

Harvinaissairauksien kansallinen konferenssi
22.10.2018

Järkeä harvinaissairauksien lääkkeiden korvausjärjestelmään

Heikki Ruskoaho

Farmakologian ja lääkehoidon osasto

Farmasian tiedekunta

Sidonnaisuuksia

- Selvitysmies (STM), lääkekorvausjärjestelmän kehittäminen
- Lääkkeiden hintalautakunnan asiantuntijaryhmä (pj.)
- Valtakunnallinen lääketieteellinen tutkimuseettinen toimikunta (TUKIJA) pj. vuosina 2006-2014
- Asiantuntijalausuntoja Fimealle ja EMA:lle
- Lääkemarkkinoinnin valtakunnan jäsen (Lääketeollisuus ry)
- Asiantuntijaluentoja lääketeollisuuden järjestämissä ja tukemissa koulutustilaisuuksissa
- Asiantuntijalausuntoja lääketeollisuudelle
- Lääkkeisiin liittyvää perustutkimusta, jota rahoittavat mm. Business Finland

STM:n toimeksiannon tavoitteet*

1. Lääkekorvausjärjestelmän kehittäminen nykyjärjestelmän pohjalta

- järjestelmän selkeyttäminen (korvausluokat, niiden taso ja sisältö ja miten niitä jatkossa tarkastellaan)
- korvausjärjestelmän laajuus (korvattavuuden edellytykset)

2. Lääkekorvausjärjestelmän kehittämistarpeet muuttuvassa toimintaympäristössä ja rajapinnat

- Sote-uudistuksen huomioiminen (esim. monikanavarahoituksen yksinkertaistaminen)
- uudistuva myyntilupamenettely (EMA:n mahdolliset toimintamallit)
- uudet ja kalliit lääkkeet, **harvinaislääkkeet**
- rationaalinen lääkehoito (esim. lääkkeettömät hoitovaihtoehdot)

3. Arvio mahdollisista lääkekorvausjärjestelmän toimenpiteistä lääkekustannusten hillitsemiseksi

* *Lääkekorvausjärjestelmän kehittäminen. Selvityshenkilön loppuraportti. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 20/2018.*

