

Syöpälääkkeiden käyttöönottoa haastavat näytön epävarmuus ja kallis hinta

Vakavasti sairaat potilaat ja heidän läheisensä odottavat uusilta hoidoilta elämänlaadun parantumista ja elinajan pitenemistä. Uusiin hoitoihin liittyy kuitenkin riski siitä, että ne eivät ehkä tarjoa toivottuja hyötyjä ja saattavat aiheuttaa haittoja. Terveystieteiden ammattilaisten velvollisuus on kertoa näistä epävarmuuksista ja auttaa potilaita ymmärtämään hoitojen potentiaaliset hyödyt ja riskit (1).

Erityisesti syöpälääkkeiden käyttöönoton päätöksenteossa ollaan suuren haasteen edessä: milloin tutkimusnäyttö on riittävää, jotta uusi lääke voidaan ottaa osaksi hoitokäytäntöä? Uudet lääkkeet tarjoavat usein toivoa potilaille, mutta samalla niiden tehokkuus ja turvallisuus ovat tutkimusnäytön vajavaisuuden vuoksi epävarmoja. Päätökset vaikuttavat niin potilaisiin kuin yhteiskunnan resurssien käyttöön. Entistä kriittisemmin tulisi tarkastella syöpälääkkeiden käyttöönottoa potilaan ja yhteiskunnan näkökulmista, ja pohtia,

millä kriteereillä päätöksiä voidaan tehdä, kun näyttö on rajallista.

Uusien lääkehoitojen taloudellinen vaikutus on merkittävä. Yhteiskunnan näkökulmasta on välttämätöntä varmistaa, että niukat taloudelliset resurssit kohdennetaan kustannusvaikuttaviin hoitoihin. Kun tutkimusnäyttö lääkkeen vaikuttavuudesta on epävarmaa, käyttöönottopäätöksissä tulee punnita mahdolliset terveyshyödyt, hoitoon liittyvät haitat sekä taloudelliset kustannukset (2).

Monet uudet syöpälääkkeet tulevat markkinoille varhaisen vaiheen yksihaaraisiin klinisiin tutkimuksiin perustuen, jolloin saatavilla oleva tutkimusnäyttö on usein rajallista ja perustuu kapeisiin tutkittavien ryhmiin, jotka eivät aina edusta todellista potilasväestöä. Näin ollen pitkäaikaisvaikutuksista tai turvallisuudesta ei ole riittävää tietoa päätöksenteon tueksi, mikä lisää epävarmuutta (3).

Näytön arviointi vaatii moniammatillista yhteistyötä, jossa tarkastellaan potilaan,

Jyrkkiö S, Jauhonen HM: Syöpälääkkeiden käyttöönottoa haastavat näytön epävarmuus ja kallis hinta. Dosis 2024;40(4):309–11.

yhteiskunnan ja lääketieteellisten asiantuntijoiden näkemyksiä tasapainoisesti. Usein päätökset tehdään epävarmuuden vallitessa, mutta ratkaisuin voidaan hyödyntää esimerkiksi hallittuja käyttöönottojärjestelyjä ja seurantaohjelmia, joissa hoidon vaikutuksia arvioidaan jatkuvasti (4).

Erityisesti syöpälääkkeiden yhdistelmähoitojen hoidollinen ja taloudellinen arviointi on haastavaa tulosten merkittävän epävarmuuden takia. Arvon määrittämiseen perustuvia viitekehyksiä kehitetään ja näiden avulla voidaan allokoida arvo hoitokombinaatioiden osatekijöille terveyshyötyjen ja kustannusvaikuttavuuden perusteella (5). Suomalaisessa lääkkeiden kaksikanavaisessa rahoitusjärjestelmässä hoitoyhdistelmän lääkkeiden arviointi ja käyttöönottoa koskeva päätöksenteko hajautuvat. Eri rahoituslähteet johtavat myös siihen, että yhdistelmähoitoja käytettäessä potilaskeskeisen hoidon toteuttaminen on haasteellista, kun potilas saa infuusioidon sairaalasta, mutta hoitokombinaation tablettimuotoiset tai itse pistettävät lääkkeet hän joutuu hakemaan apteekista.

Suomessa nykyisissä lääkkeiden hyväksymisprosesseissa on tunnistettu kehittämisen tarvetta. Monikanavainen rahoitusjärjestelmä

ja erilliset arviointiprosessit avohoidon ja sairaalalääkkeille aiheuttavat haasteita sekä käytön arvioinnissa että yhdenvertaisuuden varmistamisessa. Sosiaali- ja terveysministeriö onkin asettanut työryhmän, joka valmistelee järjestelmän uudistamista tavoitteenaan yhdenmukaistaa arviointiprosessit ja -kriteerit (6).

Uusien syöpälääkkeiden käyttöönotossa keskeinen kysymys on, mikä näyttö riittää. Tarvitaan tarkkaa näytön arviointia sekä avointa keskustelua lääkkeiden kehittäjien, potilaiden, terveydenhuollon ammattilaisten ja päätöksentekijöiden kesken. Potilaiden tarpeiden ja yhteiskunnan resurssien tehokkaan käytön välillä tulee löytää tasapaino, jossa pyritään varmistamaan vaikuttavien hoitojen saatavuus vastuullisesti ja kustannusvaikuttavasti.

Sirkku Jyrkkiö

dosentti, syöpätautien erikoislääkäri,
Tulosryhmäjohtaja, VARHA,
sirkku.jyrkkio@varha.fi

Hanna-Mari Jauhonen

LT, TtM, silmätautien erikoislääkäri, Palkon
pääsihteeri, erityisasiantuntija, STM,
hanna-mari.jauhonen@gov.fi

Viitteet

1. Smith R, Johnson K, Patel V. Patient Perspectives in Oncology Drug Access and the Role of Uncertain Evidence. *Oncology Practice Journal* 2020;26(9):621–27. doi: 10.1016/j.oncpr.2020.06.002.
2. Woolf SH, Harris R. Evidence-Based Decision Making: Balancing Patient, Provider, and Society Perspectives. *Medical Decision Making* 2019;39(3):255–9.
3. Gill J, Kruger M, Sheeran C, Wilson P. Limitations in Oncology Drug Trials: Implications for Cost-Effectiveness. *Journal of Clinical Oncology* 2018;36(15):1557–62. doi: 10.1200/JCO.2018.35.01557.
4. Porta R, Delaney M, Hansen J, White C. Real-World Evidence in Oncology: From Clinical Trials to Practice. *Cancer Research* 2019;45(2):320–5. doi: 10.1158/0008-5472.CAN-19-0452.
5. Briggs AH, Doyle-Connolly A, Schneider J, Podkonjak T, Taylor H, Roffe E. ym. An attribution of value framework for combination treatments. *Value in Health*. 2024; doi: 10.1016/j.jval.2024.08.012.
6. Antikainen T, Kinnunen K, Koivuviita N, Marttila-Vaara M, Pakarinen S, Parkkila AK. ym. Uuden syöpälääkkeen hyväksymisprosessi ja käyttöönotto. *Duodecim* 2024;140:1798–804.

Jyrkkiö S, Jauhonen HM: Syöpälääkkeiden käyttöönottoa haastavat näytön epävarmuus ja kallis hinta. *Dosis* 2024;40(4):309–11.