

Hyväksytty 7.11.2024 julkaistavaksi kommentoitavaksi otakantaa.fi –palvelussa
Hyväksytty Palkon kokouksessa xx.xx.202x

Palveluvalikoimaneuvoston suositus

Glofitamabi uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa

Glofitamabi ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa.

Palkon näkemyksen mukaan tutkimusnäyttöön liittyy merkittävää epävarmuutta. Saatavilla olevan tutkimusnäytön mukaan alle puolet potilaista sai hoidolle täydellisen vasteen, ja hoidon vaikutus elinaikaan tai elämänlaatuun ei ole vielä arvioitavissa. Näyttö perustuu toistaiseksi yksihaaraiseen faasi II:n tutkimukseen. Palkon näkemyksen mukaan vaikeiden tai henkeä uhkaavien haittojen määrä on merkittävä. Glofitamabi-hoidon teho- ja kustannusvertailu perustuu ankkuroimattomaan epäsuoraan vertailuun, jolla on menetelmänä useita epävarmuutta aiheuttavia tekijöitä.

Sisälllys

1	Suosituksen kohde, rajaukset ja tietopohja	1
2	Terveysongelma.....	1
3	Arvioitava menetelmä.....	1
4	Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan	2
5	Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi	3
6	Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset	5
7	Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat	7
8	Johtopäätökset.....	7
9	Yhteenveto suosituksesta	8
10	Lisänäytön kerääminen ja suositusten vaikutusten seuranta	10

Lyhenteet

AESI	Erityisen mielenkiinnon kohteena olevat haittatapahtumat (adverse event of special interest)
ASCT	Autologinen kantasolusiirto
CHMP	Euroopan ihmislääkekomitea (The Committee for Medicinal Products for Human Use)
CR	Täydellinen vaste (complete response)
DLBCL	Diffuusi suurisoluisen B-solulymfooma
DoCR	Täydellisen vasteen kesto (duration of complete response)
DoR	Vasteen kesto (duration of response)
EMA	Euroopan lääkevirasto (European Medicines Agency)
EPAR	EMAn lääkevalmisteesta tekemä julkinen arviointiraportti (European Public Assessment Report)
ESMO	Euroopan lääketieteellisen onkologian seura (European Society For Medical Oncology)
ESS	Efektiivinen otoskoko

ICER	Inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde (Incremental cost-effectiveness ratio)
IPI	Taudin uusimista ja elinaikaa ennustava riskiluokitus (International prognostic index)
IRC	Puolueeton arviointiryhmä (independent review committee)
ITT	Tutkimuksen hoitoaiepopulaatio (intention to treat population)
LV	Luottamusväli
LY	Elinvuosi (life-year)
MAIC	Kaltaistettu epäsuora vertailu (matching-adjusted indirect comparison)
ORR	Kokonaisvasteosuus (overall response rate) [CR+PR]
OS	Kokonaiselossaoloaika (overall survival)
PFS	Elossaoloaika ennen taudin etenemistä (progression-free survival)
p.o.	Suun kautta (per os)
PSA	Propensiteettipisteanalyysi (Propensity score analysis)
QALY	Laatupainotettu elinvuosi (quality-adjusted life year)
SAE	Vakava haittatapahtuma (serious adverse event)
SAF	Turvallisuuspopulaatio (safety population)
SD	Keskihajonta (standard deviation)
TEAE	Hoidon aikana ilmaantuva haittatapahtuma (treatment-emergent adverse event)
TFCR	Aika ensimmäiseen täydelliseen vasteeseen (time to first complete response)
TFOR	Aika ensimmäiseen vasteeseen (time to first response)
TRAE	Hoitoon liittyvä haittatapahtuma (treatment-related adverse event)
TTOT	Aika hoidon lopettamiseen (Time to of treatment)

Palkon suosituksista

Terveystenhuollon palveluvalikoimaneuvosto Palkon tehtävänä on ohjata julkisesti rahoitettujen terveystenpalveluiden järjestämistä antamalla suosituksia siitä, kuuluuko arvioitu terveystenhuollon menetelmä terveystenhuollon palveluvalikoimaan tietyn terveystsongelman tutkimuksessa, hoidossa tai kuntoutuksessa.

Palkon suositus koostuu tästä varsinaisesta suosituksesta, valmistelumuistiosta ja tiivistelmästä. Suositus julkaistaan taustamateriaaleineen [kotisivuilla](#) suomeksi. Tiivistelmä julkaistaan myös [ruotsiksi](#) ja [englanniksi](#).

Suosituksot perustuvat parhaaseen hyväksymishetkellä käytettävissä olleeseen lääketieteelliseen ja muuhun tietoon. Suositus on voimassa toistaiseksi, ellei voimassaoloaikaa ole rajoitettu.

Terveystenhuollon palveluvalikoiman määrittely sekä Palkon toiminta perustuu [terveystenhuoltolain \(1203/2014\) 7a](#) ja [78a](#) §:ään sekä [terveystenhuollon palveluvalikoimaneuvostosta annettuun valtioneuvoston asetukseen \(63/2014\)](#) muutoksineen ([718/2017](#) ja [995/2019](#)).

[Palkon hyväksymä käsikirja](#) sisältää tarkemman kuvauksen käsittelyprosessista ja palveluvalikoiman määrittelyn periaatteista.

Palkon suositus ei ole kannanotto siihen, miten yksittäistä potilasta tulisi tutkia, hoitaa tai kuntouttaa, vaan siitä päätetään [potilaslain](#) mukaisesti hyödyt ja haitat yksittäistapauksessa punniten. Harkittaessa käytettäväksi menetelmää, joka on rajattu palveluvalikoiman ulkopuolelle, tulee huomioida [terveystenhuoltolain 7a §:n 3 momentin](#) säännös poikkeamisen lääketieteellisistä edellytyksistä. Poikettaessa palveluvalikoimasta korostuu velvollisuus perustella ja kirjata ratkaisun perusteet.

[Sairausvakuutuslain](#) mukaan palveluvalikoiman ulkopuolelle rajatusta hoidosta ei voi saada sairausvakuutuskorvausta.

1 Suosituksen kohde, rajaukset ja tietopohja

Palkon suosituksen kohteena on glofitamabi (kauppanimeltä Columvi) monoterapiana uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa aikuispotilaille kahden tai useamman systeemisen hoitolinjan jälkeen. Suositus perustuu Fimean helmikuussa 2024 julkaisemaan arviointiraporttiin (Nousiainen ym. 2023). Myyntiluvan haltija (Roche) on antanut vastineen Fimean raporttiin. Lisäksi myyntiluvan haltija on toimittanut Palkolle kolmen vuoden seuranta-ajan tuloksia NP30179-tutkimuksesta.

2 Terveysongelma

Diffuusi suurisoluinen B-solulymfooma (DLBCL) on yleisin imukudossyöpä. Se etenee nopeasti ja johtaa hoitamattomana nopeasti kuolemaan (Leppä ym. 2023). Vuonna 2021 Suomessa sairastui diffuusiin suurisoluiseseen B-solulymfoomaan 724 ihmistä, joista 407 oli miehiä. Samana vuonna 300 potilasta kuoli tähän tautiin (Syöpärekisteri). Taudin ilmaantuvuus kasvaa iän mukaan (Columvi, EPAR). Suomessa DLBCL:n ilmaantuvuus oli 13,07/100 000 vuonna 2021 (Syöpärekisteri).

Osa DLBCL imuskudossyöpään sairastuneista paranee ensilinjan hoidolla. Potilailla, joilla on ensisijaisesti hoitoon reagoimaton tauti, tai joiden tauti etenee toisen linjan autologisen kantasolusiirron jälkeen, on erityisen huono ennuste. Potilaiden kokonaiselossaoloaika (OS) on 4–13 kuukautta. Hoitoon reagoimatonta tautia sairastavien potilaiden kokonaisvasteisuus (ORR) on 20–30 % toisen tai kolmannen linjan kemoterapiassa. Myös elossaoloaika ennen taudin etenemistä (PFS) on näillä potilailla lyhyt. (Columvi, EPAR).

3 Arvioitava menetelmä

Glofitamabi on täyspitkä humanisoitu immunoglobuliini G1 (IgG1) -pohjainen bispesifinen vasta-aine, joka kohdentuu B-solujen pinnalla oleviin CD20-antigeeniin ja T-solujen pinnalla oleviin CD3ε-antigeeniin. Glofitamabi sitoutuu samanaikaisesti kahteen CD20-proteiiniin ja yhteen CD3ε-proteiiniin muodostaen yhteyden B- ja T-solujen välille. Tämä aiheuttaa T-solujen aktivoitumisen ja jakautumisen, joka johtaa B-solujen hajoamiseen.

Glofitamabi estää lisäksi vasta-ainevälitteistä solukuolemaa. Glofitamabi toimii myös soluissa, jotka ilmentävät vain vähän CD20-proteiinia. (Columvi, EPAR).

Euroopan komissio on myöntänyt glofitamabia sisältävälle Columvi-valmisteelle ehdollisen myyntiluvan heinäkuussa 2023 aikuisille potilaille monoterapiana uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoitoon kahden tai useamman systeemisen hoitolinjan jälkeen.

Näyttö glofitamabin tehosta ja turvallisuudesta perustuu pääosin faasin I/II avoimeen NP30179 tutkimukseen aikuispotilailla, joilla on hoitoon reagoimaton tai uusiutunut diffuusi suurisoluinen B-solulymfooma, johon on annettu vähintään kahta systeemistä hoitoa (Columvi, EPAR). Ensisijainen lopputulosmuuttuja tutkimuksessa oli täydellinen vaste riippumattoman arviointiryhmän arvioimana. Toissijaisia lopputulosmuuttujia olivat täydellinen vaste tutkijan arvioimana, kokonaisvasteisuus (ORR), kokonaisvasteen kesto (DoR) ja täydellisen vasteen kesto (DoCR), elossaoloaika ennen taudin etenemistä (PFS), kokonaiselossaoloaika (OS), aika ensimmäiseen täydelliseen vasteeseen (TFCR) ja aika ensimmäiseen vasteeseen (TFOR).

Fimean arviointiraportin Liitteessä 1 on esitetty yhteenveto eräiden muiden maiden HTA-arviointielinten suosituksista tai kannanotoista. Ainoastaan Englannin ja Walesin arviointi on valmistunut glofitamabin käytöstä hoitoon reagoimattoman tai uusiutuneen diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa potilailla, jotka ovat saaneet aiemmin vähintään kahta systeemistä hoitoa. Suosituksen mukaan glofitamabia voidaan suositella käytettäväksi taloudellisen sopimuksen mukaisesti.

4 Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan

Suomen lymfoomaryhmä on päivittänyt hoitosuosituksensa nopeakasvuisten B-solulymfoomien hoidosta tammikuussa 2024 (Leppä ym. 2024). Euroopan lääketieteellisen onkologian seura (ESMO) on julkaissut eurooppalaisen hoitosuosituksen DLBCL:n hoidosta vuonna 2015 (Tilly ym. 2015). Lymfoomaryhmän ja ESMO:n hoitosuositukset ovat samansuuntaisia.

ESMO:n mukaan yli 30 %:lla DLBCL:ää sairastavista potilaista tauti uusiutuu (Tilly ym. 2015). Uusiutuneessa tai hoitoon reagoimattomassa taudissa yhtenä vaihtoehtona on platinapohjainen immunokemoterapia ja autologinen kantasolusiirto (Leppä ym. 2024). Riittämättömässä hoitovasteessa suositellaan siirtymistä CAR-T-soluhoidon. CAR-T-soluhoidoista aksikabtageenisiloleuseelia suositellaan myös suoraan toisessa linjassa hyväkuntoisille potilaille, kun tauti on uusiutunut vuoden kuluessa ensilinjan hoidon päättymisestä (Leppä ym. 2024).

Kolmannen tai myöhemmän linjan hoitosuosituksena hyväkuntoisille potilaille on CAR-T-soluterapia (aksikabtageenisiloleuseeli tai tisagenlekleuseeli). Mikäli CAR-T-soluterapia ei ole mahdollinen, suosituksena on antaa immunokemoterapiaa ja / tai tautialueiden sädehoitoa. Jos kantasolusiirto ei ole mahdollinen tai tauti on edennyt sen jälkeen, kansallisessa hoitosuosituksessa annetaan vaihtoehtoisiksi myös rituksimabi - bendamustiini yhdistettynä polatutsumabi-vedotiiniin (Pola-BR -hoito) sekä tafasitamabi-lenalidomidi-yhdistelmä. (Leppä ym. 2024).

Pola-BR-hoito ei tässä käyttöindikaatiossa kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan Palkon vuonna 2020 antaman suosituksen mukaisesti. Pola-BR on myöhempien tutkimustulosten myötä otettu tässä indikaatiossa mukaan Suomen lymfoomaryhmän vuonna 2023 päivitettyyn hoitosuositukseen (Leppä ym. 2023). Tafasitamabi-lenalidomidi-yhdistelmästä on olemassa arviointiylilääkäreiden kielteinen kannanotto (FinCCHTA) eikä lenalidomidilla ole sairausvakuutuskorvattavuutta tässä käyttöaiheessa. Hoitosuosituksen julkaisun jälkeen Palko on julkaissut kielteisen suosituksen lonkastuksimabi-tesiriinistä.

5 Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi

NP30179-tutkimus on avoin monikansallinen yksihaarainen vaiheen I/II annoslaajennus- ja annosvastetutkimus, jossa arvioitiin glofitamabin vaikuttavuutta potilailla, joilla oli uusiutunut tai hoitoon reagoimaton non-Hodgkinin B-solulymfooma. Tutkimukseen otettiin sisään yhteensä 458 potilasta. Tutkimus oli alun perin tarkoitettu faasin I altistus-vaste-tutkimukseksi. Tutkimuksen protokollaa muutettiin tutkimuksen aikana kymmenen kertaa, minkä seurauksena tutkimus muuttui faasin II tutkimukseksi. Tutkimus sisälsi 17 kohorttia. Suositus perustuu tutkimuksen näyttöön koskien yhtä kohorttia, jossa oli diffuusi

suurisoluinen B-solulymfooma-potilaita ja joita oli hoidettu vähintään kahdella systeemisellä hoitolinjalla, ja jotka saivat tutkimuksessa indikaation mukaista hoitoa (n=108).

