



Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus | Säkerhets- och utvecklingscentret för läkemedelsområdet | Finnish Medicines Agency

# Uusien sairaalalääkkeiden arviointi Fimeassa

Vesa Kiviniemi  
Fimea

29.9.2016

## Arvioinnin ja arviointiprosessin taustaa

- Sairaalalääkkeille ei Suomessa toistaiseksi ole ollut keskitettyä tai yhtenäistä arviointiprosessia
- Uuden lääkkeen tullessa markkinoille sairaalat ovat kukin tahoillaan joutuneet arvioimaan, onko lääkkeen käyttöönotto järkevää (hyödyt hoitovaihtoehtoihin verrattuna ja hyötyjen sekä kustannusten tasapaino)
- Arviointiin ja lääkkeen käyttöönottoon liittyvissä menettelytavoissa on erittäin runsasta vaihtelua sairaaloiden välillä
- Useat tahot (esim. yo-sairaaloiden lääkearviointiryhmät) ovat nähneet sairaalalääkkeisiin liittyvän kansallisen arviointimenettelyn tarpeelliseksi

## Uusien sairaalalääkkeiden kansallisen arvioinnin tavoitteet

- Nopea arviointiprosessi sairaalalääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointiin, jonka tavoitteena on
  - lisätä lääkkeen käyttöönottopäätöksissä tarvittavaa tietoa erityisesti myös budjettivaikutusten ja kustannusten osalta
  - vähentää sairaaloiden päällekkäistä työtä uuden lääkkeen käyttöönoton yhteydessä
  - edistää alueellista yhdenvertaisuutta hoitojen saatavuudessa

## Prosessin valmistelu

- Arviointiprosessin suunnittelu aloitettiin 2014 yhteistyössä erityisvastuualueiden arviointiylilääkärien verkoston kanssa
- Vuoden 2015 aikana valmistelua jatkettiin yhteistyössä arviointiylilääkärien kanssa
- Valmistelun aikana tavattiin kaikkien yliopistosairaaloiden lääkearviointiryhmät (tai muu vastaava) sekä lääketeollisuuden edustajia
- Pilotteja tuotettiin neljä kappaletta (6/2015-12/2015)
- Arviointimenettelyt ovat tällä hetkellä sinänsä selviä, päätöksentekomekanismit ovat yhä osittain avoimia kysymyksiä

## Arvioinnin aikataulu ja kesto

- Arviointi pyritään käynnistämään hyvissä ajoin ennen myyntiluvan myöntämistä, esim. Euroopan lääkeviraston ihmislääkekomitean (CHMP) puoltavan kannanoton perusteella
- Yhden arvioinnin kokonaiskesto kaikkine vaiheineen on noin 2-3 kuukautta
- Arviointiraportti käytettävissä mahdollisimman pian myyntiluvan myöntämisen jälkeen

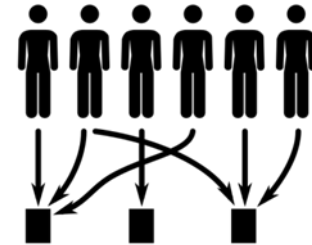


## Arvioinnin sisältö

- Uuden teknologian ja käytössä olevien hoitomuotojen lyhyt kuvaus
- Kliininen vaikuttavuus
- Turvallisuus
- Kustannukset ja budjettivaikutusanalyysi
  
- Raportin laajuus n. 20-30 sivua



## Arviointiin osallistuvat tahot



### ***Fimean HTA-tiimi***

- Koordinoi arviointitoimintaa
- Tuottaa ja julkaisee arviointiraportin käytettävissä olevan materiaalin pohjalta

### ***Myyntiluvanhaltija***

- Voi toimittaa arviointiin aineistoa, jota pyritään hyödyntämään arviointiraporttia laadittaessa
- Kommentoi halutessaan arvioinnin niitä osia, joissa on hyödynnetty myyntiluvanhaltijan toimittamaa *julkaisematonta* aineistoa

### ***Erytisvastuualueiden arviointiylilääkärit ja yo-sairaaloiden lääkeryhmät***

- Toimivat yhteyshenkilöinä erityisvastuualueilla
- Tuovat erityisvastuualueiden näkökulmia arviointiprosessiin ja arviointimenettelyihin
- Voivat ehdottaa aiheita

