MEDITHYROX	Uusintahakemus
2019	00845/2019	OZEMPIC	
2019	00784/2019	TAGRISSO	
2019	00793/2019	LYNPARZA	
2019	00768/2019	WAKIX	
2019	00661/2019	Ajovy	
2019	00702/2019	ZEJULA	
2019	00692/2019	Medithyrox	
2019	00491/2019	MEKINIST	
2019	00492/2019	TAFINLAR	
2019	00549/2019	LONSURF	
2019	00402/2019	Advagraf	Uusintahakemus
2019	00426/2019	Translarna	
2019	00443/2019	Symkevi	
2019	00444/2019	Kalydeco	
2019	00585/2019	Orkambi	
2019	00379/2019	SANDIMMUN NEORAL	Uusintahakemus
2019	00324/2019	Hypurin Porcine Neutral	Erytislupavalmiste
2019	00315/2019	Hypurin Porcine Isophane	Erytislupavalmiste
2019	00286/2019	Hypurin Porcine Isophane	Erytislupavalmiste
2019	01109/2018	MAVENCLAD	Uusintahakemus
2019	01220/2018	MAVENCLAD	
2019	01235/2018	Alunbrig	
2019	01239/2018	Mektovi	
2019	01240/2018	Braftovi	
2018	00774/2018	PHYSIONEAL 35 GLUCOSE	Uusintahakemus
2018	00775/2018	PHYSIONEAL 35 GLUCOSE CLEAR-FLEX	Uusintahakemus
2018	00776/2018	EXTRANEAL	Uusintahakemus
2018	00796/2018	Cabometyx	
2018	00708/2018	AIMOVIG	
2018	00621/2018	FORSTEO	Uusintahakemus
2018	00704/2018	Prolia	Uusintahakemus
2018	00705/2018	Prolia	
2018	00494/2018	TAGRISSO	

Lausunnon saapumisvuosi	Diaarinumero	Valmisteen nimi	Lisätieto
2018	00921/2017	Xadago	
2018	00211/2018	Ninlaro	
2018	00108/2018	Xalkori	
2018	00162/2018	BUDENOFALK	Uusintahakemus
2018	00193/2018	Imurel	Uusintahakemus
2018	01182/2017	Imnovid	
2018	01238/2017	RAXONE	
2018	01229/2017	MYFORTIC	Uusintahakemus
2017	01007/2017	Tresiba	
2017	00971/2017	Medithyrox	
2017	00972/2017	Medithyrox	
2017	01016/2017	Elvanse Adult	
2017	00852/2017	Mexiletine Hydrochloride Teva	Erytislupavalmiste
2017	00847/2017	Mexiletine Hydrochloride Teva	Erytislupavalmiste
2017	00806/2017	Sandimmun Neoral	Uusintahakemus
2017	00806/2017	Sandimmun Neoral	Uusintahakemus
2017	00806/2017	Sandimmun Neoral	Uusintahakemus
2017	00715/2017	Sandimmun	Uusintahakemus
2017	00768/2017	Ongentys	Erytislupavalmiste
2017	00716/2017	Toujeo	Uusintahakemus

Liite 2.

Palko, vastaus tietopyyntöön. Palkon vastaanottamat Ota kantaa –kommentit, kooste vuosilta 2017–2021.