Tutkimuskohortissa oli mukana 108 tutkittavaa. Riippumattoman arviointiryhmän mukaan täydellisen vasteen sai 35,2 % (n=38). Turvallisuuskohortissa oli 155 tutkittavaa, heistä täydellisen vasteen sai 40,0 % (n=62) potilaista. Kokonaisvasteosuudet vastaavasti olivat 50,0 % (n=54) ja 51,6 %. (n=80) Potilaat saivat vasteen (ORR tai CR) keskimäärin 42 päivässä. Kokonaisvasteen keston mediaani oli tutkitussa ryhmässä 14,4 kuukautta ja yhdistetyssä turvallisuuskohortissa 16,8 kuukautta. Täydellisen vasteen keston mediaania ei saavutettu kummassakaan ryhmässä. Glofitamabi-hoidon kesto on korkeintaan 12 sykliä eli noin 8 kuukautta, joten vasteen keston tulokset viittaavat glofitamabi-hoidon vaikutusten säilymiseen hoidon lopettamisen jälkeen.

NP30179-tutkimuksessa ei ollut vertailuhoitoa, joten myyntiluvan haltija arvioi glofitamabin tehoa vertaamalla sitä ankkuroimattomalla kaltaistamattomalla epäsuoralla vertailulla bendamustiini-rituksimabi (BR) -, Kymriah- ja Yescarta-hoitoihin. Lisäksi myyntiluvan haltija vertasi glofitamabia propensiteettipisteanalyysissä Pola-BR-hoitoon. Vertailujen tulokset suosivat glofitamabia verrattuna BR-, Pola-BR- ja Kymriah-hoitoihin. Yescarta-hoito sai vertailussa paremmat tulokset glofitamabiin verrattuna.

Kaikki myyntiluvan haltijan toteuttamat vertailut olivat yksihaaraisen satunnaistamattoman tutkimuksen epäsuoria vertailuja. Palkon näkemyksen mukaan vertailuista tehtäviin päätelmiin sisältyy merkittävää epävarmuutta, jonka suuruutta ei voida täysimääräisesti arvioida. Fimean arviointiryhmän toteuttaman naiivin vertailun perusteella vertailtujen hoitojen PFS- ja OS-tulokset olivat samankaltaisia. Täydellisen vasteen osuus oli paras Yescarta-hoidolla ja huonoin lonkastuksimabi-tesiriini-hoidolla.

Lähes kaikilla NP30179-tutkimukseen osallistuneilla potilailla havaittiin jonkinasteinen haittatapahtuma (98,7 %) yhdistetyssä turvallisuuskohortissa. Myös hoitoon liittyviä haittatapahtumia oli lähes kaikilla (90,9 %). Glofitamabi-hoidon aikana kuoli 81 (52,3 %) potilasta, mistä 9 liittyi haittatapahtumaan (covid-19, sepsis, delirium). Vaikeita, henkeä uhkaavia haittatapahtumia (aste ≥ 3) todettiin yli puolella potilaista (57,8 %). Vakavia

haittatapahtumia oli hieman alle puolella potilaista (48,7 %). Hoidon lopettamiseen johtaneita haittatapahtumia ilmaantui hoidon aikana viidelle potilaalle (3,2 %).

Sytokiiniioireyhtymä oli yleisin hoidon aikana ilmaantuva haittatapahtuma (64,3 %) ja kaikki havaitut tapaukset liittyivät glofitamabi-hoitoon. Valtaosa näistä tapahtumista oli haitta-asteen 1–2 tapahtumia ja ne ilmenivät pääsääntöisesti ensimmäisten kahden hoitosyklin aikana. Muita yleisiä esiintyneitä haittatapahtumia (vähintään 20 %:lla potilaista) olivat neutropenia (35,7 %), anemia (30,5 %) ja trombosytopenia/alentunut verihiutaleiden määrä (21,4 %). Nämä haitat ovat tyypillisiä potilailla, jotka ovat saaneet useita aiempia hoitoja.

CHMP:n turvallisuuteen liittyviä huomioita olivat, että pitkäaikaista turvallisuustietoa ei ole vielä saatavilla ja aikaisempaa CAR-T-hoitoa saaneiden potilaiden haittatapahtumia ei raportoitu erikseen.

6 Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset

Kustannusvaikuttavuuden arviointi perustuu myyntiluvan haltijan Fimealle toimittamaan ositettuun elinaikamalliin, jossa glofitamabi-hoitoa verrataan polatutsumabi-vedotiinin + bendamustiinin ja rituksimabin yhdistelmähoitoon (pola-BR) ja bendamustiini-rituksimabi-yhdistelmähoitoon (BR). Skenaarioanalyseissä glofitamabi-hoitoa verrataan mallissa CAR-T-hoitoihin (Kymriah ja Yescarta).

Myyntiluvan haltijan mukaan arvioitavan glofitamabi-hoidon inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde (ICER) 3 %:n diskonttokorolla on 24 000 €/QALY BR-hoitoon verrattuna ja 20 000 €/QALY Pola-BR-hoitoon verrattuna. Arvioitavalla hoidolla muodostui 3,27 ja 0,87 lisäelinvuotta (2,26 ja 0,62 QALY) enemmän kuin BR-hoidolla ja Pola-BR-hoidolla. Yescarta-hoitoon verrattuna glofitamabi-hoidon ICER oli 180 000 €/QALY. Glofitamabin ICER oli dominoiva Kymriah-hoitoon verrattuna. Glofitamabi-hoidolla muodostui 2,33 lisäelinvuotta (1,64 QALY) vähemmän kuin Yescarta-hoidolla ja 1,43 lisäelinvuotta (0,98 QALY) enemmän kuin Kymriah-hoidolla.

Mallin keskeisimmät epävarmuuden lähteet olivat mallin tietojen perustuminen myyntiluvan haltijan toteuttamiin ankkuroimattomiin epäsuoriin vertailuihin, glofitamabi-hoidon kesto,

käytetyt ekstrapolaatiojakaumat ja myyntiluvan haltijan käyttämä oletus pitkäaikaisesta remissiosta. Kaikkien vertailujen efektiiviset otoskoot (ESS) olivat matalat, joten kustannusvaikuttavuusmallissa käytetyt kaltaistetut populaatiot eivät vastanneet alkuperäistä NP30179-tutkimuksen populaatiota. tuloksiin liittyy merkittävää epävarmuutta. Myyntiluvan haltijan oletus kuolleisuudesta yliarvioi glofitamabilla saatavia terveyshyötyjä eikä arviointiryhmä pidä oletusta uskottavana. Täten myös kustannusvaikuttavuuden tuloksiin liittyy merkittävää epävarmuutta.

Fimean perusanalyysissä muutettiin mallin populaatio vastaamaan glofitamabi-hoidon ITT-populaatiota. Lisäksi mallista poistettiin oletus remissiosta, ja PFS:a ja OS:a mallinnettiin seuranta-ajan osalta Kaplan-Meier-analyysin tietoja käyttäen. Täten glofitamabi-hoidon ICER BR-hoitoon verrattuna oli 46 000 €/QALY ja Pola-BR-hoitoon verrattuna 25 000 €/QALY. CAR-T-hoitoihin tehdyssä vertailussa glofitamabi-hoidon ICER oli Kymriah-hoitoon verrattuna 200 000 €/QALY ja Yescarta-hoitoon verrattuna 111 000 €/QALY.

Myyntiluvan haltija arvioi kolmannen linjan potilaiden määräksi noin 40 potilasta vuosittain, joka on noin 6 % kaikista vuosittain diagnosoiduista potilaista. Arvion mukaan glofitamabi olisi hoitovaihtoehto erityisesti niille potilaille, jotka eivät sovellu CAR-T-hoitoon tai eivät taudin nopean etenemisen vuoksi ehdi saada sitä, tai potilaille, joiden tauti on uusiutunut toisen linjan CAR-T-soluhoidon jälkeen. Huomioiden markkinan jakautuminen arvion kohteena olevan hoidon ja vertailuhoidojen kesken, myyntiluvan haltijan arvioi glofitamabin potilasmääräksi noin 15–20 potilasta vuosittain. Fimean klinisen asiantuntijan näkemyksen mukaan arvioitu potilasmäärä vaikuttaa oikeansuuntaiselta. Aiempien hoitolinjojen hoitokäytäntöjen kehittyminen vaikuttaa kolmannen linjan potilasmäärään tulevaisuudessa.

Myyntiluvan haltijan potilaskohtaiset lääke- ja annostelukustannukset ovat glofitamabi-hoidolle noin 61 000 euroa. Vertailuhoidojen potilaskohtaiset lääke- ja annostelukustannukset ovat oletetuilla hoitojen kestoilla 8 800–352 000 euroa. Glofitamabi-hoidon kustannukset olisivat noin 10 000–52 409 euroa suuremmat kuin Pola-BR- ja solunsalpaajahoidon, johon liitetään rituksimabi ja 291 000–284 000 euroa pienemmät kuin CAR-T-hoitojen. Myyntiluvan haltijan oletuksen mukaan budjettivaikutus nousisi noin 652 000 euroon glofitamabi-hoidon potilasmäärän vakiinnuttua 18 potilaaseen.

Budjettivaikutuksen arvioon liittyy jonkin verran epävarmuutta liittyen glofitamabin potilasmäärään, vertailuhoitojen markkinaosuuksiin vuosittain ja siihen, missä määrin glofitamabi-hoito tulisi korvaamaan Pola-BR- ja solunsalpaajahoidon, johon liittyy rituksimabi. Koska glofitamabi-hoitoon soveltuvat potilaat eivät välttämättä saa kolmannessa linjassa CAR-T-hoitoa, oletus on, että glofitamabi-hoito ei vaikuta CAR-T-hoitojen vuosittaisiin potilasmääriin. Jos glofitamabi-hoito korvaisi kokonaan Pola-BR- ja solunsalpaajahoidon, johon voi liittyä rituksimabi, 24 potilaalla, glofitamabi-hoidon vuosittaiset kokonaiskustannukset olisivat noin 1,5 miljoonaa euroa. Tällöin vuosittainen budjettivaikutus olisi listahinnoin noin 834 000 euroa.

7 Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat

Glofitamabi-hoidon kohteena ovat potilaat, joiden syöpäsairaus on edennyt aiemmista hoidoista huolimatta ja ennuste on rajallinen. Osa potilaista saa hoidolle vastetta, mutta myös vaikeita ja henkeä uhkaavia haittatapahtumia. Hoidolla saavutetun vasteen merkitys ja mahdollinen vaikutus potilaiden elinaikaan ei ole vielä arvioitavissa. Kyseessä ei ole parantava hoito.

Glofitamabi-hoidon käyttöönotto ei edellytä erityisiä lisäresursseja palveluiden järjestämisessä.

8 Johtopäätökset

Euroopan komissio on myöntänyt glofitamabia sisältävälle Columvi-valmisteelle ehdollisen myyntiluvan heinäkuussa 2023 aikuisille potilaille monoterapiana uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoitoon kahden tai useamman systeemisen hoitolinjan jälkeen.

Glofitamabin tehon ja turvallisuuden näyttö perustuu avoimeen vaiheen I/II NP30179-tutkimukseen, jossa arvioitiin glofitamabin vaikuttavuutta potilailla, joilla oli uusiutunut tai hoitoon reagoimaton non-Hodgkinin B-solulymfooma (n=108). Ensisijainen lopputulosmuuttuja tutkimuksessa oli täydellinen vaste riippumattoman arviointiryhmän arvioimana. Tutkimuksessa täydellisen vasteen sai n. 40 % potilaista.

Toissijaisia lopputulosmuuttujia olivat täydellinen vaste tutkijan arvioimana, kokonaisvasteosuus (ORR), kokonaisvasteen kesto (DoR) ja täydellisen vasteen kesto (DoCR), elossaoloaika ennen taudin etenemistä (PFS), kokonaiselossaoloaika (OS), aika ensimmäiseen täydelliseen vasteeseen (TFCR) ja aika ensimmäiseen vasteeseen (TFOR). Kokonaisvasteosuudet vastaavasti olivat n 50 % tutkimukseen osallistuneista potilaista. Potilaat saivat vasteen (ORR tai CR) keskimäärin 42 päivässä. Kokonaisvasteen keston mediaani oli keskimäärin n. 15 kuukautta. Täydellisen vasteen keston mediaania ei saavutettu.

NP30179-tutkimuksessa ei ollut vertailuhoitoa, joten myyntiluvan haltija arvioi glofitamabin tehoa vertaamalla sitä ankkuroimattomalla kaltaistamattomalla epäsuoralla vertailulla bendamustiini-rituksimabi (BR) -, Kymriah- ja Yescarta-hoitoihin. Lisäksi myyntiluvan haltija vertasi glofitamabia propensiteettipisteanalyysissa Pola-BR-hoitoon. Vertailujen tulokset suosivat glofitamabia verrattuna BR-, Pola-BR- ja Kymriah-hoitoihin. Yescarta-hoito sai vertailussa paremmat tulokset glofitamabiin verrattuna. Kaikki myyntiluvan haltijan toteuttamat vertailut olivat yksihaaraisen satunnaistamattoman tutkimuksen epäsuoria vertailuja. Palkon ja Fimean näkemyksen mukaan vertailuista tehtäviin päätelmiin sisältyy merkittävää epävarmuutta, jonka suuruutta ei voida täysimääräisesti arvioida.

Lähes kaikilla NP30179-tutkimukseen osallistuneilla potilailla havaittiin jonkinasteinen haattatapahtuma (n. 99 %). Myös hoitoon liittyviä haattatapahtumia oli lähes kaikilla (n. 91 %). Glofitamabi-hoidon aikana kuoli 52 % potilaista, mistä 9 liittyi haattatapahtumaan. Vaikeita, henkeä uhkaavia haattatapahtumia (aste ≥ 3) todettiin yli puolella potilaista (n. 58 %). Vakavia haattatapahtumia oli hieman alle puolella potilaista (n.49 %). Hoidon lopettamiseen johtaneita haattatapahtumia ilmaantui hoidon aikana 5 potilaalle (3,2 %).

Sytokiinioireyhtymä oli yleisin hoidon aikana ilmaantuva haattatapahtuma ja kaikki havaitut tapaukset liittyivät glofitamabi-hoitoon. Valtaosa näistä tapahtumista oli lieviä ja ne ilmenivät pääsääntöisesti ensimmäisten kahden hoitosyklin aikana. Muita yleisiä esiintyneitä haattatapahtumia olivat neutropenia, anemia ja trombositopenia/alentunut verihiutaleiden määrä. Nämä haitat ovat tyypillisiä potilailla, jotka ovat saaneet useita aiempia hoitoja.

