

Indikaatioiden laajennukset osaksi sairaalalääkkeiden kansallista arviointi-suositus toimintaa: Pilotoitava toimintamalli

Tarve indikaatioiden laajennusten kansalliselle arvioinnille ja suositukselle

Arviointiyhdylläkärit (FinnCCHTA) ovat esittäneet toiveen sairaalalääkkeiden indikaatioiden laajennusten kansallisesta arvioimisesta. Toistaiseksi sairaalalääkkeiden indikaatioiden laajennusten arviointeja on tehty arviointiyhdylläkärien toimesta mini-HTA-muotoisina eri yliopistollisissa sairaaloissa. Erityisenä tarpeena esille on nostettu tarve taloudellisesta arvioinnista, koska tätä osaamista ja resursseja verkostossa tai hyvinvointialueilla ei ole tarvittavissa määrin.

Arviointiyhdylläkäreiden verkosto ja Kansallinen Lääkeneuvottelukunta ovat ehdottaneet, että sairaalalääkkeiden indikaatioiden laajennuksista tehtäisiin jatkossa Fimean tuottamana kansallisia arviointeja ja annettaisiin Palkon toimesta suosituksia kansalliseen palveluvalikoimaan kuulumisesta arviointiyhdylläkäriverkoston koordinoimien mini-HTA arvioiden sijaan.

Arviointiyhdylläkärit ja myös lääkeyritykset ovat tuoneet esille, että useissa tilanteissa indikaatioiden laajennukset voivat olla volyymiltään merkittävämpiä (=enemmän potilaita, suuremmat talousvaikutukset, jne.) kuin indikaatio, jolla lääke on tullut markkinoille ensimmäistä kertaa. Tämä vastaa myös Fimean käsitystä asiasta.

Edellä kuvatusta johtuen, sairaalalääkkeiden indikaatioiden laajennusten arviointiin sekä suosituksen tuottamiseen olisi tärkeä kehittää uusi kansallinen malli.

Uusien sairaalalääkkeiden kansallisen arvioinnin nykytila ja Fimean pilotoima toimintamalli

Fimea-Palko prosessissa on toistaiseksi keskitytty arvioimaan kaikki uudet ensi kertaa markkinoille tulevat sairaalalääkkeet. Arvioita on tehty vuosittain 10-15 kpl. Indikaatioiden laajennuksia ei ole arvioitu viime aikoina.

EMA:n sairaalalääkkeiden indikaatioiden laajennuksille myöntämien myyntilupien lukumäärä on n. 20–30 kpl vuodessa. Osa valmisteista ei kuitenkaan tule Suomen markkinoille, joten kansallisessa arviointiprosessissa käsiteltävien indikaation laajennusten määrän arvioidaan olevan luokkaa 10-20 kpl vuodessa. Uusien lääkkeiden arviointien ja suositusten käsittelyt on toistaiseksi saatu toteutettua nykyisin henkilöresurssein.

Fimea käynnisti 1.3.2023 alkaen pilotin, jonka toimintamalli ja ohjeisto on kuvattu [erillisessä dokumentissa](#). Fimea otti vastaan ensimmäiset mallin mukaiset uusien lääkkeiden hakemusmateriaalit 5/2023. Tämän jälkeen pilotissa on arvioitu (tai on arvioinnissa) kaikki uudet ensi kertaa Suomen markkinoille tulevat valmisteet. Palko on valmistellut suositukset kaikista Fimean pilotissa arvioimista uusista myyntiluvan saaneista lääkevalmisteista.

Taustavalmisteluja ehdotetulle toimintamallille

Fimean HTA yksikkö ja Palkon sihteeristö kartoittivat kevättalvella 2024 erilaisia vaihtoehtoja indikaatioiden laajennusten ottamiseksi osaksi kansallista arviointitoimintaa. Nyt ehdotettava toimintamalli on kartoitetuista vaihtoehtoista sellainen, jota olisi mahdollista pilotoida Fimean ja Palkon toimesta nykyresurssein. Indikaatioiden laajennusten arviointiin ja suositusten valmisteluun ehdotettavan menettelyn on tavoitteena olla riittävän nopea ja nykytilanteeseen soveltuva huomioiden,

että nykyresurssit eivät mahdollista täysimittaisten uusille lääkkeille tehtävien arviointien ja suositusten mukaista menettelyä.

