

15.12.2022

TERVEYDENHUOLLON PALVELUVALIKOIMANEUVOSTON KOKOUS nro 15 /2021 toimikausi 2020-2023 PÖYTÄKIRJA 15.12.2022

Aika 15.12.2021 klo 10.00-16.00

Paikka TEAMS / Sosiaali- ja terveysministeriö, Nh Vaikuttamo

Osallistujat

x Sirkku Pikkujämsä puheenjohtaja (läsnä)

Jäsenet

Tapani Hämäläinen varapj (läsnä kohdat.1-6, 9-18)
Minna-Liisa Luoma (läsnä)
Janne Leinonen, varapj. (läsnä kohdat 1-8, 13-15)
Kaisa Riala (läsnä)
Sari Raassina (läsnä kohdat 1-6, 13-15)
Vesa Kiviniemi (läsnä kohdat 1-3, 5-6, 13-15)
Marja Pöllänen (läsnä)
Juha Auvinen (läsnä)
Miia Turpeinen (läsnä kohdat 1-11a, 13-15)
Teppo Heikkilä (poissa)
Heikki Lukkarinen (läsnä)
Juhani Sand (poissa)
Katri Vehviläinen-Julkunen (läsnä)
Mirva Lohiniva-Kerkelä varapj (läsnä)
Ismo Linnosmaa (läsnä)

Varajäsenet

Jaska Siikavirta (läsnä kohdat 7-10)
Heli Mattila (poissa)
Kirsi Vainiemi (poissa)
Tuula Kock (läsnä kohdat 7-11b)
Kari Punnonen (läsnä kohdat 1-4, 13-15)
Nina Lindfors (poissa)
Riitta Aejmelaesus (poissa)
Juha Korpelainen (poissa)
Anu Maksimow (läsnä kohdat 1-6, 11-18)
Niina Koivuviita (poissa)
Sari Mäkinen (läsnä kohdat 9-12, 16-18)
Teuvo Antikainen (läsnä kohdat 6-12, 16-18)
Jarmo J. Koski (läsnä)
Marina Kinnunen (poissa)

Pysyvä sihteeristö

Ilona Autti-Rämö pääsihteerä (läsnä)
Reima Palonen erityisasiantuntija (läsnä)
Sinikka Sihvo erityisasiantuntija (läsnä)
Ritva Bly, erityisasiantuntija (läsnä)
Laura Sandström asiantuntija (läsnä)
Leena Alanne assistentti (läsnä)

Asiantuntijat

Kari Tikkinen (poissa)
Mika Gissler (läsnä)
Jorma Komulainen (läsnä)
Maija Miettinen (poissa)
Lauri Pelkonen (poissa)

1. Avaus, kokouksen osallistujat, päätösvaltaisuus ja edellisten kokousten pöytäkirjat liite 1a-b

Päätös: Todettiin kokouksen osallistujat ja päätösvaltaisuus. Merkittiin tiedoksi edellisten kokousten pöytäkirjat.

Päätettiin, että kohdat 13-15 käsitellään kohdan 1 jälkeen.

Hyväksyttävät kriteerit ja suositukset

2. Oireettomalle henkilölle primaarisen osteoporoosin ja siihen liittyvän kohonneen murtumariskin löytämistä varten tehtävän DXA-tutkimuksen kriteerit, Ritva Bly (liite 2a-c)

DXA-tutkimusten kriteerit olivat lausunnolla 25.10.–22.11.2021. Lausuntoja oli saatu yhdeksältä lausunnonantajalta. Jaosto käsitteli lausunnot kokouksessaan 29.11.2021.

Kriteereistä käydyssä keskustelussa pidettiin tärkeänä hyvää tiedotusta ensimmäisenä valmistuvista kuvantamisen kriteereistä, jotka koskevat DXA-tutkimuksia. Ritva kertoi, että kriteerit julkaistaan Palkon verkkosivuilla, jonne on parannettu kriteerien näkyvyyttä. Muilta osin Palkon tiedottamisessa noudatetaan samanlaisia menettelyjä kuin suositusten julkaisemisen yhteydessä ja julkaisusta muun muassa Tweetataan. Ehdotettua voimaantulopäivää 1.2. 2022 pidettiin sopivana.

Päätös: Hyväksyttiin kriteerit esityksen mukaisesti.

3. Oireettomalle tupakoineelle henkilölle keuhkosityövän löytämistä varten tehtävän tietokonetomografiatutkimuksen kriteerit, Ritva Bly

Keuhko-TT-tutkimusten kriteerit olivat lausunnolla 29.10.–22.11.2021. Lausuntoja oli saatu 12 lausunnonantajalta. Jaosto käsitteli lausunnot kokouksessaan 29.11.2021. Useat lausunnonantajat ymmärsivät kriteerien koskevan seulontaa, vaikka se on soveltamisalueesta suljettu pois.

Keskustelussa todettiin, että vaikka kriteerien jatkokehittämiseen ei nähty tarvetta, niin jatkovalmistelua tarvitaan seulonnan ja kuvantamisen kriteerien erojen kuvaamiseen siten, että ne olisi helpompi erottaa toisistaan. Tätä tarkoitusta varten pidettiin hyvänä järjestää webinaari, johon osallistuisi Palkon edustajien lisäksi seulonnan arvioinnin asiantuntija.

Päätös: Päätettiin palauttaa kriteerit jatkovalmisteluun ja järjestää kuulemistilaisuus webinaarina ennen seuraavaa Palkon neuvoston kokousta.

4. Breksukabtageeni autoleuseeli (Tecartus®) manttelisolulyymfooman hoidossa, Laura Sandström, (liite 4)

Todettiin Vesa Kiviniemi esteelliseksi osallistumaan asian käsittelyyn, koska hän on osallistunut Fimean arviointiraportin laadintaan. Hän poistui kokouksesta vastattuaan arviointiraporttia koskeviin kysymyksiin.

Suositus perustuu Fimean [arviointikoosteeseen](#).

Suositusluonnos oli kommentoitavana otakantaa.fi-palvelussa 27.10.-25.11. Luonnokseen ei tullut kommentteja, eikä myyntiluvan haltija toimittanut vastinetta. Lääkejaosto esitti ehdollisesti myönteisen suosituksen hyväksymistä.

Päätös: Hyväksyttiin lopullinen suositus.

5. Suun ulkopuolella valmistettavat hammaspaikat ja -kruunut, Reima Palonen, (liite 5a-d)

Suositusluonnos oli kommentoitavana otakantaa.fi-palvelussa 4.-23.11.2021. Kommentteja saatiin kymmenen. Sute-jaosto on käsitellyt ne kokouksessaan 2.12. ja tehnyt tarpeellisiksi katsomansa muutokset luonnokseen.

Päätös: Hyväksyttiin lopullinen suositus.

6. Unettomuushäiriön hoito kognitiivisen käyttäytymisterapian menetelmillä (CBT-I), Sinikka Sihvo, (liite 6a-d)

Suositusluonnos oli kommentoitavana otakantaa.fi-palvelussa 27.10.-22.11.2021. Kommentteja saatiin neljä. Elo-jaosto on käsitellyt ne kokouksessaan 29.11. ja tehnyt tarpeellisiksi katsomansa muutokset luonnokseen.

Palkon esitti, että unettomuushäiriön määritelmää täsmennetään ja siihen lisättiin ICD-10 koodi F51.0, ei elimellinen unettomuus. Johtopäätöksistä poistettiin lause liittyen palvelusetelien käyttöön.

Päätös: Hyväksyttiin suositus ehdotetuina muutoksina.

Otakantaa-komentointiin hyväksyttävät suositusluonnokset

7. Isatuksimabin, karfilsomibin ja deksametasonin yhdistelmähoito (IKd) uusiutuneen multippelin myelooman hoidossa, Sinikka Sihvo (liite 7)

Todettiin Vesa Kiviniemi esteelliseksi osallistumaan asian käsittelyyn, koska hän on osallistunut Fimean arviointiraportin laadintaan. Hän poistui kokouksesta vastattuaan arviointiraporttia koskeviin kysymyksiin.

Fimean [arviointiraportti](#).

Fimean [yhteenvedonraportti](#) IKd- ja KdD-hoidoista

Lääkejaosto esittää ehdollisesti myönteisen suositusluonnoksen viemistä kommentoitavaksi otakantaa.fi-palveluun.

Päätös: Hyväksyttiin suositusluonnos vietäväksi otakantaa.fi-palveluun kommentoitavaksi.

8. Karfilsomibin, deksametasonin ja daratumumabin yhdistelmähoito (KdD) uusiutuneen multippelin myelooman hoidossa, Sinikka Sihvo (liite 8)

Todettiin Vesa Kiviniemi esteelliseksi osallistumaan asian käsittelyyn, koska hän on osallistunut Fimean arviointiraportin laadintaan. Hän poistui kokouksesta vastattuaan arviointiraporttia koskeviin kysymyksiin.

Fimean [arviointiraportti](#).

Fimean [yhteenvedonraportti](#) IKd- ja KdD-hoidoista

Lääkejaosto esittää ehdollisesti myönteisen suositusluonnoksen viemistä kommentoitavaksi otakantaa.fi-palveluun.

Päätös: Hyväksyttiin suositusluonnos vietäväksi otakantaa.fi-palveluun kommentoitavaksi.

Muut päätettävät asiat

9. Nusinenseeni SMA-taudin hoidossa, Sinikka Sihvo (liite 9a-b)

Suositusluonnos oli kommentoitavana otakantaa.fi-palvelussa 1.11.-28.11.2021. Kommentteja saatiin kahdeksan ja yksi sähköpostiviesti sekä myyntiluvan haltijan vastine. Lääkejaosto käsiteli

kommentit kokouksessaan 13.12 ja ehdotti suosituksen valmistelun jatkamista ja tapaamisten järjestämistä potilasjärjestölle sekä lasten- ja aikuisneurologeille.

Palkolle esiteltiin myyntiluvan haltijan vastine ja otakantaa-palvelun kautta saadut kommentit. Palko kannatti tapaamisten järjestämistä. Lastenneurologien ja neurologien tapaaminen tulee järjestää ennen seuraavaa käsittelyä, ja potilasjärjestötapaaminen ajoittaa pian suosituksen hyväksymisen jälkeen.

Päätös: Ohjeistettiin jatkovalmistelua.

10. Palkon käsikirja: Eettinen arviointi, Ilona Autti-Rämö (liite 10)

Esiteltiin käsikirjaan liitettäväksi ehdotettu kuvaus eettisen arvioinnin toteutusmalleista.

Päätös: Hyväksyttiin eettisen arvioinnin osio lisättäväksi käsikirjaan.

11. Uudet aihe-ehdotukset, Ilona Autti-Rämö & Reima Palonen (liitteet 11a-e)

11a) Hedelmöityshoidot ja muut lisääntymisterveyteen liittyvät hoitomenetelmät, Reima Palonen

Hedelmöityshoitojen antamista säännellään [STM:n antamalla yhtenäisillä hoidon perusteilla](#) (s. 155-156). Lääketieteen kehityksen ja yhteiskunnallisten näkemysten muutoksen vuoksi STM on saanut pyyntöjä niiden päivittämisestä ja laajentamisesta uusiin hoitoihin, kuten kohdun siirtoon. Asiaan liittyy lääketieteellisten kysymysten lisäksi eettisiä, juridisia ja terveydenhuollon järjestämiseen liittyviä kysymyksiä.

Neuvosto totesi, että suosituskokonaisuuden valmistelun aloittamisesta on syytä viestiä laajasti.

Päätös: Hyväksyttiin hedelmöityshoidot ja muut lisääntymisterveyden menetelmät kattavan suosituskokonaisuuden valmistelun aloittaminen.

11b) Kognitiivinen kuntoutus skitsofreniassa, Ilona Autti-Rämö

Kognitiivinen kuntoutus yksinään tai yhdistettynä muuhun kuntoutukseen voi korjata skitsofreniapotilaiden kognitiivista suorituskykyä ja toimintakykyä. Työhönkuntoutukseen liitettynä se saattaa parantaa potilaiden selviämistä työelämässä. Kognitiivista kuntoutusta tarjotaan tällä hetkellä kaikissa sairaanhoitopiireissä skitsofreniapotilaille, eroa on hoitoon pääsyn viiveissä, resursseissa ja kohderyhmissä.

Päätös: Päätettiin aloittaa suosituksen valmistelu aiheesta kognitiivinen kuntoutus skitsofreniapotilaiden hoidossa.

11c) rTMS (transkraniaalinen sarjamagneetti stimulaatio) hoito, Ilona Autti-Rämö

TMS hoidon teho on osoitettu useissa indikaatioissa (vahva näyttö masennuksen ja neuropaattisen kivun hoidossa), mutta hoitovasteen kliinistä merkitystä ei ole vertailtu eri indikaatioiden välillä. TMS laitetta ei ole hankittu kaikkiin sairaanhoitopiireihin eikä hoidon toteuttamista edellyttävää resurssia ole riittävästi järjestetty. Ennen aiheen valintaa on syytä selvittää, miksi TMS hoitoa ei ole yhdenvertaisesti tarjolla eri sairaanhoitopiireissä, mihin indikaation sitä eri sairaanhoitopiireissä tällä hetkellä käytetään sekä millaiset resurssit eri sairaanhoitopiireillä on.

Päätös: Tehdään nykykäytäntöä selvittävä kysely sairaanhoitopiireihin.

11d) Esteettisen kirurgian ja lääketieteellisesti perustellun toimenpiteen rajapinnan määrittely, Ilona Autti-Rämö

Plastiikkakirurgit ovat toivoneet suosituksia yksittäisiä toimenpiteitä koskevien kriteerien määrittämiseksi. Valmisteltavan suosituksen tavoitteena on määrittää esteettisen kirurgian ja lääketieteellisesti perustellun toimenpiteen rajapinta siten, että sitä voidaan hyödyntää yksittäisistä toimenpiteistä eri indikaatioissa päätettäessä. Suositus tulee kattamaan myös erikseen ehdotetun aiheen rasvaimun indikaatiot lipödemian hoidossa.

Päätös: Päätettiin aloittaa suosituksen valmistelu.

11e) TBI (toe brachia index – varvas-olkavarsi painesuhde), Ilona Autti-Rämö

Kyseessä on alaraajojen verenkiertoa mittaava menetelmä, jonka asemointi suhteessa perusterveydenhuollon käytössä olevaan menetelmään (ABI-mittaus eli ankle-brachial index)) pyydetään arvioitavaksi. Koska aiheesta on kaksi Käypä Hoito –suositusta, on tarkoituksenmukaisempaa ohjata aihe-ehdotus Käypä Hoito -toimitukseen, jossa TBI:n rooli alaraajojen verenkiertohäiriön varhaisessa tunnistamisessa olisi luontevinta tarkentaa osana Alaraajojen tukkiva valtimosairaus sekä Diabeetikon jalkaongelmat Käypä Hoito –suosituksia.

Käypä Hoito päätoimittaja Jorma Komulainen ilmoitti, että he voivat arvioida aihe-ehdotuksen.

Päätös: Hyväksyttiin ehdotus.

12. Lisääntymisterveyden jaoston perustaminen, Reima Palonen (liite 12)

Ehdotetaan perustettavaksi lisääntymisterveyden jaosto kohdassa 11a hyväksytyn suosituskokonaisuuden valmistelua varten. Jaoston toimikausi kestäisi Palkon toimikauden loppuun 30.6.2023 saakka.

Keskustelussa todettiin, että jaostoon olisi hyvä saada puheenjohtajan lisäksi edustus Palkosta. Lisäksi olisi hyvä saada mukaan palveluiden järjestämisen näkökulma ja STM:n edustus. Todettiin, että jaoston kokoonpanoa voidaan täydentää tulevilla kokouksissa tarpeen mukaan.

Päätös: Päätetään perustaa lisääntymisterveyden jaosto ja nimittää sen puheenjohtajaksi ja jäseniksi liitteessä 12 mainitut henkilöt 30.6.2023 saakka.

13. Miepä-jaoston jäsenmuutokset, Ilona Autti-Rämö (liite 13)

Kaisa Riala, Tapio Kekki, Pekka Rapeli ja Katja Tenhovirta ovat pyytäneet eroa jaoston jäsenyydestä.

Ehdotettiin uusiksi jäseniksi liitteessä 13 olevat henkilöt 30.6.2023 päättyvän toimikauden loppuun.

Päätös: Myönnettiin Kaisa Rialalle, Tapio Kekille, Pekka Rapelille ja Katja Tenhovirrälle ero Miepä-jaoston jäsenyydestä 1.1.2022 alkaen ja nimitettiin jaoston puheenjohtajaksi Juha Auvinen sekä uusiksi jäseniksi liitteessä 13 mainitut henkilöt 30.6.2023 saakka.

14. Palkon edustaja Kelan Sosiaalilääketieteelliseen neuvottelukuntaan, Ilona Autti-Rämö

Todettiin Janne Leinonen esteelliseksi osallistumaan asian käsittelyyn, koska hän on Kelan edustaja ja kyseisen neuvottelukunnan puheenjohtaja.

Ilona Autti-Rämö on ollut Palkon edustaja Kelan Sosiaalilääketieteellisessä neuvottelukunnassa 28.2.2022 päättyvällä kaudella. Kela on pyytänyt Palkoa nimeämään edustajan toimikaudelle 1.3.2022-28.2.2025.

Päätösesitys: Päätettiin esittää Palkon edustajaksi Kelan Sosiaalilääketieteelliseen neuvottelukuntaan erityisasiantuntija Reima Palosta.

Keskusteltavat asiat, tiedoksi

15. Vuoden 2022 alustava toimintasuunnitelma, Ilona Autti-Rämö

Esiteltiin toimintasuunnitelma, jota tullaan täydentämään 15.12. kokouksessa päätetyille uusilla suositusaiheilla sekä vielä puuttuvilla tiedoilla.

Päätös: Jäseniä pyydettiin ilmoittamaan sähköpostilla mahdollisista lisäyksistä tai muutoksista. Lopullinen toimintasuunnitelma tuodaan 4.2.2022 kokoukseen.

Muut asiat

16. Puheenjohtajien jaosto, Reima Palonen

Kerrottiin lyhyesti puheenjohtajien jaostossa käsitellyistä asioista, joita ei ole käsitelty edellä. Jaosto käsitteli 3.12.2021 kokouksessaan mm. suosituksen kumoamiseen liittyviä käytännön seikkoja ja mahdollisia toimenpiteitä, jos ilmenee, ettei suosituksia noudateta.

Päätös: Merkittiin tiedoksi.

17. Ilmoitusasiat,

- Kevätkauden 2022 kokoukset:
 - 4.2.2022, eettinen seminaari 10-12, kokous alkaa 12.30. Palkon puheenjohtajistoa, sihteeristöä ja jaostojen puheenjohtajia pyydetään olemaan läsnä. Muiden läsnäolomahdollisuus varmistetaan koronatilanteen mukaan.
 - 22.3.2022
 - 10.5.2022
 - 15.6.2022

18. Kokouksen päätös klo 14.32

Puheenjohtaja	Sirkku Pikkujämsä
Pääsihteeri	Ilona-Autti-Rämö
Erityisasiantuntija	Ritva Bly
Erityisasiantuntija	Sinikka Sihvo
Erityisasiantuntija	Reima Palonen

LIITTEET

- Liite 1a. Palkon 27.10.2021 kokouksen pöytäkirja
- Liite 1b. Palkon 17.-23.11.2021 sähköpostikokouksen pöytäkirja
- Liite 2a. Palkon päätös oireettomalle henkilölle primaarisen osteoporoosin ja siihen liittyvän kohonneen murtumariskin löytämistä varten tehtävän DXA-tutkimuksen kriteereistä ja päätöksen perustelut ([julkaistu palveluvalikoima.fi sivustolla](https://www.julkaisu.palveluvalikoima.fi/sivustolla))
- Liite 2b. Valmistelumuistio: oireettomalle henkilölle primaarisen osteoporoosin ja siihen liittyvän kohonneen murtumariskin löytämistä varten tehtävän DXA-tutkimuksen kriteerit ([julkaistu palveluvalikoima.fi sivustolla](https://www.julkaisu.palveluvalikoima.fi/sivustolla))
- Liite 2c. Lausunnot ([julkaistu Lausuntopalvelu.fi sivustolla](https://www.julkaisu.Lausuntopalvelu.fi/sivustolla))
- Liite 4. Breksukabtageeni autoleuseeli (Tecartus) manttelisolulyymfooman hoidossa suositus ([julkaistu palveluvalikoima.fi sivustolla](https://www.julkaisu.palveluvalikoima.fi/sivustolla))
- Liite 5a. Suositus: suun ulkopuolella valmistettavat hammaspaikat ja –kruunut ([julkaistu palveluvalikoima.fi sivustolla](https://www.julkaisu.palveluvalikoima.fi/sivustolla))
- Liite 5b. Valmistelumuistio: suun ulkopuolella valmistettavat hammaspaikat ja –kruunut ([julkaistu palveluvalikoima.fi sivustolla](https://www.julkaisu.palveluvalikoima.fi/sivustolla))
- Liite 5c. Tiivistelmä suosituksesta ([julkaistu palveluvalikoima.fi sivustolla](https://www.julkaisu.palveluvalikoima.fi/sivustolla))
- Liite 5d. Yhteenvedo Otakantaa-kommenteista ([julkaistu palveluvalikoima.fi sivustolla](https://www.julkaisu.palveluvalikoima.fi/sivustolla))
- Liite 6a. Unettomuushäiriön hoito CBT-I:llä suositus ([julkaistu palveluvalikoima.fi sivustolla](https://www.julkaisu.palveluvalikoima.fi/sivustolla))
- Liite 6b. Tiivistelmä suosituksesta ([julkaistu palveluvalikoima.fi sivustolla](https://www.julkaisu.palveluvalikoima.fi/sivustolla))
- Liite 6c. Yhteenvedo Otakantaa-kommenteista ([julkaistu palveluvalikoima.fi sivustolla](https://www.julkaisu.palveluvalikoima.fi/sivustolla))
- Liite 6d. Unettomuushäiriön hoito CBT-I:llä_ valmistelumuistio ([julkaistu palveluvalikoima.fi sivustolla](https://www.julkaisu.palveluvalikoima.fi/sivustolla))
- Liite 7. IKd-yhdistelmähoito multipppelin myelooman hoidossa suositusluonnos. ([Julkaistu otakantaa.fi sivuilla](https://www.julkaisu.otakantaa.fi/sivuilla))
- Liite 8. KdD-yhdistelmähoito multipppelin myelooman hoidossa suositusluonnos ([Julkaistu Otakantaa.fi sivuilla](https://www.julkaisu.Otakantaa.fi/sivuilla))
- Liite 9a. Nusinarseeni_ myyntiluvan haltijan vastine
- Liite 9b. Nusinarseeni_ otakantaa kommentit
- Liite 10. Palkon käsikirja: Eettinen arviointi
- Liite 11a. Hedelmöityshoidot ja muut lisääntymisterveyteen liittyvät hoitomenetelmät
- Liite 11b. Kognitiivinen kuntoutus skitsofreniassa
- Liite 11c. TMS hoito
- Liite 11d. Esteettisen kirurgian ja lääketieteellisesti perustellun toimenpiteen rajapinta
- Liite 11e. TBI-mittaus alaraajojen verenkierron tutkimisessa
- Liite 12. Lisääntymisterveyden jaoston perustaminen ja nimittäminen
- Liite 13. MIEPÄ jaoston jäsenmuutokset