Palkon näkemyksen mukaan glofitamabi-hoitoon liittyvien vaikeiden ja henkeä uhkaavien haittatapahtumien määrä on merkittävä. Sinänsä hoitoon liittyvät haitat ovat vasta-aineiden yhdistelmille tai bispesifisille vasta-aineille tyypillisiä.

Glofitamabi-hoidon kustannusvaikuttavuusanalyysi perustuu myyntiluvan haltijan tekemään ankkuroimattomaan epäsuoraan vertailuun. Vertailun tuloksiin liittyy Fimean ja Palkon näkemysten mukaan huomattavaa epävarmuutta, joten tehovertailun ja kustannusvaikuttavuusanalyysin tuloksia voidaan pitää ainoastaan suuntaa antavina. Kaltaistetussa epäsuorassa vertailussa menetelmänä on useita epävarmuuden lähteitä liittyen erillisten tutkimusten sisällyttämis- tai poissulkukriteereihin, potilaiden lähtötasoon, tulostuuttajien määrittelyihin ja niiden arviointiaikatauluihin sekä mahdollisen sekoittavan muuttujan huomioiminen painotuksessa.

Myyntiluvan haltija arvioi kolmannen linjan potilaiden määräksi noin 40 potilasta vuosittain. Glofitamabia arvioidaan hoitovaihtoehtoksi erityisesti niille potilaille, jotka eivät sovellu CAR-T-hoitoon tai eivät taudin nopean etenemisen vuoksi ehdi saada sitä, tai potilaille, joiden tauti on uusiutunut toisen linjan CAR-T-soluhoidon jälkeen. Tämän perusteella glofitamabin potilasmääräksi arvioitiin noin 15–20 potilasta vuosittain. Aiempien hoitolinjojen hoitokäytäntöjen kehittyminen vaikuttaa kolmannen linjan potilasmäärään tulevaisuudessa.

Myyntiluvan haltijan potilaskohtaiset lääke- ja annostelukustannukset ovat glofitamabi-hoidolle noin 61 000 euroa. Vertailuhoitojen potilaskohtaiset lääke- ja annostelukustannukset ovat oletetuilla hoitojen kestoilla 8 800–352 000 euroa. Glofitamabi-hoidon kustannukset olisivat suuremmat kuin Pola-BR- ja solunsalpaajahoidon, johon liitetään rituksimabi ja pienemmät kuin CAR-T-hoitojen. Myyntiluvan haltijan oletuksen mukaan budjettivaikutus nousisi noin 652 000 euroon glofitamabi-hoidon potilasmäärän vakiinnuttua 18 potilaaseen. Budjettivaikutuksen arvioon liittyy jonkin verran epävarmuutta liittyen glofitamabin potilasmäärään, vertailuhoitojen markkinaosuuksiin vuosittain ja siihen, missä määrin glofitamabi-hoito tulisi korvaamaan Pola-BR- ja solunsalpaajahoidoa, johon liittyy rituksimabi. Jos glofitamabi-hoito korvaisi kokonaan nämä vertailuhoidot 24 potilaalla, glofitamabi-hoidon vuosittaiset kokonaiskustannukset olisivat noin 1,5 miljoonaa euroa. Tällöin vuosittainen budjettivaikutus olisi listahinnoin noin 834 000 euroa.

9 Yhteenveto suosituksesta

Glofitamabi ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa.

Palkon näkemyksen mukaan tutkimusnäyttöön liittyy merkittävää epävarmuutta. Saatavilla olevan tutkimusnäytön mukaan alle puolet potilaista sai hoidolle täydellisen vasteen, ja hoidon vaikutus elinaikaan tai elämänlaatuun ei ole vielä arvioitavissa. Näyttö perustuu toistaiseksi yksihaaraiseen faasi II:n tutkimukseen. Palkon näkemyksen mukaan vaikeiden tai henkeä uhkaavien haittojen määrä on merkittävä. Glofitamabin-hoidon suhteellisen tehon ja kustannusvaikuttavuuden arviointi perustuu ankkuroimattomaan epäsuoraan vertailuun, jolla on menetelmänä useita epävarmuutta aiheuttavia tekijöitä.

10 Lisänäytön kerääminen ja suosituksen vaikutusten seuranta

Glofitamabin myyntiluvan ehtona on toimittaa kahden vuoden seuranta-ajan tulokset pivotaalitutkimuksesta NP30179. Myyntiluvan ehtona on myös toimittaa meneillään olevan faasin III GO41944-tutkimuksen tulokset, jotka myyntiluvan haltija on toimittamassa Q3/2024.

11 Suosituksen valmisteluun osallistuneet

Suosituksen valmisteluun Palkon lääkejaostossa (toimikausi 1.7.2023–30.6.2026) ovat osallistuneet:

Puheenjohtaja:

Tulosryhmäjohtaja Sirkku Jyrkkiö, Varsinais-Suomen hyvinvointialue

Jäsenet:

- Lääkintöneuvos Vesa Jormanainen, sosiaali- ja terveysministeriö
- Ylilääkäri Vesa Kataja, Etelä-Savon hyvinvointialue
- Arviointiyllilääkäri Kati Kinnunen, Pohjois-Savon hyvinvointialue
- Arviointiyllilääkäri Niina Koivuviita, Varsinais-Suomen hyvinvointialue

- Yliproviisori Jaana Martikainen, Lääkkeiden hintalautakunta /STM (15.8.2024 saakka)
- Arviointiyhdyllilääkäri Minna Marttila-Vaara, Varsinais-Suomen hyvinvointialue (14.9.2023 alkaen)
- Arviointiyhdyllilääkäri Sami Pakarinen, HUS-yhtymä (14.9.2023 alkaen)
- Arviointiyhdyllilääkäri Anna-Kaisa Parkkila, Pirkanmaan sairaanhoitopiiri
- Yliproviisori Jaana Viikinkoski, Lääkkeiden hintalautakunta /STM (16.9.2024 alkaen)

Asiantuntijat:

- Arviointipäällikkö Vesa Kiviniemi, Fimea
- Vastaava asiantuntijalääkäri Katariina Klintrup, Kela

Jaoston vastuusihteerinä toimii erityisasiantuntija Outi Salminen

12 Suosituksen hyväksymiseen osallistuneet

Täydentyy myöhemmin.

13 Suosituksen valmistelun vaiheet

- Helmikuu 2024 Fimean arviointiraportin julkaisu
- 25.3.2024 suositusluonnoksen 1. käsittely lääkejaostossa
- 16.9.2024 suositusluonnoksen 2. käsittely lääkejaostossa
- 28.10.2024 suositusluonnoksen 3. käsittely lääkejaostossa
- 7.11.2024 Palko hyväksyi suositusluonnoksen vietäväksi kommentoitavaksi otakantaa.fi-palveluun
- pv.kk.2024 suositusluonnoksen 3. käsittely lääkejaostossa
- pv.kk.2024 Palko hyväksyi suosituksen

14 Lähteet

Columvi (glofitamab). EPAR (European Public Assessment Report). European Medicines agency EMA. Julkaistu 18.7.2023. https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/columvi-epar-public-assessment-report_en.pdf

FinCCHTA. Julkaisut - Fincchta. [Viitattu 28.11.2023]. <https://oys.fi/fincchta/katsauksia-ja-suosituksia/>

Leppä S, Kuittinen O, Kuitunen H, ym. Nopeakasvuisten B-solulymfoomien hoitosuositus; <https://onkologiayhdistys.fi/hoitosuositukset/lymfoomaryhman-hoitosuositukset/>; voimassa 16.1.2023 alkaen, päivitetty 2024.

Nousiainen P, Kokko M, Kotajärvi J. Glofitamabi uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa. Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea. Fimea kehittää, arvioi ja informoi -julkaisusarja 9/2023 <https://urn.fi/URN:ISBN:978-952-7299-59-3>

Roche. Myyntiluvan haltijan kommentti. <https://www.julkari.fi/bitstream/handle/10024/148567/Kommentti%20Roche%20Oy%20KAI%202024.pdf?sequence=5&isAllowed=y>

Suomen Syöpärekisteri. Syöpätilastosovellus - Diffuusi suurisoluinen B-solulymfooma (C83.3). <https://syoparekisteri.fi/tilastot/tautitilastot/>

Tilly H, Gomes da Silva M, Vitolo U, ym. Diffuse large B-cell lymphoma (DLBCL): ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. Annals of Oncology. 2015; 26:v116–25.

Hyväksytty 7.11.2024 julkaistavaksi kommentoitavaksi otakantaa.fi –palvelussa
Hyväksytty Palkon kokouksessa xx.xx.202x

Palveluvalikoimaneuvoston suositus

Epkoritamabi uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa

Epkoritamabi ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa.

Palkon näkemyksen mukaan tutkimusnäyttöön liittyy merkittävää epävarmuutta. Saatavilla olevan tutkimusnäytön mukaan alle puolet potilaista sai hoidolle täydellisen vasteen, ja hoidon vaikutus elämänlaatuun ei ole vielä arvioitavissa. Näyttö perustuu toistaiseksi yksihaaraiseen faasi I/II:n tutkimukseen. Palkon näkemyksen mukaan vaikeiden tai henkeä uhkaavien haittojen määrä on merkittävä. Epkoritamabi-hoidon teho- ja kustannusvertailu perustuu ankkuroimattomaan epäsuoraan vertailuun, jolla on menetelmänä useita epävarmuutta aiheuttavia tekijöitä.

Sisällys

1	Suosituksen kohde, rajaukset ja tietopohja	1
2	Terveysongelma.....	1
3	Arvioitava menetelmä.....	1
4	Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan	2
5	Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi	3
6	Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset	6
7	Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat	7
8	Johtopäätökset.....	8
9	Yhteenveto suosituksesta	8
10	Lisänäytön kerääminen ja suositusten vaikutusten seuranta	10

Lyhenteet

AESI Erityisen mielenkiinnon kohteena olevat haittatapahtumat (adverse event of special interest)

Axi-Cel Aksikabtageenisiloleuseeli (axicabtagene ciloleucel), myyntinimeltä Yescarta®

CAR-T Kimeerisen antigeenireseptorin T-soluterapia (chimeric antigen receptor T-cell therapy)

CR Täydellinen vaste (complete response)

CRS Sytokiinioireyhtymä (cytokine release syndrome)

DLBCL Diffuusi suurisoluinen B-solulymfooma (diffuse large cell B-cell lymphoma)

DoCR Täydellisen vasteen kesto (duration of complete response)

DoR Vasteen kesto (duration of response)

EMA Euroopan lääkevirasto (European Medicines Agency)

EPAR EMAn lääkevalmisteesta tekemä julkinen arviointiraportti (European Public Assessment Report)

ESS Efektiivinen otoskoko

ICANS Neurotoksisuusoireyhtymä (immune effector cell-associated neurotoxicity syndrome)

ICER Inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde (incremental cost-effectiveness ratio)

IRC Riippumaton arviointikomitea (Independent Review Committee)

LBCL Suurisoluinen B-solulymfooma (large cell B-cell lymphoma)

LV Luottamusväli

LY Elinvuosi (life-year)

MAIC Kaltaistettu epäsuora vertailu (matching-adjusted indirect comparison)

MRD Jäännöstauti (minimal residual disease)

ORR Kokonaisvasteosuus (overall response rate) [CR+PR]

OS Kokonaiselossaoloaika (overall survival)

PFS Etenemisvapaa elossaoloaika (progression-free survival)

Pola-BR Polatutsumabi-vedotiinin, bendamustiinin ja rituksimabin yhdistelmähoito

PR Osittainen vaste (partial response)

QALY Laatupainotettu elinvuosi (quality-adjusted life year)

R-GemOx Rituksimabin, gemsitabiinin ja oksaliplatiinin yhdistelmä

SD Keskiahajonta (standard deviation)

SOC Nykyhoitokäytäntö (standard of care)

TEAE Hoidon aikana ilmaantuva haittatapahtuma (treatment-emergent adverse event)

Tisa-Cel Tisagenlecleuseeli (tisagenlecleucel), myyntinimeltä Kymriah®

Palkon suosituksista

Terveystenhuollon palveluvalikoimaneuvosto Palkon tehtävänä on ohjata julkisesti rahoitettujen terveystenpalveluiden järjestämistä antamalla suosituksia siitä, kuuluuko arvioitu terveystenhuollon menetelmä terveystenhuollon palveluvalikoimaan tietyn terveystsongelman tutkimuksessa, hoidossa tai kuntoutuksessa.

Palkon suositus koostuu tästä varsinaisesta suosituksesta, valmistelumuistiosta ja tiivistelmästä. Suositus julkaistaan taustamateriaaleineen [kotisivuilla](#) suomeksi. Tiivistelmä julkaistaan myös [ruotsiksi](#) ja [englanniksi](#).

Suosituksot perustuvat parhaaseen hyväksymishetkellä käytettävissä olleeseen lääketieteelliseen ja muuhun tietoon. Suositus on voimassa toistaiseksi, ellei voimassaoloaikaa ole rajoitettu.

Terveystenhuollon palveluvalikoiman määrittely sekä Palkon toiminta perustuu [terveystenhuoltolain \(1203/2014\) 7a](#) ja [78a](#) §:ään sekä [terveystenhuollon palveluvalikoimaneuvostosta annettuun valtioneuvoston asetukseen \(63/2014\)](#) muutoksineen ([718/2017](#) ja [995/2019](#)).

[Palkon hyväksymä käsikirja](#) sisältää tarkemman kuvauksen käsittelyprosessista ja palveluvalikoiman määrittelyn periaatteista.

Palkon suositus ei ole kannanotto siihen, miten yksittäistä potilasta tulisi tutkia, hoitaa tai kuntouttaa, vaan siitä päätetään [potilaslain](#) mukaisesti hyödyt ja haitat yksittäistapauksessa punniten. Harkittaessa käytettäväksi menetelmää, joka on rajattu palveluvalikoiman ulkopuolelle, tulee huomioida [terveystenhuoltolain 7a §:n 3 momentin](#) säännös poikkeamisen lääketieteellisistä edellytyksistä. Poikettaessa palveluvalikoimasta korostuu velvollisuus perustella ja kirjata ratkaisun perusteet.