Ehdotettua toimintamallia on tarkoitus pilotoida noin vuoden ajan, minkä jälkeen pilotoinnin perusteella arvioidaan toimintamallin toimivuus, hyödyt, kehittämiskohteet sekä mahdollinen tarve toiminnan laajentamiselle. Pilotin kokemusten ja tehdyn arvioinnin perusteella tulee arvioida myös mahdollisen toiminnan laajentamisen edellyttämät resurssit sekä vaikutukset sidosryhmiin.

Uusien, ensimmäistä kertaa markkinoille tulevien, valmisteiden osalta nykyiseen menettelyyn ei tässä vaiheessa esitetä muutoksia.

Ehdotus toimintamallista

Määrittelyt ja rajaukset

Käytössä olevien lääkehoitojen indikaation laajennuksella tarkoitetaan tässä yhteydessä lääkevalmistetta tai -hoitoa, jolla on jo aiemmin myyntilupa johonkin käyttöaiheeseen X ja joka on käytössä Suomen markkinoilla, ja jolle on myönnetty käyttöaiheen laajennus käyttöaiheeseen Y. Tässä esitettävä toimintamalli koskee vain tällaisten lääkehoitojen arviointia ja suosituksen tuottamista tilanteissa, jossa käyttöönottoa mietitään ja tarve kansallisesti toteutettavalle arvioinnille ja suositukselle on tunnistettu.

Uudet, ensimmäistä kertaa markkinoille tulevat valmisteet arvioidaan Fimean toimesta nykyisin menettelyin (hakemusmenettely tai viranomaisaloitteinen arviointi) ja ne käsitellään Palkon suositusprosessiin.

Ei käytössä tai Suomen markkinoilla olevat valmisteet, joilla on jo myyntilupa jossakin käyttöaiheessa X mutta eivät ole vielä Suomen markkinoilla tai käytössä, ja joille myönnetään käyttöaiheen laajennus käyttöaiheeseen Y, pyritään arvioimaan lähtökohtaisesti vastaavalla menettelyllä kuin uudet ensimmäistä kertaa markkinoille tulevat valmisteet vaikkakin kyseessä on teknisesti indikaation laajennus.

Käytössä olevien lääkehoitojen indikaation laajennusten arvioinnin prosessi

1. Suositusprosessin käynnistyminen

- a. Arviointiyhdylläkäriverkosto ehdottaa mini-HTA:n tai muun menettelyn kautta arvioinnin siirtämistä Fimea-Palko-prosessiin, mikäli aihe on taloudellisesti merkittävä tai siihen liittyy muutoin tarve mini-HTA:ta laajempaan käsittelyyn.
- b. Fimeassa tehdään tarvittaessa aiheesta hyvin lyhyt tarvekartoitus, jossa arvioidaan lääkehoidon edellytyksiä ja soveltuvuutta suositusprosessiin.

2. Palkon sihteeristö arvioi aihe-ehdotuksen ja pääsihteerä päättää suositusvalmistelun käynnistämistä.

- a. Mikäli Palko käynnistää suositusprosessin, tiedottaa se julkisesti asiasta ja Fimea informoi myyntiluvan haltijaa.
 - i. Suositusprosessin käynnistymiseen tai käynnistämättä jättämiseen vaikuttavat aiheen hoidollinen ja taloudellinen merkitys, Palkon suositusvalmisteluun käytettävissä olevat resurssit sekä Fimean arviointilausunnon tuottamiseen kulloinkin käytettävissä olevat resurssit.
- b. Palkon sihteeristö pyytää Fimealta arviointilausuntoa asiasta.

3. Arviointi (n. 4 vko)

- a. Fimea pyytää tarvittaessa myyntiluvan haltijalta lisätietoja ja tuottaa arviointilausunnon.
- b. Arviointilausunto toimitetaan Palkon sihteeristölle. Lausunto toimitetaan nähtäväksi myös arvioinnin kohteena olevan lääkevalmisteen myyntiluvan haltijalle. Arviointilausunto pyritään tuottamaan n. 4 viikon kuluessa suositusprosessin käynnistymisestä, ellei Fimea muuta ilmoita.
- c. *Liitteessä 1* on kuvattu Fimean tuottaman arviointilausunnon sisältö. Joissakin tilanteissa arviointilausuntoa voidaan laajentaa kattamaan myös muita tietoja, joka voi vaikuttaa myös arvioinnin keston.