JAKELU

Neuvoston varsinaiset jäsenet ja varajäsenet
Asiantuntijat
Sihteeristö

27.10.2021

TERVEYDENHUOLLON PALVELUVALIKOIMANEUVOSTON KOKOUS nro 13 /2021 toimikausi 2020-2023

Aika 27.10.2021 klo 10.00-16.00

Paikka Sosiaali- ja terveystieteiden ministeriö, TEAMS, sihteeristö: Kirkkokatu 14

Osallistujat
Sirkku Pikkujämsä puheenjohtaja (läsnä)

Jäsenet

-
Tapani Hämäläinen varapj (läsnä)
Minna-Liisa Luoma (poissa)
Janne Leinonen varapj (läsnä)
Kaisa Riala (läsnä)
Sari Raassina (läsnä)
Vesa Kiviniemi (läsnä kohdat 1-6)
Marja Pöllänen (poissa)
Juha Auvinen (poissa)
Miia Turpeinen (läsnä)
Teppo Heikkilä (poissa)
Heikki Lukkarinen (läsnä kohdat 4-12)
Juhani Sand (poissa)
xKatri Vehviläinen-Julkunen (läsnä)
Mirva Lohiniva-Kerkelä varapj (läsnä)
Ismo Linnosma (läsnä)

Varajäsenet

- Jaska Siikavirta (poissa)
Heli Mattila (läsnä)
Kirsi Vainiemi (läsnä)
Jussi Holmalahti (poissa)
Tuula Kock (läsnä)
Kari Punnonen (läsnä kohdat 1-5)
Nina Lindfors (poissa)
Riitta Aejmelaeus (läsnä kohdat 1-8)
Juha Korpelainen (poissa)
Anu Maksimow (läsnä kohdat 1-8)
Niina Koivuviita (poissa)
Sari Mäkinen (poissa)
Teuvo Antikainen (läsnä)
Jarmo J. Koski (läsnä)
Marina Kinnunen (poissa)

Pysyvä sihteeristö

Ilona Autti-Rämö pääsihteeristö (läsnä)
Reima Palonen erityisasiantuntija (läsnä)
Sinikka Sihvo erityisasiantuntija (läsnä)
Ritva Bly erityisasiantuntija (läsnä kohdat 1-2)
Laura Sandström asiantuntija (läsnä)
Leena Alanne assistentti (läsnä)

Asiantuntijat

Kari Tikkinen (poissa)
Mikä Gissler kohdat (läsnä kohta 1-8)
Jorma Komulainen (poissa)
Maija Miettinen (poissa)
Lauri Pelkonen (läsnä)

1. Avaus, kokouksen osallistujat, päätösvaltaisuus ja edellisen kokouksen pöytäkirja (6.10.2021) liite 1

Päätös: Todettiin kokouksen osallistujat ja päätösvaltaisuus. Merkittiin tiedoksi edellisen kokouksen pöytäkirja.

Lausuntopalveluun kommentoitavaksi vietävät kuvantamisen kriteerit

2. Mammografia, Ritva Bly, (liite 2a-b)

Kuvantamistutkimusten jaosto on valmistellut kriteerit mammografiatutkimukselle rintasyövän varhaiseksi toteamiseksi geneettisesti varmistetun korkean rintasyöpäriskin omaavalta oireettomalta henkilöltä.

Päätös: Hyväksyttiin kriteerien luonnos vietäväksi lausuntopalveluun kommentoitavaksi.

Hyväksyttävät suositukset

3. Onasemnogeneenibeparvoveekki (Zolgensma) SMA-taudin hoidossa, Sinikka Sihvo, (liite 3a-c),

Todettiin Vesa Kiviniemi esteelliseksi osallistumaan asian käsittelyyn, koska hän on osallistunut Fimean arviointiraportin laadintaan. Hän poistui kokouksesta vastattuaan arviointiraporttia koskeisiin kysymyksiin.

Suositus perustuu Fimean [arviointikoosteeseen ja sen jälkeen julkaistuihin tutkimuksiin](#).

Suositusluonnos oli kommentoitava otakantaa-palvelussa 6.9.-4.10.2021. Myyntiluvan haltijan vastineen lisäksi otakantaa –palvelun kautta saatiin kaksi kommenttia. Lääkejaosto käsitteli kommentteja kokouksessaan 18.10 ja esitti ehdollisesti myönteisen suositusluonnoksen hyväksymistä.

Päätös: Hyväksyttiin suositus huomioiden esitetty muutos yhteenvetokappaleen ensimmäiseen lauseeseen. Tässä todetaan suosituksen ehdollisuus huomioiden, että myyntiluvan haltija ja ostaja sopivat merkittävästi julkista tukkumyyntihintaa alemmasta hinnasta, jossa huomioidaan hoidon vaikuttavuus ja turvallisuus, sekä niihin liittyvän tiedon merkittävä epävarmuus.

Otakantaa-kommentointiin hyväksyttävät suosituluonnokset

4. Nusinerseeni suositusten päivitys, Sinikka Sihvo, (liite 4a-b)

Todettiin Vesa Kiviniemi esteelliseksi osallistumaan asian käsittelyyn, koska hän on osallistunut Fimean toimittaman tietopyyntövastauksen laadintaan. Hän poistui kokouksesta vastattuaan Fimean vastaukseen Palkon tietopyyntöön koskeviin kysymyksiin.

Lääkejaosto on päivittänyt Palkon vuonna 2018 ja 2019 antamat nusinerseeni-hoitoa koskevat suositukset ja yhdistänyt ne päivitettyyn versioon. Lääkejaosto esitti ehdollisesti myönteisen suosituluonnoksen julkaisemista kommentoitavaksi.

Päätös: Hyväksyttiin suosituluonnos vietäväksi otakantaa.fi-palveluun kommentoitavaksi.

5. Breksukabtageeni autoleuseeli (Tecartus®) manttelisolulymfooman hoidossa, Laura Sandström (liite 5)

Todettiin Vesa Kiviniemi esteelliseksi osallistumaan asian käsittelyyn, koska hän on osallistunut Fimean arviointiraportin laadintaan. Hän poistui kokouksesta vastattuaan arviointiraporttia koskeviin kysymyksiin.

Suositus perustuu Fimean [arviointikoosteeseen](#).

Lääkejaosto esitti ehdollisesti myönteisen suosituluonnoksen julkaisemista kommentoitavaksi.

Päätös: Hyväksyttiin suosituluonnos vietäväksi otakantaa.fi-palveluun kommentoitavaksi.

6. Suun ulkopuolella valmistettavat hammaspaikat ja -kruunut, Reima Palonen, (liite 6 a-c)

Suun terveydenhuollon jaosto on valmistellut suosituluonnoksen suun ulkopuolella valmistettavista paikoista ja kruunuista (epäsuora tekniikka). Luonnoksen mukaan ne kuuluisivat palveluvalikoimaan laajoissa, 3-5 pinnan täytteissä rinnan suoran tekniikan yhdistelmämuovipaikkojen kanssa. Sen sijaan pienissä, 1-2 pinnan täytteissä epäsuoran tekniikan paikat eivät kuuluisi palveluvalikoimaan.

Päätös: Hyväksyttiin suosituluonnos suun ulkopuolella valmistettavista hammaspaikoista ja –kruunuista vietäväksi otakantaa.fi-palveluun kommentoitavaksi.

7. Unettomuuden hoito kognitiivisen käyttäytymisterapian menetelmillä (CBT-I), Laura Sandström, (liite 7 a-c)

Elintapa- ja omahoidon tuen jaosto valmisteli suositusluonnoksen unettomuuden hoidosta kognitiivisen käyttäytymisterapian menetelmillä (CBT-I). Luonnoksen mukaan CBT-I kuuluisi terveydenhuollon kansalliseen palveluvalikoimaan. Suositusluonnos perustuu valmistelumuistioon ja kirjallisuuskatsaukseen.

Päätös: Hyväksyttiin suositusluonnos vietäväksi otakantaa.fi-palveluun kommentoitavaksi.

Muut päätettävät asiat

8. Farmakogeneettiset testit, Reima Palonen

Palko käsitteli asiaa 1.9.2021 kokouksessa prof. Mikko Niemeltä tilatun selvityksen luonnoksen perusteella. Keskustelussa todettiin, että asia on tärkeä, mutta sen laajuuden ja moniulotteisuuden takia se ei ole ratkaistavissa Palkon suosituksella. Kysymys olisi geenitestauksesta, johon vaikuttavat monet eri lait. Asia tulisi ottaa kansallisesti haltuun, jotta se ei laajene asiantuntijavetoisesti. Palko päätti lähettää STM:lle tiedoksi näkemyksensä asiasta mahdollisia toimenpiteitä varten. Kirjeen sanamuoto päätettiin tuoda hyväksyttäväksi kokoukseen.

Prof. Niemi on viimeistellyt selvityksensä sihteeristön kommenttien perusteella. Puheenjohtajien jaosto on käsitellyt kirjeen sisältöä ja sihteeristössä on laadittu sen perusteella luonnos.

STM on kokousta edeltävällä viikolla julkaissut lausunnon lakiehdotuksen Genomikeskuksesta ja terveyteen liittyvän geneettisen analyysin suorittamisen edellytyksistä. Myös Palkolle on varattu mahdollisuus antaa lausunto. Todettiin, että nämä asiat on perusteltua käsitellä yhdessä. Päätettiin jättää asia pöydälle. Aikataulusyistä lausunto lakiehdotuksesta täytyy käsitellä sähköpostikokouksessa. Jäsenille toimitetaan linkki lakiehdotukseen kokouksen jälkeen.

Päätös: Asia jätettiin pöydälle.

Keskusteltavat asiat, tiedoksi

9. Vuoden 2022 toimintasuunnitelma & aihe-ehdotukset

Keskusteltiin sihteeristön valmistelemista aihe-ehdotuksista ja niiden pohjalta tehdyn ennakkotehtävän tuloksista. Keskusteltiin suositusten aihevalinnoista neuvoston jäljellä olevaksi toimikaudeksi, uusien jaostojen perustamistarpeista sekä puheenjohtajuuksista. Neuvoston jäseniä, varajäseniä ja asiantuntijoita pyydettiin ilmoittautumaan pääsihteerille kiinnostuksesta osallistua tulevien suositusten valmistelutyöhön.

Päätös: Ohjeistettiin jatkovalmistelua.

Muut asiat

10. Puheenjohtajien jaosto, Reima Palonen

Todettiin, että jaoston viimeisimmässä kokouksessa käsitellyt asiat olivat tulleet esille jo aiempia kohtia käsiteltäessä.

Päätös: Merkittiin tiedoksi.

11. Ilmoitusasiat

- Syyskauden kokoukset:
 - marraskuussa sähköpostikokous
 - 15.12.2021, klo 10-16 /lähikokous
- Kevätkauden 2022 kokoukset:
 - 4.2.2022
 - 22.3.2022
 - 10.5.2022
 - 15.6.2022

12. Kokouksen päätös

Puheenjohtaja päätti kokouksen klo 15.38

Puheenjohtaja	Sirkku Pikkujämsä
Päsihteeri	Ilona Autti-Rämö
Erityisasiantuntija	Ritva Bly
Erityisasiantuntija	Reima Palonen
Erityisasiantuntija	Sinikka Sihvo
Asiantuntija	Laura Sandström

LIITTEET

- Liite 1. Palkon kokouksen pöytäkirja 6.10.2021
- Liite 2a. Mammografia kriteerien luonnos ([julkaistu lausuntopalvelu.fi](#))
- Liite 2b. Mammografia valmistelumuistioloonnos ([julkaistu lausuntopalvelu.fi](#))
- Liite 3a. Zolgensma suositus ([julkaistu palveluvalikoima.fi –sivustolla](#))
- Liite 3b. Zolgensma_ myyntiluvan haltijan vastine
- Liite 3c. Zolgensma_ otakantaa kommenttien yhteenveto ([julkaistu palveluvalikoima.fi –sivustolla](#))
- Liite 4a. Nusinseeni_ suositusluonnos ([julkaistu otakantaa.fi-palvelussa](#))
- Liite 4b. Nusinseeni_ Fimean vastaus Palkon tietopyyntöön
- Liite 5. Breksukabtageeni autoleuseeli (Tecartus®) suositusluonnos ([julkaistu otakantaa.fi-palvelussa](#))
- Liite 6a. Kirjallisuuskatsaus: Hampaan restaurointi suun ulkopuolella valmistetuilla paikoilla tai kruunuilla ([julkaistu otakantaa.fi-palvelussa](#))
- Liite 6b. Suositusluonnos: Suun ulkopuolella valmistettavat hammaspaikat ja -kruunut ([julkaistu otakantaa.fi-palvelussa](#))
- Liite 6c. Valmistelumuistioloonnos: Suun ulkopuolella valmistettavat hammaspaikat ja -kruunut ([julkaistu otakantaa.fi-palvelussa](#))
- Liite 7a. Unettomuus suositusluonnos ([julkaistu otakantaa.fi-palvelussa](#))
- Liite 7b. Unettomuus valmistelumuistioloonnos ([julkaistu otakantaa.fi-palvelussa](#))
- Liite 7c. Hotus kirjallisuuskatsaus ([julkaistu otakantaa.fi-palvelussa](#))

JAKELU

Neuvoston varsinaiset jäsenet ja varajäsenet
Asiantuntijat
Sihteeristö

9.12.2021

**TERVEYDENHUOLLON PALVELUVALIKOIMANEUVOSTON KOKOUS NRO 14 /2021 TOIMIKAUSI
2020-2023 PÖYTÄKIRJA 17.11.-23.11.2021 SÄHKÖPOSTIKOKOUS**

Aika	17.11.-23.11.2021
Paikka	Sähköposti/Webropol
Osallistujat	Sirkku Pikkujäämsä puheenjohtaja (läsnä)

Jäsenet

Tapani Hämäläinen varapj (läsnä)
Minna-Liisa Luoma (läsnä)
Janne Leinonen varapj (läsnä)
Kaisa Riala (läsnä)
Sari Raassina (läsnä)
Vesa Kiviniemi (poissa)
Maria Pöllänen (läsnä)
Juhan Auvinen (läsnä)
Miia Turpeinen (läsnä)
Teppo Heikkilä (poissa)
Heikki Lukkarinen (läsnä)
Juhani Sand (läsnä)
Katri Vehviläinen-Julkunen (läsnä)
Mirva Lohiniva-Kerkelä varapj (läsnä)
Ismo Linnosmaa (läsnä)

- Varajäsenet

Jaska Siikavirta (poissa)
Heli Mattila (poissa)
Kirsi Vainiemi (poissa)
Jussi Holmalahti (poissa)
Tuula Kock (poissa)
Kari Punnonen (läsnä)
Nina Lindfors (poissa)
Riitta Aejmelaesus (poissa)
Juha Korpelainen (poissa)
Anu Maksimow (poissa)
Niina Koivuviita (poissa)
Sari Mäkinen (poissa)
Teuvo Antikainen (poissa)
Jarmo J. Koski (poissa)
Marina Kinnunen (poissa)

1. Avaus, kokouksen osallistujat ja päätösvaltaisuus

Kokoukseen osallistuneiksi todettiin ne esteettömät jäsenet tai heidän sijastaan varajäsenet, jotka ilmoittivat webropol-kyselyyn kantansa (hyväksyn/en hyväksy) määräaikaan 23.11.2021 klo 16.00 mennessä.

Todettiin, että puheenjohtaja ja 14 jäsentä tai varajäsentä oli ilmoittanut kantansa, joten kokous oli päätösvaltainen.

2. Trastutsumabi-deruksteakaani levinneen HER2-positiivisen rintasyövän hoidossa, Laura Sandström, liitteet 2a-c

Suositus perustuu Fimean [arviointiraporttiin](#).

Suositusluonnos oli kommentoitavana otakantaa.fi –palvelussa 7.10.-4.11.2021. Lääkejaosto käsitteli yhden potilaalta tulleen kommentin ja myyntiluvan haltijan edustajan vastineen sekä

teki tarvittavat muutokset suositukseen. Lääkejaosto esitti ehdollisesti myönteisen suosituksen hyväksymistä.

Päätös: Hyväksyttiin suositus.

3. Palkon lausunto genomikeskuslaista, Reima Palonen, Liite 3

STM on julkaissut lausunnolle luonnoksen hallituksen esitykseksi laiksi Genomikeskuksesta ja terveyteen liittyvän geneettisen analyysin suorittamisen edellytyksistä. Palko antaa lausunnon siltä osin kuin esitys liittyy terveydenhuollon sisällön ohjaukseen ja sivuaa Palkon tehtäviä.

Päätös: Hyväksyttiin lausunto.

4. Palkon kirje STM:lle farmakogeneettisistä testauksista, Reima Palonen, Liite 4a-b

Palko tilasi keväällä 2021 prof. Mikko Niemeltä farmakogeneettisestä testauksesta esiselvityksen sen arvioimiseksi, onko asiasta perusteltua käynnistää Palkon suosituksen valmistelu. Palko katsoi selvityksen perusteella kokouksessaan 1.9.2021, että asia on laaja ja moniulotteinen, eivätkä siihen liittyvät haasteet ole ratkaistavissa pelkästään Palkon suosituksella. Palko piti asiaa kuitenkin tärkeänä ja katsoo, että se edellyttäisi kansallisen tason ohjaavia toimenpiteitä, jotta toiminnan laajentuminen tapahtuisi hallitusti. Palko päätti lähettää asiasta kirjeen STM:lle mahdollisia toimenpiteitä varten.

Päätös: Hyväksyttiin Palkon kirje STM:lle.

5. Susanne Uusitalon valitseminen asiantuntijaksi, Reima Palonen, Liite 5

Ehdotetaan, että Palko valitsisi VTT, FM Susanne Uusitalon Palkon asiantuntijaksi eettisissä kysymyksissä 30.6.2023 saakka ja päättäisi hänelle maksettavan tuntipalkkion suuruudeksi 55,50 euroa.

Päätös: Valittiin VTT, FM Susanne Uusitalo Palkon asiantuntijaksi 30.6.2023 saakka 55,50 euron tuntipalkkiolla.

6. Seuraavat kokoukset

- 15.12.2021 klo 10-16

7. Kokouksen päätös

Puheenjohtaja Sirkku Pikkujäämä

Erytysasiantuntija Reima Palonen

Asiantuntija Laura Sandström

LIITTEET

Liite 2a. Trastutsumabi-derukstekaani levinneen HER2-positiivisen rintasyövään hoidossa –suositus ([julkaistu palveluvalikoima.fi](http://julkaistu.palveluvalikoima.fi) -sivustolla)
Liite 2b. Otakantaa kommentti ([julkaistu palveluvalikoima.fi](http://julkaistu.palveluvalikoima.fi) –sivustolla)
Liite 2c. Myyntiluvan haltijan vastine
Liite 3. Palkon lausunto Genomikeskuslakiesityksestä
Liite 4a. Palkon kirje STM:lle farmakogeneettisistä testauksista
Liite 4b. Prof. Mikko Niemen esiselvitys
Liite 5. Muistio: Susanne Uusitalon valitseminen Palkon asiantuntijaksi

JAKELU

Neuvoston varsinaiset jäsenet

TIEDOKSI

Neuvoston varajäsenet
Sihteeristö

Sähköpostiviesti
pe 26.11.2021 15.29

Kommentti Palkon nusinerseenia koskevaan suositusluonnokseen

Hei,

alla Biogenin kommentti nusinerseenin suositusluonnokseen liittyen. Ohessa myös päivitetty julkaisu, johon kommentissamme viitataan.

I remissversionen rekommenderas det att asymtomatiska barn ska kunna initiera behandling med nusiner-
sen. De kriterier som ska uppfyllas är att de har syskon med SMA typ 1 och 2, saknar SMN1-genen och har
maximalt 3 kopior av SMN2-genen.

Vi vill uppmärksamma er på att den samlade evidens som vuxit fram vad gäller vikten av tidigt insatt be-
handling har lett till att den expertgrupp av läkare och forskare som 2018 publicerade behandlingsalgorit-
men för SMA vid nyföddhetscreening (1), år 2020 uppdaterade den för att även inkludera SMA-patienter
med 4 kopior. Ur artikeln kommer följande citat *“The working group has updated our position to a recom-
mendation for immediate treatment for infants diagnosed with SMA via NBS with four copies of SMN2”* (2).