[Sairausvakuutuslain](#) mukaan palveluvalikoiman ulkopuolelle rajatusta hoidosta ei voi saada sairausvakuutuskorvausta.

1 Suosituksen kohde, rajaukset ja tietopohja

Palkon suosituksen kohteena on epkoritamabi (kauppanimeltä Tepkinly) monoterapiana uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman DLBCL:n hoitoon aikuispotilaille, joita on aiemmin hoidettu kahdessa tai useammassa systeemisessä hoitolinjassa. Suositus perustuu Fimean toukokuussa 2024 julkaisemaan arviointiraporttiin (Nättinen ja Nousiainen 2024). Myyntiluvan haltija (Abbvie) on antanut vastineen Fimean raporttiin ja toimittanut lisäksi Palkolle kongressiabstraktin (Thieblemont ym. 2024) 2,5 vuoden seurantatuloksista sekä kolme kongressiabstraktia, joissa epkoritamabia on tutkittu yhdistettynä muihin DLBCL:n hoitoihin (Abrisqueta ym. 2024, Cordoba ym. 2024, Lavie ym. 2024).

2 Terveysongelma

Diffuusi suurisoluinen B-solulyymfooma (DLBCL) on yleisin imukudossyöpä. Se etenee nopeasti ja johtaa hoitamattomana nopeasti kuolemaan (Leppä ym. 2023). Vuonna 2021 Suomessa sairastui diffuusiin suurisoluiseen B-solulyymfoomaan 724 ihmistä, joista 407 (56%) oli miehiä. Samana vuonna 300 potilasta kuoli tähän tautiin (Syöpärekisteri). Taudin ilmaantuvuus kasvaa iän mukaan (Leppä ym. 2023). Suomessa DLBCL:n ilmaantuvuus oli 13,07/100 000 vuonna 2021 (Syöpärekisteri).

Osa DLBCL imuskudossyöpään sairastuneista paranee ensilinjan hoidolla. Potilailla, joilla on ensisijaisesti hoitoon reagoimaton tauti, tai joiden tauti etenee toisen linjan autologisen kantasolusiirron jälkeen, on erityisen huono ennuste. Potilaiden kokonaiselossaoloaika (OS) on 4–13 kuukautta. Hoitoon reagoimatonta tautia sairastavien potilaiden kokonaisvasteosuus (ORR) on 20–30 % toisen tai kolmannen linjan kemoterapiassa. Myös elossaoloaika ennen taudin etenemistä (PFS) on näillä potilailla lyhyt.

3 Arvioitava menetelmä

Epkoritamabi on humanisoitu IgG1-bispesifinen vasta-aine, jonka vaikutusmekanismi perustuu sen sitoutumiseen samanaikaisesti sekä B-solujen (CD20-spesifiseen epitooppiin) ja T-solujen (CD3:een) pinnalle. Sitoutumalla sekä CD20:ä ilmentäviin syöpäsoluihin, että CD3:a ilmentäviin endogeenisiin T-soluihin, epkoritamabi saa aikaan

spesifisten T-solujen aktivoitumisen sekä syöpäsolujen T-soluvälitteisen tuhoutumisen. Epkoritamabin Fc-alue on vaimennettu kohteesta riippumattomien immuunijärjestelmän efektorimekanismien estämiseksi. (Tepkinly, EPAR)

Epkoritamabi on saanut ehdollisen myyntiluvan Euroopassa syyskuussa 2023 monoterapiana uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman DLBCL:n hoitoon aikuispotilaille, joita on aiemmin hoidettu kahdessa tai useammassa systeemisessä hoitolinjassa.

Näyttö epkoritamabin tehosta ja turvallisuudesta perustuu aikuisilla, joilla on uusiutunut tai hoitoon reagoimaton suurisoluinen B-solulymfooma, tehtyyn faasin I/II EPCORE NHL-1 – tutkimukseen, joka jakautuu annos-vaste- ja annoslaajennusosiin. Annoslaajennusosan tulokset ovat epkoritamabin kliinisen tehon kannalta keskeisiä. Turvallisuuden osalta ovat mukana myös annos-vasteosan potilaat, jotka saivat hoitosuosituksen mukaista epkoritamabi-hoitoa (täysi annos 48 mg). Lisäksi epkoritamabin tehoa ja turvallisuutta on tutkittu japanilaisilla potilailla faasin I/II tutkimuksessa (EPCORE NHL-3). (Tepkinly, EPAR). Ensisijainen lopputulosmuuttuja tutkimuksissa oli kokonaisvasteosuus (ORR). Toissijaisia lopputulosmuuttujia olivat vasteen kesto (DoR), täydellinen vaste (CR), täydellisen vasteen kesto (DoCR), vasteen saavuttamiseen kulunut aika (TTR), etenemisvapaa elossaoloaika (PFS), kokonaiselossaoloaika (OS), negatiivisen jäännöstaudin (MRD) aste ja turvallisuus, ja EPCORE NHL-1 tutkimuksessa lisäksi aika ennen seuraavaa hoitomuotoa (TTNT).

Fimean arviointiraportin Liitteessä 1 on esitetty yhteenveto eräiden muiden maiden HTA-arviointielinten suosituksista tai kannanotoista. Arviointi on meneillään useissa maissa, mukaan lukien Englanti, Norja, Ruotsi, Saksa, Tanska, Skotlanti ja Kanada. Muiden maiden tilanteesta ei ole tietoa.

4 Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan

Suomen lymfoomaryhmä on päivittänyt hoitosuosituksensa nopeakasvuisten B-solulymfoomien hoidosta tammikuussa 2024 (Leppä ym. 2024). Euroopan lääketieteellisen onkologian seura (ESMO) on julkaissut eurooppalaisen hoitosuosituksen

DLBCL:n hoidosta vuonna 2015 (Tilly ym. 2015), mutta se ei enää vastaa täysin nykyhoitokäytäntöä.

ESMO:n mukaan yli 30 %:lla DLBCL:ää sairastavista potilaista tauti uusiutuu (Tilly ym. 2015). Uusiutuneessa tai hoitoon reagoimattomassa taudissa yhtenä vaihtoehtona on platinapohjainen immunokemoterapia ja autologinen kantasolusiirto (Leppä ym. 2024). Riittämättömässä hoitovasteessa suositellaan siirtymistä CAR-T-soluhoidoon. CAR-T-soluhoidoista aksikabtageenisiloleuseeliä suositellaan myös suoraan toisessa linjassa hyväkuntoisille potilaille, kun tauti on uusiutunut vuoden kuluessa ensilinjan hoidon päättymisestä (Leppä ym. 2024).

Kolmannen tai myöhemmän linjan hoitosuosituksena hyväkuntoisille potilaille on CAR-T-soluterapia (aksikabtageenisiloleuseeli tai tisagenlekleuseeli). Mikäli CAR-T-soluterapia ei ole mahdollinen, suosituksena on antaa immunokemoterapiaa ja / tai tautialueiden sädehoitoa. Jos kantasolusiirto ei ole mahdollinen tai tauti on edennyt sen jälkeen, kansallisessa hoitosuosituksessa annetaan vaihtoehtoiksi myös rituksimabi - bendamustiini yhdistettynä polatutsumabi-vedotiiniin (Pola-BR -hoito) sekä tafasitamabi-lenalidomidi-yhdistelmä. (Leppä ym. 2024).

Pola-BR-hoito ei tässä käyttöindikaatiossa kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan Palkon vuonna 2020 antaman suosituksen mukaisesti. Pola-BR on myöhempien tutkimustulosten myötä otettu tässä indikaatiossa mukaan Suomen lymfoomaryhmän vuonna 2023 päivitettyyn hoitosuositukseen (Leppä ym. 2023). Tafasitamabi-lenalidomidi-yhdistelmästä on olemassa arviointiylilääkäreiden kielteinen kannanotto eikä lenalidomidilla ole sairausvakuutuskorvattavuutta tässä käyttöaiheessa (FinCCHTA). Hoitosuosituksen julkaisun jälkeen Palko on julkaissut kielteisen suosituksen lonkastuksimabi-tesiriinistä.

5 Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi

Epkoritamabia on tutkittu DLBCL:n hoidossa pääasiassa yhdessä faasin I/II avoimessa, monikansallisessa yksihaaraisessa EPCORE NHL-1 –tutkimuksessa (Thieblemont ym. 2023, Tepkinly EPAR). Tutkimukseen otettiin sisään 139 potilasta. Osallistuneilla potilailla tuli olla dokumentoitu CD20- positiivinen kypsien B-solujen syöpä (WHO:n 2016 tai 2008 -

luokituksen mukaan) ja autologisen hematopoieettisen kantasolusiirron (HSCT) tuli olla joko potilaalle soveltumaton tai aiemmin tehtynä. Lisäksi potilaan lymfosyyttiarvojen tuli olla alle $5 \times 10^9 / l$ ja potilaalla tuli olla vähintään yksi aiempi monoklonaalista CD20-vasta-ainetta sisältävä hoito. Tutkimuksen annoslaajennusosan tulokset ovat epkoritamabin kliinisen tehon kannalta keskeisiä.

Tutkimuksen ensisijainen lopputulosmuuttuja oli puolueettoman arviointikomitean arvioima kokonaisvasteosuus (ORR). Toissijaisia lopputulosmuuttujia olivat vasteen kesto (DoR), täydellinen vaste (CR), täydellisen vasteen kesto (DoCR), vasteen saavuttamiseen kulunut aika (TTR), etenemisvapaa elossaoloaika (PFS), kokonaiselossaoloaika (OS), negatiivisen jäännöstaudin (MRD) aste ja turvallisuus, ja EPCORE NHL-1 tutkimuksessa lisäksi aika ennen seuraavaa hoitomuotoa (TTNT).

Katkaisupisteessä (31.1.2022) epkoritamabi-hoidon mediaanikesto (vaihteluväli) oli 4,1 kuukautta ja seuranta-ajan mediaani oli 11 kuukautta. Potilaista 47:llä (33,8 %) hoito jatkui edelleen ja 92:lla (66,2 %) hoito oli keskeytynyt.

EPCORE NHL-1 -tutkimuksen DLBCL-kohortissa oli 139 potilasta, jotka saivat vähintään yhden annoksen epkoritamabia. DLBCL-potilaiden kokonaisvasteosuus (ORR) säilyi kolmessa eri katkaisupisteessä samana; 86/139 (61,9 %) potilaista saavutti joko täydellisen tai osittaisen vasteen. Myös täydellisen vasteen ja osittaisen vasteen saavuttaneiden määrät pysyivät eri välianalyysissä samankaltaisina. Täydellisen vasteen saavutti ensimmäisten välianalyysien aikana 54/139 (38,8 %) potilasta. Viimeisessä välianalyysissä yksi osittaisen vasteen saaneista saavutti täydellisen vasteen. Kokonaisvasteen saavuttamiseen kuluneen ajan (TTR) mediaani oli 1,4 kuukautta ja täydellisen vasteen saavuttamiseen kuluneen ajan (TTCR) mediaani oli välianalyysissä 2,6–2,7 kuukautta.

Vasteen keston mediaani oli sekä kokonaisvasteen (DoR) että täydellisen vasteen (DoCR) osalta ensimmäisessä välianalyysissä 12 kuukautta, josta se nousi DoR:n osalta noin 15,6 kuukauteen jälkimmäisissä välianalyysissä. Täydellisen vasteen säilyttävien potilaiden osuudet olivat 95,7 % (3 kk), 85,3 % (6 kk) ja 85,3 % (9 kk). Seuraavaan hoitolinjaan potilaat siirtyivät keskimäärin (mediaani) 8,2 kuukauden kuluttua.

DLBCL-potilaiden PFS-mediaani oli 4,4 kuukautta kahdessa ensimmäisessä välialalyysissä. DLBCL-potilaiden, joilla tauti ei ollut edennyt, arvioitu prosenttiosuus 3, 6 ja 9 kuukautta epkoritamabi-hoidon aloituksesta oli 44,1 %, 39,9 % ja 37,2 %. Tämän lisäksi ensimmäisen välialalyysin tulosten pohjalta elossa olevien DLBCL-potilaiden arvioitu prosenttiosuus epkoritamabi-hoidon aloituksesta oli 70,6 % 6 kuukauden jälkeen, 63,4 % 9 kuukauden jälkeen, 56,1 % 12 kuukauden jälkeen, ja 51,6 % 15 kuukauden jälkeen. DLBCL-potilaiden OS-mediaaniksi tuli viimeisimmässä välialalyysissä 19,4 kuukautta.

Alaryhmäanalyysissä potilaat, joiden sairaus oli viimeisimmän CD20-vasta-ainehoidon jälkeen uusiutunut, hyötyivät epkoritamabista enemmän kuin ne, jotka eivät olleet reagoineet viimeisimpään CD20-vasta-ainehoitoon lainkaan, eli olivat refraktaareja. Myös CD20-vasta-ainehoidosta kuluneella ajalla oli vaikutusta vasteen saavuttamisessa.

Myyntilupatutkimuksessa ei ollut vertailuhoitoja, joten myyntiluvan haltija toimitti epäsuorat vertailut aksikabtageenisiloleuseeli- (Axi-Cel) ja kemoimmunoterapiahoitoihin. Vertailut toteutettiin molempien vertailuhoitojen osalta ankkuroimattomina kaltaistettuina epäsuorina vertailuina. Axi-Cel-hoitoon verrattuna epkoritamabi-hoidon epäsuoran vertailun tulokset eivät olleet tilastollisesti merkitseviä täydellisen tai kokonaisvasteen, OS:n tai PFS:n osalta. Lisäksi vertailussa epkoritamabin efektiivinen otoskoko (ESS) oli huomattavan pieni (n = 21) verrattuna EPCORE NHL-1 -tutkimuksen DLBCL-kohorttiin (n = 139). Pieni otoskoko johtaa siihen, ettei vertailu edusta kattavasti EPCORE NHL-1 -tutkimuksen potilaita. Vertailun tuloksia voidaan täten pitää korkeintaan suuntaa antavina.