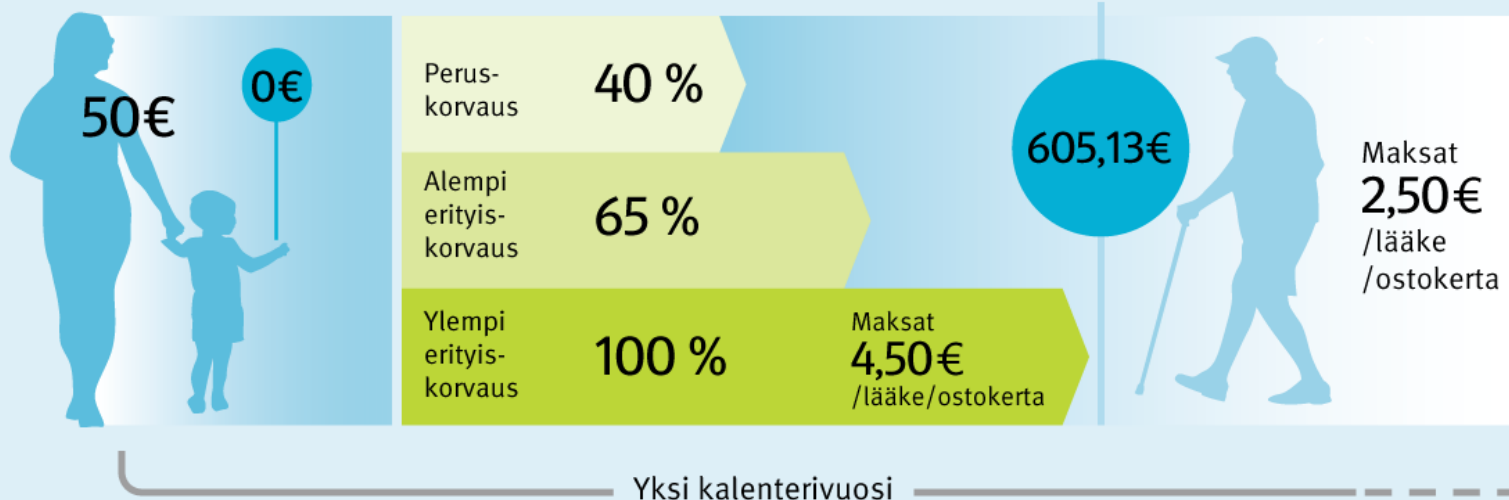
LÄÄKEKORVAUSJÄRJESTELMÄ 2018

Maksat korvausjärjestelmään kuuluvat lääkkeesi kokonaan 50 euroon asti

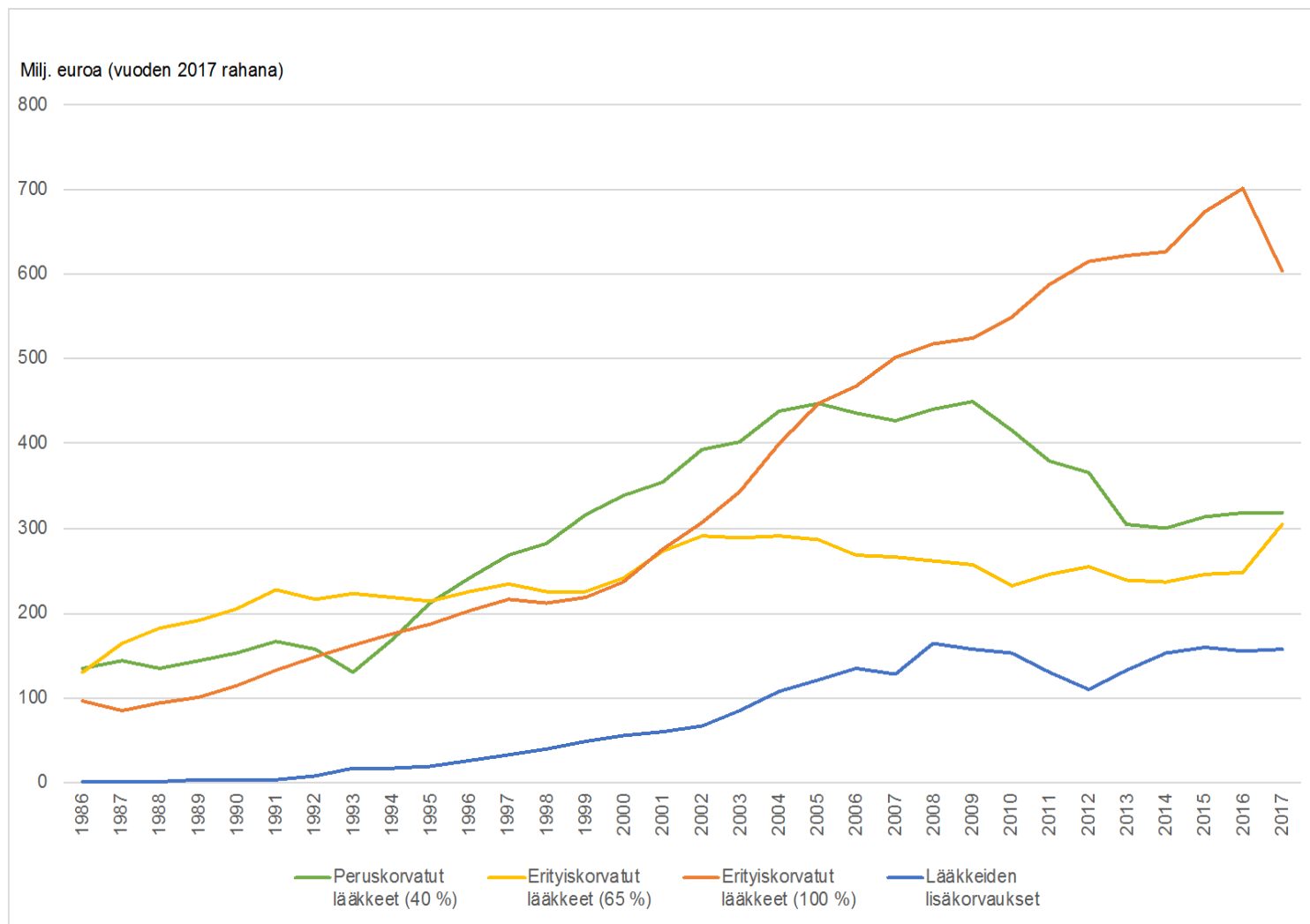
Saat korvausta alkuomavastuun täyttymisen jälkeen

Vuosiomavastuu (lääkekatto) 2018

Kun vuosiomavastuusi ylittyy, Kela korvaa loppuvuoden lääkkeet



Lääkekorvaukset vuosina 1986-2017



Nykyinen lääkekorvausjärjestelmä

- Sairausperusteinen järjestelmä ohjaa korvausmenoja ja lääkkeenmääräämistä monin tavoin
- Järjestelmällä on tuettu erityisesti kansansairauksien lääkehoitoja ja niiden sairauksien lääkehoitoja, jotka aiheuttavat huomattavia potilaskohtaisia kustannuksia
- Korvattavuuden rajoittaminen on mahdollistanut kalliiden lääkkeiden ottamisen korvausjärjestelmään
- Valtaosa korvaustapahtumista on vaivattomia sekä potilaalle että sairausvakuutusjärjestelmälle

Lääkekorvausjärjestelmän tavoitteita

- Parhaiden hoitokäytäntöjen mukainen lääkehoito kaikille sitä tarvitseville
- Turvaa erityisesti paljon lääkkeitä käyttävien ja pienituloisten henkilöiden tarkoituksenmukaisen lääkehoidon
- Kannustaa edullisempien valmisteiden käyttöön
- Mahdollistaa uusien innovatiivisten lääkkeiden käyttöönoton