1. Glascock J, Sampson J, Haidet-Phillips A, Connolly A, Darras B, Day J, et al. Treatment Algorithm for Infants Diagnosed with Spinal Muscular Atrophy through Newborn Screening. J Neuromuscul Dis. 2018;5(2):145-58.
2. Glascock J, Sampson J, Connolly AM, Darras BT, Day JW, Finkel R, et al. Revised Recommendations for the Treatment of Infants Diagnosed with Spinal Muscular Atrophy Via Newborn Screening Who Have 4 Copies of SMN2. J Neuromuscul Dis. 2020;7(2):97-100.

Ystävällisin terveisin,

Mika Punkari

Head Market Access & Governmental Affairs

M.Sc.(Econ.), M.Sc.(Admin.)

Biogen | Bertel Jungin aukio 5 C, 02600 Espoo | Finland

Email: mika.punkari@biogen.com | Mobile: +358 40 5226788



Kommentoi suositusluonnosta: Nusinerseeni SMA-taudin hoidossa – päivitetty suositus

Kysymys

Vastaajan nimi *

poistettu

Vastaukset

Suomen lastenneurologiyhdistyksen Kansallinen lasten lihastautiyhteistyöverkosto

Miten ne lapset ja nuoret, joita ei aiemman suosituksen mukaan ole katsottu oikeutetuksi saamaan Nusinerseeni lääkityksen piiriin, mutta jotka ovat nyt menettäneet liikuntakykynsä parin vuoden sisällä? Jos uusi suositus koskee niitä joilla Kävelykyky on uhattuna, jääkö lapsi joka on menettänyt jo kykynsä liikkua ilman pyörätuolia edelleen hoitamatta? Tämän suosituksen sanamuoto vääjäämättä johtaa siihen. Miten nämä väliinputoaja lapset huomioidaan?

Invalidiliitto ry

SMA Finland ry

Kysymys

Onko kysymyksessä organisaation virallinen kannanotto?

Vastaukset

Kyllä 3/8

Ei 5/8

Kysymys

Vastaajan tausta *

Vastaukset

Potilas tai asiakas taikka heidän omaisensa 3/8

Potilaita tai asiakkaita edustava järjestö 2/8

Terveyspalvelujen tuottaja 0/8

Lääkevalmistaja, maahantuoja tai markkinoija 0/8

Sosiaali- ja terveysalan hallinto 0/8

Sosiaali- ja terveysalan työntekijä 1/8

Terveydenhuoltoalan edunvalvontajärjestö 1/8

Terveydenhuoltoalan tieteellinen järjestö 0/8

Viranomainen 0/8

Poliittinen päättäjä 0/8

Muu 1/8

Kysymys

Kommentoi kappaletta 1. Suosituksen kohde, rajaukset ja tietopohja (sivu 1)

Vastaukset

SMA3 potilaan rajaaminen hoidon ulkopuolelle on sydäntä särkevää. 14-vuotias veljenpoikani pystyi vielä v.2020 alkuvuonna varaamaan painoa jaloilleen, mut nyt hoitoa odottaessa kävelykyky on mennetty. Miten voi olla mahdollista Suomen kaltaisessa yhteiskunnassa, ettei olemassa olevaa lääkettä anneta kaikille, jotka sitä tarvitsevat ja joille siitä olisi hyötyä. Veljenpoikani on tällä suositusluonnoksella joutumassa väliinpuotoajaksi ja täten hoidon ulottumattomiin, AIVAN KÄSITTÄMÄTÖNTÄ

-

Miten ne lapset ja nuoret, joita ei aiemman suosituksen mukaan ole katsottu oikeutetuksi saamaan Nusinerseeni lääkityksen piiriin, mutta jotka ovat nyt menettäneet liikuntakykynsä parin vuoden sisällä? Jos uusi suositus koskee niitä joilla Kävelykyky on uhattuna, jääkö lapsi joka on menettänyt jo kykynsä liikkua ilman pyörätuolia edelleen hoitamatta? Tämän suosituksen sanamuoto vääjäämättä johtaa siihen. Miten nämä väliinpuotoaja lapset huomioidaan?

Invalidiliitto katsoo PALKO:n suositusta SMA -taudin lääkehoidon toteuttamiseksi kokonaisuutena oikeudellisesta näkökulmasta. Tämä suositusluonnos nusinerseeni -lääkehoidosta SMA -tautia sairastaville on jo toinen päivitetty versio. Lisäksi SMA -tautiin on tietyn hyvin rajoitetuin edellytyksin mahdollista saada kahta muuta harvinaisläkettä Suomessa. Invalidiliiton mielestä tässä uusimmassa PALKO:n suosituksessa yhdenvertaisuuteen tulee kiinnittää huomiota nusinerseeni -lääkehoidon saatavuudessa kaikkien, niin lasten kuin aikuisten SMA -tautia sairastavien kohdalla.

Ei kommentoitavaa.

Onko laaja-alaisesti kuultu myös SMA sairastavien kommentteja nusinerseenihoidon vaikuttavuudesta heidän jokapäiväiseen elämään. Pienikin muutos voinnissa parempaan on SMA sairastavalle henkilölle merkittävä henkilökohtainen etu fyysisesti sekä psyykkisesti vaikka lihasvoimien mittauksissa testitulokset saattavat jäädä "vähäisiksi" ja terveiden ihmisten/ tutkijoiden silmillä mitattuna koetaan turhiksi. Pienikin voimien lisääntyminen

vaikuttaa kokonaisvaltaisesti SMA sairastavan jaksamiseen, elämänlaatuun, omatoimiseen elämään ja mielenterveyteen. Sairaus on etenevä ja jokaiselle lapsipotilaalle on nusinerseenistä ollut apua. Myös muissa maissa potilasjärjestöjen kautta on saatu merkittävää tietoa lääkkeen hyödystä myös SMA3 lapsille ja aikuisille, jotka pitää saada hoidon piiriin Suomessa.

Kysymys

Kommentoi kappaletta 2. Terveysongelma (sivu 1)

Vastaukset

-

“SMA johtuu molemmilta vanhemmilta perittyjen SMN1-geenien puutoksesta ja mutaatiosta SMN2 geeneissä kromosomissa 5q. SMA-taudissa on useita alaryhmiä, jotka määritellään SMA2-geenin kopioiden lukumäärän, kliinisen kuvan ja sairastumisiän perusteella.”

SMA Finland ry:n kommentti:

Käsittääksemme SMA-sairaus ei johdu mutaatioista SMN2-geeneissä. SMA2-nimistä geeniä ei ole olemassa. SMA-taudin alaryhmiä ei määritellä minkään geenin kopioiden lukumäärän mukaan, vaan yksinomaan kliinisen kuvan perusteella.

[https://www.nmd-journal.com/article/S0960-8966\(15\)00134-0/fulltext#relatedArticles](https://www.nmd-journal.com/article/S0960-8966(15)00134-0/fulltext#relatedArticles)

Useammalla tyyppin 3 SMA lapsen kävelykyky on selkeästi heikentynyt tai kävelykyky on jo menetetty lapsuus/teini-iällä. Lapsella on motorisia haasteita vaikka kävelisi. Usein he eivät osaa juosta, kiivetä portaita vuoroaskelin, seisoa yhdellä jalalla, hyppiä tasajalkaa.

Määritelmä "kävelykyvyn voi menettää jossain elämänvaiheessa" on aivan liian suppeasti muotoiltu ja vähättelee oireita sekä liikunnallisia haasteita, mitä jokaisella SMA3 lapsella on vaikka hän pystyisi kävelemään. Kävelymatkat ovat kuitenkin selkeästi lyhyemmät kuin terveillä ihmisillä.

Sma3 lapsien lukumäärä ilmeisesti Suomessa on tuo 12? Tarkoittaako SMA3 yhteensä 12 lasta + 38 yli 18-vuotiasta eli kaikkiaan 50 SMA3 potilasta koko Suomessa???? Onko selvitetty kuinka moni kävelee ja kuinka monen kävelykyky on uhattuna ja kuinka monen kävelykyky on esim. viimeisen 3 vuoden aikana menetetty, kun SMA3 potilas ei ole saanut oikea-aikaisesti häntä auttavaa nusinerseenihoitoa Suomessa!

Kysymys

Kommentoi kappaletta 3. Arvioitava menetelmä (sivu 2)

Vastaukset

-

Nusinerseeni on hyväksytty käyttöön noin 26 Euroopan maassa SMA1:n ja SMA2:n hoidossa, ja noin 23 maassa SMA3:n hoidossa. Suomi, Tanska ja Kreikka ovat Euroopan ainoat maat, joissa hoidetaan SMA2-potilaita, mutta SMA3-potilaiden hoito on katsottu aiheettomaksi.

Yhdessäkin Euroopan maassa ei käytetä kävelykykyä SMA3-potilaiden nusinerseenihoidon kriteerinä.

<https://www.smafinland.fi/nusinerseeni/>

<https://www.sma-europe.eu/news/community-update-on-access-to-spinraza-in-europe/>

Keväällä 2021 NICE suositteli nusinerseenin käytön laajentamista osana Managed Access Agreement (MAA) -ohjelmaa myös niille SMA3-potilaille, jotka eivät pysty kävelemään (NICE 2021). Liian tiukat hoidon rajauskriteerit nusinerseenihoidon saamiseksi Suomessa on korjattava oikea-aikaiseksi ja jokaisella SMA3 lapsella (12 lasta) ja aikuisellakin on oltava Suomessa oikeus hoitoon, joka on maailmanlaajuisesti auttanut SMA3 potilaita ja jotkut heistä ovat saaneet menetetyn kävelykyvynkin takaisin. SMA3 potilaiden avustajakustannusten väheneminen toisi selkeitä säästöjä apuvälineissä ja hoitohenkilökunnan menoissa koko yhteiskunnassa, kun SMA3 fyysisiä voimia saadaan lääkityksellä lisättyä, sairauden eteneminen olisi estetty ja he pystyisivät lääkityksen voimin aktiiviseen omatoimiseen elämään kävelevänä tai pyörätuoli-ihmisenä.

Kysymys

Kommentoi kappaletta 4. Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan (sivu 2)

Vastaukset

Mielestämme hoidon saatavuutta ei tule rajata alle 2 vuoden iässä diagnosoituihin, koska perheiden hakeutuminen hoitoon vaihtelee ja harvinaissairaudessa diagnoosiin pääsy voi viivästyä myös terveydenhuollossa.

-

Ei kommentoitavaa.

15.3.2018 Palko hyväsyi hoidon SMA1-2 lapsipotilaille hyvin tiukoilla kriteereillä ja 20.9.2019 oli samalla potilasryhmällä mahdollisuus jatkaa hoitoa 12 kk samoilla kriteereillä, jos hoidosta oli ollut potilaalle hyötyä. Kaikilla lapsilla oli todettu hoitovastetta joka on vaihdellut yleisen jaksavuuden paranemisesta uusien motoristen taitojen oppimiseen.

Samaan aikaan Suomessa tämän 3,5 vuoden aikana on suosituksen ulkopuolelle jääneiden SMA3 lasten (12) lihasvoimat heikentyneet, muutaman kävelykyky selkeästi vaikeutunut ja ainakin yhden lapsen kävelykyky on kokonaan menetetty ja hän käyttää liikkumisessa sähköavusteista pyörätuolia. Lapselle on nopeasti myös muodostunut vaikea skolioosi lihassairauden etenemisen ja pituuskasvun myötä ja skolioosi jouduttu suoristamaan v.2021 isolla selkäleikkauksella. Tämä kävelykyvyn menettänyt SMA3 lapsi käveli tuolloin

v.2018-2019 ja nyt v. 2021 hän tarvitsee avustajaa kaikissa siirtymisissä ja henkilökohtaisissa perustoimissa eikä pysty omatoimiseen elämään. SMA3 lapsen sairauden eteneminen olisi ollut vältettävissä tai ainakin hidastettavissa ja melko varmasti hän kävelisi edelleen, jos nusinerseenihoitoa olisi Suomessa annettu heti myös SMA 3 lapsille tai hoito olisi laajennettu heidän piiriin v.2019.

Tämä nusinerseenihoidon ulkopuolella oleva SMA3 lapsen nykyinen sairauden taso on samankaltainen kuin hyväkuntoisella SMA2 lapsella, mutta diagnoosi SMA3 ja muut hoitokriteerit poissulkevat hänet hoidon.

"Asiantuntijalääkärit kertoivat, että taudin tunnistamiseen liittyvien haasteiden ja diagnostisten viiveiden vuoksi Palkon suosituksen asettama yläikäraja lääkärin toteamille oireille ja diagnoosin varmistumiselle on tällä hetkellä liian tiukka SMA2-taudin kohdalla". Tämä pitää paikkansa, sillä 1-2 vuotiaan peruskehitys on hyvin vaihteleva ja yksilöllinen. Hyväkuntoisen SMA2 lapsen ja mahdollisesti nopeasti etenevän SMA3 lapsen kehitys lapsuusiässä voi olla hyvin samankaltainen ja motorista kehitysviivästymää voi lapsella olla muutenkin, vaikkei hänellä ole SMA. Hyväkuntoinen SMA2 lapsi saattaa seisoa ja ottaa muutaman askeleenkin, joten aika siihen että lapsen kehityksestä joku alkaa huolestumaan, ja että yhteiskunnan terveydenhuoltoketju neuvolasta erikoissairaanhoidon tutkimuksiin ja mahdollisen SMA diagnoosin saamiseen 2 ikävuoteen mennessä on absurdi monen SMA2 lapsen kohdalla. SMA3 lapsien oireet voi alkaa tuossa 2 vuoden iässä, mutta jos lapsi on vaikka kotihoidossa ja on perheen ainoa lapsi, voi merkit sairaudesta mm. kompurointi, kaatuilu, vähäinen juokseminen tai hyppiminen jäädä helposti huomioimatta, kun ei ole vertailukohdetta muihin samanikäisiin lapsiin. SMA-sairaus on yksilöllisesti etenevä eikä tällaisia tiukkoja diagnoosi-ikä kriteereitä voi hoidon saamisen edellytykseksi asettaa.

Nusinerseenihoidon kalleutta on kritisoitu. Markinoilla on saatavilla tai mahdollisesti tulossa myös muita lääkitysvaihtoehtoja, mutta tällä hetkellä nusinerseenihoito on ainoa ja hoitoa pitää laajentaa saatavaksi kaikille esim. alle 20 vuotiaille SMA1-3 potilaille ja tällä panostamisella vakautetaan heidän vointi ja sairauden eteneminen saadaan pysähtymään. Lääkehoidolla heidän lihasvoimien ja jaksamisen lisääntyminen edesauttaa omatoimisuuden kasvua, elämänlaatu paranee ja SMA-ihmisten oikeus yhdenvertaiseen elämään mahdollistuu. Nusinerseenihoidon avulla nämä keskimääräisesti älykkäämmät SMA-ihmiset pystyvät käymään koulua, opiskelemaan ja tekemään töitä täysimääräisenä yhteiskunnan jäsenenä vaikeasta, harvinaisesta, etenevästä lihassairaudesta huolimatta.

Kysymys

Kommentoi kappaletta 5. Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi (sivu 4)

Vastaukset

-

Fimean vastauksessa tietopyyntöön on koottu useita nusinerseenihoidon seurantatutkimuksia. Fimea toteaa lähes kaikista tutkimuksista, että niistä puuttuu vertailuryhmä ja että tutkimuspopulaatio on pieni.

Koska lääke on jo saanut myyntiluvan, ei vertailuryhmällisiä tutkimuksia eettisistä syistä todennäköisesti enää milloinkaan tehdä. Suosituksen perustaksi on täten hyväksyttävä myös vertailuryhmättömien tutkimusten tieto. Muussa tapauksessa on suuri vaara, että potilasta hyödyttävä lääketieteellisesti perusteltu hoito voi jäädä ikiajoiksi käyttämättä.

Pieni tutkimuspopulaatio taas on etenkin harvinaislääkkeillä tavallista, eikä suuremman tutkimuksen tekemiseen ole millään taholla erityistä intressiä eikä sellaistaakaan voi näin odottaa.

Pieniä tutkimuksia on kuitenkin tehty monta ja niiden yhteenlaskettu potilaspopulaatio on merkittävä. Lisäksi kaikkien tutkimusten tulokset vaikuttavat olevan hyvin sopusoinnussa keskenään. Kun moni toisistaan riippumaton tutkimus raportoi samanlaisia tuloksia, on tulosten luotettavuus jopa parempi kuin yksittäisen suuren tutkimuksen. Jälkimmäisessä tapauksessa virhe tutkimusasetelmassa voi johtaa todennäköisemmin vääristyneeseen tulokseen.

Yhteenvedo kaikkien FIMEA:n kartoittamien tutkimusten havainnoista:

- SMA3-lapset ja -nuoret: merkittävää ja jatkuvaa liikuntakyvyn paranemista mitaten kävelykykyä ja kokonaisvaltaista liikuntakykyä. Kahdessa kolmesta tutkimuksesta havaittiin myös, että jo menetetty kävelykyky voidaan läkehoidolla saada takaisin.
- SMA3-aikuiset: merkittävää liikuntakyvyn paranemista mitaten kävelykykyä ja kokonaisvaltaista liikuntakykyä.
- SMA2-aikuiset: merkittävää tai lievää liikuntakyvyn paranemista. Selkein vaikutus nähdään ylävartalon liikuntakyvyssä, mikä tässä ryhmässä on elämänlaadun kannalta tärkeintä.
- Vielä oireettomat SMA-vauvat: äärettömän hyvä hoitovaste. Lapset kehittyvät parhaimmillaan oireettomina tai lähes oireettomina.
- Ei merkittäviä haittavaikutuksia missään ryhmässä.
- Yhdessäkään tutkimuksessa ei millään potilasryhmällä nähty toimintakyvyn huononemista.

Tutkimustuloksia tarkastellessa täytyy pitää mielessä että SMA on kaikissa tyypeissä ja kaikenikäisillä potilailla hoitamattomana etenevä sairaus, joten toimintakyvyn vakiona pysyminen ja erityisesti paraneminen on kiistaton merkki merkityksellisestä hoitovasteesta. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4762230/>

Voidaankin todeta, että lääkkeen havaitut hoitovasteet ovat olleet niin hyvät kuin ikinä olisi voinut odottaa. Verrattuna jonkin muun etenevän sairauden, esim. MS-taudin lääketoimenpiteiden

hoitovasteisiin, ovat nusinerseenillä havaitut hoitovasteet selkeästi paremmat. Silti MS-tautia näillä lääkkeillä hoidetaan.

Kommentteja SMA3-lasten ja -nuorten tutkimuksiin:

Darras et al.:

- Potilaat olivat tutkimuksen alussa 2-15-vuotiaita (keski-ikä 9 vuotta) ja tutkimuksen lopussa 5-18-vuotiaita.
- ”Puolet (2/4) kävelykyvyn menettäneistä potilaista saavutti sen uudestaan tutkimuksen aikana.” Tämä lyhyt lause ei mielestämme kuvaa riittävän selkeästi sen taustalla olevaa erittäin tärkeää havaintoa. Tutkimuksessa oli mukana 4 SMA3-potilasta, jotka olivat aiemmin kävelleet, mutta menettäneet kävelykykynsä jossain vaiheessa elämäänsä ennen tutkimuksen alkua. Heistä kaksi alkoi kuitenkin uudelleen kävellä itsenäisesti tutkimuksen (=hoidon) aikana. Tuntuu uskomattomalta, että Palko silti katsoo ettei kävelykyvyn jo menettäneillä lapsilla hoitoa kannattaisi edes yrittää.
- 6 minuutin kävelymatkaa on mitattu 10:ssä mittapisteessä joissa oli vähintään 11/13 potilasta mukana 950 päivän aikana. Tulokset näyttävät lähes täydellisesti erittäin selvän paranevan trendin. Vaikka tutkimuksessa ei olekaan mukana lumeryhmää ja vaikka tutkittavien potilaiden joukko on pieni, antaa tällainen tulos erittäin vahvan näytön todella hyvästä hoitovasteesta. Tulosten järjestyminen noin kauniiksi trendiksi on erittäin epätodennäköistä muista syistä, ja pidämmekin tätä näyttöä yhtä voimakkaana kuin myyntilupaan johtaneiden lumekontrolloitujen tutkimusten näyttö.
- 6 minuutin kävelymatkan paranemisessa ei nähty tasaantumista tutkimuksen aikana, mikä viittaa erinomaiseen ja pitkäaikaiseen hoitovasteeseen.
- Palko toteaa 6 minuutin kävelytestistä, että tutkimustuloksen kliinisen merkityksen arviota vaikeuttaa se, että kävelymatkaa ennen hoidon aloitusta ei ilmoitettu. SMA3-potilaiden keskimääräinen kävelymatka tutkimuksen alussa on kuitenkin tutkimusartikkelissa ilmoitettu: 253 metriä. Tämä tieto löytyy kohdasta "Table: Baseline demographics and characteristics".
- HFMSE-tulokset nousivat vain lievästi SMA3-potilaille. SMA3-potilaat olivat lähellä HFMSE-skaalan maksimia 66, potilaiden keskiarvon ollessa 49. Tutkimuksessa pohditaan, että ko. mittari ei toimi kovin hyvin "vahvoilla" SMA3-potilaille, koska mittarin vaikeimmat tehtävät ovat niin vaikeita, ettei niin suuria muutoksia toimintakykyyn voi odottaa. Tutkimuksessa todetaan edelleen, että 6 minuutin kävelytesti on tälle potilasryhmälle paremmin toimintakykyä kuvaava mittari. Toisaalta tutkimuksessa todetaan, että etenevällä taudilla 3 vuoden seuranta-ajassa HFMSE-tulosten lievä paraneminen tai stabilaatiokin on selvä viittaus toimintakyvyn paranemisesta taudin luonnolliseen kulkuun nähden.
- HFMSE-mittarin soveltumattomuuteen "vahvoille" SMA3-potilaille viittaa myös European Neuro Muscular Centren työpajaraportti, jossa HFMSE-mittarin todetaan soveltuvan vain SMA2-potilaille ja "heikommille" SMA3-potilaille: [https://www.nmd-journal.com/article/S0960-8966\(15\)00134-0/fulltext#relatedArticles](https://www.nmd-journal.com/article/S0960-8966(15)00134-0/fulltext#relatedArticles)

Osredkar et al.:

”Puolet (6/13) SMA3-potilaista oli käveleviä, eikä heistä yksikään menettänyt kävelykykyä seurannan aikana.”