Kemoimmunoterapiaa koskevat tiedot epäsuoraan vertailuun saatiin retrospektiivisestä SCHOLAR-1-tutkimuksesta, jossa hoitoina olivat DHAP-, GDP- ja ICE-hoitoyhdistelmät. Vertailun perustuminen hoitokäytännöiltään osin vanhentuneeseen tutkimukseen lisää tulosten epävarmuutta verrattuna siihen, että tulokset perustuisivat satunnaistettuun kontrolloituun tutkimukseen. Vertailun mukaan epkoritamabi-hoidolla saavutetut vasteosuudet sekä OS-tulokset olivat tilastollisesti merkitsevästi paremmat verrattuna kemoimmunoterapiaan. ESS oli myös tässä vertailussa pieni, joten tuloksia voidaan pitää vain suuntaa antavina. Fimean arviointiryhmän tekemien naivien vertailujen perusteella kokonaisvasteosuudet olivat melko samankaltaisia bispesifisten vasta-aineiden ja CAR-T-

hoitojen välillä ja kokonaisvasteosuudet vaihtelivat 52–78 % välillä sen ollessa suurin Axi-Cel-hoidolla. Kemoimmunoterapian kokonaisvasteosuus oli huomattavasti muita esitettyjä hoitoja pienempi (26 %). Epäsuorat vertailut eivät kuitenkaan huomioi potilasjoukkojen erilaisuutta. SCHOLAR-1-tutkimuksessa 28 % potilaista oli saanut vain yhden hoitolinjan, joten sen populaatio ei vastaa arvioinnin indikaatiota. CAR-T-hoito olisi relevantimpi vertailu kahden hoitolinjan jälkeen DLBCL:ssa. Pola-BR-hoito olisi soveltuvampi vertailuhoito kemoimmunoterapian osalta potilaille, joille CAR-T-hoito ei sovellu.

Turvallisuuden arvioinnin osalta mukaan otettiin EPCORE NHL-1 -tutkimuksen molempien osien aNHL-kohortin kaikki potilaat, jotka saivat vähintään yhden annoksen epkoritamabia hoitosuosituksen mukaisesti (täysi annos 48 mg) (n = 167). Lähes kaikilla (99,4 %) potilailla havaittiin epkoritamabi-hoidon aikana vähintään yksi jonkinasteinen haittatapahtuma ja 83,8 %:lla sen arvioitiin liittyvän epkoritamabi-hoitoon. Yli puolella (58,1 %) potilaista ilmeni vakava haittatapahtuma (hoitoon liittyviä 36,5 %:lla potilaista). Kuolemaan johtaneita haittatapahtumia ilmeni hoidon aikana 12 tapausta (7,2 %), joista yhden, ICANS-oireyhtymän aiheuttaman kuoleman, arvioitiin liittyvän epkoritamabiin. Sairauden eteneminen hoidon aikana oli yleisin syy kuolemaan hoidon aikana. Haitat ovat tyypillisiä bispesifisille vasta-aineille ja niihin osataan jo varautua.

6 Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset

Kustannusvaikuttavuuden arviointi perustuu myyntiluvan haltijan Fimealle toimittamaan ositettuun elinaikamalliin, jossa epkoritamabi-hoitoa verrataan CAR-T- ja kemoimmunoterapiahoitoihin uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa aikuispotilailla, joita on aiemmin hoidettu kahdessa tai useammassa systeemisessä hoitolinjassa, ja jotka eivät ole saaneet aiempaa CAR-T-hoitoa. Kustannusvaikuttavuusmallin yksityiskohdat ja sen arviointi löytyvät Fimea:n arviointiraportista (Nättinen ja Nousiainen 2024).

Myyntiluvan haltijan kustannusvaikuttavuusmallin suurimmat epävarmuudet liittyivät mallin hoitojen valittuihin ekstrapolointimenetelmiin, myyntiluvan haltijan oletukseen pitkäaikaisesta remissiosta sekä siihen, että monet mallin tiedoista perustuivat myyntiluvan haltijan toteuttamiin epäsuoriin vertailuihin. Fimean laskelman mukaan epkoritamabi-

hoidon inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde (ICER) on noin 140 000 €/QALY Axi-Cel-hoitoon käänteisesti verrattuna ja 75 000 €/QALY kemoimmunoterapiahoitoon verrattuna.

Myyntiluvan haltija arvioi Syöpärekisterin vuosien 2017–2021 aineistojen pohjalta, että DLBCL:aan sairastuu keskimäärin 683 ihmistä vuosittain. Myyntiluvan haltijan arvion mukaan noin 80–100 potilaalla tauti etenee kahden hoitolinjan jälkeen ja näistä noin puolet (40–50 potilasta) saa kolmannen linjan hoitoa. Fimean omassa arviossa epkoritamabi-hoidon keston keskiarvona oli 6,9 sykliä julkisiin tietoihin (tiedonkeruun katkaisu 31.1.2022) perustuen. Tämän perusteella keskimääräiseksi potilaskohtaiseksi kustannukseksi laskettiin julkisilla verottomilla tukkuhinnoilla 122 768 euroa.

Vertailuhoitojen osalta hinnat perustuvat pääosin vuoden 2023 tukkuhintoihin. CAR-T-hoitojen kertaluontoiset lääkekustannukset olivat 327 000 euroa Axi-Cel- ja 320 000 euroa Tisa-Cel-hoidolle. Kemoimmunoterapiahoitojen kuuden syklin kustannukseksi arvioitiin R-GemOxille 8 976,60 euroa ja Pola-BR-hoidolle 65 809,19 euroa. Lonkastuksimabi-tesiriinin kesto ja hinta perustuivat poikkeuksellisesti Fimean arviointiraportin tietoihin, jolloin keskimääräisen 4,6 syklin kustannuksiksi arvioitiin 94 500 euroa.

Bispesifisten hoitojen korvaamiin hoitoihin liittyy epävarmuutta ja Fimean kliininen asiantuntija arvioi aikaisempaan arviointiin pohjautuen, että epkoritamabi ei tule korvaamaan CAR-T-hoitoja samassa mittakaavassa kuin kemoimmunoterapiahoitoja. Fimean arviossa epkoritamabi korvaisi Fimean arvioiman potilasmäärän osalta vain kemoimmunoterapiahoitoja. Tällöin Fimean arvion mukaan epkoritamabi-hoidosta aiheutuisi julkisilla tukkuhinnoilla vuosina 2024–2027 noin 171 000–1 253 000 euron budjettivaikutus vuosittain.

7 Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat

Epkoritamabi-hoidon kohteena ovat potilaat, joiden syöpäsairaus on edennyt aiemmista hoidoista huolimatta ja ennuste on rajallinen. Osa potilaista saa hoidolle vastetta, mutta myös vaikeita ja henkeä uhkaavia haittatapahtumia. Hoidolla saavutetun vasteen merkitys

ja mahdollinen vaikutus potilaiden elinaikaan ei ole vielä arvioitavissa. Kyseessä ei ole parantava hoito.

Epkoritamabi-hoidon käyttöönotto ei edellytä erityisiä lisäresursseja palveluiden järjestämisessä.

8 Johtopäätökset

Euroopan komissio on myöntänyt epkoritamabia sisältävälle Tepkinly-valmisteelle ehdollisen myyntiluvan syyskuussa 2023 monoterapiana uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman DLBCL:n hoitoon aikuispotilaille, joita on aiemmin hoidettu kahdessa tai useammassa systeemisessä hoitolinjassa.

Epkoritamabin tehon ja turvallisuuden näyttö perustuu pääasiassa yhteen faasin I/II avoimeen yksihaaraiseen EPCORE NHL-1 –tutkimukseen. Tutkimuksen ensisijainen lopputulosmuuttuja oli kokonaisvasteosuus (ORR). Toissijaisia lopputulosmuuttujia olivat vasteen kesto (DoR), täydellinen vaste (CR), täydellisen vasteen kesto (DoCR), vasteen saavuttamiseen kulunut aika (TTR), etenemisvapaa elossaoloaika (PFS), kokonaiselossaoloaika (OS), negatiivisen jäännöstaudin (MRD) aste ja turvallisuus ja aika ennen seuraavaa hoitomuotoa (TTNT).

DLBCL-potilaista täydellisen vasteen saavutti ensimmäisten välialalyysien aikana 54/139 (38,8 %) potilasta ja osittaisen vasteen 32/139 (23,0 %) potilasta. Potilaiden PFS-mediaani oli 4,4 kuukautta kahdessa ensimmäisessä välialalyysissä. DLBCL-potilaiden, joilla tauti ei ollut edennyt, arvioitu prosenttiosuus 3, 6 ja 9 kuukautta epkoritamabi-hoidon aloituksesta oli 44,1 %, 39,9 % ja 37,2 %. Elossa olevien DLBCL-potilaiden arvioitu prosenttiosuus epkoritamabi-hoidon aloituksesta oli 70,6 % 6 kuukauden jälkeen, 63,4 % 9 kuukauden jälkeen, 56,1 % 12 kuukauden jälkeen, ja 51,6 % 15 kuukauden jälkeen. DLBCL-potilaiden OS-mediaaniksi tuli viimeisimmässä välialalyysissä 19,4 kuukautta.

Lähes kaikilla (99,4 %) potilailla havaittiin epkoritamabi-hoidon aikana vähintään yksi jonkinasteinen haittatapahtuma ja 83,8 %:lla sen arvioitiin liittyvän epkoritamabi-hoitoon. Yli puolella (58,1 %) potilaista ilmeni vakava haittatapahtuma (hoitoon liittyviä 36,5 %:lla potilaista). Kuolemaan johtaneita haittatapahtumia ilmeni hoidon aikana 12 tapausta (7,2

%), joista yhden, ICANS-oireyhtymän aiheuttaman kuoleman, arvioitiin liittyvän epkoritamabiin. Sairauden eteneminen hoidon aikana oli yleisin syy kuolemaan hoidon aikana. Haitat ovat tyypillisiä bispesifisille vasta-aineille ja niihin osataan jo varautua.

Kustannusvaikuttavuusanalyysissä epkoritamabi-hoidon inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde (ICER) on noin 140 000 €/QALY Axi-Cel-hoitoon käänteisesti verrattuna ja 75 000 €/QALY kemoimmunoterapiahoitoon verrattuna.

Myyntiluvan haltijan arvion mukaan Suomessa noin 80–100 DLBCL-potilaalla tauti etenee kahden hoitolinjan jälkeen ja näistä noin puolet (40–50 potilasta) saa kolmannen linjan hoitoa. Fimean omassa arviossa epkoritamabi-hoidon keston keskiarvona oli 6,9 sykliä julkisiin tietoihin perustuen, jolloin keskimääräiseksi potilaskohtaiseksi kustannukseksi saatiin julkisilla verottomilla tukkuhinnoilla 122 768 euroa.

CAR-T-hoitojen kertaluontoiset lääkekustannukset olivat 327 000 euroa Axi-Cel- ja 320 000 euroa Tisa-Cel-hoidolle (v. 2023 tukkuhinnat). Kemoimmunoterapiahoitojen kuuden syklin kustannukseksi arvioitiin R-GemOxille 8 976,60 euroa ja Pola-BR-hoidolle 65 809,19 euroa. Lonkastuksimabi-tesiriinin kesto ja hinta perustuivat poikkeuksellisesti Fimean arviointiraportin tietoihin, jolloin keskimääräisen 4,6 syklin kustannuksiksi arvioitiin 94 500 euroa.

Bispesifisten hoitojen korvaamiin hoitoihin liittyy epävarmuutta ja epkoritamabi ei ehkä tule korvaamaan CAR-T-hoitoja samassa mittakaavassa kuin kemoimmunoterapiahoitoja. Fimean arviossa epkoritamabi korvaisi Fimean arvioiman potilasmäärän osalta vain kemoimmunoterapiahoitoja. Tällöin Fimean arvion mukaan epkoritamabi-hoidosta aiheutuisi julkisilla tukkuhinnoilla vuosina 2024–2027 noin 171 000–1 253 000 euron budjettivaikutus vuosittain.

9 Yhteenveto suosituksesta

Epkoritamabi ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa.

Palkon näkemyksen mukaan tutkimusnäyttöön liittyy merkittävää epävarmuutta. Saatavilla olevan tutkimusnäytön mukaan alle puolet potilaista sai hoidolle täydellisen vasteen, ja hoidon vaikutus elämänlaatuun ei ole vielä arvioitavissa. Näyttö perustuu toistaiseksi yksihaaraiseen faasi I/II:n tutkimukseen. Palkon näkemyksen mukaan vaikeiden tai henkeä uhkaavien haittojen määrä on merkittävä. Epkoritamabi-hoidon teho- ja kustannusvertailu perustuu ankkuroimattomaan epäsuoraan vertailuun, jolla on menetelmänä useita epävarmuutta aiheuttavia tekijöitä.

10 Lisänäytön kerääminen ja suosituksen vaikutusten seuranta

11 Suosituksen valmisteluun osallistuneet

Suosituksen valmisteluun Palkon lääkejaostossa (toimikausi 1.7.2023–30.6.2026) ovat osallistuneet:

Puheenjohtaja:

Tulosryhmäjohtaja Sirkku Jyrkkiö, Varsinais-Suomen hyvinvointialue

Jäsenet:

- Lääkintöneuvos Vesa Jormanainen, sosiaali- ja terveysministeriö
- Ylilääkäri Vesa Kataja, Etelä-Savon hyvinvointialue
- Arvointiylilääkäri Kati Kinnunen, Pohjois-Savon hyvinvointialue
- Arvointiylilääkäri Niina Koivuviita, Varsinais-Suomen hyvinvointialue
- Yliproviisori Jaana Martikainen, Lääkkeiden hintalautakunta /STM (15.8.2024 saakka)
- Arvointiylilääkäri Minna Marttila-Vaara, Varsinais-Suomen hyvinvointialue (14.9.2023 alkaen)
- Arvointiylilääkäri Sami Pakarinen, HUS-yhtymä (14.9.2023 alkaen)

- Arviointiylilääkäri Anna-Kaisa Parkkila, Pirkanmaan hyvinvointialue
- Yliproviisori Jaana Viikinkoski, Lääkkeiden hintalautakunta /STM (16.9.2024 alkaen)

Asiantuntijat:

- Arviointipäällikkö Vesa Kiviniemi, Fimea
- Vastaava asiantuntijalääkäri Katariina Klintrup; Kela

Jaoston vastuusihteerinä toimii erityisasiantuntija Outi Salminen.

12 Suosituksen hyväksymiseen osallistuneet

Täydentyy myöhemmin.

