



Kommentit liittyvät 4.2.2022 kumottuun suositukseen Nusenerseeni-SMA taudin hoidossa

Yhteenveto otakantaa-palvelun kommentteista

**Aihe: NUSINERSEENI SMA-TAUDIN
HOIDOSSA**

Taustaa

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto (Palko) hyväksyi suosituksen nusinerseenistä SMA-taudin hoidossa alustavasti kokouksessaan 14.12.2017. Ennen suosituksen lopullista hyväksymistä Palko antoi asiasta kiinnostuneille mahdollisuuden kommentoida perustelumuioston luonnosta.

Palkon suosituluonnoksen mukaan nusinerseeni ei kuuluisi Suomen terveydenhuollon julkisesti rahoitettuun palveluvalikoimaan SMA-taudin hoidossa, koska lääkkeen hinta on sen vaikuttavuuteen nähden kohtuuton. Mikäli lääkkeen hinta olisi alempi, sen käyttäminen tarkasti määritellyillä potilasryhmillä olisi lääketieteellisestä näkökulmasta perusteltua. Kommentointiaika oli 19.12.2017-15.1.2018.

Määräaikaan mennessä otakantaa-palveluun saapui kaikkiaan 59 kommenttia. Lisäksi sähköpostilla saapui liitemateriaalia ja yksi kokonaisuudessaan myös otakantaa-palveluun lähetetty kommentti.

Vastaajien jakauma

Potilas tai asiakas taikka heidän omaisensa	21
Potilaita tai asiakkaita edustava järjestö	4
Terveyspalvelujen tuottaja	4
Lääkevalmistaja, maahantuoja tai markkinoija	1
Sosiaali- ja terveysalan työntekijä	8
Poliittinen päättäjä	3
Muu	18
<i>Yhteensä</i>	<i>59</i>

Yhteenveto on koottu noudattaen Palkon perustelumuioston rakennetta. Lisäksi lopussa on joitain yleiskommentteja ja muita kommentteja.

Aiheen määrittely ja rajaus

Kysymyksenasettelu; terveysongelma-interventio-parin muotoilu

Ei kommentteja.



Terveysongelman vakavuus

Yhdessä kommentissa todettiin, että SMA tyyppi II on parempiennusteinainen kuin mitä muistiossa todetaan. Näillä potilailla avuntarve pitkälti määräytyy jäljellä olevan yläraajojen toimintakyvystä. Samassa kommentissa todettiin, että SMN1-del taudin käytännössä diagnostiikka Suomessa perustuu SMN1 ex7del-löydökseen. SMN2 kopioluvun testaamisessa ei tällä hetkellä ole samaa automatiikkaa. Kommentissa myös katsottiin, että jos SMN1 proteiinin tuotantoa saadaan hoidolla aikaiseksi, kärsivät motoneuronit voivat toipua ja palauttaa toimintaansa, mutta tutkimustietoa asiasta ei vielä ole. Lääkkeen vaikutuksessa on useita geneettisesti määräytyviä yksilöllisiä eroja.

Aihetta koskevat selvitykset ja suositukset

Fimean arviointiraportti

Fimea on julkaissut arviointiraporttiin saapuneet kommentit Nusinerseeni spinaalisen lihastrofian hoidossa. Fimea KAI 5/2017: Fimean vastaus sidosryhmien kommentteihin.

Kotimaiset hoitosuositukset ja selvitykset

Ei kommentteja.

Ulkomaiset hoitosuositukset ja selvitykset

Muutamassa kommentissa tuotiin esiin otakantaa-kommentoinnin aloituksen jälkeen joulukuussa 2017 julkaistut Ruotsin ja Saksan suositukset tai päätökset.

Muutamassa kommentissa ehdotettiin, että perustelumuiustiossa käsiteltäisiin kaikkia eri maiden päätöksiä ja suosituksia (mm. Saksa, Italia, Itävalta, Luxemburg, Ranska, Sveitsi).

Perustelumuistioon otettujen maiden suositusten valintaa pidettiin tarkoitushakuisena.

Yhdessä kommentissa todettiin, että vuonna 2007 julkaistu SMA-hoidon konsensusohje (Wang ym. 2007) on päivitetty ja hyväksytty 13.11.2017 julkaistavaksi Neuromuscular Disorders -lehdessä.



Intervention sisällöstä

Ei kommentteja.

Vaihtoehdot interventiolle

Muutamassa kommentissa todettiin, että ei ole kohtuullista kieltää lääkettä sillä perusteella, että sairauteen voi tulla muitakin hoitovaihtoehtoja.