## ***Kliiniset asiantuntijat***

- Kliininen asiantuntija kommentoi arviointiryhmän tuottamaa materiaalia, mutta ei osallistu arviointiraportin kirjoittamiseen
- Arviointiraportin lopullisesta sisällöstä vastaa kuitenkin kokonaisuudessaan arviointiryhmä
- Kliinisiä asiantuntijoita on rekrytoitu sekä talon sisältä että ulkopuolelta

## ***Kannanoton muodostava taho (suunnitteluvaiheessa)***

- Muodostaa kannanoton tai suosituksen lääkkeen käyttöönotosta tai siihen mahdollisesti liittyvistä rajoituksista
- STM:n terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston (PALKO) kanssa on käyty runsaasti keskusteluja kannanotoista
- PALKO on ilmaissut halukkuutensa kannanottoja tekeväksi tahoksi
- Suositusten ja suositusprosessin yksityiskohdat vielä avoinna



## Miksi kannanottoja (tai suosituksia) arvioinneista tarvitaan?

- Tällä hetkellä arvioinnilla ei ole muodollista kytkentää mihinkään päätöksentekomekanismiin, vaikka yliopistosairaalat ovat ottaneet arvioinnit hyvin vastaan ja arvioinnit ovat päätöksenteossa mukana



### Suositusten avulla:

- Luodaan paremmat edellytykset yhdenvertaisemmalle hoidon saatavuudelle
  - Erityisesti sairaalat toivovat selkänajaa tilanteissa, joissa uuden lääkkeen käyttö ei vaikuta järkevältä
  - Toisaalta alueelliset erot (joita on merkittävästi) vähenisivät myös tilanteissa, joissa käyttöönottoa selkeästi suositellaan
- Kustannukset saadaan selkeämmin mukaan päätöksentekoon
- Palveluvalikoiman rakentaminen sairaalassa käytettävien lääkkeiden osalta selkeytyy ja sille on mahdollista luoda johdonmukainen pohja

## Fimean tuottamat uusien sairaalalääkkeiden arvioinnit

### *Valmistuneet arvioinnit*

- *Trastutsumabie* HER2-positiivisen rintasyövän hoidossa (2015)
- *Ramusirumabi* edenneen mahasyövän ja ruokatorvi-mahalaukkurajan adenokarsinooman hoidossa (2015)
- *PD-1-vasta-aineet* edenneen melanooman hoidossa (2015)
- *Idarusitsumabi* verenohennuslääke dabigatraanin vaikutuksen nopeassa kumoamisessa (2015)
- *Karfiltsomibi* multippelin myeloomaan 2. linjan hoitona (2016)
- Nivolumabi edenneen munuaissyövän hoidossa (2016)

- *Nivolumabi* ei-pienisoluisen keuhkosyövän hoidossa (2016)
- *Nivolumabin ja ipilimumabin yhdistelmähoito* edenneen melanooman hoidossa (2016)
- *Elotutsumabi* uusiutuneen multippelin myelooman hoidossa (2016)
- *Daratumumabi* uusiutuneen multippelin myelooman hoidossa (2016)
- *Paklitakselialbumiinin* vaikutukset haiman adenokarsinooman hoidossa (2016)

DONE!

## Tulevaisuuden suunnitelmia uusien sairaalalääkkeiden arvioinnista

- Tavoitteena vakiinnuttaa sairaalalääkkeiden arviointitoiminta vuosina 2016 – 2017
- Yhteistyön tiivistäminen entisestään yliopistosairaaloiden ja lääketeollisuuden sekä kliinisten yhteisöjen kanssa
- Tulevaisuudessa tavoitteena on arvioida kaikki (oleelliset) uudet sairaalakäyttöön tulevat lääkkeet
  - Fimean HTA-tiimi pystyy nykyresursseilla tuottamaan noin 8 arviointia vuodessa uusista sairaalalääkkeistä
  - Uusia vain sairaalakäyttöön tulevia lääkeaineita tulee vuosittain noin 6-12