13 Suosituksen valmistelun vaiheet

- Toukokuu 2024 Fimean arviointiraportin julkaisu
- 16.9.2024 suositusluonnoksen 1. käsittely lääkejaostossa
- 28.10.2024 suositusluonnoksen 2. käsittely lääkejaostossa
- 7.11.2024 Palko hyväksyi suositusluonnoksen vietäväksi kommentoitavaksi otakantaa.fi-palveluun
- pv.kk.2024 suositusluonnoksen 3. käsittely lääkejaostossa
- pv.kk.2024 Palko hyväksyi suosituksen

14 Lähteet

Abbvie. Myyntiluvan haltijan kommentti.

<https://www.julkari.fi/bitstream/handle/10024/149021/Kommentti%20AbbVie%20Oy%20KA%209%202024.pdf?sequence=8&isAllowed=y>

Abrisqueta P, Falchi L, Nijland M ym. Epcoritamab + R-DHAX/C Elicits Deep, Durable Responses in TransplantEligible Patients With Relapsed or Refractory Diffuse Large B-

Cell Lymphoma, Including High-Risk Disease. Presented at the European Hematology Association Annual Congress; June 13–16, 2024; Madrid, Spain.

Cordoba R, Jørgensen J, Belada D ym. Epcoritamab + GemOx Induces Deep, Durable Responses in Patients With Relapsed or Refractory Diffuse Large B-Cell Lymphoma: Updated Results From the EPCORE NHL-2 Trial. Presented at the European Hematology Association Annual Congress; June 13–16, 2024; Madrid, Spain.

Lavie D, Avigdor A, Avivi I ym. First Data From Subcutaneous Epcoritamab + Polatuzumab Vedotin, Rituximab, Cyclophosphamide, Doxorubicin, and Prednisone (pola-R-CHP) For First-line Diffuse Large B-cell Lymphoma (DLBCL): EPCORE NHL-5. Presented at the European Hematology Association Hybrid Congress; June 13–16, 2024; Madrid, Spain.

Leppä S, Kuittinen O, Kuitunen H, ym. Nopeakasvuisten B-solulymfoomien hoitosuositus; <https://onkologiayhdistys.fi/hoitosuositukset/lymfoomaryhman-hoitosuositukset/>; voimassa 16.1.2023 alkaen, päivitetty 2024.

Nättinen J, Nousiainen P. Epcoritamabi uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa. Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea. Fimea kehittää, arvioi ja informoi -julkaisusarja 9/2024 <https://urn.fi/URN:ISBN:978-952-7299-67-8>

Suomen Syöpärekisteri. Syöpätilastosovellus - Diffuusi suurisoluisen B-solulymfooma (C83.3). <https://syoparekisteri.fi/tilastot/tautilastot/>

Tepkinly (epcoritamabi). EPAR (European Public Assessment Report). European Medicines agency EMA. Julkaistu 20.7.2023. https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/tepkindy-epar-public-assessment-report_en.pdf

Tepkinly (epcoritamabi). Valmisteyhteenveto. EMEA/H/C/005985/0000. European medicines agency EMA. 2023. https://ec.europa.eu/health/documents/communityregister/2023/20230922160215/anx_160215_fi.pdf

Thieblemont C, Phillips T, Ghesquieres H, ym. Epcoritamab, a Novel, Subcutaneous CD3xCD20 Bispecific T-Cell–Engaging Antibody, in Relapsed or Refractory Large B-Cell Lymphoma: Dose Expansion in a Phase I/II Trial. *Journal of Clinical Oncology*. 2023 41(12):2238. DOI:10.1200/JCO.22.01725

Thieblemont C, Karimi YH, Ghesquieres H ym. Extended Follow-Up Beyond 2.5 Years Shows Long-Term Efficacy in Complete Responders Following Epcoritamab Monotherapy in Relapsed/Refractory Large B-Cell Lymphoma. Presented at the European Hematology Association Annual Congress; June 13–16, 2024; Madrid, Spain.



LUONNOS

Muistio
7.11.2024

STM023:00/2023
VN/33717/2023

Esiselvitys sukupuolidysforian lääketieteellisiä hoitomenetelmiä koskevien suositusten päivittämisestä

Terveystieteiden tutkimuskeskustoimikunta (Palko) hyväksyi 11.6.2020 suositukset: Transsukupuolisuudesta johtuvan dysforian lääketieteelliset hoitomenetelmät, Aikuisten muunsukupuolisuuteen liittyvän sukupuolidysforian lääketieteelliset hoitomenetelmät ja Alaikäisten sukupuoli-identiteetin variaatioihin liittyvän dysforian lääketieteelliset hoitomenetelmät (STM038:00/2020). Suositukset perustuivat hyväksymisajankohtana voimassa olleeseen lainsäädäntöön ja hoitokäytäntöjen kuvaukseen. Suositusten tietopohja on kuvattu erillisessä valmistelumuistiossa ja siihen sisältyy esimerkiksi lääketieteellisiä hoitoja koskeva kirjallisuuskatsaus, laaja eettinen analyysi sekä järjestöjen lähettämät kannanotot.

Lakisidonnaisuusperiaate

Terveystieteiden tutkimuskeskustoimikunta (1326/2010) 78 a §:n 1 momentin mukaan Palkon tulee suosituksia antaessaan ottaa huomioon eri alojen tutkimustieto ja muu näyttö sekä terveystieteiden eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat. Pykälän yksityiskohtaisten perustelujen mukaan neuvosto päättää palveluvalikoiman sisällöstä voimassa olevan lainsäädännön mukaisesti (HE 103/2013 vp, s. 88). Palkon tulee esityksen mukaan määräjain tarkistaa palveluvalikoimamäärittelyn ajantasaisuus.

Perustuslain 2 §:n 3 momentin mukaan kaikessa julkisessa toiminnassa on noudatettava tarkoin lakia. Säännöksen ilmaisema lakisidonnaisuusperiaate koskee kaikkia voimassa olevia säädöksiä. Eduskunnan oikeusasiamies katsoi Palkoa koskevassa päätöksessään EOAK/5481/2022, 19.9.2024, että palveluvalikoima-

neuvosto on menetellyt vastoin perustuslain 2 §:n 3 momentissa säädettyä lakisidonnaisuusperiaatetta, kun se ei ole ryhtynyt toimenpiteisiin saattaakseen sukupuolidysforian hoitoa koskevat suositukset vastaamaan voimassa olevaa lainsäädäntöä.

Palko on tunnistanut suositusten päivittämisen tarpeen voimassa olevaa lainsäädäntöä vastaavaksi jo vuonna 2023 (dokumentoitu esimerkiksi Palkon selvityksessä Sosiaali- ja terveysministeriölle 28.10.2023). Resurssitilanteen vuoksi päivittämistä ei kuitenkaan voitu käynnistää ajankohtaisesti vuonna 2023.

Aihe-ehdotukset ja pyynnöt suositusten päivittämiseksi

Palkolle on tehty aihe-ehdotus (VN/33717/2023) 23.11.2023 suositusten päivittämisestä nykyistä translakia (laki sukupuolen vahvistamisesta 295/2023) vastaavaksi. Aihe-ehdotuksessa katsottiin, että suositusten sisältö on osin ristiriidassa nykyisen translain kanssa. Ehdotuksen mukaan *"Nykyisen sukupuolen vahvistamisesta annetun lain mukaan täysi-ikäinen Suomen kansalainen voi vahvistaa sukupuolensa esittämällä selvityksen siitä, että hän pysyvästi kokee kuuluvansa vahvistettavaan sukupuoleensa. Tämä on ristiriidassa hoitomenetelmien kanssa, jotka tarjoavat aikuisille hoitoa sukupuolidysforiaan vain, jos se on pitkäkestoista (>2 vuotta) ja kun henkilö joko pystyy kuvaamaan johdonmukaisesti, miten dysforia haittaa häntä käytännön arjen tilanteissa, tai kun objektiivisesti arvioiden voidaan todeta, että dysforia aiheuttaa sitä kokevalle henkilölle toimintakyvyn laskua joko sosiaalisesti tai ammatillisesti. Hoitomenetelmät ovat ristiriidassa kyseisen lainsäädännön kanssa, koska laeissa tunnustetaan henkilön oikeus määritellä sukupuoli-identiteettinsä, mutta sukupuolen korjaushoidon (esim. hormoniterapian) kieltäminen sitä haluavilta rajoittaa henkilön sukupuoli-identiteetin toteutumista käytännössä. Suomen tulee harkita kansainvälisesti tunnustetun WPATH:in suositusta tietoon perustuvan suostumuksen mallista sukupuolidysforian hoidossa. On tehty runsaasti tutkimusta, jotka tukevat tätä mallia."*



Palko on lisäksi saanut kansalaisilta ja Trans ry:ltä sähköpostitse ja postitse yhteensä kymmeniä yhteydenottoja vuoden 2024 aikana, joissa pyydetään kyseessä olevien suositusten päivittämistä. Yhteydenotot ovat keskeisiltä osiltaan saman sisältöisiä. Esimerkiksi Trans ry:n mukaan:

- *Tutkimusten ja hoidon keskittämisestä olisi luovuttava. Hoitosuosituksiin on kirjattava selkeästi, että Tampereen ja Helsingin sukupuoli-identiteetin tutkimuspoliklini- koiden lisäksi hoitoprosessi voidaan toteuttaa myös muualla. Hoitoja edeltävää tutki- mus- ja diagnoosivaihetta voisi toteuttaa myös muissa terveydenhuollon erityis- köissä, mukaan lukien yksityiset palveluntarjoajat. Voimassa olevat hoitosuositukset nojaavat siihen, että potilaan kotipaikkakunnan terveydenhuollossa voisi tarjota vain psykososiaalista tukea ja psykiatrista hoitoa sukupuoli-identiteetin tutkimusproses- siin liittyen. Tämä suositus rajaa kotipaikkakunnan terveydenhuollon mahdollisuuksia aivan liikaa. On kohtuutonta, että sukupuolidysforiaa voidaan hoitaa vain kahdella paikkakunnalla. Transihmisten maantieteellisen tasa-arvon sekä tutkimus- ja hoitoresurssien lisäämiseksi ja näin täysin kestäättömien hoitojonojen purkamiseksi hoitojen keskittämisestä on luovuttava yksiselitteisesti.*
- *Hoitosuositukset on päivitettävä kansainvälisten suositusten mukaisiksi. Voimassa olevat hoitosuositukset sisältävät lukuisia ongelmakohtia, joista kansalaisjärjestöt ja asiantuntijat ovat huomauttaneet jo niiden alkuperäisessä säätämisvaiheessa. Monet näistä linjauksista ovat ristiriidassa ajantasaisen tutkimustiedon kanssa. Erityisenä esimerkkinä voidaan mainita diagnostinen erottelu muunsukupuolisten ja binaaristen transsukupuolisten välillä, joka ei ole linjassa jo vuosia sitten julkaistun ICD-11 -diagnoosiluokituksen kanssa. Nykysuositukset ovat selkeässä ristiriidassa myös WPATH:in (World Professional Association for Transgender Health) vuonna 2022 julkaistun SOC8-suosituksen kanssa.*

Kansalaisilta tulleissa yhteydenotoissa todetaan lisäksi muun muassa:

- *Transsukupuolisuuteen liittyvissä hoidoissa tarvitaan erityisosaamista, mutta tämä ei edellytä hoitojen keskittämistä hyvin kapealle alueelle Suomessa. Odotusajat ovat*



kohtuuttoman pitkät. Nykyisellään resurssien puute ja tutkimusjaksojen laajuus johtavat kohtuuttoman pitkiin tutkimusjaksoihin ja hoidon odottamiseen.

- *Tutkimusjakson sisältö ja kesto tulee määritellä tarkemmin hoitosuosituksissa siten, että se on mahdollista toteuttaa nykyisillä resursseilla kohtuullisessa ja hoitotakuun edellyttämässä ajassa. Hoitoprosessi kestää tällä hetkellä käytännössä vähintään kaksi vuotta.*
- *Hoitoa tulisi olla saatavilla ympäri Suomen.*
- *Hoitoa tulisi olla saatavilla myös yksityisellä puolella. Terveystieteidenhuoltolaki (1326/2010) ja siihen liittyvä asetus koskee vain hyvinvointialueita, joten lainsäädäntö sallii yksityisen terveydenhuollon osallistumisen hoitoon, ja tämä tulee huomioida myös Palkon hoitosuosituksissa.*
- *Cis-sukupuoliset saavat hormoneita yhden lääkärikäynnin perusteella esimerkiksi kaljuuntumisen ehkäisyyn tai vaihdevuosiin.*
- *Hoitosuosituksiin tulee kirjata, että kaikkien hormonihoitoa käyttävien, riippumatta siitä, mistä hoito on saatu, on saatava palvelut mahdollisten terveyshaittojen vähentämiseen. Tämä sisältää säännölliset verikokeet ja muut tarvittavat tutkimukset.*
- *Kansalainen on toimittanut liitteenä vertailun Palkon suosituksista ja WPATH:n suosituksesta. Vertailussa kuvataan ne asiat, jotka on arvioitu olevan ristiriidassa Palkon suositusten kanssa. Linkki vertailuun: <https://trasek.fi/2020/07/08/palkon-wpath-hin-vertailu/#tutkimuksiin-ja-hoitoonpaasy>*
- *On tärkeää, että hoitosuosituksia laativassa työryhmässä olevat asiantuntijat nauttivat laajasti hoitosuosituksien piiriin kuuluvien ihmisten luottamusta, jotta varmistetaan objektiivisuus ja potilaiden hyvinvoinnin ensisijaisuus.*

Sosiaali- ja terveysministeriö on vastaanottanut lisäksi Palkoa koskevia kansalaisten yhteydenottoja.