Terveysongelman ja intervention käytön yleisyys

Yhdessä kommentissa kritisoitiin taudin eri tyyppien ja alatyypin yleisyyden arviointia sekä taudin yleisyyden ja intervention yleisyyden kuvaamisen tapaa.

Intervention vaikuttavuus

Useassa kommentissa todettiin, että potilaan toimintakyvyn säilyminen ei välttämättä vaadi motorista edistymistä, vaan taudin etenemisen pysäyttäminen, hidastaminen tai nykytilan säilyttäminen samankaltaisena mahdollisimman pitkään saattaa riittää potilaan itsenäisen toiminta- ja työkyvyn ylläpitämiseksi. Yhdessä kommentissa ehdotettiin taudin hoidon keskittämistä yhteen keskukseseen Suomessa. Muutamassa kommentissa tuotiin esille joitain muistiossa mainitsemattomia faasin I tai II tutkimuksia.

Muutamassa kommentissa katsottiin, että perustelumuiustiossa ei riittävästi oltu eroteltu SMA-taudin vaikuttavuutta eri tautityypeissä.

Intervention turvallisuus

Useissa kommentteissa todettiin perustelumuiustion mukaisesti, että toistaiseksi tutkimuksissa ei ole noussut esille merkittäviä haittavaikutuksia. Potilaiden omaisten kommentteissa todettiin muun muassa, että nusinerseenin hyödyt ovat suuremmat kuin haitat.

Intervention kustannukset ja budjettivaikutukset

Useassa kommentissa todettiin, että lääkkeen kustannusten tai hinnan ei pitäisi olla päätöksenteon peruste. Useassa kommentissa todettiin kuten perustelumuiustioluonnoksessa on mainittu, että lääkkeen todellinen hinta on eri suuruinen kuin julkinen listahinta. Kommentteissa oli ehdotuksia siitä, miten asiassa voisi edetä



- sairaanhoitopiirit neuvottelisivat yhdessä hallitun käyttöönoton sopimuksen, yksi sairaanhoitopiiri koordinoisi neuvottelut
- Ostajan edustaja (FIMEA/PALKO) ja valmistajan neuvottelisivat
- Suomen terveydenhuollon tulisi kaikin tavoin (yhdessä muiden pohjoismaiden kanssa) pyrkiä neuvottelemaan lääkeyhtiön kanssa järkevämpi listahinta.
- EMA ei antaisi koko EU-alueelle myyntilupaa, ellei lääkkeen hinta ole kohtuullinen.

Muutamassa kommentissa katsottiin, että kustannuksissa tulisi huomioida kaikki lääkkeestä johtuvat säästöt muissa terveydenhuollon kustannuksissa sekä vanhempien työstä poissaolon kustannuksissa.

Muutamassa kommentissa verrattiin nusinerseenin lääkekustannuksia joidenkin muiden sairauksien hoidon kustannuksiin ja muihin yhteiskunnan rahoittamiin kustannuksiin.

Intervention kustannusvaikuttavuus

Norjan ja Ruotsin kustannusvaikuttavuusanalyysiin liittyviä epävarmuuksia ja rajoitteita kommentoitiin muutaman kerran.

Eettinen tarkastelu

Eettistä pohdintaa kritisoitiin useassa kommentissa. Muutamassa kommentissa kritisoitiin tekstiä lääkkeen antamiseen liittyvistä riskeistä ja annostelukokemuksen raskaudesta ja potilaan kärsimyksen pidentymisestä.

Yhdessä kommentissa pohdittiin itsemääräämisoikeutta ja katsottiin, että nusinerseenihoito edistäisi SMA potilaiden kykyä itsemääräämiseen (oman elämän hallintaan). Useissa kommentteissa pohdittiin oikeudenmukaisuutta ja todettiin, että on kyse yksilöiden välisistä suhteista. Muutamassa kommentissa tuotiin esiin harvinaissairauksien näkökulma ja katsottiin, että harvinaisen sairauden kohdalla olisi hyväksyttävä muiden sairauksien hoitoa suuremmat kustannukset, koska taudin harvinaisuuden vuoksi kokonaisbudjettivaikutukset ovat kuitenkin pienet.