4. Suosituksen laadinta

- a. Fimean arviointilausunto esitellään Lääkejaostossa (1. käsittely) ja Lääkejaosto linjaa suosituksen valmistelua arviointilausunnon perusteella.
- b. Palkon sihteeristö valmistelee suositusluonnoksen arviointilausunnon ja Lääkejaoston linjausten perusteella, ottaen huomioon soveltuvien osien muun käytössä olevan materiaalin.
- c. Palkon vastuusihteerä vie suositusluonnoksen Lääkejaoston käsiteltäväksi (2. käsittely). Lääkejaosto päättää suositusluonnoksen viemisestä julkisesti kommentoitavaksi otakantaa-palveluun (4 vkoa). Myyntiluvan haltija voi lähettää suositusvalmistelun aikana kommenttinsa tai otakantaa- vaiheessa vastineensa Palkon sihteeristölle. Myös muilta tahoilta voidaan pyytää lausuntoja tarvittaessa.
- d. Palkon vastuusihteerä viimeistelee suositusluonnoksen otakantaa-palvelun kommenttien, vastineen ja pyydettyjen lausuntojen perusteella ja vie suosituksen Lääkejaoston hyväksyttäväksi esitettäväksi Palkon neuvostolle (3. käsittely).

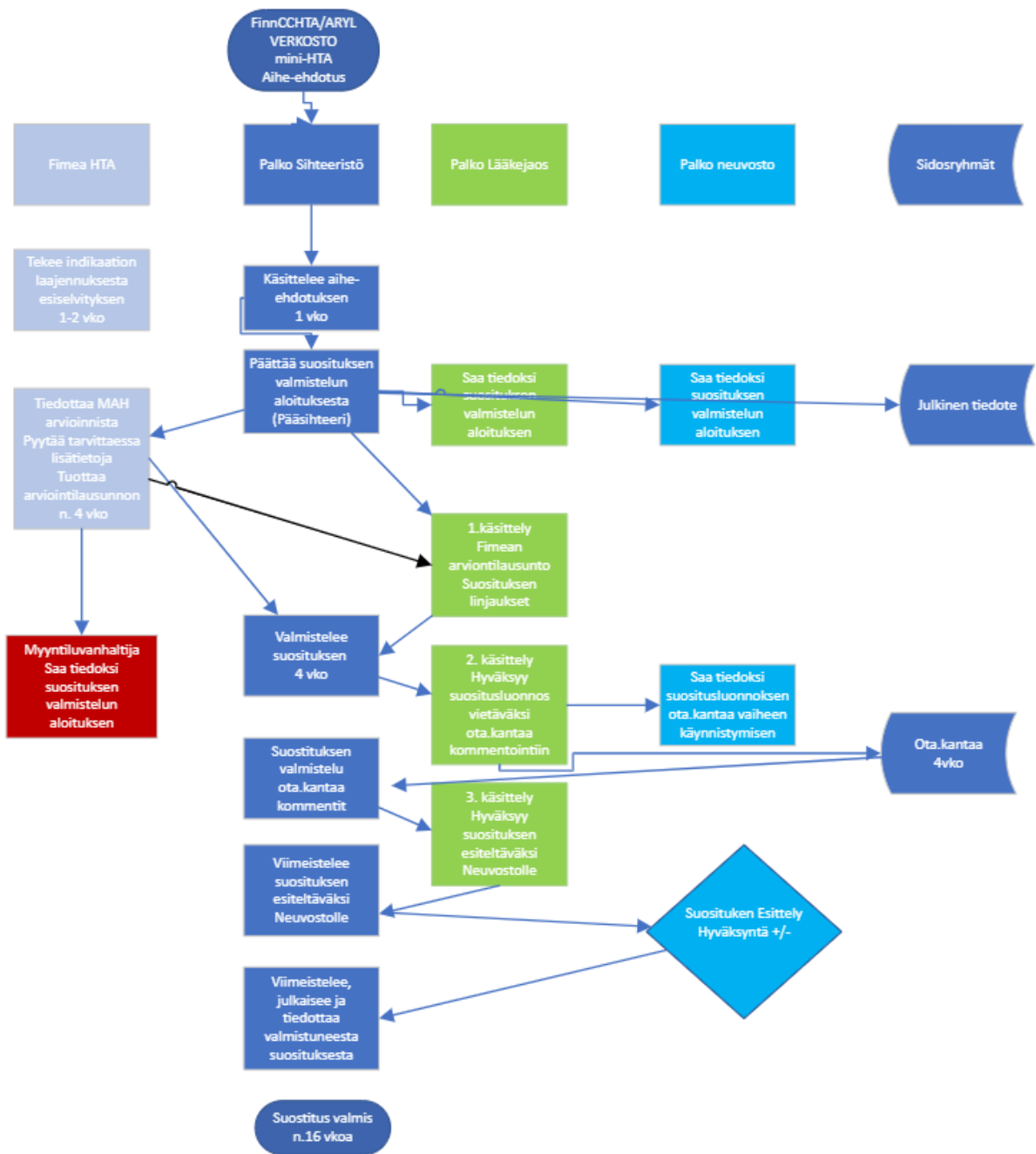
5. Suosituksen hyväksyntä

- a. Palkon Neuvostolle esitellään suositusluonnos ja Palkon neuvosto
 - i. hyväksyy suosituksen
 - ii. palauttaa suosituksen Lääkejaostoon jatkovalmisteluun
 - iii. hylkää suositusluonnoksen

6. Viimeistely ja julkaisu

- a. Hyväksytty suositus viimeistellään ja julkaistaan Palkon nettisivuilla ja siitä tiedotetaan.

Prosessin vaiheet on kuvattu oheisessa kuvassa (kuva 1).



Kuva 1. Indikaation laajennuksen Fimea-Palko (arviointi-suositus) prosessin ehdotus pilotointiin

Liite 1. Arviointilausunnon sisältö (raportin pituus noin 8-15 sivua)

1. Taustaa sairaudesta

- millainen sairaus, ilmaantuvuus, kuolleisuus
- nykyinen hoitokäytäntö, mahdolliset hoitolinjat, hoitosuosituksset
- vertailuhoito/hoidot

2. Lyhyt kuvaus lääkkeestä