Palko jättää tässä mainitsematta sen, että näiden 6 kävelevän SMA3-potilaan lisäksi yksi SMA3-potilas, joka oli menettänyt kävelykykynsä ennen tutkimuksen alkua, alkoi uudelleen kävellä tutkimuksen (hoidon) aikana. Ote tutkimusartikkelista: ”of the SMA III patients, one re-gained walking after treatment (3 copies of SMN2)”.

Szabó et al.:

Fimea kirjoittaa tästä: ”Tutkimus ei tuo merkittävää uutta tietoa nusinerseenihoidosta potilailla, jotka eivät täytä nykyisen suosituksen kriteereitä.” Tämä on outoa, koska tutkimuksessa oli mukana 23 SMA3-lastaa, jotka eivät Suomessa kuuluisi nykyisen hoitosuosituksen piiriin. Katsomme että tämä unkarilaistutkimus olisi ollut aiheellista tuoda suositusluonnoksessa esille. Tutkimusartikkeli: [https://www.ejpn-journal.com/article/S1090-3798\(20\)30099-4/fulltext](https://www.ejpn-journal.com/article/S1090-3798(20)30099-4/fulltext).

Tutkimuksessa on hyvin tarkkaan samanikäinen SMA3-potilasjoukko (3-18 vuotta) kuin Darrasin tutkimuksessa ja joka on toimintakyvyltään lähes täsmälleen samanlainen kuin Darrasin tutkimuksessa: 6 minuutin kävelytesti 253 vs. 256 metriä, HFMSE-mittari 49 pistettä molemmissa tutkimuksissa.

Tutkimuksessa oli seurannan loppuun asti mukana 15 SMA3-lastaa, joiden keski-ikä oli 11 vuotta. Heitä seurattiin nusinerseenihoidossa 10 kuukauden ajan. Potilailla havaittiin selkeää liikuntakyvyn paranemista sekä 6 minuutin kävelytestissä että HFMSE-mittarilla. Kävelytestin keskimääräinen tulos oli 256 metriä ennen hoitoa ja se parani keskimäärin 34 metriä seurannan aikana, mikä on hyvin verrannollinen Darras et al. -tutkimuksen havaintoihin. Szabón tutkimuksessa HFMSE-mittarilla nähtiin SMA3-potilailla merkittävämpi positiivinen muutos kuin Darrasin tutkimuksessa: 5 pistettä.

On todettu, että Nusinerseenihoidosta on ollut SMA potilaille selkeää hyötyä ja SMA3 kohdalla hyödyt ovat olleet maailmanlaajuisesti hyvinkin merkittäviä ja voimnin kohentuminen on ollut nähtävissä mm. menetetty kävelykyky on palautunut joidenkin SMA3 kohdalla kokonaan. Maailmanlaajuisesti SMA-järjestöt ja yksityiset henkilöt ovat aktiivisesti jakaneet somessa videoita lääkkeen vaikutuksesta fyysiseen vointiin. Onko nämä faktat otettu huomioon?

Nusinerseenillä ei ole todettu juurikaan haittavaikutuksia, haitat lähinnä kohdistuvat lääkkeen antotapaan.

SMA3 kohdalla lääkehoidolla on hyvinkin merkittävää hyötyä myös yhteiskunnallisesti, sillä hoito mahdollistaa potilaalle omatoimisemman elämän ja mitä varhaisemmassa

vaiheessa hoito aloitetaan, niin tällöin sairauden etenemisestä aiheutuneet kulut mm. apuvälineet, kuntoutukset, Kelan tuet, sairaalahoidot, avustajapalkkiot, perheen tukitoimet yms. jäävät muodostumatta. Koulussa ja työpaikoilla ei tarvita erikoismitoitettuja apuvälineitä, erityisjärjestelyitä ja avustajaresursseja. SMA3 hoidon vaikuttavuutta on myös helpompi arvioida, sillä potilaiden taidot ovat ennen sairauden etenemistä olleet hyvin lähellä "ei sairaiden tasoa" ja heidän keho ehkä muistaa miten seistä, miten kävellä, miten nostaa käsi ylös jne. jos hoito aloitetaan oikea-aikaisesti ja potilas pystyy kuntouttamaan itseään. Saadessaan nusinerseenihoitoa SMA3-ihmisen mielenterveys ei joudu koetukselle eivätkä he joudu kohtaamaan sitä kärsimystä, mitä kävelykyvyn menettäminen aiheuttaa psyykkeelle ihmisen joutuessa pyörätuoliin. Jos SMA3 potilaat eivät saa nusinerseenihoitoa, heidän sairaus etenee yksilöllisesti, kävelykyky menetetään, käsivoimat hiipuvat ja he joutuu luopumaan omatoimisesta elämästä ja joutuvat vuosien saatossa turvautumaan avustajan apuun kaikissa päivittäisissä toimissaan.

Kysymys

Kommentoi kappaletta 6. Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset (sivu 6)

Vastaukset

-

YK:n vammaisoikeussopimuksen 4 artiklan (Yleiset velvoitteet) 2. alakohdan mukaan mm. taloudellisten oikeuksien osalta kukin sopimuspuoli sitoutuu täysimääräisesti käytettävissä olevien voimavarojensa puitteissa ryhtymään toimiin, joiden tarkoituksena on saada nämä oikeudet asteittain täysimääräisesti toteutetuiksi. Invalidiliiton mielestä osin PALKO:n suositukset lääkehoidosta SMA -tautia sairastaville ovat olleet oikeansuuntaisia, kun saantikriteereitä on jonkin verran lievennetty alkuperäisestä suositusluonnoksesta ja SMA -tautia sairastavien oikeudet asteittain ovat toteutumassa. YK:n vammaisoikeussopimuksen toimeenpano on sidoksissa kunkin sopimusvaltion taloudellisiin resursseihin.

Harvinaissairauksien lääkkeiden kehitysrahoitus pitää kattaa pienellä määrällä asiakkaita. Täten niiden terveyshyöty-kustannus-suhde tulee aina olemaan paljon huonompi kuin yleisten sairauksien lääkkeillä. Terveishyöty-kustannus-suhteen vertailu yleisten sairauksien lääkehoitoihin asettaisi harvinaissairauspotilaat epäyhdenvertaiseen asemaan. Tätä varten katsomme, että kustannushyödyn laskeminen ja käyttäminen hoitosuosituksen laadintaan ei ole mielekäästä. Sen sijaan menetelmä on hyvin perusteltu saman sairauden kahden eri hoidon väliseen vertailuun, mikäli hoitojen vaikuttavuus on samaa suuruusluokkaa.

Nusinerseenilääkkeen hinta on hyvin korkea, mutta toki lääke on uusi ja aivan uudenlaista lääketiedettä. Lääkkeelle ei myöskään ole vielä kilpailijaa, mikä pitää hinnan myös korkeana. Nusinerseenihoidolla kuitenkin SMA-potilaalle saavutetaan parempi vointi,

jaksaminen, lihaskunto, omatoimisuuden mahdollistaminen sekä ylläpitäminen ja nämä arvot ovat erittäin arvokkaita asioita yksilölle. SMA-ihmiset ovat älykkäitä ja pystyvät tekemään yhteiskunnassa töitä, joten heidän elämä ja hyvinvointi ovat myös kiinni lääkehoidosta, joka parantaa elämänlaatua merkittävästi. SMA-ihminen ei ole vammainen vaikka hän olisikin pyörätuolissa. Lääkkeen aiheuttamat kustannukset tulevat yhteiskuntaan takaisin muita reittejä, kun lasketaan kaikki muu, mikä aiheuttaa kuluja kun SMA-potilaan vointi heikkenee ja hän joutuisi ilman lääkettä turvautumaan yhteiskunnan tukiin ja pahimmassa tapauksessa jäämään eläkkeelle jo nuorena, sillä hän ei ole saanut hoitoa sairauteen, mihin on lääkehoito kehitetty. Yhteiskunnassa ei jätetä syöpääkään eikä muitakaan sairauksia hoitamatta korkeiden kustannusten vuoksi. SMA-potilas ei ole voinut vaikuttaa siihen, että hän on saanut erittäin harvinaisen sairauden itselleen. Sma3 ei ole tappava tauti, mutta kieltämällä potilaalta hänen tarvitsema elintärkeä lääkehoito, on eettisesti sama kuin jättää potilas kokonaan ilman hoitoa. Hoidotta jätetty SMA-ihminen määrätään kehonsa vangiksi loppuelämäksi. On ihmisarvoa loukkaavaa jättää SMA-potilas hoitamatta korkean hintalapun vuoksi.

Kysymys

Kommentoi kappaletta 7. Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat (sivu 7)

Vastaukset

-

Miten ne lapset ja nuoret, joita ei aiemman suosituksen mukaan ole katsottu oikeutetuksi saamaan Nusinerseeni lääkityksen piiriin, mutta jotka ovat nyt menettäneet liikuntakykynsä parin vuoden sisällä? Jos uusi suositus koskee niitä joilla Kävelykyky on uhattuna, jääkö lapsi joka on menettänyt jo kykynsä liikkua ilman pyörätuolia edelleen hoitamatta? Tämän suosituksen sanamuoto vääjäämättä johtaa siihen. Miten nämä väliinputoaja lapset huomioidaan? Onko tämä eettisesti oikein? Jokaisen lapsen ja nuoren elämä on arvokas.

Invalidiliitto katsoo, että erityisesti YK:n vammaisoikeussopimuksesta käy ilmi kaksi sisältöartikkelia, jotka koskevat hyvin SMA -tautia sairastavien asemaa eettisestä näkökulmasta. Ensinnäkin yleissopimuksen 10 artiklan (Oikeus elämään) nojalla sopimuspuolet vahvistavat, että jokaisella ihmisellä on synnynnäinen oikeus elämään, ja toteuttavat kaikki tarvittavat toimet varmistukseksi, että vammaiset henkilöt voivat nauttia tästä oikeudesta tehokkaasti ja yhdenvertaisesti muiden kanssa. Artikla 10 kannustaa nusinerseeni -lääkehoidon mahdollistamisen siten, että voidaan vaikuttaa vaikeasti vammaisten ihmisten elinajanodotteeseen sitä pidentävästi. Toiseksi yleissopimuksen artiklan 25 (Terveys) alakohdan b) mukaan ”sopimuspuolet järjestävät ne terveydenhuoltopalvelut, joita vammaiset henkilöt tarvitsevat erityisesti vammaisuutensa vuoksi, mukaan lukien varhainen tunnistaminen ja puuttuminen tarvittaessa, sekä palvelut, joilla pyritään minimoimaan ja estämään uusia vammoja, myös lasten ja vanhusten keskuudessa.” Nusinerseeni -lääkehoidolla voidaan vaikuttaa SMA -tautia sairastavien lasten ja aikuisten toimintakykyyn ja hidastaa taudin etenemistä YK:n vammaissopimusmääräys huomioon ottaen.

Tekstissä todetaan, että taudin kulun etenemisen pysäyttäminen on erityisen arvokasta, koska kyseessä on etenevä sairaus, joka johtaa itsenäisen toimintakyvyn menetykseen. SMA on kaikissa tyypeissä ja kaikenikäisillä potilailla hoitamattomana etenevä ja itsenäistä toimintakykyä laskeva sairaus (<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4762230/>) Mielestämme riittävänä hoitovasteena ja hoidon jatkamisen kriteerinä tulisi olla juuri tämän takia nimenomaan taudin etenemisen pysäyttäminen.

Mihin tutkimustietoon seuraava viittaa? "SMA1- ja SMA2-potilaiden hoito on muuttunut kokonaisvaltaisesti aktiivisemmaksi ja esimerkiksi ravitsemuksen tehostamisen sekä hengityksen tukihoidon varhaisemmalla aloittamisella on todennäköisesti myös merkitystä vireystilan paranemiseen."

"Mikäli haluttaisiin parantaa mahdollisuuksia SMA3-potilaan kävelykyvyn säilyttämiseen niillä, joilla sen menettämisen uhka on todellinen, tulisi olla selkeät objektiiviset arviointimenetelmät, miten tämä potilasryhmä voidaan ennalta tunnistaa."

SMA Finland ry:n kommentti:

Taudin luonnollinen kulku johtaa siihen, että SMA3-potilas menettää kävelykykynsä jossain vaiheessa elämäänsä (yleensä suhteellisen aikaisessa vaiheessa). Tämä on jokaiselle potilaalle ja heidän läheisilleen henkilökohtainen tragedia. Kävelykyvyn menetys vaikuttaa myös muun muassa työkykyyn sekä muuhun, niin fyysiseen kuin henkiseenkin hyvinvointiin. Myöskään vaikutusta läheisten terveyteen ja elämänlaatuun ei voi jättää huomioimatta.

Koska taudinkulku on vaikeasti ennustettava (etenemisen nopeus, menetettävät motoriset kyvyt), ei ole perusteltua pitää kävelykyvyn menettämisen uhkaa kriteerinä hoidolle. Edellä Palkon suositusluonnoksessa todetaan, että potilasryhmä, jota uhkaa kävelykyvyn menetys, on vaikeasti tunnistettavissa objektiivisten arviointimenetelmien puuttuessa. Toisekseen, muidenkin motoristen kykyjen kuin kävelykyvyn menettäminen vaikuttaa suuresti yksilön elämään ja toimintakykyyn. SMA3-taudissa näitä kykyjä menetetään aivan samoin kuin taudin vaikeimmissa muodoissa. Vielä kävelykyvyn menettämisen jälkeenkin on ensiarvoisen tärkeää saada pysäytettyä sairauden kulun eteneminen lääkehoidon avulla. Toisaalta seurantatutkimuksissa on ollut mukana myös potilaita, jotka ovat nusinerseenihoidon aikana uudelleen saavuttaneet jo kerran menetetyn kävelykyvyn. Edellä mainittujen seikkojen takia on perusteltavissa, että hoidon tulisi koskea kaikkia SMA3-potilaita ilman keinotekoista rajausta kävelykyvyn menettämisen uhkasta. On myös mainitsemisen arvoista, että yksikään Euroopan maa ei käytä potilaan kävelykykyä nusinerseenihoidon kriteerinä.

Tekstissä tuodaan laajasti esille nusinerseeni-hoitojen kustannusvaikutuksia. On kuitenkin syytä ottaa huomioon, että SMA-potilaiden määrä on kokonaisuudessaan suhteellisen pieni

(Suomessa n. 125 potilasta). Vaikuttavan hoidon ollessa kyseessä, ei kustannusten tule olla määrittävässä roolissa. Tämän asian turvaa myös terveydenhuoltolaki, jonka mukaan vaikuttavaa vakavan sairauden hoitoa ei voi jättää kustannusten takia käyttämättä.

SMA Finland ry tukee vahvasti pyrkimystä saada kehitetyksi standardoituja potilaslähtöisiä mittareita.

Eettiseen tarkasteluun olisi kuuluttava myös se asia, että kaikki Suomen vailla hoitoa olevat SMA-potilaat elävät toimintakyvyn menetyksen ainaisessa pelossa ja tuskassa. Tieto taudin pysähtymisestä lisäisi elämäniloa ja auttaisi suunnittelemaan tulevaisuutta. Etenevää sairautta sairastavat tietävät, että taudin pysähtyminen muuttaisi elämässä ”kaiken”. Lisäksi voidaan todeta, että lääkkeen olemassaolo, mutta sen epääminen aiheuttaa voimakkaan negatiivisen vaikutuksen elämänlaatuun. Tämä on monella SMA-ihmisellä selvästi nähtävissä.”

Yleisesti voidaan todeta, että Suomi on ratifoinut YK:n lasten oikeuksien sopimuksen, jossa useassa kohdassa tuodaan esille vammaisten lasten oikeudet hoitoon ja täysipainoiseen elämään (Yleissopimus lasten oikeuksista, artikkelit 23 ja 24).

Artikla 24, 1. pykälä: ”Sopimusvaltiot tunnustavat, että lapsella on oikeus nauttia parhaasta mahdollisesta terveydentilasta sekä sairauksien hoitamiseen ja kuntoutukseen tarkoitetuista palveluista. Sopimusvaltiot pyrkivät varmistamaan, ettei yksikään lapsi joudu luopumaan oikeudestaan nauttia tällaisista terveystalv palveluista.”

Tämän sopimuksen valossa kaikki SMA:ta sairastavat lapset tulisi olla lääkehoidon piirissä, ilman keinotekoisia rajauksia liittyen esimerkiksi kävelykykyyn tai SMN2-kopiolukumäärään.

Tällä hetkellä on osoitettu, että hoitoa saaneet SMA1-2 lapset ovat hyötäneet nusinerseenihoidosta eikä heidän hoitoa tule lopettaa. Markkinoille on tulossa myös suun kautta päivittäin otettava lääke, mitä jatkossa voidaan mieltää vaihtoehtoiseksi lääkkeeksi jo pidempään nusinerseeniä saaneille potilaille. Myös jos geeniterapiasta on hyötyä jatkossa syntyville harvoille SMA-vauvoille, voi tämä alentaa nusinerseenistä aiheutuvia kustannuksia.

Tällä hetkellä on eettisesti väärin, että SMA3 lapsipotilaat eivät saa hoitoa.

3,5 vuoden aikana, milloin nusinerseeniä on Suomessa saanut pieni lapsiryhmä SMA1-2 lapsia utopistisen tiukoilla kriteereillä, on samaan aikaan hoidon ulkopuolelle jääneiden usean lapsen lihassairaus edennyt ja tieto siitä, että lapset olisivat selkeästi hyötäneet nusinerseenilääkkeestä saadusta avusta, saa miettimään yhteiskuntamme eriarvoisuutta. Hoidolla tämän pienen SMA3- lapsen joukon sairauden eteneminen olisi saatu pysäytettyä ja kävelykyky ei olisi heikentynyt tai kokonaan menetetty viime vuosien aikana. Lapsille ja heidän perheille on vallitsevasta tilanteesta aiheutunut paljon kärsimystä ja voinnin

heikkenemistä. Viime vuosien aikana myös koronapandemiarajoitukset, ovat heikentäneet SMA-ihmisten vointi, sillä rajoitusten vuoksi on allasterapiat ja fysioterapiakäynnit olleet tauolle.

2018 ja 2019 tehdyt suositukset ovat olleet ihmisarvoa eriarvoistavia ja epäinhimillisiä tietäen sairauden laadun ja yksilöllisen etenemisen. Jatkossa on hyvä, jos hoitokäytäntöjä yhtenäistetään kaikissa sote-alueiden hoitopaikoissa ja hoidon vaikuttavuudesta saadaan tasalaatuista hoitovaste-dataa. Luonnoksessa on mainittu pelko kustannusten ja hoitoresurssien kasvusta.

Hyvin suunnitelluilla hoitoprosesseilla ja hoitotoimenpiteiden LEANAamisella sekä vanhempien ottamisesta aktiivisesti hoitoon mukaan, varmasti hoitokustannuksia saadaan alas.

Kysymys

Kommentoi kappaletta 8. Johtopäätökset (sivu 9)

Vastaukset

-

” Spinaalinen lihasatrofia on geneettinen sairaus, jonka eri muodot poikkeavat toisistaan alkamisiältään ja vaikeusasteeltaan. Taudin luonnollisessa kulussa on huomattavia eroja myös eri alaryhmien sisällä.”

SMA Finland ry:n kommentti:

On tärkeää kuitenkin huomata, että vaikka taudin vakavuusastekirjo on suuri, on tauti perussyyltään täysin homogeeninen: jokaisen SMA-potilaan oireet aiheutuvat liian alhaisesta SMN-proteiinin tasosta. Lisäksi SMA:n oireiden vakavuusaste on todellisuudessa jatkumo ja SMA:n eri tyypit ovat vain keinoitekoisilla rajoilla toisistaan erotetut.

” Tutkimusnäyttöön liittyy huomattavia puutteita, erityisesti koska mukana ei ole yleensä vertailuryhmää.”

” Palkon näkemyksen mukaan myöhemmässä vaiheessa diagnosoitujen nuorten ja aikuisten SMA2- ja SMA3-potilaiden hoidon aloitusta nusinerseenillä ei voida suositella tutkimusnäyttöön liittyvien rajoitteiden takia.”

SMA Finland ry:n kommentti:

Tutkimusnäyttöön liittyviä rajoitteita on pidettävä taudin harvinaisuus huomioon ottaen normaalina. Lumekontrolloituja tutkimuksia ei tulla enää eettisistä syistä tekemään, eikä niiden tekemiseen millään taholla olisi intressiäkään. Seurantatutkimusten potilasmäärät ovat olleet pienehköjä, mikä on harvinaissairaudessa tavanomaista. Seurantatutkimuksia on

kuitenkin ollut lukuisia ja ne kattavat kaikki potilasryhmät. Niiden kaikkien tulokset ovat yhdenmukaiset: seurannan aikana potilaiden toimintakyky on parantunut. Yhdessäkään tutkimuksessa ei ole nähty toimintakyvyn huononemista, mikä olisi SMA-taudin luonnollisessa kulussa oletettavaa. Voidaan todeta, että nusinerseenin hoitovasteesta saatu tutkimustieto on niin hyvää kuin ikinä voisi odottaa, sekä tuloksiltaan, että tutkimusten laajuuksiltaan ja laaduiltaan. Tämän ovat ymmärtäneet myös lähes kaikki Euroopan maat, joissa on päädytty hoitamaan SMA-potilaita laajalla kirjolla.

Tutkimustuloksia tulee vain maista jotka hoitavat potilaita. Jos kaikki maat Palkon tavoin vaatisivat äärimmäisen luotettavaa tutkimusnäyttöä erikseen kaikista potilasryhmistä, ei hoidettavien potilaiden joukko laajenisi ikinä myyntilupaan johtaneiden kliinisten kokeiden potilasryhmistä. Tällöin jäisi suuri määrä mahdollista terveyshyötyä hyödyntämättä ikiajoiksi.