Muutokset lainsäädännössä

Translaki (563/2002) ja transasetus (1053/2002) on kumottu 3.4.2023. Laki sukupuolen vahvistamisesta (295/2023) on tullut voimaan 3.4.2023. Laki koskee suku-



puolen juridista vahvistamista, eikä se sisällä säädöksiä lääketieteellisestä diagnoosista, tutkimuksesta tai hoidosta. Lakia koskevan hallituksen esityksen (HE 189/2022 vp, säännöskohtaiset perustelut, s. 93) mukaan *”Kun henkilö hakeutuu terveydenhuoltoon, tulee hänet kohdata hänen sukupuoli-identiteettiään kunnioittavalla tavalla. Ehdotetulla säännöksellä ei oteta kantaa henkilön hoitoon tai sen tarpeen arviointiin yleisesti. Hoito toteutetaan terveydenhuollon yleissääntelyn, kuten potilaslain, mukaisesti, ja siitä vastaa terveydenhuollon ammattihenkilö terveydenhuollon ammattihenkilöistä annetun lain (559/1994) mukaisesti. Esimerkiksi potilaslain 3 §:n mukaan jokaisella Suomessa pysyvästi asuvalla henkilöllä on oikeus ilman syrjintää hänen terveydentilansa edellyttämään terveyden- ja sairaanhoitoon niiden voimavarojen rajoissa, jotka kulloinkin ovat terveydenhuollon käytettävissä. Potilaalla on oikeus laadultaan hyvään terveyden- ja sairaanhoitoon. Hänen hoitonsa on järjestettävä ja häntä on kohdeltava siten, ettei hänen ihmisarvoaan loukata sekä että hänen vakaumustaan ja hänen yksityisyyttään kunnioitetaan.”*

Palkon suosituksessa viitataan jo vanhentuneeseen translakiin, jossa säädettiin muun muassa lääketieteellisistä edellytyksistä, joiden perusteella henkilö oli oikeutettu hoitoon. Esimerkiksi transsukupuolisuudesta johtuvan dysforian lääketieteellisiä hoitomenetelmiä koskevan suosituksen sivulla 9. todetaan, että *”Erillislainsäädäntö määrittää transsukupuolisten henkilöiden diagnostisten tutkimusten toteutuspaikan. Lainsäädäntö myös mahdollistaa diagnostiset kriteerit täyttävien henkilöiden hoidon saamisen silloin kun lääketieteelliset perusteet hoidon järjestämiseen yksilötasolla ovat olemassa.”* Edellä selvitetyn perusteella transsukupuolisten henkilöiden lääketieteellistä hoitoa koskevaa erityissääntelyä ei laissa enää ole. Tässä jäljempänä kuvatuin asetusmuutoksin hoito on edelleen keskitetty kahteen yliopistosairaalaan.

Translain (563/2002) nojalla annettu sosiaali- ja terveystieteiden ministeriön asetus (1053/2002, transasetus) kumottiin 3.4.2023. Transasetuksella oli säädetty muun ohella tutkimuksen ja hoidon järjestämisestä sekä diagnosoinnin ja hoidon keskitämisestä kahteen yliopistosairaalaan (Hyks ja Tays). Sukupuolen vahvistamista

annettua lakia koskevassa hallituksen esityksessä (HE 189/2022 vp, s. 46) todetaan, että osa tutkimuksista ja hoidosta olisi jatkossakin perusteltua keskittää tiettyihin yliopistollisiin sairaaloihin ottaen huomioon tutkimuksen ja hoidon harvinaisuus ja sen vaatima asiantuntemus. Terveystieteiden lain 45 §:n nojalla osa erikoissairaanhoidon toimenpiteistä on keskitetty valtakunnallisesti ja alueellisesti. Valtioneuvoston asetusta erikoissairaanhoidon työnjaosta ja eräiden tehtävien keskittämisestä (582/2017, keskittämisasetus) muutettiin 30.3.2023 transasetuksen kumoamisen johdosta. Keskittämisasetuksen 5 §:n mukaan HUSiin ja Taysiin kootaan sukupuolenkorjaushoitojen edellytyksiä arvioiva tutkimus, hoitojen aloitus ja hoitoihin ohjaus. HUSiin on keskitetty sukupuolen korjaamiseen tähtäävä sukelinkirurgia kivesten, kohdun ja munasarjojen poistoa lukuun ottamatta.

Myös seulontoja koskevaa sääntelyä täsmennettiin seulonnoista annetussa valtioneuvoston asetuksessa (339/2011, seulonta-asetus), sillä osa seulonnoista kohdennettiin aikaisemmin seulonta-asetuksessa vain naisille. Steriloimislakia (283/1970) muutettiin, sillä sukupuolen vahvistamisen edellytyksenä ei uuden sukupuolen vahvistamisesta annetun lain mukaisesti enää ole, että henkilö on steriloitu tai hän muusta syystä on lisääntymiskyvytön.

Suosituksissa käytetään kumotun translain sanamuodon mukaisesti viittauksia henkilön ”vastakkaiseen sukupuoleen”. Termiä ”vastakkainen sukupuoli” ei käytetä enää uudessa sukupuolen vahvistamisesta annetussa laissa, vaan se on korvattu viittauksella ”toiseen sukupuoleen”. Lakia koskevassa hallituksen esityksessä (HE 189/2022 vp, säännöskohtaisissa perusteluissa (s.89)) todetaan, että *”Viittauksella toiseen sukupuoleen vastakkaisen sijaan pyritään välttämään ahtaita sukupuoliodotuksia tai stereotypioita, joihin sukupuolten vastakkainasettelu voi johtaa. Viittaus toiseen sukupuoleen on yhdenmukainen tasa-arvolain ja siinä käytetyn kielen kanssa. Sanamuodon muuttamisella ei ole tarkoitus muuttaa sitä, että väestötietojärjestelmään sukupuoleksi voidaan kuitenkin merkitä vain nainen tai mies.”* Ilmaisuihin ”toinen sukupuoli” ei kuitenkaan sovellu käytettäväksi kyseessä olevien Palkon suositusten kaikkiin asiayhteyksiin, koska suositusten lähtökohtana on sukupuoli-identiteetin variaatio, joka tarkoittaa sukupuoli-identiteetin asettumista mihin

tahansa kohtaan mies-nainen dimensiolla tai sen ulkopuolelle, ei ainoastaan jakoa miehiin ja naisiin.

Suosituksessa viitataan transsukupuolisuuden diagnostiikkaan liittyvään tosielämän vaiheeseen, jonka jälkeen henkilöllä on mahdollisuus hakea sukupuolen juridista vahvistamista. Huhtikuussa 2023 voimaan tulleen sukupuolen vahvistamisesta annetun lain mukaan sukupuolen juridinen vahvistaminen ei enää edellytä lääketieteellistä diagnoosia tai lääkärin lausuntoja. Sukupuoli voidaan mainitun lain 1 §:n mukaan vahvistaa, jos henkilö esittää selvityksen siitä, että hän pysyvästi kokee kuuluvansa vahvistettavaan sukupuoleen, on täysi-ikäinen ja on Suomen kansalainen tai hänellä on asuinpaikka Suomessa.

Sosiaali- ja terveydenhuollon palvelujen järjestämisvastuu on siirtynyt sosiaali- ja terveydenhuollon järjestämisestä annetun lain (621/2021) voimaan tullessa 1.1.2023 kunnilta ja kuntayhtymiltä hyvinvointialueille. Suosituksissa viitataan kuntaan terveydenhuollon palvelun järjestämisvastuussa olevana tahona.

Lainsäädännössä on edellä kuvatulla tavalla tapahtunut merkittäviä muutoksia etenkin sukupuolen juridisen vahvistamisen prosessissa. Sukupuolen vahvistamiseen liittyvät muutokset lainsäädännössä eivät vaikuta sukupuolidysforian hoidon lääketieteellisiä menetelmiä koskevien suositusten sisältöön.

Diagnoosiluokitukseen tulevat muutokset

Palkon suosituksissa viitataan ICD-10 diagnoosiluokitukseen. ICD-11 diagnoosiluokituksen käyttöönottoa valmistellaan Terveiden- ja hyvinvoinninlaitoksen johdolla vuosien 2023–2026 aikana. Diagnoosiluokituksen käyttöönotto hyvinvointialueilla edellyttää muun muassa luokitusten käännökset suomeksi ja ruotsiksi, luokituksen sovittamisen sosiaali- ja terveydenhuollon tietojärjestelmiin sekä sote-alan ammattilaisten kouluttamista luokituksen käyttöön.



ICD-11 diagnoosiluokitus tulee yhdistämään erilaiset sukupuolen identiteetin variaatiot yhden diagnoosin alle: sukupuolen yhteensopimattomuus (gender incongruence). Diagnoosi tulee siirtymään pois Mielenterveyden ja käyttäytymisen häiriöiden pääluokasta seksuaaliterveyden luokkaan (17, Conditions related to sexual health).

Terveydenhuollon palveluvalikoimaa nimenomaisesti määrittävät säännökset sisältyvät terveydenhuoltolain (1326/2010) 7a §:n 1 ja 2 momenttiin. Lain 78a §:ssä säädetään, mitä palveluvalikoimaa määriteltäessä on sen lisäksi huomioitava. Näitä seikkoja ovat eri alojen tutkimustieto ja muu näyttö sekä terveydenhuollon eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat. Nämä yleiset periaatteet on otettava huomioon kaikessa palveluvalikoimaan liittyvässä päätöksenteossa. Sukupuolidysforian hoidon lääketieteellisiä menetelmiä koskevien suositusten päivittämisen tarvetta arvioitaessa tulee huomioida ICD-11 diagnoosiluokituksen käyttöönotto sekä käyttöönottoon liittyvä aikataulu hyvinvointialueilla.

Suosituksen päivittäminen Palkossa

Palkon käsikirjan¹ kohdan 4.6 mukaan päätettäessä päivityksen käynnistämisestä otetaan huomioon:

- uudet aiheeseen liittyvät julkaistut tutkimukset ja niiden tulokset
- uusien tutkimustulosten johdosta mahdollisesti merkittävästi muuttuvat hoitokäytännöt (huomioidaan myös muut käyttöön tulleet tai käytöstä poistuneet menetelmät)
- kustannusvaikuttavuuden arvion mahdollisesti muuttuneet perusteet
- hoidon kohdentamisen tarkentuminen (hyöty–haitta -analyysin tulos muuttuu)
- systemaattisesti kerätty tieto menetelmän kliinisestä käytöstä osoittaa hoitoon liittyvän odottamattomia tai odottamattoman paljon haittoja.

¹ Käsikirja saatavilla osoitteessa palveluvalikoima.fi

Tutkimustuloksia ja niiden pätevyyttä verrataan voimassa olevan suosituksen perusteisiin. Uuden tutkimustiedon on pystyttävä vahvistamaan näyttöä suuntaan tai toiseen. Heikko 4(4) tutkimusasetelma ei vahvista näyttöä. Palko voi myös suositusta päivittämättä päättää, ettei aiempi suositus ole enää voimassa.

Suosittelujen uudelleenarviointi edellyttäisi esimerkiksi Transsukupuolisuudesta johtuvan dysforian lääketieteellisiä hoitomenetelmiä koskevan suosituksen (s. 12–13) mukaan seuraavia tietoja Suomessa hoitoa saaneista potilaista:

- lähetemäärät uusista potilaista
- tutkimusjakson aloittavien potilaiden määrät
- vuoden aikana asetetut uudet transsukupuolisuus F64.0 ja muunsukupuolisuusdiagnoosit F64.8
- pysyvätkö diagnoosit samana seurannassa vai muuttuuko sukupuolenkokemus
- tutkimusjakson keskeyttäneet ja syyt keskeytykselle,
- hoitojen keskeytykset ja syyt keskeytykselle
- hoitojen haittavaikutukset
- kehonkorjaushoitoja katuvien määrät
- kehonkorjaushoitojen vaikutus sukupuolidysforiapistisiin (GCLS),
- kehonkorjaushoitojen vaikutus toimintakykyyn (itsenäinen asuminen, ammatillinen toimintakyky, 15D),
- kehonkorjaushoitojen vaikutus koettuun elämänlaatuun
- psykiatriset oheisdiagnoosit (myös neuropsykiatriset F80-F90) hoitoihin hakeutuvilla/ diagnoosin saaneilla ja onko oheisdiagnooseilla vaikutusta kehonkorjaushoidoista saatavaan hyötyyn (sukupuolidysforian väheneminen)
- vähentävätkö kehonkorjaushoidot itsemurhayrityksiä
- vähentävätkö kehonkorjaushoidot masennusta ja ahdistusta

Johtopäätökset



Suosituksen saattaminen vastaamaan voimassa olevaa lainsäädäntöä edellyttää teknisluonteisia päivityksiä suosituksiin.

Kansalaiset ja järjestöt ovat esittäneet Palkolle suositusten sisällön päivittämistä.

ICD-11 diagnoosiluokitus tulee Suomessa voimaan vuonna 2027 ja edellyttää tämän jälkeen todennäköisesti suositusten sisällön päivittämisen tarpeen arviointia.

Vuonna 2020 annettujen suositusten valmistelusta vastannut seksuaaliterveyden jaosto lopetti toimikautensa 30.6.2020. Suositusten sisällön laajempi päivittäminen edellyttäisi uuden jaoston perustamista.

Suosituksen päivittämisen valmistelussa on harkittava kuulemiseen liittyviä toteutustapoja ja huomiotava eduskunnan oikeusasiamiehen Palkoa koskevassa päätöksessä EOAK/5481/2022 antama ohjaus liittyen osallistumis- ja vaikuttamiskeuksien tehokkaaseen toteutumiseen.

Ehdotukset

- Niiltä osin, kun suosituksissa viitataan vanhaan translakiin, muutetaan viittaukset tai poistetaan viittaus.
- Muutetaan suositusten ilmaisua ”vastakkainen sukupuoli” käyttämällä lainsäädännön kanssa yhdenmukaista ilmaisua ”toinen sukupuoli”, niissä asiayhteyksissä, joissa se on tarkoituksenmukaista.
- Niiltä osin, kun suosituksissa viitataan kuntaan järjestämisvastuullisena tahona, muutetaan suositusten viittaukset järjestämislain mukaisesti hyvinvointialueeksi.
- Korjataan havaitut kirjoitusvirheet.



- Pyydetään osana esivalmistelua lausunnot HUSin ja Taysin sukupuoli-identiteetin tutkimuspoliklinikoilta ja alkuperäisten suositusten valmisteluun osallistuneilta kansalaisjärjestöiltä.



PÄÄTÖS

19.9.2024

EOAK/5481/2022

SUKUPUOLIDYSFORIAN HOITOA KOSKEVAT TERVEYDENHUOLLON PALVELUVALIKOIMANEUVOSTON SUOSITUKSET YM.