Lääkeosuituksen nimi	Lääkeosuituksen Otakantaa-komenttien lukumäärä		
	Potilasjärjestö (n)	Potilas tai asiakas taikka heidän omaisensa (n)	Yht. (n)
10.12.2015 Silmänpohjan kostean ikärappeuman hoito silmänsisäisellä bevasitsumabilla	0	0	0
15.3.2018 Nusinerseeni SMA-taudin hoidossa	4	22	26
12.6.2018 Sebelipaasi alfa -lääke lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa	0	0	0
9.10.2018 Reslitsumabi, mepolitsumabi ja benralitsumabi -lääkkeet erittäin vaikean eosinofiilisen astman hoidossa	0	0	0
19.12.2018 Atetsolitsumabi-, nivolumabi- ja pembrolitsumabi -lääkkeet levinneen virtsarakkosyövän hoidossa	0	0	0
18.12.2018 Obinutsumabi-lääke follikulaarisen lymfooman ensilinjan hoidossa	0	0	0
5.2.2019 Pertusumabi-lääke HER2-positiivisen rintasyövän liitännäishoitona	0	0	0
13.3.2019 Tisagenlekleuseeli (Kymriah®) B-solulinjan akuutin lymfoblastisen leukemian hoidossa	0	0	0
13.3.2019 Atetsolitsumabi, nivolumabi ja pembrolitsumabi ei-pienisoluisen keuhkosyövän hoidossa	1	2	3
12.6.2019 Durvalumabi ei-pienisoluisen keuhkosyövän hoidossa kemosädehoidon jälkeen	0	0	0
20.9.2019 Nusinerseeni-jatkohoidon kriteerit	3	8	11
20.9.2019 Daratumumabi yhdistelmänä (D-VMP) ja ylläpitohoitona äskettäin diagnosoidun multipplein myelooman hoidossa	0	0	0
26.11.2019 Nivolumabin ja ipilimumabin yhdistelmähoito edenneen kirkassoluisen munuaiskarsinooman ensilinjan hoidossa	1	0	1
13.12.2019 Semiplimabi (Libtayo) edenneen ihon okasolusyövän hoidossa	0	0	0
19.12.2019 Aksikabtageenisiloleuseeli (Yescarta) uusiutuneen tai hoitoresistentin diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman (DLBCL) tai primaarisen välikarsinan suurisoluisen B-solulymfooman (PMBCL) hoidossa	1	0	1
19.12.2019 Tisagenlekleuseeli (Kymriah) diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa	1	0	1
19.3.2020 Atetsolitsumabi yhdessä nab-paklitakselin kanssa kolmoisnegatiivisen rintasyövän hoidossa	0	0	0
11.6.2020 Polatutsumabi-vedotiini yhdistelmänä bendamustiinin ja rituksimabin kanssa diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa	0	0	0
24.3.2021 Luspatersepti myelodysplastiseen oireyhtymään liittyvän punasolusiiirroista riippuvaisen anemian hoidossa	1	0	1
24.3.2021 Luspatersepti punasolusiiirroista riippuvaisen anemian hoidossa beetatalassemiaa sairastavilla aikuisilla	0	0	0
5.5.2021 Zynteglo beetatalassemian hoidossa	0	0	0
5.5.2021 Belantamabi-mafodotiini uusiutuneen multipplein myelooman hoidossa	0	0	0
5.5.2021 Eculitsumabi neuromyeliitis optica -kirjon häiriön (NMOSD) hoidossa	0	0	0
17.6.2021 Atetsolitsumabin, etoposidin ja karboplatiinin yhdistelmähoito levinneen pienisoluisen keuhkosyövän ensilinjan hoidossa	1	0	1
17.6.2021 Durvalumabin, etoposidin ja platinayhdisteen yhdistelmähoito levinneen pienisoluisen keuhkosyövän ensilinjan hoidossa	1	0	1
1.9.2021 Avelumabi uroteelikarsinooman ensilinjan hoidossa	1	0	1
1.9.2021 Serliponaasi alfa neuronaaalisen seroidilipofuskinoosi tyyppi 2:n (CLN2) hoidossa	0	0	0
1.9.2021 Brolusitsumabi kostean silmänpohjan ikärappeuman hoidossa	0	0	0
27.10.2021 Onasemnogeeniabeparvovekki (Zolgensma) SMA-taudin hoidossa	2	0	2
23.11.2021 Trastusumabi-derukstekaani levinneen HER2-positiivisen rintasyövän hoidossa	0	1	1
15.12.2021 Breksukabtageeni autoleuseeli (Tecartus®) manttelisolulymfooman hoidossa	0	0	0