“ Kliinisessä käytännössä on hyväksytty myös jaksavuuden paraneminen, johon on voinut vaikuttaa myös muun hoidon tehostuminen.”

SMA Finland ry:n kommentti:

Hyvä että jaksavuuden paraneminen huomioidaan hoitovasteena, koska se on hyvin todellinen arkeen ja elämänlaatuun vaikuttava asia. Toteamus siitä, että jaksavuuteen on voinut vaikuttaa muun hoidon tehostuminen vaikuttaa spekulatiiviselta. Nojaako toteamus tutkimustietoon? Onko tiedossa edes se, onko nusinerseenihoito vaikuttanut muuhun hoitoon?

”Myös Kanadassa tehdyssä arvioinnissa todettiin nuoria ja aikuisia SMA-potilaita koskevien tutkimusten rajoitukset (CADTH 2020).”

SMA Finland ry:n kommentti:

Kanadan valitseminen Palkon johtopäätöksen tueksi vaikuttaa tässä tarkoitushakuiselta. Lähes koko Eurooppa hoitaa SMA3-lapset ja suurin osa Eurooppaa hoitaa kaikki SMA-aikuiset. Näissä maissa ei epätäydellistä tutkimustietoa ole pidetty hoidon esteenä. Arvioinnin referenssinä olisi voinut käyttää myös Euroopan maita.

”Näin kalliin ja hoitoresursseja merkittävästi tarvitsevan hoidon kohdentamisessa tärkeintä on varmistaa, että hoito kohdistetaan tarkasti siihen potilasryhmään, jonka kohdalla on tutkimusnäytön perusteella mahdollista merkittävästi vaikuttaa taudin luonnolliseen kulkuun ja ennusteeseen.”

SMA Finland ry:n kommentti:

Emme ymmärrä miksi tämä kohdentamisen tarve olisi jotenkin korostunut

harvinaissairauksien hoidossa, joiden hoidot ovat luonnollisesti kalliimpia, mutta toisaalta myös potilasmäärät pieniä. Yleisempien sairauksien hoidoissa, joissa potilasmäärät saattavat olla tuhansia kertoja suurempia kuin SMA:ssa, voitaisiin kohdentamisella saavuttaa aivan vastaavia tai todennäköisesti jopa huomattavasti suurempia säästöjä kuin harvinaissairauksien hoidoissa.

”SMA-potilaita hoitavat lastenneurologit ovat tuoneet esille palvelujärjestelmästä johtuvia viiveitä diagnoosien tekemisessä, jolloin Palkon suosituksen asettama kahden vuoden raja diagnoosin tekemiselle nusinerseeni-hoidon ehtona voi ylittyä.”

SMA Finland ry:n kommentti:

Hyvä että diagnoosin viivästymisen mahdollisuus tiedostetaan suositusta laatiessa. Mielestämme vielä parempi ratkaisu olisi olla käyttämättä diagnoosijankohtaa lainkaan suosituksen kriteerinä, koska se on mittari, johon vaikuttaa muutkin kuin potilaan taudinkulusta johtuvat seikat.

”Seulontaohjelmien arviointi ja niistä päättäminen on STM:n vastuulla.”

SMA Finland ry:n kommentti:

Mitä tämä tarkoittaa seulontaohjelman edistymisen kannalta? Palkon aikaisemmasta seulontaan liittyvästä kommunikaatiosta on saanut vaikutelman, että seulonnan edistämiseen liittyy ehkä tarpeettoman monimutkaisia prosesseja. Onko vastuunjako seulontaohjelman edistämässä selvä? SMA Finland ry näkee, että seulontaohjelman edistäminen ja käytäntöön saattaminen ovat ensiarvoisen tärkeitä. Uskomme myös, että seulonta olisi, ei pelkästään potilaiden terveyden ja elämänlaadun kannalta, vaan myös taloudellisesti kannattavaa.

”Hoidon laajentaminen kattamaan nykyisen kohderyhmän lisäksi muita SMA-potilasryhmiä edellyttäisi merkittäviä henkilöstölisäresursseja erikoissairaanhoidossa.”

SMA Finland ry:n kommentti:

Hoidon laajentaminen vaatisi henkilöstölisäresursseja, mutta voidaanko näitä pitää merkittävänä? Yksi lääkkeenanto kestää n. 0.5 tuntia toimenpidehuoneessa, jonka jälkeen joitain tunteja osastolla tarkkailua. Lääkkeenanto tehdään kolme kertaa vuodessa. Hoidettavien potilaiden määrän laajentaminen kymmenillä potilailla - verrattuna terveydenhuoltomme kokonaisresursseihin ja yleisempien sairauksien hoitamiseen tarvittaviin resursseihin - ei toisi merkittävää lisäresursoinnin tarvetta.

”Korkeiden kustannusten takia on tärkeää, että hoito kohdistetaan vain niille SMA-potilaille, joiden on luotettavalla tutkimuksella todettu hyötyvän hoidosta. SMA1- ja SMA2-potilailla

hoitovaste on objektiivisesti todettu vertaisasetelmassa ja tutkimuksissa kliinisesti merkittävä tulos edellytti muutoksia validoiduissa motorisissa arviointimenetelmissä.”

SMA Finland ry:n kommentti:

Niin kuin jo aiemmin tämän kappaleen kommentteissa totesimme, saavutetaan hoidon kohdistamisella tiettyihin potilaisiin vähintään yhtä suuret säästöt yleisempien sairauksien hoitojen osalta kuin harvinaisten. Huomion kiinnittäminen tässä yksittäisen potilaan hoidon korkeaan hintaan ei ole perusteltua, eikä se johda järkevään eikä yhdenvertaiseen lopputulokseen.

SMA-sairauden kyseessä ollen kohdentaminen vaikuttaa lisäksi täysin perusteettomalta, koska tauti on perussyyltään täysin homogeeninen: jokaisen SMA-potilaan oireet aiheutuvat liian alhaisen SMN-proteiinin tasosta. Nusinerseenihoito lisää tutkimusten mukaan SMN-proteiinin tuotantoa (<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4782111/>). Lisäksi SMA:n oireiden vakavuusaste on todellisuudessa jatkumo ja SMA:n eri tyypit ovat vain keinotekoisilla rajoilla toisistaan erotetut. Tässä valossa voidaan pitää erittäin todennäköisenä, että nusinerseenihoito vähintään pysäyttää oireiden etenemisen kaikilla potilailla. Näin ollen olisi perusteltua hoitaa kaikkia SMA-potilaita, ellei sitten tutkimuksella pystytä osoittamaan, ettei hoito jossain potilasryhmässä toimitakaan. Toistaiseksi yksikään tutkimus ei ole pystynyt osoittamaan ettei nusinerseenihoidolla olisi hoitovastetta jossain potilasryhmässä.

” Palkon näkemyksen mukaan käytön laajentaminen tähän ryhmään ei ole odotettavissa olevan terveyshyödyn ja kokonaiskustannukset huomioiden perusteltua. Poikkeuksena on pieni SMA3-lapsipotilaiden ryhmä, joilla tauti etenee nopeasti lapsuudessa ja kävelykyky on uhattuna lapsuusiässä. Tämän potilasryhmän kohdalla voisi olla perusteltua arvioida nusinerseeni-hoidon mahdollisuudet ylläpitää kävelykyky ja hoidon vaikutus olisi myös arvioitavissa ensimmäisen hoitovuoden aikana.”

SMA Finland ry:n kommentti:

SMA Finlandin näkemyksen mukaan hoidon laajentaminen myös koko SMA3-tautimuotoon on perusteltua. Kaikissa SMA3-potilaille tehdyissä seurantatutkimuksissa on potilailla nähty, ei pelkästään toimintakyvyn stabiloitumista, vaan merkittävää paranemista mitattuna sekä kävelytestillä että kokonaisvaltaisella toimintakykymittarilla. Toimintakyvyn paraneminen on ollut voimakkaampaa lapsilla ja nuorilla, mutta merkittävää myös aikuisilla. Pidemmässä seurantatutkimuksissa paraneminen on ollut lisäksi jatkuvaa.

Kävelykykyä ei ole syytä käyttää minkäänlaiseen hoidon rajaamiseen, koska kävelevillä potilailla on luonnollisesti tärkeää ylläpitää tai parantaa kävelykykyään ja taas kävelykyvyn jo menettäneillä potilailla on tärkeää ylläpitää tai parantaa etenkin ylävartalon

toimintakykyä, niin kuin nyt tehdään SMA2-potilailla. On myös tärkeää huomata, että seurantatutkimuksissa on ollut mukana potilaita, jotka ovat saavuttaneet uudelleen jo kerran menetetyn kävelykyvyn nusinerseenihoidon aikana.

Potilaan tai hoitovasteen tarkastelu mittarilla "kävelee / ei kävele" ei anna riittävää resoluutiota, jotta selviäisi vaikutus potilaan toimintakykyyn ja elämänlaatuun.

Jos Palko kuitenkin päätyisi suosituksessaan pitämään kävelykyvyn pelastamista ainoana hoidolla tavoiteltavana asiana, ei ole lääketieteellisesti perusteltua, ettei myös aikuisten kävelykykyä olisi syytä pelastaa nusinerseenihoidolla. Suomessa on myös edelleen käveleviä SMA3-aikuispotilaita.

Yksikään Euroopan maa ei käytä kävelykykyä nusinerseenihoidon kriteerinä. Euroopan 26 nusinerseenihoitoa kansallisella päätöksellä käyttävistä maista vain 3 maata ei hoida SMA3-potilaita.

"Tämän potilasryhmän kohdalla voisi olla perusteltua arvioida nusinerseeni-hoidon mahdollisuudet ylläpitää kävelykyky ja hoidon vaikutus olisi myös arvioitavissa ensimmäisen hoitovuoden aikana."

SMA Finland ry:n kommentti:

Tämän arvioinnin helppouden ei tulisi olla määrittävässä asemassa, kun päätetään yksittäisen potilaan hoidosta. Kysymyksessä ei kuitenkaan ole kliininen koe, vaan myyntiluvan saanut lääke ja normaali hoitoasetelma.

Sma-sairauden tyypit ovat erilaisia ja jokaisella SMA1-3 taudin eteneminen on yksilöllistä. Tämä vaikeuttaa hoitokriteerien asettamista, sillä sairauden kululla ei ole selkeää ennustettavuutta. Tämän vuoksi nusinerseenihoidolle ei voi asettaa tiukkoja rajoja ja hoitavia neurologeja on kuunneltava siitä, että hoitoon pääsyn kriteerejä on helpotettava ja niiden pitää olla sairauteen järkevästi sopivia.

Diagnoosin määrittäminen 2 ikävuoteen mennessä on utopistinen, sillä lapsen kehitysviivastymia on muillakin lapsilla kuin vaan Sma-lapsilla ja neuvoloissa saatetaan olla seurantalinjalla ja näin pitkittää jatkohoitoon lähettämistä. Jos lapsi on muuten hyvinvoiva ja älykäs sattaa tutkimuksissa mennä myös pitkään ennenkuin epäillään sma-tautia. Kriteerejä pitää siis muuttaa.

Sma3-lapset ovat pääsemässä mahdollisesti hoidon piiriin, mutta kriteerinä "kävelykyvy uhattu" ei ole validi, sillä tällä hetkellä Suomesta löytyy ainakin yksi SMA3 lapsi ellei enemmänkin, jonka kävelykyky on mennyt vuoden 2019 aikana.

Lapsen sairauden kliininen taso on tällä hetkellä samankaltainen kuin hyväkuntoinen SMA2, mutta diagnoosi on kävelykyvyn menettänyt SMA3 ja geenikopioita 4.

Nusinerseeni on selkeästi parantanut SMA-potilaiden elämänlaatua ja motorisia taitoja sekä jaksamista.

Hoito pitäisi mahdollistaa mahdollisimman monelle, mutta kaikkien SMA sairastavien lapsien pitää saada hoitoa tähän vaikeaan sairauteen tyyppiluokasta riippumatta.

Kysymys

Kommentoi kappaletta 9. Yhteenvedo suosituksesta (sivu 12)

Vastaukset

Kohta uudet diagnosoidut SMA1- ja SMA2-potilaat: Suosittelemme, että SMN2-geenikopioiden määrä otetaan suosituksesta pois. Hoidon saatavuus ei voi perustua SMN2-kopioiden määrään, sillä geno-/fenotyyppi vaihtelee paljon. Lisäksi nusinerseenin vaikutusmekanismin pohjalta lääkehoidon hyöty on erityisen suuri niillä, joilla on useampia SMN2-geenikopioita.

Kohta SMA3-potilaat: Kaikki tähänastinen tutkimusnäyttö viittaa siihen, että mitä varhaisemmin hoidon aloittaa, sitä parempi on hoidon teho. Taudin varhaisvaiheessa voidaan ehkäistä motoneuronivauriota, ei enää myöhäisvaiheessa. Sen vuoksi hoito tulisi aloittaa mahdollisimman varhain, ei vasta kun tauti on edennyt ja kävelykyky on uhattuna. Kokonaistautitakaan kustannusten arvioinnissa on tärkeää mahdollisimman oikea-aikaisen lääkehoidon aloitus oikealle potilasryhmälle, jolloin saavutetaan suurin mahdollinen hyöty. Kustannustehokkuus on varmasti heikompaa, jos hoidetaan vasta myöhäisessä vaiheessa, jolloin potilas tarvitsee lääkehoidon lisäksi myös muut mittavat yhteiskunnalle kalliit tukitoimet (kuntoutus, apuvälineet, asunnonmuutostyöt, hengitystuki, avustajat ym.) Mielestämme lääkehoito tulisi aloittaa SMA3-sairastaville lapsipotilaille mahdollisimman varhain, heti kun viitteitä toimintakyvyn heikkenemisestä todetaan.

Kohta Jatkohoitokriteerit: Mahdollisimman suuren vasteen, toiminta- ja/tai kävelykyvyn paranemisen saavuttamiseksi kaikkien SMA -potilaiden hoito tulee aloittaa mahdollisimman varhain. Myöhemmässä sairauden vaiheessa aloitettuna hoidon vaste jää pienemmäksi ja hoidon tehoa on vaikeampi saada mitattua käytössä olevin toimintakykymittauksin, vaikka laadullista hyötyä ja sairauden etenemisen pysähtymistä havaitaan.

Kannatamme kansallisen, erikoissairaanhoidopiirien yhdessä muodostaman asiantuntijaryhmän perustamista päättämään harvinaissairauksien hoidon jatkamiskriteereistä kunkin Palkon suosituksen osalta.

On keinotekoista pitää kävelykyvyn menettämisen uhkaa lääkkeen saamisen kriteerinä. Kyseessä on etenevä sairaus ja kävelykyky menetetään ennemmin tai myöhemmin (yleensä viimeistään teini-iässä). Muissakaan maissa ei ole vastaavaa rajausta käytössä. SMAssa potilasmäärä on sen verran pieni, että vaikka kaikki tautityypit hoidettaisiin, ei sillä olisi merkittävää vaikutusta terveydenhuollon kokonaiskustannuksiin. Toisekseen (kuten

tutkimuksissa on todennettu) vaikuttavan lääkkeen ollessa kyseessä ei terveydenhuoltolain mukaan päätöksiä tehdä kustannusperusteisesti. Jatkokriteerinä tulisi olla sairauden etenemisen pysähtyminen (kuten vuoden 2019 linjauksessa). Myös keinotekoiset jaottelut SMN2-geenilukumääriin tulisi poistaa, koska ne eivät viittaa sairauden vaikeusasteeseen.

SMA 3 potilaiden kohdalla kävelykyky uhattuna -kriteeri on epäinhimillinen ja eriarvoistava ja tulee poistaa, samoin tulee hyväksyä lääkkeen saajiksi myös ne SMA 3 potilaat ja erityisesti alaikäiset, jotka ovat jo menettäneet kävelykykynsä.

Invalidiliitto toteaa, että uusimman nusinerseeni-lääkehoidon kohderyhmän kriteereitä pitää vielä edelleen kehittää, jotta lääkehoito yhä useammalle SMA -tautia sairastaville olisi jatkossa mahdollista. Tämä vastaisi YK:n vammaisoikeussopimuksen artiklan 5 alakohtaa 4, jonka mukaan ”erityistoimia, jotka ovat tarpeen vammaisten henkilöiden tosiasiallisen yhdenvertaisuuden jouduttamiseksi tai saavuttamiseksi, ei katsota tämän yleissopimuksen tarkoittamaksi syrjinnäksi.” Tämä niin sanottu positiivinen erityiskohtelu on tarkoitettu haavoittuvassa asemassa olevien, kuten SMA -tautia sairastavien aseman saattamiseksi tosiasiallisesti yhdenvertaiseen asemaan muiden kanssa. Kaikissa SMA -tautia sairastavissa tautiryhmissä (1-3) sairauden etenemisen takia liikkumiskyvyn menetys on seurauksena, jota lääkehoidolla voidaan ainakin hidastaa.

Perustuen nusinerseenin myyntilupa-johtaneeseen ja sen jälkeen kertyneeseen tutkimustietoon, joka tukee oletusta että taudin perussyötä hoitava hoito vähintään pysäyttää oireiden etenemisen kaikilla potilasryhmillä, katsomme että nusinerseenihoito voidaan pitää lääketieteellisesti perusteltuna vakavan, ja kaikissa potilasryhmissä etenevän, taudin vaikuttavana hoitona riippumatta SMA-tyypistä ja hoidettavan potilaan iästä, mukaan lukien vastasyntyneet vielä oireettomat potilaat.

Palko on vastoin näkemystämme tässä kappaleessa rajannut hoitoa tietyille potilasryhmille. Palko perustelee rajauksiaan puutteilla tutkimusnäytössä. Yhdistyksemme näkemyksen mukaan, ottaen huomioon taudin harvinaisuuden, ei tutkimusnäyttö voisi olla laadullisesti ja tuloksellisesti parempaa. Mikäli Palko ei tätä ajatusta hyväksy, ja pitää hoidon vastetta liian epävarmana joissain potilasryhmissä, suosittelemme ehdottomasti käyttämään näillä potilasryhmillä lääkkeen hallitun käyttöönotton sopimuksia. Tällöin mahdollinen vasteen epävarmuus ei jäisi yhteiskunnan rahoitettavaksi, ja kynnyksen hoidon aloittamiseksi olisi pieni.

Loput kommentteistamme keskittyy nostamaan muita virheitä ja epäkohtia Palkon tekstissä.

Uudet diagnosoidut SMA1- tai SMA2-potilaat:

SMN2-kopiolukumäärän käyttäminen jo diagnoosin saaneiden potilaiden hoidon kriteerinä on järjetöntä. SMN2-kopiolukumäärällä on ainoastaan tilastollinen korrelaatio taudin vakavuusasteen kanssa. On selvinnyt mm. että kaikki SMN2-kopiot eivät ole keskenään samanlaisia ja arvelaan, että toiset niistä toimivat parempina SMN-proteiinin tuottajina

kuin toiset. Esimerkiksi SMA2-taudissa noin 5 % potilaista on vähintään 4 SMN2-geenin kopiota. Haetaanko tässä todellakin sitä, että näillä SMA2-potilailla ei olisi lääketieteellistä perustetta nusinerseenihoidolle?

Ks. Taulukko 2 tässä tutkimuksessa:

https://sma.elsevierresource.com/sites/sma.elsevierresource.com/files/correlation_between_sma_type_and_smn2_copy_number_revisited.pdf

Diagnoosintekoikä ei ole hyvä kriteeri, koska siihen vaikuttaa muutkin kuin potilaan taudinkulusta johtuvat seikat.

SMA3-potilaat:

Olemme aiemmissa kappaleissa tuoneet esille, ettei hoidon rajaamista SMA3-potilailla voida mitenkään perustella. Suurin epäkohta liittyy rajaamiseen käyttäen potilaan kävelykykyä kriteerinä.

SMA1- ja SMA2- potilaiden oireettomat, nuoremmat sisarukset:

On vaikea ymmärtää mihin perustuu ajatus siitä, että oireettomalla, geenitestillä todetun SMA:han johtavan geenivirheen omaavalla potilaalla (SMN1-del homotsygotia), ei voitaisi aloittaa hoitoa, ellei hänellä ole sisarusta jolla on todettu SMA? Huomionarvoista tässä on, että koko elinajan oireetonta SMN1-del homotsygotiatapausta ei tunneta, joten ko. potilaalle mitä suurimmalla varmuudella kehittyisi oireita ilman hoitoa. Vielä oudompana voidaan pitää vaatimusta sille, että sisaruksella pitäisi olla vieläpä tietyn alaryhmän SMA. Ei ole epätavanomaista, että sisarusten SMA-alaryhmät vaihtelevat. Tällöin esimerkiksi vauvalle kehittyvä SMA2 jäisi hoitamatta, jos sisaruksella sattuisi olemaan SMA3.

Mikäli oireettomien potilaiden hoitoa voitaisiin suosittaa muillekin kuin sisaruksille, olisi suositus valmis myös SMA:n vastasyntyneiden seulontaan. Lisäksi ei kai ole mahdotonta, että joku saa tietää SMA:han johtavasta geenivirheestä muuta kautta. Ei kai hoito tällöin olisi vähemmän lääketieteellisesti perusteltua?

Jatkohoitokriteerit:

Vertaamme seuraavassa suositusluonnosta vuoden 2019 suosituksen vastaavaan tekstiin.

Suositusluonnos:

”Hoidon vaikutuksia tulee arvioida vuosittain. Ensimmäisen hoitovuoden aikana on saavutettava objektiivisesti varmistettu ja selkeästi toimintakykyä parantanut kliinisesti merkittävä hoitovaste ja SMA3 kohdalla näyttö kävelykyvyn paranemisesta. Hoitovasteen arvioinnissa on huomioitava toimintakyky ja muutoksen mahdollisuus ennen hoidon aloitusta. Tämän hoitovasteen säilyminen on vähimmäisvaatimus, jotta hoitoa on lääketieteellisesti perusteltua jatkaa.”