Muuttuva lääkehoito

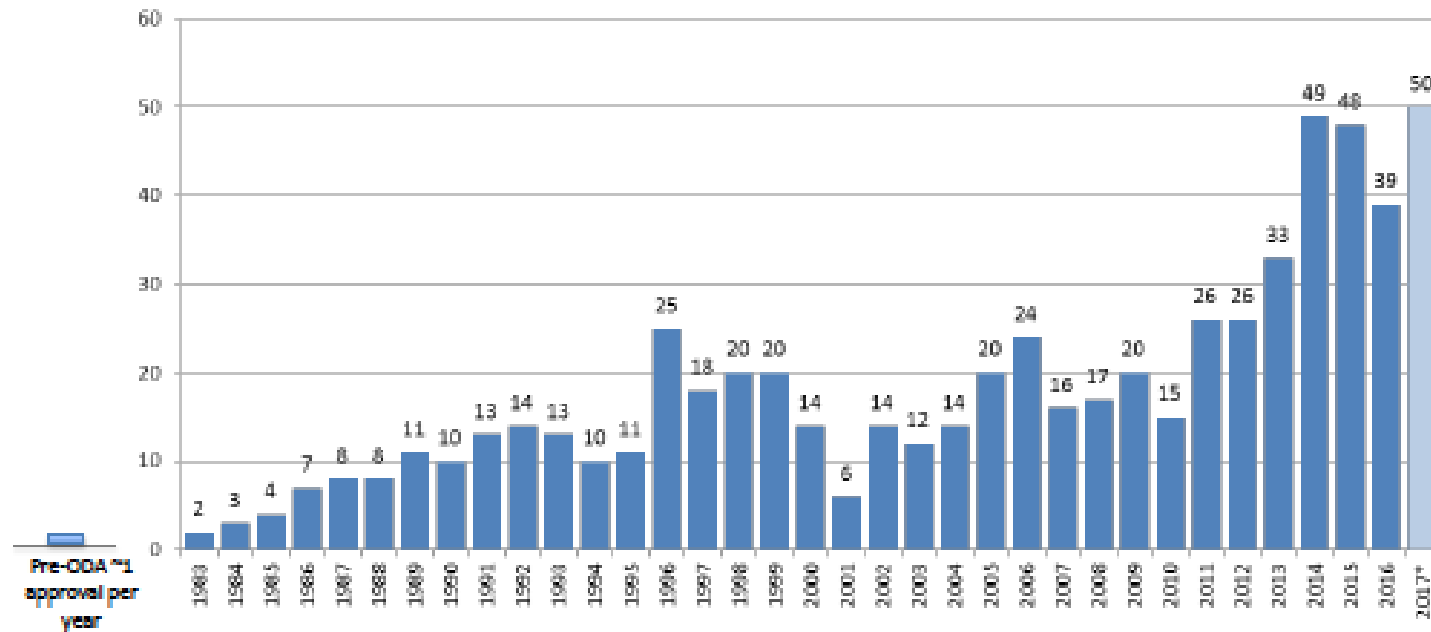
- Lääkehoidon merkitys kasvaa terveyden- ja sairaanhoidossa
- Lääkehoitojen mahdollisuudet lisääntyvät sairauksissa, joihin ei ole vielä tehokasta hoitoa (mm. harvinaissairauksien tutkimus ja lääkekehitys)
- Lääkkeen määritelmä muuttuu
 - Uudenlaiset biologiset lääkkeet, geenien toimintaan ja proteiinien tuotantoon vaikuttavat valmisteet, geeni- ja soluterapiatuotteet, kudosuokkaustuotteet, lääke-laiteyhdistelmät
- Lääkkeiden
 - määrä kasvaa
 - uudet vaikutusmekanismit
 - poikkeavat turvallisuusongelmat
 - käyttöaiheiden tarkentuminen (yksilöllinen lääkehoito)
 - kustannusvaikuttavuus



Orphan Drug Approval Trends

- In the decade leading up to the passage of the Orphan Drug Act, only 10 industry-supported products for rare diseases were brought to market
- Since 1983: 600+ orphan drug indications approved from 450+ distinct drug products