- käyttöaihe
- vaikutusmekanismi lyhyesti
- annostus ja antotapa

3. Keskeinen tutkimusnäyttö

- mihin tutkimukseen/tutkimuksiin tutkimusnäyttö perustuu?

3.1. Pää tutkimuksen kuvaus

- tutkimuksen kohderyhmä
- tutkimuskohortit
- annostus
- ensisijaisten ja toissijaisten lopputulosmuuttujien kuvaus
- mediaani seuranta-aika primäärianalyysin ajankohdassa (ja päivitetystä analyysiajankohdassa)
- potilaiden tärkeimpien ominaispiirteiden kuvaus

3.2. Tutkimuksen tulokset: kliininen vaikuttavuus

- tutkimuksen päätulokset lyhyesti
- alaryhmäanalyysien tulokset tai maininta, jos sieltä ei nouse mitään erityistä
- terveyteen liittyvä elämänlaadun mittaaminen tutkimuksessa ja sen tulokset

3.3. Tutkimuksen tulokset: turvallisuus

- yhteenveto tutkimuksessa havaituista haittatapahtumista
- yleisimmät haittatapahtumat listattuna
- tutkimuksen aikaiset kuolemat
- EMAn arviointiraportissa listatut turvallisuuteen liittyvät huolenaiheet ja kuinka paljon niitä esiintyi tutkimukset aikana

4. Kustannukset

- potilaskohtaiset lääke- ja annostelukustannukset tarkastellulle lääkkeelle ja vertailuhoidolle kuukausittain ja/tai keskimääräisen hoidon keston (tai hoidon keston mediaanin) mukaan
- mahdollisesti kumulatiiviset potilaskohtaiset kustannukset esim. kahden vuoden ajalta
- karkeasti esitetty budjettivaikutus, jos potilasmäärä on tiedossa

5. Kustannusvaikuttavuus

- tiedot muiden maiden arvioinneista (vertaa kappaleeseen 6)
- onko julkaistu tieteellisiä artikkeleita, joissa tietoa kustannusvaikuttavuudesta
- pohdinta taloudelliseen arviointiin liittyvistä epävarmuustekijöistä erityisesti Suomen näkökulmasta

6. Muiden maiden HTA-arvioinnit ja suositukset käyttöönotosta

- Yhteenveto muiden maiden arvioinneista ja suosituksista ja niiden perustelut

7. Yhteenveto ja pohdinta