Intervention kohdentaminen ja poikkeaminen palveluvalikoimasta

Useita kommentteja tuli intervention kohdentamiseen ja erityisesti 9 vuoden ikärajaan. Kommentteissa tuotiin esiin, että yli 9-vuotiaista on julkaistu suotuisia tuloksia satunnaistamattomassa tutkimusasetelmassa. Muutamassa kommentissa tuotiin esiin yksittäisten potilaiden positiivi-



sia käytännön kokemuksia vanhemmilla potilailla. Yhdessä kommentissa myös kysyttiin, tarkoittaisiko se lääkkeen käytön lopettamista kailta 9 vuotta täyttäviltä. Lisäksi ehdotettiin SMA-taudin seurantaan vastasyntyneiltä ja lääkkeen vaikutusten seurantaan löytyneillä oirettomilla potilailla.

Lisänäytön kerääminen

Kerättäviin tietoihin ehdotettiin muutamissa kommentteissa potilaan iän ja tarkan diagnoosin ohella esimerkiksi

- perustelut hoidon aloittamiselle ja etukäteen määritellyt kriteerit hoidon lopettamiselle
- diagnoosista hoidon aloittamiseen kulunut aika
- hoidon tilapäisen keskeyttämisen syy
- hoidon lopettamisen syy
- motorinen kehitys ennen hoidon aloitusta (verrattuna normaaliin kehitysvaiheeseen kyseisessä iässä)
- toimintakyky (verrattuna normaaliin kehitysvaiheeseen kyseisessä iässä)
- näiden ja muun hoitovasteen seuranta koko hoidon ajan
- muut kliiniset tiedot kuten vaikutukset hengitystuen tarpeeseen
- haittavaikutusten seuranta

Johtopäätökset

Yksittäisissä kommentteissa todettiin, että perustelumistioluonnos antaa tukea vaikean päätöksen tekoon ja toisaalta yksittäisissä kommentteissa todettiin, että muistio on heikosti perusteltu ja tarkoitushakuinen. Useassa kommentissa kommentoitiin johtopäätöksiä kokonaisuutena ja katsottiin, että kustannukset on arvioitu tärkeämmäksi kuin vaikuttavuus, elämänlaatu tai ihmisarvo. Muutama kommentti rinnasti johtopäätökset eutanasiaan, jossa lapsen annetaan kuolla ilman lääkettä.

Muutamassa kommentteissa nostettiin esiin perustuslain yhdenvertaisuuslauseke sekä vammaisten henkilöiden ja lasten oikeuksien kansainväliset sopimukset. Muutamassa kommentissa tehtiin ehdotuksia johtopäätösten muuttamisesta tai kehittämistä.

Yksittäisissä kommentteissa johtopäätöksiä pidettiin hyvin perusteltuina ja katsottiin, että Suomessa tulisi pohtia yleisellä tasolla harvinaissai-



rauksien hoidon hintaa ja maksuhalukkuutta. Yksittäisten potilaiden näkökulmasta hinta ei saisi merkitä mitään, mutta yhteiskunnan velvollisuus on jakaa terveydenhuollon varat oikeudenmukaisesti.

Kommenteissa ehdotettiin yhteisistä hoidon jatkamis-/lopettamiskriteereistä sopimista erikseen SMA1- ja SMA2-potilaille ja suosituksen antamista määräaikaisena, enintään 2-3 vuoden ajalle.

Yleisarvio luonnoksesta ja muita kommentteja

Kuinka hyödyllisenä pidät ehdotettua suositusluonnosta?

Täysin hyödytön = 1 ... Erittäin hyödyllinen = 5

1	11
2	7
3	10
4	5
5	5
yhteensä	59

Perustelumistioluonnosta pidettiin yksittäisissä kommenteissa kattavana, selkeänä ja ymmärrettävänä. Yhdessä kommentissa todettiin, että termejä ja "lääkärislangia" olisi voinut suomentaa lukijaystävällisemmäksi.

Yhdessä kommentissa katsottiin, että kommentointi otakantaa-palvelussa oli hankalaa, kun kommentointi oli jaoteltu osiin.

Muutamassa kommentissa toivottiin, että suosituksen valmistelussa olisi haastelemalla tai muuten hankittu potilaiden kokemuksia sairaudesta. Muutamassa kommentissa tuotiin esille alueellinen eriarvoisuus, kun joillekin potilaille lääke on jo aloitettu ennen Palkon suositustyön aloitusta tai sen aikana. Yhdessä kommentissa kommentoitiin Palkon suositusprosessin kestoa ja aikataulumuutoksia siinä. Viivettä ja epävarmuutta hoitoon pääsystä katsottiin hoitoa odottavien potilaiden ja omaisten näkökulmasta kohtuuttomaksi.