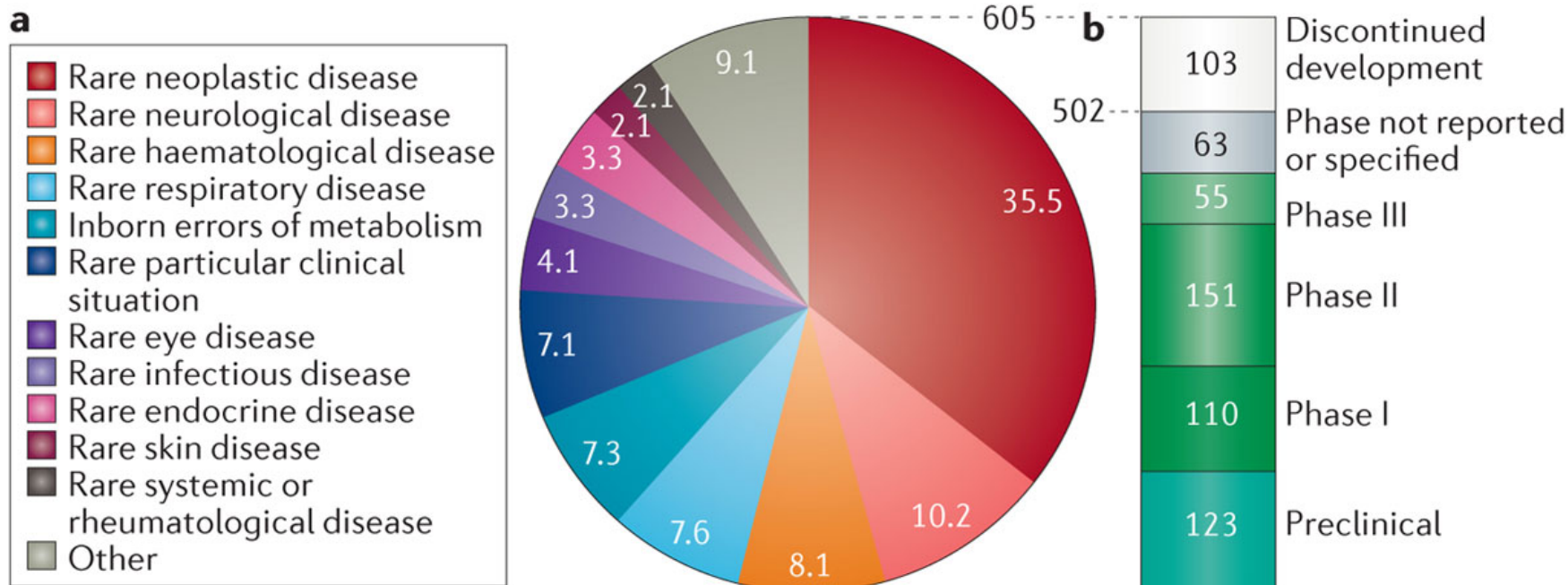
Number of FDA Orphan Drug Approvals



*Product defined as drugs having the same active ingredient and formulation

*2017 figures of 9/15/2017

Analysis of orphan designations in the European Union



Nature Reviews | Drug Discovery

2017: A year of FDA “firsts” in rare diseases

- Tisagenlecleucel
 - First gene therapy approval in the United States
- Avelumab
 - First FDA-approved treatment for metastatic merkel cell carcinoma
- Lesipasvir + sofosbuvir
 - First HCV direct-acting antivirals approved for use in adolescents
- Celiponase alpha
 - First FDA-approved treatment for a form of Batten disease
- Edaravone
 - First new treatment for patients with ALS over 2 decades
- Ibrutinib
 - First FDA-approved therapy for the treatment of chronic graft-versus-host disease (GVHD)
- Benzidazole
 - First treatment approved for the treatment of Chagas disease

Availability and affordability of cancer medicines*

Policy and economic objectives	Generic medicines
Off-label prescribing	Transparency
Price regulation and procurement	Research and development costs
Pricing policies in countries	Pediatric oncology
Controlling costs	Balancing public health and industry needs
Differential pricing	Voluntary licensing and TRIPS (Trade-related aspects of Intellectual Property Rights)
Managed entry agreements	Patient access initiatives
Cross-border collaboration	Competition

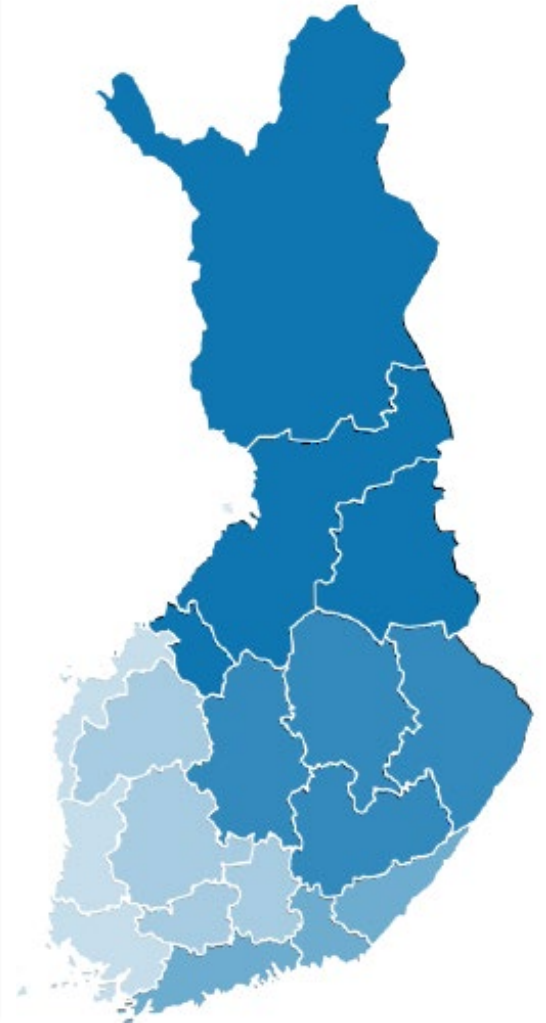
*WHO: Informal Advisory Group on the availability and affordability of cancer medicines

Report of the meeting 4-6 April 2018, Geneva, Switzerland

<http://www.who.int/medicines/areas/access/Improving-affordability-effectiveness-of-cancer-medicines/en/>

Harvinaissairauksien lääkkeet

- Selvitystyössä esillä olleita asioita mm.
 - Kustannusvaikuttavuus arviointi, terveystaloustieteelliset selvitykset
 - HAKE-keskusten osaamisen hyödyntäminen
 - Kansalliset hoitolinjaukset
 - Orphan drug – status
 - Harvinaissairauksien korvausluokka
 - Käyttöaiheen ulkopuolinen käyttö
 - Pohjoismaiden ja eurooppalainen yhteistyö
 - Lääkkeiden hankinta



Arviointitoiminta

- Yhtenäinen kansallinen lääkkeiden hoidollisen arvon arviointi ja kustannusvaikuttavuusarviointi tulisi tehdä kattavasti kansallisella tasolla kaikille lääkkeille lääkemuodosta (suun kautta annostelu, suonensisäinen annostelu) riippumatta
- Erityinen peruste tälle on potilaiden yhdenvertainen mahdollisuus vaikuttavaan, turvalliseen, kohtuuhintaiseen ja innovatiiviseen lääkehoitoon

Sairaalalääkkeet

- Eivät ole viranomaisen toteuttaman korvattavuus- ja/tai hintasääntelyn piirissä
- Lääkkeiden hintojen sääntelyä toimeenpannaan hankintamenettelyn kautta (kilpailutus)
- Lääkehankintamenettelyllä ei suoraa yhteyttä hoidolliseen ja taloudelliseen arviointiin
- Sairaanhoidopiirit tai erityisvastuualueet päättävät kukin tahollaan uuden lääkkeen käyttöönotosta
- Käytännöt vaihtelevat eri alueilla

Pienten potilasryhmien lääkehoitojen hoidollisen arvon arviointi

Lääketieteellinen ja terveystaloustieteellinen kokonaisarviointi

Sairauden laatu, lääkkeen tarpeellisuus ja taloudellisuus sekä tutkimuksissa ja käytössä osoitettu hoidollinen arvo