Vuoden 2019 suositus:

"Nusinerseeni-hoidon jatkamisen edellytykset arvioidaan ensimmäisen kerran 12 kuukauden kuluttua hoidon aloituksesta. Hoidon jatkaminen edellyttää, että lääkkeen voidaan luotettavasti todeta ensimmäisen hoitovuoden aikana parantaneen potilaan toimintakykyä huomioiden hänen ikänsä, toimintakykyä rajoittavat rakenteelliset muutokset sekä taudin luonnollinen kulku. Ensimmäisen hoitovuoden jälkeen nusinerseeni-hoidon jatko arvioidaan 12 kuukauden välein. Ensimmäisen hoitovuoden aikana saavutetun hoitovasteen säilyminen on vähimmäisvaatimus, jotta hoitoa on lääketieteellisesti perusteltua jatkaa."

Mielestämme suositusluonnoksen teksti on epätarkka ja sitä voi tulkita monella tavalla. Sen sijaan vuoden 2019 suosituksen teksti on tarkka ja selkeä. Miksi tätä on ollut syytä muuttaa?

Pidämme vuoden 2019 tekstissä erityisen tärkeänä iän, toimintakykyä rajoittavien rakenteellisten muutosten sekä taudin luonnollisen kulun huomioon ottamisen hoitovasteen arvioinnissa. Tämä teksti lisäksi soveltuu sellaisenaan oikein hyvin myös SMA3-potilaisiin. Katsomme, että vuoden 2019 suosituksen teksti olisi otettava käyttöön myös uudessa suosituksessa.

Sma2 diagnoosin määrittämiseksi on nostettava 2 vuodesta ylöspäin, sillä hyväkuntoisen Sma2 lapsen diagnoosin varmistuminen ei ehdi tuohon 2 vuoteen mennessä, jos lapsi seisoo ja pystyy ottamaan muutaman askeleen, muttei opi kävelemään kunnolla. Saavatko aiemmin nusinerseeniä saaneet lapset hoitoa myös silloin kun täyttävät 18-vuotta vai loppuuko hoito? Tämä jää epäselväksi jo hoitoa saavista SMA1-2 potilaiden kriteerissä.

SMA3-lasten hoitokriteeri "taudin kulku on nopeasti etenevä ja kävelykyky on uhattuna" täytyy muotoilla toisin. Tällä hetkellä Suomessa on lapsi /lapsia, joiden kävelykyky on uhattu ja menetetty. Jäävätkö he kokonaan ilman hoitoa!!!!

Suosituksena on muotoiltava sellaiseksi, että jo kävelykyvyn menettänyt alle 18-vuotias SMA3-lapsi on myös nusinerseenihoitoon piirissä.

Kriteerinä kävelevä SMA3-lapsi, kävelykyky uhattuna ei voi olla ainoa kriteeri tällä hetkellä, sillä Suomessa on 12 lasta jolla on SMA3. Lapset ovat hyvin eri ikäisiä ja heidän sairauden tasot ovat myös erilaisia. Kaikki SMA3-lapset eivät enää kävele. Muutaman lapsen sairauden taso on hyväkuntoisen SMA2 kaltainen, mutta heidän diagnoosinsa on SMA3, sillä he ovat pystyneet kävelemään usean vuoden ajan. Tämä asia pitää ottaa kriteerissä huomioon, että jokainen SMA3 lapsi tulee kuulumaan nusinerseenihoitoon piiriin, on hän sitten menettänyt kävelykyvyn jo tai hänen kävelykyky on vaikeutunut ja kyky saatetaan menettää.

Miten mahdollisesti tulkitaan sellainen SMA3-lapsi, joka tällä hetkellä kävelee hyvin ja toistaiseksi hänellä ei ole kävelyssä ongelmia? Toki kukaan SMA3-diagnoosin jo saanut lapsi ei jaksa kävellä useita kilometrejä tai polkea polkupyörällä pitkiä matkoja, joten koko "kävelykyky uhattuna" tuntuu teennäiseltä kriteeriltä. Viimeistään teini-iässä tulee selkeä

ero liikuntasuorituksissa ikätovereihin verrattuna, joten SMA3 lapsen kävelykyky on aina uhattuna, jos hän kaatuilee, kompuroi, ei pysty nousemaan portaita ollenkaan tai nousee portaat tasa-askelin, varvastaa jatkuvasti, ei pysty juoksemaan, ei pysty hyppimään, ei pysty seisomaan yhdellä jalalla jne.

Jokaisen SMA3-lapsen on päästävä Nusinerseenihoidon piiriin Suomessa!

Jatkohoitokriteerinä ei SMA3 kohdalla voi pitää kävelykyvyn paranemista. Jo kävelykyvyn menettäneen lapsen kävelyä ei voida arvioida, ellei se palaudu kokonaan hoidon aikana.

Hänen kohdallaan arvio "pystyy varaamaan jaloillaan, pystyy seisomaan" olisivat kävelykyvyn aiemmin menettäneelle fantastisia asioita, sillä silloin hän itsenäisesti pystyisi käyttämään pyörätuolia ja siirtymään pyörätuolista sänkyyn, vessaan, sohvalle jne.

Kysymys

Kommentoi kappaletta 10. Lisänäytön kerääminen ja suosituksen vaikutusten seuranta (sivu 14)

Vastaukset

-

Ei kommentoitavaa.

Nusinerseenia antavien maiden pitäisi tehdä kansainvälistä yhteistyötä ja jakaa tietoa toisilleen hoidon vaikuttavuudesta ja hyödyntää SMA-järjestöjä. Yhteisten mittareiden luominen helpottaisi varmastikin kaikkia maita hoidon arvioimisessa.

Kysymys

Asteikolla 1-5: Kuinka hyödyllisenä pidät ehdotettua suositusta? 1=matalin arvosana, 5=korkein arvosana *

Vastaukset

1 2/8

2 2/8

3 2/8

4 2/8

5 0/8

Kysymys

Perustele antamasi arvosana *

Vastaukset

Suosituksen paikoittainen epätarkkuus vaikeuttaa klinikon työskentelyä potilaisperheiden kanssa: esim. kuuluuko jo kävelykyvyn menettänyt SMA3-lapsipotilas hoidon piiriin?

Luonnoksessa on paljon epäjohdonmukaisuuksia ja epäyhdenvertaistavaa.

Jätetään hoidon ulkopuolelle henkilöt, jotka hoitoa tarvitsevat

Sisältää perustavanlaatuisesti potilaita eriarvoistavan ongelman "kävelykyky uhattuna" kriteerin osalta, joka tulee muuttaa.

Hyödyllinen on, mutta suosituksen sanamuoto on sellainen että osa lapsista/nuorista jää hoitamatta. Lääke on kallis mutta mitä maksaa hoito ja palvelut kun lapsi/nuori jää vanhempien ja yhteiskunnan hoidettavaksi. ?

Koska PALKO:n suositusluonnos ei ole kattava SMA-tautia sairastavien ryhmässä, niin tätä korkeampaa arvosanaa ei voida antaa.

Suositus on muodollisesti kohtalainen, vaikkakin siinä on muutamia asiavirheitä ja paikoin tietoja esitetään valikoiden.

Emme kuitenkaan pidä suositusta hyödyllisenä, koska se tällaisenaan jättää suuren osan SMA-potilaista ilman heitä hyödyttävää lääkehoitoa. Suosituksen suurin ongelma on Palkon epärealistinen vaatimus suuren lumekontrolloidun tutkimuksen tutkimusnäytöstä jokaiselle ikäryhmälle ja taudin vakavuusryhmälle erikseen. Tästä Palkon omaksumasta tulkintatavasta kärsii erityisesti harvinaissairaat, koska näissä sairauksissa myös tutkimukset ovat pienempiä ja niitä tehdään vähemmän. Katsomme, että tutkimusnäytön potilasryhmäkohtainen vaatimus olisi ehdottomasti suhteutettava hoidettavan sairauden harvinaisuuteen.

Myyntilupa johtaneissa lumekontrolloiduissa tutkimuksissa on saatu lääkkeen hoitovaste selkeästi esille, ja koska nusinerseeni hoitaa kaikille SMA-potilaille yhteistä sairauden perussyötä, voidaan taustaoletuksena pitää sitä, että nusinerseenhoidolla saadaan terveyshyötyä kaikissa potilasryhmissä. Lisäksi nusinerseeni on osoittautunut erittäin turvalliseksi lääkkeeksi. Tällöin käypä logiikka olisi se, että hoidetaan kaikkia potilaita, ellei tutkimus viittaa siihen, että jollain potilasryhmällä hoito ei olisikaan tehokas. Varsinkin jos lumekontrolloitujen tutkimusten lisäksi niiden ulkopuolisella potilasryhmällä tehty seurantatutkimus viittaa lääkkeen suotuisaan hoitovasteeseen, pitäisi hoito ehdottomasti aloittaa. Voidaankin hyvällä syyllä kysyä, onko Palkolta suurempi virhe jättää hoidosta hyötyvä potilas hoitamatta vai yrittää hoitaa potilasta joka ei lopulta näytäkään hyötävän hoidosta? Tällä hetkellä vaikuttaa siltä, että Palko yrittää kaikin keinoin välttää jälkimmäistä virhettä, eikä pidä ensimmäisen virheen välttämistä tärkeänä. Tätä ei voida pitää lääketieteellisesti eikä eettisesti perusteltuna.

Uuden suosituksen tekeminen on erittäin tärkeää, sillä kaikki SMA3 lapset on saatava välittömästi Nusinerseenhoidon piiriin, että heidän sairauden eteneminen saadaan pysäytettyä.

Kysymys

Onko suositusluonnos mielestäsi ymmärrettävä? Ellei ole, kerro miten sitä voisi parantaa

Vastaukset

Ks. yllä.

Ok taso, mutta kapulakielisyyttä ja epä johdonmukaisuuksia.

Jatkohoitokriteerien osalta suositusluonnos on epätarkka ja sitä voi tulkita monella tavalla. Sen sijaan vuoden 2019 suosituksen teksti on tarkka ja selkeä. Suositusta voisi parantaa yksinkertaisesti säilyttämällä vuoden 2019 suosituksen jatkohoitokriteerit ennallaan.

Luonnoksessa on joitain lausekkeita, mitä pitää tarkentaa ja selventää mitä tarkoittavat. Jotain osia on korjattava, sillä esim. kävelykyky oltava uhattuna-kriteeri poissulkee kokonaan sellaisen SMA3-lapsen, jonka kävelykyky on menetetty tätä uutta suositusta odotellessa. Jos lausetta/kriteeriä ei muotoilla uudelleen, nämä pari lasta eivät tule saamaan heille ensiarvoisen tärkeää ja heidän vointiaan parantavaa lääkettä ollenkaan. Muuten luonnos on hyvin helppolukuinen ja ymmärrettävä.

Eettinen arviointi

Eettinen arviointi on osa Palkon arviointia. Tässä kuvataan, miten eettinen arviointi integroidaan osaksi suosituksen valmistelua. Eettinen arvio perustuu lähtökohtaisesti [EunetHTA](#) yhteistyössä tunnistettuihin kysymyksiin, joiden avulla tuodaan kyseisen menetelmän kannalta keskeiset eettiset näkökulmat esille

Eettinen arviointi voi olla

1. Laaja, kaikki EunetHTAN eettisen osion kysymykset käsittävä monipuolinen kokonaisuus, joka toteutetaan eettisen arviointiin perehtyneen asiantuntijan ohjauksessa.
2. Tavanomainen arvio, jossa EunetHTA kysymysten avulla tunnistetaan ne keskeiset eettiset näkökulmat, jotka on tärkeä huomioida suositusvalmistelussa. Toteutetaan jaoston puheenjohtajan ja vastuusihteerin ohjauksessa hyödyntäen valmista EunetHTA kysymystaulukkoa, eettiseen arviointiin perehtynyttä asiantuntijaa konsultoidaan tarvittaessa. Eettisen arvioinnin laajuus on suosituskohtainen.
3. Suppea, rajoittuen arvioitavan menetelmän ja vertailuhoidon väliseen vertailuun. Toteutetaan vastuusihteerin, jaoston puheenjohtajan sekä jäsenten avulla, eettiseen arviointiin perehtynyttä asiantuntijaa konsultoidaan tarvittaessa.

10.12.2021

Aihe-ehdotus: Hedelmöityshoidot ja muut lisääntymisterveyteen liittyvät hoitomenetelmät (työnimi)

Aihe-ehdotukset

STM:ään on tullut ehdotus hedelmällisyyshoitojen yhtenäisten hoidon periaatteiden päivittämisestä.

HUS:n osastonylilääkäri, dos Hanna Savolainen-Peltonen on tiedustellut mahdollisuutta aloittaa yhtenäisen kiireettömän hoidon perusteiden päivittytyö hedelmöityshoitojen osalta. Julkisessa terveydenhuollossa tämä kenttä on viime aikoina muuttunut huomattavasti, sillä hoidot luovutetuilla soluilla tulivat 2020 julkisen terveydenhuollon palveluvalikoimaan. Onkin tunnustettu tärkeäksi määritellä kansalliset suuntaviivat, yhtenäiset hoitokriteerit ja –käytännöt sekä hedelmällisyyshoitojen että luovutettujen sulusolujen osalta. Samalla olisi mahdollista päivittää muitakin tutkimus- ja hoitomenetelmien kehittymisen vuoksi muuttuneita asioita. Asiasta on keskusteltu yliopistosairaaloiden kansallisessa työryhmässä, eli tämä olisi kaikkien sairaanhoitopiirien yhteinen toive.

Palko on edellisen toimikauden aikana saanut aihe-ehdotuksen koskien anabolisten androgeenisten steroidien aiheuttaman azospermian hoitoa, joka liittyy osana yleisiä hedelmällisyyshoitojen kriteereitä. Suositusvalmistelua ei käynnistetty ja aihe-ehdotus siirrettiin Käypä Hoito -toimitukseen arvioitavaksi, mutta KH-suositusta aiheesta ei kuitenkaan päätetty käynnistää. Tämä aihe-ehdotus kuvaa hedelmöityshoitojen järjestämiseen liittyvää laajempaa ongelmatiikkaa liittyen hedelmöityshoitojen tarpeen etiologiaan.

FinCCHTA on pyytänyt Palkoa harkitsemaan suositustyön käynnistämistä kohdunsiirtotoiminnasta.

Valmistelu

Sihteeristö on käynyt keskusteluja sekä STM:n kanssa sekä puheenjohtajien jaostossa. STM:ssä on todettu, että siellä ei ole tällä hetkellä mahdollisuuksia päivittää kiireettömän hoidon kriteerejä. Puheenjohtajien jaostossa on puolestaan todettu, että hedelmöityshoitojen kokonaisuuteen liittyy paljon ei-lääketieteellisiä kysymyksiä. Toisaalta hedelmöityshoitojen osalta on palveluvalikoiman määrittelyn ja säännöstelyn periaatteiden määrittelyn tarpeita, jotta yhdenvertaisuus voidaan taata. Luovutettujen sulusolujen osalta kyseessä ei ole aina sairaudesta johtuva lapsettomuus (naisparit, yksinäiset naiset), jolloin intervention (sulusolun luovutus) tavoitteena ei ole lääketieteellisestä syystä johtuvan lapsettomuuden hoito, vaan yhdenvertaisuuteen liitetty oikeus raskauteen ja oman lapsen syntymään.

Aihekokonaisuus on erittäin laaja. Mikäli Palko päätyy aloittamaan aiheesta suosituksen laadinnan tulisi ensin tehdä laajempi selvitys eri toimijatahojen kanssa siitä, mitkä ovat keskeiset, Palkon toimintavaltuuksilla ratkaistavissa olevat kysymykset. Sen jälkeen Palko voisi hyväksyä vaiheistetun työsuunnitelman. Suositusvalmistelu tulee edellyttämään merkittäviä sihteeristön resursseja sekä laajaa eettistä sekä juridista tarkastelua.

Liitteenä Palkon arviointikriteerien mukainen tarkastelu

Suosituskokonaisuuden sisältö

Suosituskokonaisuuteen liittyä ainakin seuraavat aihealueet ja teemat:

- Yleiset
 - eettiset kysymykset
 - juridiset kysymykset
 - lääketieteelliset kysymykset
 - muiden maiden linjausten selvittäminen
- Hedelmöityshoidot
 - sairaudesta johtuvat syyt
 - muista syistä johtuvat
 - naisparit
 - yksinäiset naiset
 - miesparit ja yksinäiset miehet (ainakin mikäli lisääntymiskyvyttömyyden vaatimuksesta luovutaan translainsäädännössä)
- Muut menetelmät
 - kohdun siirto
 - azoospermian hoito

Alustava työsuunnitelma ja aikataulu

Kokonaisuuden käsittelyssä on tarkoitus aloittaa yleisistä kysymyksistä, jotka koskevat joltain osin kaikkia hoitoja ja edetä varsinaisiin hoitoihin. Suosituksia tuodaan Palkon käsiteltäväksi vaiheittain. Työsuunnitelma tarkistetaan säännöllisesti ja tuodaan Palkon hyväksyttäväksi.

Kokonaisuuden käsittelyyn on arvioitu kuluva ainakin koko nykyisen neuvoston lopputoimikauden eli 30.6.2023 saakka. Tarvittaessa voidaan jatkaa seuraavan neuvoston kaudella varsinkin, jos työn aikana tunnistetaan uusia suositustarpeita. Luonnollisesti se edellyttää uuden neuvoston päätöksen.

Resurssit

Työtä varten on tarkoitus perustaa lisääntymisterveyden jaosto. Sihteeristöstä työ tulee viemään yhden sihteerin työpanoksen. Eettisen asiantuntijan työpanoksesta tulee suuri osa kohdistumaan tähän kokonaisuuteen.

1. Hedelmöityshoidot ja kiirettömän hoidon kriteerit 2019:

Hedelmöityshoidot (hormonihoito, keinosiemennys, koeputki- ja mikrohedelmöitykset, leikkaushoito) ICD-tautiluokitus N46 Infertilitas masculine (miehen hedelmättömyys) N97 Infertilitas feminae (naisen hedelmättömyys)

Lähetteessä edellytettävät tiedot

- Lähettävässä yksikössä annetaan yleinen informaatio hedelmöityshoitoihin liittyvistä tutkimuksista ja selvitetään henkilön / parin / perheen kokonaistilanne.
- Paino-ongelmiin, tupakointiin tai päihteiden käyttöön puututaan.
- Mahdolliset taustasairaudet ja niiden hoito tarkistetaan.
- Tarvittaessa lääkehoito korjataan raskauden kannalta sopivaksi.
- Lähetteeseen kirjataan anamnestiset tiedot ja kliinisen tutkimuksen tulokset.
- Alkuselvytyksinä suositellaan tutkittavaksi PAPA ja klamydianäyte sekä pieni verenkuva, prolaktiini ja S-TSH.
- Jos sperma-analyysi on tutkittu, sen tulokset liitetään lähetteeseen.
- Jatkotutkimukset tehdään naistentautien poliklinikalla tai hedelmöityshoitoyksikössä.

Nykyiset kiirettömän hoidon perusteet hedelmöityshoitoyksikössä

- Kaikkien hoitovalintojen lähtökohtana on käyttää vain vaikuttavia hoitoja, turhiin tai toistuviin hoitoihin ei tule ryhtyä.
- Raskauden alkamisen mahdollisuus varmistetaan ennen hoidon aloittamista: synnyttelinten rakenne ja munasarjojen toiminta sekä siemennesteen laatu selvitetään.
- Raskausriskit arvioidaan sekä äidin että sikiön kannalta.
- Hoitotuloksen todennäköisyys tulisi olla vähintään 10 % koeputkihedelmöityshoidoissa yhtä hoitokiertoa kohti. Hormonihoidoissa ja inseminaatioissa hyväksytään alhaisempi onnistumisprosentti.
- Onnistumismahdollisuutta voidaan arvioida seuraavien seikkojen avulla:
 - o 1) alkukierron follikkelia stimuloiva hormoni (FSH) on toistuvasti koholla (yli15–20 IU /L), AMH on matala (<0.2mikrog/l), AFC on matala (<2-3/munasarja) eikä koestimulaatioissa isollakaan FSH-annoksella saada vastetta
 - o 2) naisen ikä (yli 40v)
 - o 3) hankala kohdun epämuodostuma
 - o 4) useita aiempia tuloksettomia hoitokierroja (esim. yli 3 munasolujen keräystä hormonihoitoinen)
- Tutkimuksiin ja hoitoon liittyen tarjotaan kaikille riittävää tukea

Lisäksi huomioitava:

- Tartuntavaaralliset taudit, esimerkiksi HIV tai muut virusinfektiot, jotka edellyttävät laboratoriolta erityisolosuhteita, tulee keskittää
- Alkiodiagnostiikkaa tulee kehittää yhteistyössä kansallisesti ja kansainvälisesti, ja hoidot tulee keskittää
- Hedelmällisyyden säilyttämiseen liittyviä toimenpiteitä lääketieteellisissä indikaatioissa tulee kehittää valtakunnallisesti

- Hedelmöityshoitoa voidaan toteuttaa, vaikka taustalla ei ole varsinainen hedelmättömyys, jos siihen on perusteet
- Mahdollisimman moni hoitoa tarvitseva pyritään saamaan oikea-aikaisesti hoidon piiriin. Hoitoa tarjotaan yksilöllisen harkinnan mukaan esimerkiksi näissä tilanteissa: jos perheessä on kaksi lasta, jos taustalla on omaehtoinen sterilisaatio, tai lapsettomuuden kesto tai tutkimuksen tulokset eivät vielä edellytä hedelmöityshoitojen käyttöä.