## Kysymyksiä ja keskusteluasioita?



# Taustamateriaaleja: Arvioinnin sisällöstä ja tiedonlähteistä

## Lääkehoitojen arvioinnista yleisesti – Ketkä tekevät?

- Lääkehoitojen arviointi on monitieteistä yhteistyötä
  - Fimeassa yksittäiseen arviointiin osallistuu yleensä 3 – 4 henkilöä
  - Tutkijalääkäri, tilastotieteilijä, lääketaloustieteilijä, (farmasisti)
  - Arvioinnissa käytetään lisäksi klinisiä asiantuntijoita
- Yhteistyö muiden tahojen kanssa arvioinnissa: lääketeollisuus, kliniset yhteisöt, erityisvastuualueiden arviointiylilääkärit, päätöksentekijät

## Lääkehoitojen arvioinnista yleisesti – Miten lääkehoitoja arvioidaan?

- Arvioinnissa käsitellään tyypillisesti seuraavia osa-alueita
  - Terveysongelma ja hoitovaihtoehtojen käytön nykytilanne sekä arvioivan lääkehoidon kuvaus
  - Kliininen vaikuttavuus
  - Turvallisuus
  - Kustannukset ja taloudellinen arviointi
  - Mahdolliset eettiset, organisatoriset, sosiaaliset ja juridiset tekijät



## *Terveysongelma ja hoitovaihtoehtojen käytön nykytilanne*

- Tiedonlähteinä esimerkiksi kirjallisuus, lääkkeiden kulutustiedot ja tarvittaessa Kelan rekisteritiedot
- Tavoitteena muodostaa kokonaiskuva hoidon nykytilasta, hoitovaihtoehtoista ja hoitosuosituksista
- Arvioidaan esimerkiksi sairaustaakkaa, hoidon kohdeväestön ominaispiirteitä, sairauden luonnollista kulkua ja ennusteita

## *Arvioitavan lääkehoidon kuvaus*

- Tiedonlähteinä valmisteyhteenvedot ja kirjallisuus
- Kuvataan asian taustoittamiseksi lyhyesti arvioitavaa lääkehoitoa: Esimerkiksi annostelu, käyttöön liittyvät erityispiirteet, käyttöympäristö, vaikutusmekanismi

## *Kliininen vaikuttavuus*

- Tiedonlähteinä kirjallisuus, EPAR, katsaukset ja HTA-raportit
- Menetelminä systemaattiset kirjallisuuskatsaukset, meta-analyysit (ml. epäsuorat vertailut ja verkostometanaalyysi)
- Arviointiin sisältyvistä tutkimuksista arvioidaan lisäksi soveltuvin osin niiden validiteettia, näytön astetta ja tutkimusten sovellettavuutta
- Tarkastelun keskiössä arvioitavan lääkehoidon vaikutukset (vertailuhoitoon verrattuna):
  - elossaoloaikaan
  - elämänlaatuun ja toimintakykyyn
  - kliinisiin päätetapahtumiin
  - surrogaatteihin

## *Kustannukset ja taloudellinen arviointi*

- Tiedonlähteinä:
  - myyntiluvanhaltijalta pyydetty materiaali, joka sisältää mallin sekä selvityksen taloudellisista vaikutuksista ja dokumentaatiota mallista
  - muiden arviointiyksiköiden taloudelliset arvioinnit
  - kirjallisuus
- Arvioidaan:
  - mallin rakennetta ja oletuksia
  - mallin parametrisointia
  - myyntiluvan haltijan esittämiä tuloksia ja herkkyyksianalyyseja
  - tehdään lisäanalyyseja ja esitetään omia tuloksia
- Tarkastelun keskiössä:
  - Tulosten uskottavuus
  - Tekijät, jotka ovat kustannusajureita ja tulosten keskeisiä determinantteja

## *Turvallisuus*

- Tiedonlähteenä EPARit, tutkimukset ja kirjallisuus
- Pyrkimyksenä arvioida hoitojen välisiä eroja haittaprofiileissa

## *Muut tekijät*

- Tiedonlähteet vaihtelevat asiasta riippuen
- Ei vakiomuotoista formaattia käsittelylle, mikäli näitä teemoja arviointiin liittyy
- Potilasnäkökulman käsittely voidaan tehdä tapauksesta riippuen