- Lääkkeen teho verrattuna vertailuvalmisteisiin
- Lääkkeen siedettävyyys verrattuna vertailuvalmisteisiin
- Lääkkeen taloudellisuus verrattuna vertailuvalmisteisiin ja/tai hoitoihin
- Sairauden vaikeusaste (vaikea, pitkäaikainen)
- Lääkehoidon välttämättömyys
- Korvaava tai korjaava vaikutustapa

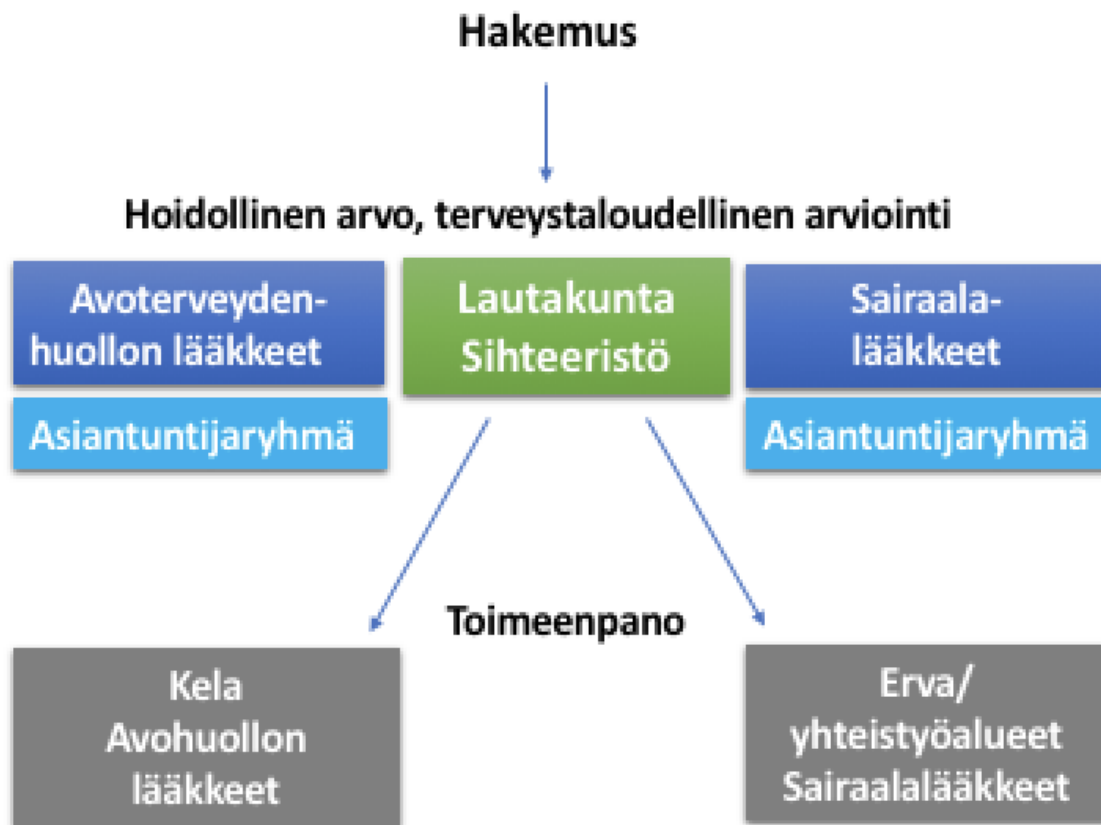
Lääkehoidon hoidollisen arvon ja tarpeen arviointi suhteessa aiheutuviin kustannuksiin verrattuna vastaavien hoitojen hyötyihin ja kustannuksiin

Lääkkeiden hoidollisen arvon arviointi: toimijat ja lääkeryhmät

Toimija	Lääkeryhmä/teknologiat
Hila	Sairausvakuutuslain perusteella korvattavien avohoidon lääkkeiden hoidollinen arvo ja kustannusvaikuttavuus (uudet vaikuttavat lääkeaineet ja merkittävä käyttöaiheen laajentuminen, terveystalousselvitys vaatimuksena)
Kela	Antaa lausunnon Hilalle avohoidon lääkkeistä. Lausunnossa on arvioitava esitetyn korvattavuuden edellytykset ja hinnan tai hinnan korotuksen kohtuullisuus ja sairausvakuutukselle aiheuttavat kustannukset
Fimea	Arviointeja sairaaloissa käytettävistä uusista lääkkeistä (kliininen vaikuttavuus, turvallisuus ja taloudellisuus)
PALKO	Antaa suosituksia Fimean arvioimista sairaalalääkkeistä siitä, kuuluuko lääke julkisesti rahoitettuun palveluvalikoimaan
Sairaanhoitopiirit	Sairaalalääkkeiden arviointi ja hankinta (erityisvastuualueiden lääkearviointiryhmät)
FinCCHTA	Terveydenhuollon menetelmien arviointi
EunetTHA	Terveysteknologian arviointi, jäsenvaltioiden viranomaisten ja toimielinten verkosto
Euroopan komissio*	Lääkkeiden, lääkinnällisten laitteiden ja <i>in vitro</i> -diagnostiikan arviointia

EU:n komission ehdotus 31.1.2018

Lääkkeiden hoidollisen arvon arviointi ja käyttöönotto



Lääkevirasto

- Sekä avohuollon reseptilääkkeiden että sairaalalääkkeiden hoidollisen arvon arviointitoiminta ja päätöksenteko olisi tarkoituksenmukaista yhdistää yhteen yksikköön (lautakuntaan)
- Lautakunnan luonteva sijoituspaikka olisi lääkevirastoksi muutettava Fimea (Finnish Medicine Agency, FMA)