2. Hoidot luovutetuilla sukusoluilla julkisessa terveydenhuollossa - Toimijoiden ehdottamia linjauksia – ei virallinen:

- Noudatetaan julkisen terveydenhuollon yleisiä hedelmöityshoitojen kriteerejä ja rajoituksia
- Julkisessa terveydenhuollossa enintään kolme munasolukeräystä omilla tai luovutetuilla munasoluilla
- Hoidot luovutetuilla sukusoluilla eivät kuulu hoitotakuun piiriin
 - o Julkisella puolella käytetään vain julkisten sairaaloiden sukusolupankkien sukusoluja/alkioita
 - o Oman tunnetun luovuttajan käyttö on mahdollista soveltuvin osin
 - o ns. ”kumppanuusvanhemmuusjärjestelyt”, joissa tunnettu siittiöiden luovuttaja haluaa vahvistaa isyyden, eivät kuulu julkisella puolella tehtäviin hoitoihin
- Paria hoidettaessa parisuhde vähintään yksi vuosi
 - o Hedelmöityshoitolaki ei salli miesten yksin tai miesparien hoitamista
- Itsellisillä naisilla alaikäraja 25 v, edellisestä parisuhteesta tai avioerosta vähintään vuosi
 - o itsellinen nainen on yksin lasta toivova nainen, joka elää yksin, ei seurustele tai elä parisuhteen kaltaisessa suhteessa
- Naisparit hoidetaan parina, ei kahtena itsellisenä naisena
 - o Hoitojen määrä lasketaan paria kohti
 - o Lapsen saaminen saman luovuttajan siittiöillä on mahdollista molemmille naisille (viiden perheen sääntö)
 - o Sovitaan parin kanssa, kumpaa hoidetaan/kumpaa hoidetaan ensin
 - o Jos toiselle tehdystä IVF-hoidosta on alkioita pakkasessa, ne käytetään hänelle ensin, ennen kuin toiselle voidaan tehdä IVF-hoito (koskee myös mahdollisia yksityispuolella tai ulkomailla olevia alkioita vrt. heteropari)
 - o AID-hoitoja saman luovuttajan siittiöillä voidaan kuitenkin tehdä toiselle parin osapuolelle, vaikka toisen munasoluilla tehtyjä alkioita on vielä pakkasessa
 - o Ns. ”shared motherhood/reciprocal IVF” vain lääketieteellisin perustein
 - o naisparin osapuolia ei hoideta samanaikaisesti

Hoidot luovutetuilla siittiöillä

- Luovutetuilla siittiöillä ja omilla munasoluilla hoito < 40-vuotiaana.
 - o indikaatiot:
 - Azospermia/vaikea male factor
 - Vakava perinnöllinen sairaus

- Naispari
- Itsellinen nainen
- enintään kuusi inseminaatiota luovutetuilla siittiöillä, lääketieteellisen harkinnan mukaan 1-2 viimeistä voidaan vaihtaa IVF/ICSI hoidoksi
 - Jos inseminaatiohoito ei ole lääketieteellisesti perusteltua (esim. munajohtimet tukossa), voidaan tarjota enintään kolme IVF/ICSI hoitoa.

Hoidot luovutetuilla munasoluilla

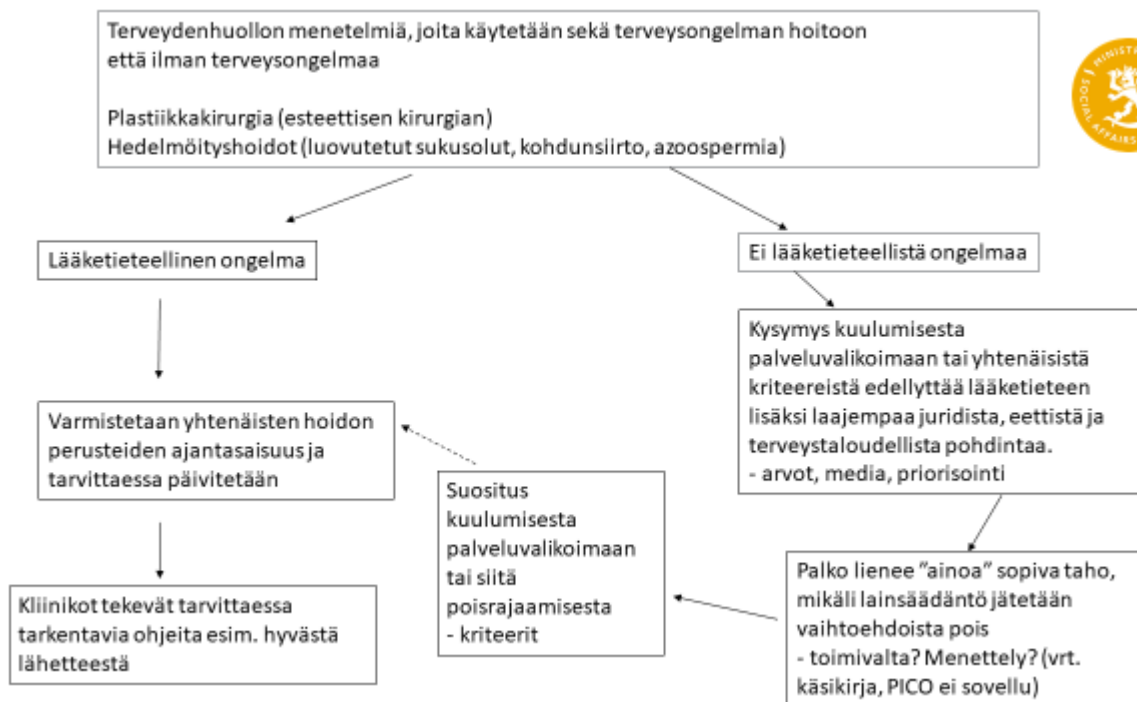
- Luovutetuilla munasoluilla hoitopäätös < 40-vuotiaana. Hoidon toteutus < 42-vuotiaana.
 - indikaatiot:
 - Munasolujen puuttuminen
 - Vakava perinnöllinen sairaus
 - Liian suuret omien munasolujen keräykseen liittyvät riskit
 - Puuttuva munasarjavaste stimulaatiolle
 - Ennenaikainen munasarjatoiminnan hiipuminen (AMH < 0,2 ja alkukierron FSH toistetusti > 20)
 - Ei siirrettäviä alkioita tai toistuvasti huomattavan poikkeava alkiokehitys (munasoluperäiseksi arvioitu ongelma)

Hoidot luovutetuilla alkiolla

- Luovutetuilla alkiolla hoitopäätös < 40-vuotiaana. Hoidon toteutus < 42-vuotiaana.
- Kolme luovutetun alkion siirtoa vastaa yhtä hoitoa
 - lahja-alkioilla voidaan tehdä enintään 9 alkionsiirtoa
- Indikaatiot käyttää sekä luovutettuja munasoluja että luovutettuja siittiöitä täyttyvät
 - Lahja-alkiohoito olemassa olevilla luovutetuilla alkiolla on ensisijainen hoitomuoto
 - ns. full donatio hoito vain erittäin painavin perustein

Mahdollinen jako Palkon ja kiireettömien hoidon kriteerien välillä

Sirkku Pikkujämsän pohdintaa



Palkon arviointikriteerit suositusaiheista päätettäessä	Hedelmöityshoidot	Luovutetut sukuolu
Kliinisten käytäntöjen ja saatavuuden alueellinen vaihtelu, yhdenvertaisuus (jo käytössä olevan menetelmän osalta)	Mahdollisesti, kiireettömän hoidon kriteerit vanhentuneet	Todennäköisesti, kiireettömän hoidon kriteerit puuttuvat
Terveysongelman yleisyys	Lisääntymässä koska hedelmällisyys laskee naisen iän myötä ja raskaaksi tuloa siirretty. Vuosittain tehdään noin 8000 hedelmöityshoitoa (näistä julkisella noin 60%) ja n 3000 inseminaatiota (julkisella näistä noin 70%)	Kysyntä lisääntynyt (myös ei lääketieteelliset perusteet) mutta tarjonta (luovutetut sukuolut) ei vastaavasti. Luovutetuilla sukuoluilla tehtiin 2020 vajaa 2000 koeputkihedelmöitystä (näistä julkisella noin 10%) ja inseminaatioita hieman yli 1000 (julkisella n 15%)
Terveysongelman vakavuus	Parin ei mahdollista saada biologista lasta ilman hoitoja	Heteropareilla ei mahdollisuutta saada biologista lasta ilman luovutettua sukuolua lääketieteellisistä syistä. Naispareilla ja yksinäisillä naisilla ei pääsääntöisesti lääketieteellistä ongelmaa lapsen saannin esteenä.
Terveystuonon menetelmän (intervention) turvallisuus (mm. haitat)	Paljon kliinistä kokemusta, hoitoihin liittyvät haitat tunnettuja (erit. munasarjojen stimulaatiohoitoon liittyvät). Myös sikiövaikutuksia tutkittu paljon IVF)	Kliinistä kokemusta kertynyt enemmän yksityisellä puolella, toiminta aloitettu julkisella puolella 2020.
Taloudelliset vaikutukset	kustannusarvio/hoitokerta?	kustannusarvio/hoitokerta?
Eettiset kysymykset (esim. julkinen arvokeskustelu tarpeen, erityisen haavoittuvat potilasryhmät, yhdenvertaisuuskysymykset, menetelmän voimakas markkinointi)	Edellyttää laajaa eettistä tarkastelua kriteerien oikeudenmukaisuuden ja yhdenvertaisuuden näkökulmasta. Hedelmöityshoidoista n 18% etenee lapsen syntymään ja hedelmöityshoitosten jälkeen syntyneet lapset muodostavat jo 5.4%	Edellyttää laajaa eettistä tarkastelua kriteerien oikeudenmukaisuuden, yhdenvertaisuuden sekä säännöstelyn näkökulmista. Juridinen näkökulma todennäköisesti myös tarpeen. Kiireettömän hoidon kriteerien soveltaminen luovutettuihin sukuoluihin ei yksiselittäistä

	kaikista syntyvistä lapsista ikäluokittain. Kyseessä on siis merkittävä syntyvyyteen vaikuttava menetelmä.	(esim. 42 vuoden ikäraja – kriteerin alun perin koskenut munasolujen ”ikä”, luovutetuissa ”nuorempi”). Parisuhteen 1 vuoden kesto perustunut näkemykseen, että raskaaksi tulemiselle on lääketieteellinen syy. Samaa 1 vuoden keston edellytystä ei voida tällä periaatteella siirtää koskemaan naispareja ja yksinäisiä naisia.
--	--	--

LIITTEET

JAKELU

TIEDOKSI

Skitsofreniapotilaan kognitiivinen kuntoutus

Tausta

Skitsofrenia on yksi yleisimmistä psykoosisairauksista ja sen elinaikainen prevalenssi on 0,5 – 1,5 %, mikä tarkoittaa, että Suomessa on noin 50 000 skitsofreniapotilasta. Skitsofrenia puhkeaa yleensä nuorella aikuisiällä, miehillä 20 – 28 vuoden ja naisilla 24 -32 vuoden iässä. Naisten toinen sairastumishuippu on noin 40 vuoden iän tienoilla

2019 Palko päätti aloittaa suositusvalmistelun aiheesta: kognitiivinen adaptaatio tuettua asumista tarvitsevan skitsofreniapotilaan itsenäistymisen tukena. Systemaattisen kirjallisuuskatsauksen valmistuttua, todettiin, että hyvälaatuisia tutkimuksia oli liian vähän suositusta varten eikä kotimaisen tutkimuksen tuloksia ole vielä julkaisu. Kognitiivinen kuntoutus on tutkimusnäytön mukaan hyödyllistä joidenkin skitsofreniapotilaiden toimintakyvyn kohentamisessa, minkä vuoksi Palkon 27.10.2021 kokouksessa aihe päädyttiin laajentamaan käsittämään kognitiivinen kuntoutus.

Menetelmä

Kognitiivista kuntoutusta tulisi aina edeltää neuropsykologinen tai kognitiivisesti orientoitunut psykologinen tutkimus, jolla arvioidaan sekä potilaan kognitiivisia vahvuuksia että heikkouksia. Kognitiiviset kuntoutusmenetelmät tähtäävät kognitiivisten oireiden korjaamiseen tai kompensointiin. Korjaavat kuntoutusmuodot, kuten kognitiivinen remediaatio tai sosiaalisen kognition harjoitusohjelmat, tähtäävät paremmin toimivien ajattelutapojen tai toimintastrategioiden käyttöön. Kompensoivat kuntoutusmuodot, kuten kognitiivinen adaptaatio (cognitive adaptation training, CAT), pyrkivät ohittamaan heikentyneen kognition ja toiminnanohjauksen vaikeuksia tekemällä ympäristöstä helpommin hahmotettavaa. Yksinkertaisempi toimintaympäristö vaatii vähemmän kognitiivisia resursseja, kun siinä olevat vihjeet ohjaavat kohti toivottua toimintaa. (Fredrick ym. 2015, Kidd ym. 2014, Velligan ym. 2008, Viertiö ym. 2016)

Tutkimusnäyttö

Kognitiivinen kuntoutus yksinään tai yhdistettynä muuhun kuntoutukseen voi korjata kognitiivista suorituskkyä ja toimintakykyä. Työhönkuntoutukseen liitettynä se saattaa parantaa potilaiden selviämistä työelämässä. Myös psykoosipotilaiden työelämäosallisuutta voidaan tukea kuntoutuksella (Falkum ym. 2017). Näytöstä on julkaistu tuore [meta-analyysi](#). Myös [Skitsofrenia Käypä Hoito](#) suosituksessa todetaan psykososiaalisen yksilöhoidon spesifisten muotojen, kuten kognitiivisen käyttäytymisterapian olevan keskeisiä hoitomuotoja.

Resurssitarve

Koulutettu, osaava henkilökunta.

Tunnistetut ongelmat

Kognitiivista kuntoutusta tarjotaan tällä hetkellä kaikissa sairaanhoitopiireissä skitsofreniapotilaille. Eroa on hoitoon pääsyn viiveissä ja kohderyhmissä. Oleellista olisi selvittää, millaiset menetelmät ovat vaikuttavia, miten ne voidaan Suomen olosuhteissa toteuttaa ja miten käytettävissä olevat resurssit tulisi kohdentaa.

Palkon arviointikriteerit suositusaiheista päätettäessä	Kognitiivisen kuntoutuksen menetelmät
Kliinisten käytäntöjen ja saatavuuden alueellinen vaihtelu, yhdenvertaisuus (jo käytössä olevan menetelmän osalta)	Sh-piireissä ympäri Suomen tarjotaan ja kuntoutus toteutuu. Lähinnä kysymys koskee, kuinka isolle ryhmälle ja kenelle kuntoutusta tarjotaan, tässä saattaa olla alueellista vaihtelua.
Terveysongelman yleisyys ja vakavuus	Skitsofrenia on yksi yleisimmistä psykoosisairauksista, elinikäinen prevalenssi 0,5-1,5 %. Suomessa on n. 60 000 skitsofreniapotilasta. Useimmilla skitsofreniapotilailla on jonkinasteisia kognitiivisia puutoksia. Tarkkaa tietoa siitä, kuinka moni skitsofreniapotilaista hyötyisi kognitiivisesta kuntoutuksesta, ei kuitenkaan ole. Tutkimuksista kerääntyy vähitellen tietoa siitä, mitkä seikat esim. indikoivat parempaa vastetta. Tarkempi kohderyhmä on määritettävissä vasta, kun tutkimustuloksia on analysoitu.
Terveysongelman vakavuus	Pysyvä toipuminen on mahdollista, mutta melko harvinaista (10 – 15 %), ja valtaosa potilaista päätyy edelleen työkyvyttömyyseläkkeelle. Sairauteen liittyy myös merkittävä ylikuolleisuus väestöön keskimäärin verrattuna.
Terveystuonon menetelmän (intervention) turvallisuus (mm. haitat)	Oikealle potilasryhmälle toteutettuna ei ole todettu haittavaikutuksia.
Taloudelliset vaikutukset	Edellyttää menetelmiin koulutettua henkilökuntaa. Potilaan toimintakyvyn parantuessa voi vähentää sosiaalipalvelujen tarvetta ja kustannuksia.
Eettiset kysymykset (esim. julkinen arvokeskustelu tarpeen, erityisen haavoittuvat potilasryhmät, yhdenvertaisuuskysymykset, menetelmän voimakas markkinointi)	Edellyttää eettistä tarkastelua oikeudenmukaisuuden ja yhdenvertaisuuden näkökulmasta. Kyseessä on erityisen haavoittuva potilasryhmä, joiden tarpeet jäävät helposti huomioimatta. Potilasryhmään voi liittyä myös stigmaa. Eivät itse todennäköisesti pysty hakemaan kognitiivista kuntoutusta, sen järjestäminen edellyttää yhtenäistä toimintamallia tarpeen tunnistamisesta palvelujen järjestämiseen.

Lähteet

Fredrick MM, Mintz J, Roberts DL, Maples NJ, Sarkar S, Li X, et al. Is cognitive adaptation training (CAT) compensatory, restorative, or both? *Schizophr Res* 2015;166(1-3):290-6.

Kidd SA, Herman Y, Barbic S, Ganguli R, George TP, Hassan S, et al. Testing a modification of cognitive adaptation training: streamlining the model for broader implementation. *Schizophr Res* 2014;156(1):46-50.

Velligan DI, Diamond PM, Mintz J, Maples N, Li X, Zeber J, et al. The use of individually tailored environmental supports to improve medication adherence and outcomes in schizophrenia. *Schizophr Bull* 2008;34(3):483-93.

Viertiö S, Mehtälä T, Sailas E. Skitsofrenian uudet psykososiaaliset hoidot. *Duodecim*. 2016;132(7):632-8.

Falkum E, Klungsoyr O, Lystad JU, Bull HC, Evensen S, Martinsen EW, et al. Vocational rehabilitation for adults with psychotic disorders in a Scandinavian welfare society. *BMC Psychiatry*. 2017;17(1):24.

Transkraniaalinen sarjamagneettistimulaatio (rTMS) masennuksen ja mahdollisten muiden indikaatioiden hoidossa

Aihetta on ehdotettu Palkossa käsiteltäväksi jo useampaan kertaan. Ehdotus koskee TMS:n käyttöä ensisijaisesti masennuksen hoidossa, mutta harkinnan mukaan myös muissa hoitoindikaatioissa.

Hoitokäytäntö

rTMS-hoito koostuu 10–25 päivän tiiviistä intensiivijaksosta, minkä jälkeen jatketaan harvennettuun ylläpitohoitoon. Esimerkiksi masennuksen estohoidossa rTMS annetaan 1–2 viikon välein, kun sähköhoidossa hoitokertojen väli on 4–6 viikkoa. Kaikki sarjahoidot antaa koulutettu KNF (kliinisen neurofysiologian) hoitaja tai psykiatrinen sairaanhoitaja. Lääkäri (yleensä KNF-lääkäri mutta voi olla myös esim. psykiatri) määrää protokollat ja merkitsee hoitokohteet kuviin ja yleensä antaa ensimmäisen hoidon. Hoitokäynnin kesto on 60 minuuttia. Neuronavigoivilla rTMS-laitteilla (nTMS) magneettipulssit kohdennetaan potilaan aivojen magneettikuvan mukaisesti haluttuun kohteeseen, tarkka kohdennus parantaa hoitotuloksia.

Hoitoindikaatiot ovat laajentuneet ja esimerkiksi TYKS:ssä on kerran kuussa monialainen neuromodulaatiohoidon työryhmä klinikoiden kanssa (neurologia, neurokirurgia, kipupkl, psykiatria, käsikirurgia, gynekologia, audiologia sekä knf ja lääketieteellinen fysiikka).

Tutkimusnäyttö

rTMS hoidosta on olemassa runsaasti tutkimusta. Näyttöä on erityisesti TMS:n käytöstä unipolaarin (lääkehoitoon reagoimattoman) masennuksen hoidossa ([Taiminen & Jääskeläinen Suomen Lääkärilehti 2020](#)). Neurologisista indikaatioista eniten näyttöä on neuropaattisen kivun hoidossa ([Jääskeläinen & Taiminen Suomen Lääkärilehti 2020](#)).

TMS:n käytöstä masennuksen ja neuropaattisen kivun hoidossa on julkaistu HALO (Terveystieteiden tutkimuskeskuksen hallittu käyttöönotto-ohjelma) katsaukset v. 2017 Suomen Lääkärilehdessä. HALO neuvosto ei ehtinyt antamaan suosituksia loppuun saattamisen takia v. 2016.

Alueellinen saatavuus.

Aluehallintoylilääkäreiltä saadun (elo-syyskuu 2021) tiedon mukaan TMS-laitteet puuttuvat ainakin Lapin-, Länsipohjan-, Kainuun-, Keski-Pohjanmaan-, Mikkelin-, Savonlinnan-, Etelä-Karjalan- ja Kymenlaakson sairaanhoitopiireistä. Kaikissa yo-sairaaloissa on saadun tiedon mukaan vähintään yksi, monissa 2-3 navigoivaa rTMS-laitetta, myös useissa keskussairaaloissa on jo navigoiva TMS-laite (Pori, Seinäjoki, Jyväskylä, Hämeenlinna, Lahti).

TMS-hoito sitoo potilaan erikoissairaanhoidon. TYKS:n kokemusten perusteella ylläpitohoito voitaneen monissa sairauksissa korvata potilaan kotiin lainattavalla ja päivittäin käytettävällä tasavirtastimulaatiolaitteella (tDCS), mikä voisi vähentää rTMS-ylläpitohoidon tarvetta.

Tunnistettuja ongelmakohtia

Kyseessä on lääkinällinen laite, jonka teho on osoitettu useissa indikaatioissa ja tutkimusten lisääntyessä hoidon kysyntä/tarve eri indikaatioissa saattaa lisääntyä. Laitetta ei ole kuitenkaan hankittu kaikkiin sairaanhoitopiireihin eikä liioin hoidosta vastaavaa resurssia ole olemassa. Niissäkin paikoissa, joissa on laitteita (esim. TYKS:ssä kolme), jonot psykiatrialla ovat noin 5-6 kk.