Toimeenpanojärjestelmä

- Kelan tehtävänä olisi edelleen tehdä päätökset korvausoikeuksien edellytyksistä ja asiakkaiden korvausoikeuksista lautakunnan päätösten perusteella
- Sekä lääkekorvausjärjestelmää että Kelan toimeenpanojärjestelmää olisi kehitettävä huomioimaan nykyistä paremmin hyvän hoitokäytännön mukainen lääkehoito, erityiset hoidolliset perusteet ja yksilöllisen lääkehoidon tarpeet potilaiden eriarvoisuuden vähentämiseksi

Yksilöllistetty lääkehoito ja erityiset hoidolliset perusteet

- Kelalle mahdollisuus erityistilanteissa lääketieteellisin perustein vaikeissa ja pitkäaikaisissa sairauksissa tehdä erillisiä päätöksiä korvattavien lääkkeiden osalta
 - Valmisteen tulee olla lääkekorvausjärjestelmässä
 - Korvausoikeus myönnetään erikoissairaanhoidon hoitavasta yksiköstä annetun B-lausunnon tarpeellisuusharkinnan perusteella moniammatillisessa asiantuntijaryhmässä, jossa kuullaan tarvittaessa päätöksentekoa tukevaa alan lääketieteellistä asiantuntijaverkostoa
 - Diagnoosin edellytetään perustuvan hyvien kansallisten ja kansainvälisten hoitosuositusten mukaisiin diagnostisiin perusteisiin
 - Lausunnossa on sairautta ja sen aiempaa hoitoa ja hoitotuloksia koskevien tietojen lisäksi esitettävä hyvän hoitokäytännön mukainen hoitosuunnitelma, jossa valmisteen tarve osoitetaan tieteelliseen tutkimusnäyttöön perustuen
 - Korvausoikeus myönnetään määräaikaisena asianmukaisen hoitosuunnitelman edellyttämäksi ajaksi

Yksilöllistetty lääkehoito ja erityiset hoidolliset perusteet

- Sokeuttava silmätulehdus (Behcetin tauti, harvinainen immunologinen tila)
- Yksilöllistetty mutaatioperusteinen leukemioiden lääkehoito
- Desmoidikasvain (harvinaissairaus)

Sokeuttava silmätulehdus

- Behçetin tauti on useissa eri elimissä esiintyvä verisuonitulehdus, jonka aiheuttajaa ei tiedetä
- Pohjois-Euroopassa esiintyvyys noin 0,3 sataatuhatta kohden
- Silmätulehdus on yksi taudin vakavimmista ilmenemismuodoista
- Hoidon tavoitteena on lievittää tulehdusta, estää oireiden paheneminen ja uusiutuminen sekä ehkäistä näönmenetys
- Hyvän hoitokäytännön mukainen lääkehoito
 - Kortikosteroidihoito
 - Immunosuppressiiviset lääkkeet (atsatiopriini, syklofosamidi, metotreksaatti)
 - Infliksimabi
 - Interferoni alfa-2a ja alfa-2b

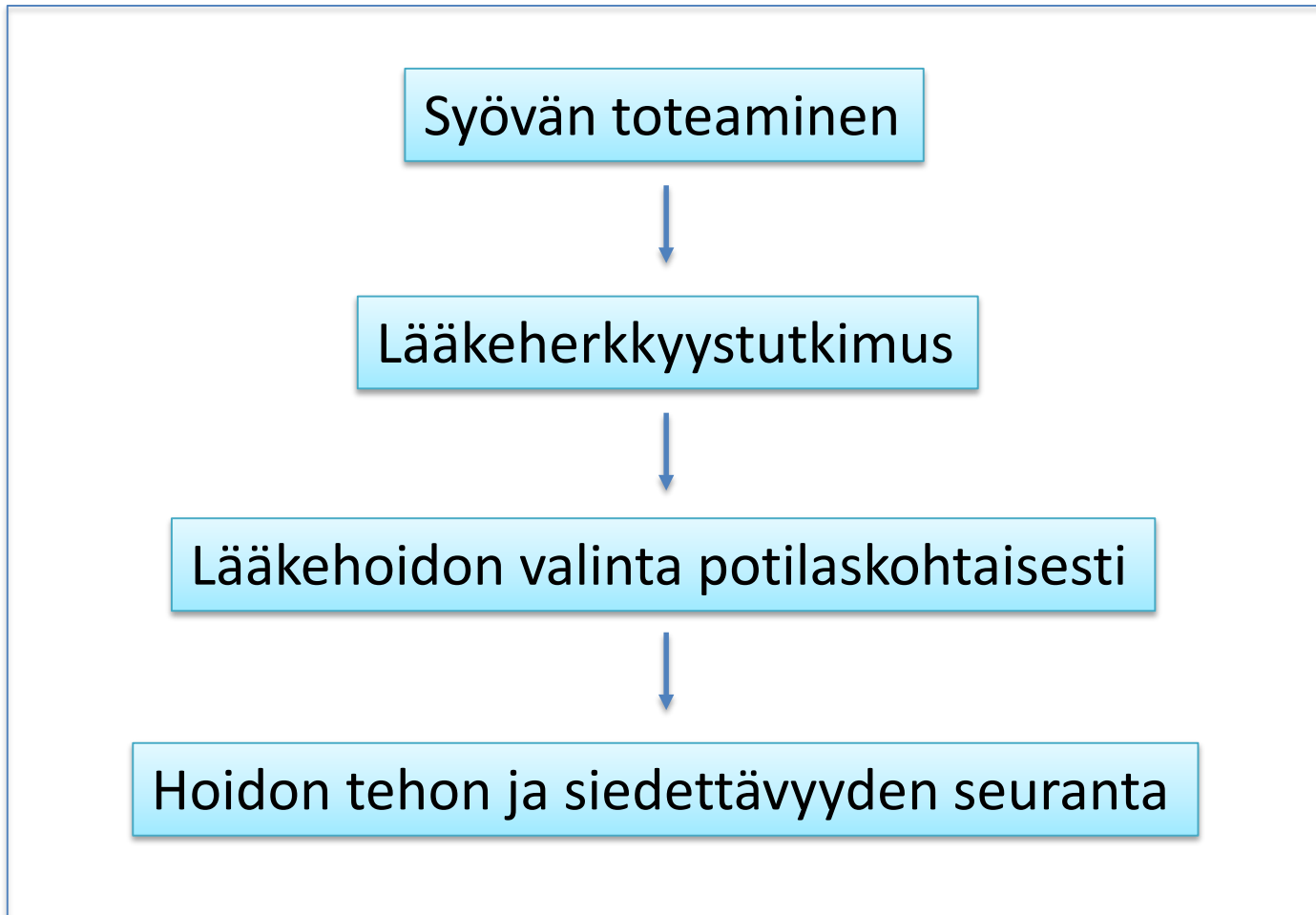
Interferoni alfa-2a:n käyttöaiheet ja korvattavuus

Käyttöaiheet	Korvattavuus		
<ul style="list-style-type: none">• Karvasoluleukemia• Krooninen myeloinen leukemia (KML)• Ihon T-solulymfooma• Follikulaarinen non-Hodgkinin lymfooma• Pitkälle edennyt munuaissyöpä• Maligni melanooma• Krooninen hepatiitti B ja C	<p>Peruskorvattavuus (302)</p> <p>Pahanlaatuiset veri-, luuydin- ja imukudostaudit ja eräät kasvainsairaudet</p>	<p>Eityiskorvattavuus (117)</p> <p>Leukemiat, muut pahanlaatuiset veri- ja luuydintaudit sekä pahanlaatuiset imukudostaudit</p>	<p>Rajoitettu erityiskorvattavuus (180)</p> <p>Muut pahanlaatuiset kasvaimet, joita ei ole muualla asetuksessa erikseen mainittu, kun kysymyksessä on melanooma tai munuaissyöpä</p>

Yksilöllistetty syövän lääkehoito

- Uudet syöpälääkkeet ovat entistä useimmin suun kautta annosteltavia valmisteita
- Mutaatioperusteisissa hoidoissa parhaan hoitokäytännön mukainen lääkehoito suun kautta otettavilla valmisteilla ei ole aina korvattavaa
- Eriarvoisuus harvinaisia syöpiä sairastavien ja kansantauteina esiintyvien syöpien välillä
- Eriarvoisuus lääkkeiden käytössä sairaalassa suonensisäisesti käytettävien ja avohuollon suun kautta annosteltavissa valmisteissa
- Toimeentulotuesta voidaan myöntää maksusitoumus vastaavalle avohuollon syöpälääkkeelle, mikä myös johtaa eriarvoisuuteen potilaiden kesken

Lääkeherkkyystutkimus syövän yksilöllistetetyssä lääkehoidossa



Yksilöllistetty mutaatioperusteinen leukemioiden lääkehoito

- Kroonisen myeloosisen leukemian (KML) lääkehoito on kehittynyt viime vuosina nopeasti
 - Diagnoosi perustuu Philadelphia-kromosomin (Ph) tai fuusiogeenin (BCR-ABL1) osoittamiseen luuydin- ja/tai verinäytteestä
 - Ensilinjan hoito tyrosiikinaasin estäjät imatinibi ja nilotinibi
 - Toisen linjan hoitona dasatinibi, bosutinibi ja ponatinibi
 - Osalle potilaista kehittyy täydellinen resistenssi kaikille edellä mainituille lääkkeille Thr315Ile mutaation vuoksi
 - Munuaissyövän hoidossa käytettävä aksitinibi tehoaa KML:n hoidossa, jos potilaalla BCR-ABL1 geenin Thr315Ile mutaatio*

Desmoidikasvain

- Sidekudoskasvaimia, joilla on taipumus infiltroida ympäröiviin kudoksiin
- Suoliliepeen desmoidikasvaimia todetaan Suomessa vuosittain muutamalla potilaalla
- Kirurginen poisto
- Antiestrogeenit, tulehduskipulääkkeet, solusalpaajat mm. liposomaalinen doksorubisiini
- Solusalpaajat eivät ole korvattavia tässä käyttöaiheessa

Keuhkoverenpainetauti (pulmonaalihypertensio)

- Keuhkovaltimoiden verenpainetauti on harvinainen sairaus. Uusia tapauksia ilmaantuu arviolta 5-10/miljoona asukasta/vuosi.
- Potilaiden ennuste on huono, sillä nykyhoidollakin noin 15 % potilaista kuolee ensimmäisen vuoden aikana. Osa potilaista soveltuu keuhkonsiirtoon.
- Itsesyntyinen (idiopaattinen) keuhkoverenpainetauti (alkusyytä ei tunneta) on keuhkoverenpainetaudin harvinainen muoto, sitä todetaan vuosittain yhdellä tai kahdella suomalaisella, ja useimmat sairastuneista ovat 45–60-vuotiaita ja 70 % ovat naisia.
- Lääkevaihtoehtoja on useita (sildenafil, tadalafil, ambrisentaani, bosentaani), useimmissa tapauksissa käytetään useaa lääkettä yhtä aikaa
- Lääkkeet parantavat potilaan suorituskykyä ja todennäköisesti myös ennustetta
- Elintavoilla tai muilla keinoilla ei voida vaikuttaa keuhkoverenpainetaudin syntyyn