Olisi selvitettävä, mitkä syyt ovat johtaneet hoidon tarjonnan alueellisiin eroihin ennen kuin voidaan arvioida Palkon suosituksen tarvetta sekä TMS hoidon indikaatioita (resurssit ja hoitovaste huomioiden). Tämän vuoksi ehdotetaan, että tehdään kysely sairaanhoitopiireihin hoidon tarjontaan/saatavuuteen vaikuttavista tekijöistä, nykyisistä hoitokäytännöistä sekä käytettävissä olevista resursseista.

Palkon arviointikriteerit	Masennus	Muut indikaatiot
Kliinisten käytäntöjen ja saatavuuden alueellinen vaihtelu, yhdenvertaisuus	Alueellinen vaihtelu suuri	Alueellinen vaihtelu suuri. Ei tietoa, miten tarve ja tutkimusnäyttö eri indikaatioissa huomioidaan laitteen käyttöai-koja annettaessa
Terveysongelman yleisyys	Depressiosta kärsii 5-7% suomalaisista vuoden aikana, pienellä osalla vaikea rTMS hoitoa edellyttävä masennus	Yhteensä iso joukko potentiaalisia potilaita
Terveysongelman vakavuus	Vaikeassa depressiossa henkilö yleensä tarvitsee apua päivittäisissä toiminnoissa	Hoito kohdistuisi potilaille, jotka useimmiten päivittäisen avun tarpeessa
Turvallisuus	Ei merkittäviä haittavaikutuksia	Ei merkittäviä haittavaikutuksia
Taloudelliset vaikutukset	Laitehankinta, navigoiva laite 100 K€-350 k€, ei navigoiva 40-60 k€ Kelan uusinta 1 x vuosi 15 -20 k€ Hinta/hoitokerta ja hoitojakso	Laite/laitteiden hankinta Hinta/hoitokerta ja hoitojakso
Eettiset kysymykset	Haavoittuva potilasryhmä, ei itse vaadi hoitoa Näyttö vahvaa, ei kuitenkaan käytössä yhdenvertaisesti eri alueiden välillä Rajallisten resurssien vuoksi arvioitava, kenelle hoidosta eniten hyötyä Päivittäiset hoitokerrat ja etäisyys kotoa vaikuttavat saavutettavuuteen	Yhdenvertaisuus, näyttö vaihtelee eri indikaatioissa mutta useissa vahvaa, ei kuitenkaan saatavilla alueellisesti tai eri potilasryhmien välillä yhdenvertaisesti. Rajallisten resurssien vuoksi arvioitava, kenelle hoidosta eniten hyötyä ja missä indikaatioissa Päivittäiset hoitokerrat ja etäisyys kotoa vaikuttavat saavutettavuuteen

<p>Järjestäminen</p>	<p>Hoito jouduttu rajaamaan pitkään sairastaneisiin hoitoresistenttiä masennusta sairastaviin potilaisiin Hoitojonot 5-6 kk</p> <p>Ylläpitohoidot eli hoitotulosten pysyvyyden varmistaminen saataisi olla mahdollista toteuttaa kotona annettavalla transkraniaalisella tasavirtastimulaatiolla (tDCS)</p>	<p>Hoitoja ei pystytä tällä hetkellä antamaan niin paljon kuin olisi näyttöön perustuvaa tarvetta.</p> <p>Hoitojonot 5-6 kk</p> <p>Sekä laite että osaava henkilökunta resurssi tarpeen</p> <p>tDCS on tulossa ylläpitohoitoon monissa indikaatioissa</p>
----------------------	--	---

Esteettisen kirurgian ja lääketieteellisesti perustellun toimenpiteen rajapinnan määrittely

Taustaa

Työryhmä Eija Suorsa TAYS, Minna Kääriäinen TAYS, Henna Jaurila OYS, Johan Löfgren OYS, Outi Kaarela KYS, Anna-Leena Haataja LKS, Hilve Turunen Siunsote, Ilkka Koskivuo TYKS, Nina Brück TYKS, Virve Koljonen HUS, Susanna Kauhanen HUS on lähestynyt Palkon puheenjohtajaa Sirkku Pikkujämsää koskien sellaisten plastiikkakirurgisten toimenpiteiden tarvemäärittelyä, joissa raja esteettisen ja lääketieteellisesti perustellun toimenpiteen välillä ei ole selkeä. Näitä toimenpiteitä ovat mm laihdutusleikkauksen jälkeinen liiallisen ihon poisto (vartalo, yläraajat, alaraajat, rintojen piennennys), raskauden jälkeisen rectusdiastaasin korjaus ja ylisuurten rintojen piennennysleikkaus. Palko on saanut lisäksi itsenäisen aihe-ehdotuksen, joka koskee lipödeeman rasvaimua.

Julkinen terveydenhuolto ei järjestä puhtaasti esteettisistä syistä johtuvia plastiikkakirurgisia toimenpiteitä. Näin ollen tilasta täytyy olla henkilölle merkittävä haitta, joka voi olla

- toiminnallinen – inkontinenssi tai muu virtsaamisongelma esim. rectusdiastaasiin tai ylimääräisiin ihopoimuihin liittyen
- merkittävää kipua aiheuttava – esim. suuret rinnat
- hoitoa edellyttävä – esim. lihavuusleikkauksen jälkeiset laajat ylimääräiset ihopoimut, joissa haavaumia ja hautomia
- psyykkistä ja sosiaalista stressiä aiheuttava – esim. lihavuusleikkauksen jälkeiset laajat ylimääräiset ihopoimut

Lisäksi tulee yleisten elektiivisen leikkauksen kriteerien täytyä.

On todennäköistä, että kussakin PICO asetelmassa on varsin vähän RCT asetelmalla tehtyjä tutkimuksia, kohorttitutkimuksia löytynee. Yksittäisiin toimenpiteisiin liittyvä suositustyö vaatisi myös runsaasti resursseja. Palko totesi 27.10 kokouksessa, että voitaisiin valmistella geneerinen suositus, jossa pyritään määrittämään ei-esteettisen plastiikkakirurgian reunaehdot. Koska kyseessä on terveydenhuollon alue, jossa todennäköisesti kysyntä kasvaa, on tarpeellista arvioida, miten on mahdollista määrittää lääketieteellistä hoitoa edellyttävän terveysongelman rajapintaa.

Palkon arviointikriteerit suositusaiheista päätettäessä	Kaikki plastiikkakirurgiset menetelmät yhdistettynä
Kliinisten käytäntöjen ja saatavuuden alueellinen vaihtelu, yhdenvertaisuus (jo käytössä olevan menetelmän osalta)	Todennäköisesti merkittävä, koska kiireettömien hoidon kriteerien tarve tunnistettu
Terveysongelman yleisyys	Ylipainon ja lihavuusleikkauksien myötä yleistynyt. Lihavuusleikkauksia tehdään vuodessa noin 1000 ja on arvioitu, että lihavuusleikkauksen jälkeen vähintään 15% tarvitsisi ylimääräisten ihopoimujen poistoa, määrä voi olla suurempikin. Rintojen pienennysleikkauksia tehdään vuositason noin 1800, tähän kuuluvat sekä lihavuusleikkauksien jälkeiset tilat että muut tilanteet (Duodecim 2020;136:1683-9)
Terveysongelman vakavuus	Yksilötasolla voi vaihdella esteettisestä haitasta merkittävään toiminnalliseen ja hoidolliseen haittaan. Sosiaaliseen haittaan voi vaikuttaa myös minäkuva ja ympäristön asenne.
Terveystieteellisen menetelmän (intervention) turvallisuus (mm. haitat)	Kaikkiin kirurgisiin toimenpiteisiin liittyy haavainfektion ja keloidimuodostumien riski, anestesiassa tehtäviin toimenpiteisiin liittyy spesifit riskit, jotka riippuvaisia myös perussairauksissa. Näitä oli pyritty huomioimaan elektiivisen leikkaushoidon KH suosituksessa, ko suositus poistettu netistä.
Taloudelliset vaikutukset	Kustannus/leikkaus vaihtelee. Rintojen pienennysleikkauksen QALYksi arvioitu 3638€. Vaikuttavat myös plastiikkakirurgian resurssitarpeisiin ja resurssien allokoimiseen
Eettiset kysymykset (esim. julkinen arvokeskustelu tarpeen, erityisen haavoittuvat potilasryhmät, yhdenvertaisuuskysymykset, menetelmän voimakas markkinointi)	Miten esteettinen kirurgia ja lääketieteellisesti perusteltu toimenpide – rajapinta määritetään? Osa psykososiaalisesta haitasta voi liittyä kehon kuvaan ja ympäristön asenteisiin. Suosituksella mahdollisesti myös laajempi vaikutus lääketieteellisesti perusteltujen kirurgisten toimenpiteiden määrittämiseen. Kehoon liittyvien ominaisuuksien medikalisoiminen. Resurssien kohdentaminen ongelman syyhyn (painonhallinta menetelmät) vs seurauksien hoitoon (lihavuusleikkaus ja sen seuraukset)

Aihe esitys: TBI-mittaus alaraajojen verenkierron tutkimisessa

Tuotepäällikkö Juha Ylikojola Steripolar Oy:stä ehdottaa Palkolle aihetta, jossa arvioidaan alaraajojen verenkiertoa mittaavan TBI (toe-brachia-index eli varvas-olkavarsipainesuhde) menetelmän käyttöönottoa perusterveydenhuollossa alaraajan valtimoverenkiertohäiriön varhaisemman tunnistamisen ja hoidon aloittamiseksi.

Taustaa:

Ehdottajan näkemyksen mukaan Suomessa arvioidaan olevan noin 220 000 potilasta, jotka sairastavat alaraajojen valtimosairautta. Heistä suurin osa on potilaita, joita ei ole aiemmin seulottu tai tutkittu. Diagnoosi asetetaan usein vasta katkokävely- tai leposärky vaiheessa, jolloin hoidolliset vaihtoehdot vähenevät. Kun potilaana on iäkäs henkilö tai diabetesta sairastava henkilö (nämä tekijät löytyvät yhä useammin esim. alaraajahaavapotilaan taustalta) -varvaspaine tai TBI olisi ehdottajan mielestä luotettavampi arviointimenetelmä ABI- (ankle-brachial index) mittaukseen verrattuna. Ehdottajan näkemyksen mukaan TBI- mittaukset tapahtuvat tällä hetkellä paljolti ESH:ssa, mistä aiheutuu merkittävät kustannukset (Ehdottajan esittämä arvio 700 € / potilas) kun niitä voitaisiin tehdä myös perusterveydenhuollossa.

Nykytilanne:

Duodecim on julkaissut 18.2.2021 Alaraajojen tukkiva valtimotauti –Käypä hoito suosituksen. Käypä Hoito suosituksessa todetaan, että alaraajojen valtimotauti tunnetaan huonommin kuin muut ateroskleroosin ilmentymät (sepelvaltimo- ja aivovaltimotaudit). Tämä heikentää alaraajojen valtimotaudin diagnostiikkaa, riskitekijöiden hallintaa sekä varhaisen hoidon järjestymistä. Alaraajojen valtimotautiin liittyy suuri sydän- ja aivoinfarktiriski ja täten sen varhainen toteaminen olisi tärkeää.

KH-suosituksessa todetaan diagnostiikan kulmakiviä olevan tyypilliset riskitekijät, tyypilliset oireet, jalkaterän valtimosykkeen puuttuminen, hitaasti paraneva haava, poikkeava nilkka-olkavarsipainesuhde (ABI) tai matala varvaspaine tai pieni varvas-olkavarsipainesuhde (TBI) .

ABI- mittaus (ankle-brachial index) kuuluu KH-suosituksen mukaan kroonisen alaraajahaavapotilaan valtimoverenkierron määrittämiseen ja perusterveydenhuollossa tulee olla ABI-mittausta varten tarvittava välineistä, sen käyttö ohjeistetaan KH suosituksessa.

Käypä Hoito—suosituksen mukaan mediaskleroosissa sekä silloin, jos valtimotauti on pääasiassa jalkaterässä, TBI antaa luotettavamman kuvan alaraajan verenkierrosta kuin ABI. Myös transkutaaninen happiosapaine kuuluu tietyissä tilanteissa alaraajojen verenkierron arvioimisessa käytettäviin menetelmiin. Käypä Hoito suosituksessa ei oteta kantaa siihen, missä TBI ja transkutaaninen happiosapaine tutkimus tehdään. Erikoissairaanhoidossa tehtävistä menetelmistä kuvataan verisuonilaboratoriossa tehtävä absoluuttisen varvaspaineen tutkimukset silloin kun tilanne on kriittinen.

Käypä Hoito suosituksessa luetellaan ABI:in liittyvät yleisimmät virhelähteet sekä menetelmään liittyvät muut heikkoudet. TBIstä ei vastaavaa kuvausta ole.

Duodecim on julkaissut 24.3.2021 Diabeetikon jalkaongelmat Käypä Hoito –suosituksen. Suosituksessa todetaan, että diabetekseen liittyvät jalkaongelmat ovat merkittävä kansanterveydellinen haitta ja sairauskulujen aiheuttaja. Erityisesti ehkäisyllä ja varhaisella puuttumisella voidaan välttää monia ongelmia.

Suosituksen mukaan alaraajojen verenkierron arviointi perustuu kliiniseen arvioon (jalan lämpötila, ihon väri, mahdolliset kuoliot), sykkeiden palpatioon sekä ABI-mittaukseen (viitataan alaraajojen tukkiva valtimotauti –suositukseen). Erikoissairaanhoidossa tehtäviä tutkimuksia ovat varvaspaineen mittaaminen. Transkutaaninen happiosapaine mitataan kriittisen iskemian diagnosoinnissa. TBI-mittausta ei mainita.

Yhteenveto:

Kyseessä on yksittäinen alaraajojen verenkiertoa mittaava menetelmä, jonka aseointi perusterveydenhuollon käytössä olevaan menetelmään (ABI-mittaus) pyydetään arvioitavaksi. Alaraajojen verenkiertohäiriöiden varhainen tunnistaminen ja hoidon aloitus on erittäin tärkeää myöhempien komplikaatioiden estämiseksi. Koska aiheesta on kaksi aivan tuoretta Käypä Hoito –suositusta on tarkoituksenmukaisempaa ohjata aihe-ehdotus Käypä Hoito toimitukseen, jossa TBI:n rooli alaraajojen verenkiertohäiriöiden varhaisessa tunnistamisessa olisi luontevinta tarkentaa osana Alaraajojen tukkiva valtimosairaus sekä Diabeetikon jalkaongelmat Käypä Hoito –suosituksia.

Palkon arviointikriteerit suositusaiheista päätettäessä	
Kliinisten käytäntöjen ja saatavuuden alueellinen vaihtelu, yhdenvertaisuus (jo käytössä olevan menetelmän osalta)	Käypä Hoito suosituksessa ei määritetä selvästi TBI toteutustasoa, ABI menetelmästä selkeät ohjeet
Terveysongelman yleisyys	Alaraajojen verenkiertohäiriöt ovat kasvava ongelma
Terveysongelman vakavuus	Verenkiertohäiriön varhainen tunnistaminen estää vakavia komplikaatioita
Terveydenhuollon menetelmän (intervention) turvallisuus (mm. haitat)	Menetelmään ei liity tunnettuja haittoja
Taloudelliset vaikutukset	Edellyttäisi ABI ja TBI menetelmien välistä taloudellista arviota (jos vertailumenetelmät) tai varhaisen toteamisen parantamisen kannalta koko prosessin taloudellista arviota
Eettiset kysymykset (esim. julkinen arvokeskustelu tarpeen, erityisen haavoittuvat potilasryhmät, yhdenvertaisuuskysymykset, menetelmän voimakas markkinointi)	Alaraajojen verenkiertohäiriöiden varhainen toteaminen on tärkeä, tällä hetkellä toteutuu huonosti. Uudet Käypä Hoito suositukset tuovat ongelman esille, oleellista niiden implementointi

13.12.2021

LISÄÄNTYMISTERVEYDEN JAOSTON PERUSTAMINEN JA KOKOONPANO

Hedelmöityshoitoja ja muita lisääntymisterveyden menetelmiä koskevan suosituskokonaisuuden valmistelua varten tarvitaan jaosto. Esitetään, että Palko päättäisi perustaa Lisääntymisterveyden jaoston neuvoston jäljellä olevalle toimikaudelle eli 30.6.2023 saakka ja nimittäisi siihen seuraavat henkilöt suostumuksensa mukaisesti:

Puheenjohtaja:

Mirva Lohiniva-Kerkelä, Palkon varapuheenjohtaja, professori, Lapin yliopisto

Jäsenet:

Mika Gissler, tutkimusprofessori, dosentti, THL

Eija Koivuranta, toimitusjohtaja, Väestöliitto

Jarna Moilanen, LT, MBA, Naistentautien ja synnytysten erikoislääkäri,
lisääntymislääketieteen lisäkoulutus, Ovumia Fertinova

Antti Perheentupa, LT, dosentti, naistentautien ja synnytysten erikoislääkäri,

Hanna Savolainen-Peltonen, LT, dosentti, naistentautien ja synnytysten erikoislääkäri,
lisääntymislääketieteen lisäkoulutus, HUS

Jaostoa voidaan tarvittaessa täydentää tarvittavan osaamisen mukaisesti.

Palkon eettinen asiantuntija Susanne Uusitalo osallistuu suositusten valmisteluun ja jaoston toimintaan.

Miepä jaoston jäsenmuutokset

Jaoston puheenjohtaja: **Professori Juha Auvinen, OYS**

Miepä jaoston jäseneksi ehdotetaan seuraavia asiantuntijoita

Jarmo Hietala, LT, Psykiatrian professori, Turun Yliopisto ja sivuvirkainen ylilääkäri TYKS Psykiatria, psykoosien hoidon vastuualue. Hietala toimii psykiatrian oppiaineen esimiehenä, psykiatrian koulutusohjelman vastuuhenkilönä sekä 'Vaikeiden mielenterveyshäiriöiden etiologia ja hoito' (VAMI)-ohjelman johtajana (TY/TYKS). Hän on tehnyt laaja-alaista tutkimus ja kehittämistyötä vakavien mielenterveyshäiriöiden etiologian ja hoidon alueilla 1980-luvun lopusta alkaen. VAMI- projekti tekee aktiivista yhteistyötä kansallisesti ja kansainvälisesti psykoosien etiologian, hoidon kehittämisen sekä hoitosuosituksen sarjoilla.

Miia Kaartinen, LT, lasten- ja nuorisopsykiatrian erikoislääkäri, nuorisolääketieteen erityispätevyys. Kaartinen toimii tällä hetkellä aluehallintoylilääkärinä Länsi- ja Sisä-Suomen aluehallintovirastossa. Sitä ennen hän on työskennellyt monipuolisissa työtehtävissä sekä lasten- että nuorisopsykiatrian erikoisalalla, ja ennen aluehallintoviraston työtehtävään siirtymistään apulaisylilääkärinä Pirkanmaan sairaanhoitopiiriin lasten- ja nuorisopsykiatrian vastuualueilla. Tutkimustyötä hän on tehnyt etenkin autismikirjon häiriöistä ja suorittanut lääketieteen tohtorin tutkinnon Tampereen yliopistossa vuonna 2017.

Mari Kantanen, on psykologian maisteri (PsM) 1998, neuropsykologian erikoispsykologi (PsL) 2013 ja on tällä hetkellä oikeuspsykologian erikoistumiskoulutuksessa (2021-2023). Kantasella on neuropsykologian vaativan erityistason (VET) kuntouttajapätevyys sekä kliinisen neuropsykologian työnohjaajapätevyys. Hän on työskennellyt 1998-2003 Työterveyslaitoksella psykologian osastolla ja Työlääkätieteen osaston kliinisten neurotieteiden jaoksessa. Kantanen on toiminut HUS Psykiatriassa vuodesta 2003, aluksi Työkyvyntutkimuspoliklinikalla, ja 2011 lähtien HUS Psykiatriakeskuksen aikuispsykiatrisilla osastoilla. Osastoilla tutkitaan ja hoidetaan erityistasoista vaativaa psykiatrista hoitoa tarvitsevia potilaita, sekä toteutetaan moniammatillisia tutkimuksia työkyvyn tai ammatillisen toimintakyvyn arvioimiseksi. Työhöni kuuluvat neuropsykologin tutkimukset näissä kysymyksenasetteluissa. Kliinisen potilastyön ohella hän toimii työnohjaajana sekä koulutustehtävissä.

Tuula Kiesepä, LT, dosentti ja psykiatrian erikoislääkäri, Helsingin Yliopisto. Kiesepä toimii tällä hetkellä ylilääkärinä sosiaali- ja terveysministeriön Asiakkaat ja palvelut osastolla. Sitä ennen hän on ollut vuodesta 2006 alkaen virassa Helsingin ja Uudenmaan sairaanhoitopiiriin psykiatrian tuloksetyksikössä ja viimeiset 10 vuotta johtotehtävissä. Vuodesta 2015 alkaen hän on toiminut HUS Psykoosien ja oikeuspsykiatrian linjajohtajana. Tutkimustyötä hän on tehnyt vakavien mielenterveyshäiriöiden ja etenkin psykoosisairauksien parissa vuodesta 1997 alkaen yhteistyössä THL:n (entinen KTL), suomalaisten yliopistojen ja kansainvälisten tutkimusryhmien kanssa.

Juha Veijola on psykiatrian professori Oulun yliopistossa ja ylilääkäri Pohjois-Pohjanmaan sairaanhoitopiirissä. Hän kuuluu Kansallisen Neurokeskuksen (<https://neurocenterfinland.fi/>) johtoryhmään ja on psykoterapeuttikoulutuksen johtokunnan puheenjohtaja Oulun yliopistossa. Veijola on tehnyt psykiatrista tutkimusta erityisesti Pohjois-Suomen syntymäkohorteissa (<http://www oulu.fi/nfbc/>). Pääasiallisena tutkimusaiheena on ollut psykoosialttius: psykoosin vaaratekijät, aivotoiminnan muutokset ja kognitiiviset muutokset.

Palkon eettinen asiantuntija **Susanne Uusitalo** osallistuu tarvittaessa jaoston toimintaan.