Erityiskorvattavat sairaudet

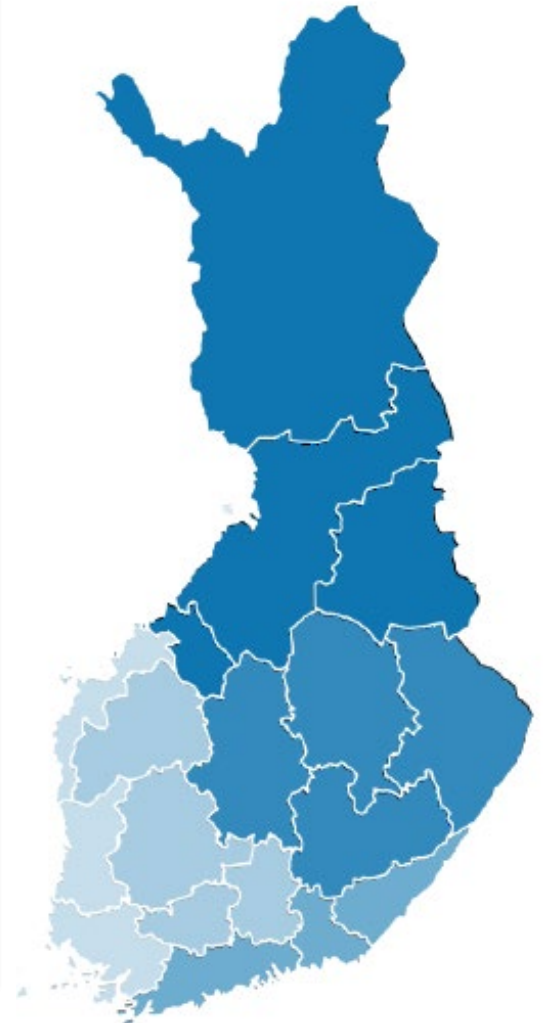
- Eräiden vaikeiden ja pitkäaikaissairauksien sairauksien siirtoa alemmasta (65 %) ylempään erityiskorvausluokkaan (100 %) tulisi harkita, koska ne muihin ylempään erityiskorvausluokan sairauksiin verrattuna siihen luokkaan kuuluisivat
- Korvattavuuden edellytyksiä tulisi ajantasaistaa muuttuvan lääkehoidon ja hyvän hoitokäytännön mukaisiksi
- Kelan asiantuntijalääkärien tulisi seurata nykyisten sairauksien luokittelun ajantasaisuutta lääkehoidon kehittyessä

Ehdollinen korvattavuus

- Ehdollisen korvattavuuden malli tulisi vakinaistaa ja ottaa käyttöön erityisen kalliiden ja innovatiivisten lääkkeiden hallittuna käyttöönottona myös sairaaloissa
- Ehdollisen korvattavuuden malli tarjoaisi mahdollisuuden myös harvinaissairauksien lääkkeiden korvattavuuden kansalliseen arviointityöhön, käyttöönottoon ja hankitaan sekä yhdenvertaisuuden varmistamiseen alueiden välillä

Harvinaissairauksien lääkkeet

- Harvinaissairauksien hoito on keskitetty yhteistyöalueille
- Yhdenvertaisuuden varmistaminen alueiden välillä
- Selvitystyössä on ollut esillä mm.
 - Velvoite yhteistyöalueille harvinaissairauksien lääkekustannuksista ja
 - Lääkekustannusten kansallinen rahoitus yksittäistapauksissa
 - Uusi korvausluokka
- Ehdollinen korvattavuus –malli (hallitun käyttöönoton sopimus), kansallinen hoidollinen arviointi



Rahoitus

- Rahoituksen osalta valtion osuus (67 %) lääkekorvauksien rahoituksesta Sosiaali- ja terveystalvvelujärjestelmän uudistuksen yhteydessä olisi hyvä siirtää maksuvastuulliselle maakunnalle yleiskatteellisena*
- Maakunnille muodostuisi kannuste hallita lääkekustannuksia ja ohjata lääkkeen määräämistä (edulliset valmisteet, viitehintajärjestelmään kuuluvat valmisteet ja biosimilaarit) alueillaan kustannusvaikuttavasti, ja samalla myös lääkkeen määrääjien kustannustietoisuus lisääntyisi

*Maakunta- ja SOTE-uudistus, reformiryhmä 13.4.2018:

Arvion mukaan lääkekorvausmenot olisivat vuoden 2022 tasossa 1 568 milj. euroa; vakuutettujen osuus 523 milj. euroa, valtion/maakuntien osuus 1063 milj. euroa ja potilaiden omavastuuosuudet 746 milj. euroa

Lääkekorvaus- ja toimeenpanojärjestelmän kehittämisen huomioimaan uudistuva lääkehoito

- Lääkehoitojen mahdollisuudet lisääntyvät sairauksissa, joihin ei ole vielä tehokasta hoitoa
- Uudet markkinoille tulevat lääkkeet on yhä useammin tarkoitettu pienille potilasryhmille tai harvinaissairauksien hoitoon
- Nopeutetut myyntilupamenettelyt, rajallisempi näyttö hoidollisesta arvosta ja kustannusvaikuttavuudesta
- Yksilöllistetty lääkehoito, erityiset hoidolliset perusteet