1 VIREILLETULO JA KÄSITELTÄVÄ ASIA

Eduskunnan oikeusasiamiehen kansliaan saapui 10.6.2022 kantelu, jossa arvosteltiin terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston (Palko) 11.6.2020 hyväksymiä sukupuoli-identiteetin variaatioita koskevia suosituksia ja rintakehäkirurgisille toimenpiteille asetettua painoindeksirajoitusta. Lisäksi kantelussa arvosteltiin transmiesten vaikeuksia saada penis- ja erektioproteeseja.

Päätin tutkia asian omana aloitteenani eduskunnan oikeusasiamiehestä annetun lain 4 §:n nojalla.

Palveluvalikoimaneuvosto hyväksyi 11.6.2020 suositukset "Transsukupuolisuudesta johtuvan dysforian lääketieteelliset hoitomenetelmät", "Aikuisten muunsukupuolisuuteen liittyvän sukupuolidysforian lääketieteelliset hoitomenetelmät" ja "Alaikäisten sukupuoli-identiteetin variaatioihin liittyvän dysforian lääketieteelliset hoitomenetelmät" (STM038:00/2020).

Kunkin suosituksen ensimmäisessä luvussa ("Perusteet suosituksen laatimiseen") todetaan, että suositus perustuu sen hyväksymishetkellä voimassa olevaan lainsäädäntöön.

Suosittelujen hyväksymishetkellä voimassa ollut translaki (563/2002) kumottiin 3.4.2023, kun laki sukupuolen vahvistamisesta (295/2023) tuli

voimaan. Samalla kumoutui kumotun lain nojalla annettu sosiaali- ja terveysministeriön asetus (1053/2002).

Transsukupuolisuudesta johtuvan dysforian lääketieteellisiä hoitomenetelmiä koskevan suosituksen nykykäytäntöä koskevan kuvauksen mukaan elektiivisille rintakehäkirurgisille toimenpiteille on asetettu painoindeksirajoitukseksi ”noin 30” (s. 4). Oikeusasiamiehelle osoitetun kantelukirjoituksen mukaan mainittua painoindeksirajoitusta noudatetaan käytännössä kategorisesti.

Transsukupuolisuudesta johtuvan dysforian lääketieteellisiä hoitomenetelmiä koskevan suosituksen mukaan transmies voi saada penis- tai erektioproteesin, kun apuvälineiden yleiset luovutusperiaatteet täyttyvät. Kantelukirjoituksessa arvosteltiin sitä, että suosituksen otetusta kirjauksesta huolimatta transmiehet eivät ole saaneet näitä proteeseja käyttöönsä.

2 SELVITYS

2.1 Yleistä

Pyysin 12.7.2023 sosiaali- ja terveysministeriötä toimittamaan asian tutkimiseksi tarpeellisen selvityksen ja antamaan lausuntonsa asiassa. Pyysin että selvityksessä ja lausunnossa vastataan erityisesti seuraaviin kysymyksiin:

- 1) Onko palveluvalikoimaneuvostossa suunnitteilla sukupuolidysforiaa koskevien uusien tai päivitettyjen suositusten laatiminen? Jos vastaus on myöntävä, missä aikataulussa suositukset on tarkoitus päivittää tai uudistaa? Onko uudistettavissa tai päivitettävissä suosituksissa tarkoitus ottaa huomioon se, että ICD-11-tautiluokituksessa sukupuoli-identiteetin variaatiot kuuluvat seksuaaliterveyden luokkaan? Millä tavalla palveluvalikoimaneuvosto aikoo toteuttaa laajan kuulemisen veloitteen suosituksia valmistellessaan?
- 2) Missä määrin transsukupuolisuudesta johtuvan dysforian lääketieteellisiä hoitomenetelmiä koskevassa suosituksessa mainittua painoindeksirajoitusta asetettaessa on otettu huomioon yksilöllinen hoidon tarve?
- 3) Miten sosiaali- ja terveysministeriön näkemyksen mukaan määräytyvät ja toteutuvat penis- tai erektioproteesin luovutuksen periaatteet transmiesten kohdalla?

Sosiaali- ja terveysministeriö toimitti lausuntonsa 1.12.2023. Lausunnon liitteenä oli 28.10.2023 päivätty terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston selvitys.

2.2 Selvityksen ja lausunnon keskeinen sisältö

2.2.1 Palveluvalikoimaneuvoston selvitys

Palveluvalikoimaneuvoston selvityksessä todetaan, että neuvosto on kokouksessaan 28.10.2023 päättänyt yksimielisesti antaa sosiaali- ja terveysministeriölle seuraavan sisältöisen selvityksensä.

Palkon suositusten päivittämisestä

Palko tekee toimintasuunnitelmansa kalenterivuositain. Palko on kokouksessaan 26.10.2024 käynnistänyt vuoden 2024 toimintasuunnitelman valmistelun. Työjärjestyksen mukaan toimintasuunnitelma on hyväksyttävä viimeistään vuoden ensimmäisessä kokouksessa. Palko voi vuosittain aloittaa vain rajallisen määrän uusia suositusvalmisteluja tai aiempien suositusten päivittämissä. Päivitysten osalta Palko arvioi kulloinkin, onko kyseessä tekninen päivitys vai laajempi sisällöllinen päivitys.

Käsittelyyn otettavien aiheiden valinnassa noudatetaan Palkon käsikirjan mukaisia periaatteita:

- Kliinisten käytäntöjen ja saatavuuden alueellinen vaihtelu, yhdenvertaisuus (jo käytössä olevan menetelmän osalta)
- Terveysongelman yleisyys ja vakavuus
- Terveystieteiden menetelmän turvallisuus (mm. haitat)
- Taloudelliset vaikutukset
- Eettiset kysymykset (esim. julkinen arvokeskustelu tarpeen, erityisen haavoittuvat ihmisryhmät, yhdenvertaisuuskysymykset, menetelmän voimakas markkinointi)

Edellä todetun mukaisesti Palko kertoo selvityksessään ottavansa kantaa sukupuolidysforiaa koskevien suositusten päivittämiseen aikaisintaan vuoden 2024 toimintasuunnitelmaa hyväksyttäessä.

Terveystieteiden ja hyvinvoinnin laitoksen kotisivuilta ilmenevien tietojen mukaan ICD-11-luokituksen käyttöönottoa valmistellaan vuosien 2023–2026 aikana. STM:n tietojen mukaan käyttöönotto voisi tapahtua mahdollisesti vuonna 2027. Palko toteaa, että luokitus on yksi monista tekijöistä, joka tulee ottaa huomioon palveluvalikoimaa määritettäessä, mutta tässä vaiheessa on mahdoton tarkemmin ottaa kantaa uuden luokituksen vaikutukseen.

Palkon suositusvalmisteluprosessi on kuvattu Palkon käsikirjassa. Sen mukaisesti kuulemista ja muuta vuorovaikutusta asukkaiden ja sidosryhmien kanssa voi tapahtua monessa vaiheessa.

Suositusvalmistelua aloitettaessa ilmoitetaan mahdollisuudesta lähettää näkemyksiä seikoista, joita suosituksessa tulisi huomioida.

Käsikirjan periaatteita koskevan osan luvun 4.4 mukaan kansalaisnäkökulman ja potilaskokemuksen tavoittamiseksi on käytettävissä useampia keinoja: tutkimustiedon kerääminen, potilaiden ja potilaiden edustajien (=järjestöjen) tapaaminen, terveydenhuollon ammattihenkilöiden kuuleminen. Mitä laajemmasta ja merkittävämmästä suosituksesta on kyse, sitä laajemmin kuuleminen ja muu vuorovaikutus toteutetaan.

Suositusluonnoksen tultua hyväksytyksi Palkon neuvostossa se julkaistaan kommentoitavaksi otakantaa.fi-palvelussa, jolloin kaikilla halukkailla on mahdollisuus esittää siitä kommenttinsa. Kommentit käsitellään suositusvalmistelusta vastaavassa jaostossa ennen suosituksen viemistä neuvoston lopullisesti hyväksyttäväksi.

Mikäli Palko päättäisi aloittaa sukupuolidysforiaa koskevien suositusten päivittämisen, kuuleminen tulee tapahtumaan edellä selostettuja käytäntöjä noudattaen.

Painoindeksiraja

Maininta rintakehäkirurgisissa toimenpiteissä sovellettavasta painoindeksirajoituksesta sisältyy transsukupuolisuudesta johtuvan dysforian lääketieteellisiä hoitomenetelmiä koskevan suosituksen nykytilan kuvaukseen.

Suosituksen kohdassa 10 (Yhteenveto suosituksesta) todetaan Palkon kantana, että ”Lääketieteellinen hoito suunnitellaan aina yksilöllisesti. Toteutettavien hoitojen on oltava yksilöllisesti tavoiteltavaan tulokseen nähden lääketieteellisesti perusteltuja.”

Palko toteaa yleisellä tasolla, että painoindeksi on keskeinen leikkausriskin arvioinnissa huomioitava tekijä. Palkolla ei ole tietoa siitä, miten painoindeksirajaa käytännössä terveydenhuollossa sovelletaan. Palkon tehtävänä ei ole terveydenhuollon valvonta, vaan siitä huolehtivat aluehallintovirastot ja Valvira.

Penis- ja erektioproteesit

Terveydenhuoltolain 29 §:n 6 momentin mukaan sosiaali- ja terveysministeriön asetuksella voidaan antaa tarkempia säännöksiä apuvälineiden käyttöön luovutuksen perusteista. Asiasta on säädetty sosiaali- ja terveysministeriön asetuksella lääkinnällisen kuntoutuksen apuvälineiden luovutuksesta (1363/2011).

Palkon transsukupuolisuudesta johtuvan dysforian lääketieteellisiä hoitomenetelmiä koskevan suosituksen mukaan (kohta 10) ”apuvälineiden yleisten luovutusperiaatteiden täytyessä transnaisen on mahdollista saada

hoitavan lääkärin tekemän yksilöllisen arvion perusteella peruukki ja transmiehen penis- tai erektioproteesi.”

Palko toteaa, että siltä osin kuin STM:lle on säädetty oikeus asetuksella antaa säännöksiä, Palkolla ei ole toimivaltaa antaa suosituksia samasta asiasta. Siksi Palkon suosituksessa on vain viitattu yleisiin luovutusperiaatteisiin.

2.2.2 Sosiaali- ja terveysministeriön lausunto

Sosiaali- ja terveysministeriöllä ei ole huomautettavaa tai lisättävää Palkon selvitykseen asianomaisten suositusten päivittämistä koskevin osin.

Ministeriö viittaa lausunnossaan potilaan asemasta ja oikeuksista annetun lain (785/1992) 3 §:n 3 momentin säännökseen, jonka mukaan potilaan yksilölliset tarpeet on mahdollisuuksien mukaan otettava hänen hoidossaan ja kohtelussaan huomioon. Ministeriö toteaa, että transsukupuolisuudesta johtuvan dysforian lääketieteellisiä hoitomenetelmiä koskevassa suosituksessa ei ole asetettu painoindeksirajoitusta rintakehäkirurgisille toimenpiteille. Suosituksen nykytilan kuvauksessa on maininta painoindeksirajoituksesta. Suosituksen kohdan 10 lisäksi suosituksessa (kohta 9) todetaan, että kyseessä ei ole standardihoito, vaan hoitojen sisältö suunnitellaan yksilöllisesti ja jokaisessa toimenpiteessä varmistetaan sen yksilöllinen tarve ja lääketieteelliset perusteet.

Päivitetyt valtakunnalliset lääkinnällisen kuntoutuksen apuvälineiden luovutusperusteet julkaistiin 14.3.2023 (Valtakunnalliset lääkinnällisen kuntoutuksen apuvälineiden luovutusperusteet 2023: Opas apuvälinetyötä tekeville ammattilaisille ja ohjeita asiakkaille, sosiaali- ja terveysministeriön julkaisuja 2013:13).

Päivitetyssä oppaassa on ensimmäistä kertaa avattu tarkemmin sukupuolielämän apuvälineet. Oppaan mukaan seksuaalisen toiminnan apuväline luovutetaan silloin kun seksuaalinen toimintakyky on heikentynyt vamman, kehitysviivästymän tai sairauden vuoksi. Seksuaalisen toiminnan apuväline voi edistää kuntoutumista, tukea, ylläpitää tai parantaa toimintakykyä seksuaalisissa toiminnoissa taikka ehkäistä seksuaalisen toimintakyvyn heikentymistä. Toimintakyvyn parantumisella tarkoitetaan mm. kuntoutujan elämänlaadun kohentumista tai kipukokemuksen, spastisuuden ja lihaskireyksien vähentymistä. Oppaan mukaan sukupuolielämän apuvälineiden yksilöllinen arviointiprosessi tehdään seksuaalineuvojan, seksuaaliterapeutin, riittävän asiantuntemuksen omaavan terveydenhuollon ammattilaisen tai hyvinvointialueen erityistason poliklinikan toimesta. Tavanomaisia kuluttajatuotteina saatavia seksuaaliseen toimintaan liittyviä välineitä, tarvikkeita tai laitteita ei pääsääntöisesti luovuteta lääkinnällisenä kuntoutuksen apuvälineenä. Oppaassa on todettu myös, että sukupuolidysforian hoitoon ja kuntoutukseen tarkoitettujen apuvälineiden arvioinnista ja luovutuksesta vastaavat Helsingin ja Tampereen yliopistosairaaloiden sukupuoli-identiteetin poliklinikat.

Päivitetty opas lääkinnällisen kuntoutuksen apuvälineiden luovutusperusteista on julkaistu 14.3.2023, joten sen ohjausvaikutusta penis- ja erektioproteesin saatavuuteen on vielä vaikea arvioida. Lääkinnällisen kuntoutuksen apuvälineet ovat osa hoidon ja kuntoutuksen kokonaisuutta, ja apuvälineen tarve on arvioitava aina yksilöllisesti.

Keskusteluissa HUSin ja TAYSin kanssa sosiaali- ja terveysministeriön viranhaltijoiden tietoon on tullut, että asianmukaisten penis- ja erektioproteesien saatavuudessa on ollut haasteita, eikä penis- tai erektioproteesien luovuttamisesta ole toistaiseksi kokemuksia. Proteesien tarpeen arviointi- ja luovutusprosessi on kuitenkin saadun tiedon mukaan kummassakin yksikössä kehittymässä.

3 RATKAISU

3.1 Oikeusasiamiehen tehtävät

Perustuslain 109 §:n 1 momentin mukaan oikeusasiamiehen tulee valvoa, että tuomioistuimet ja muut viranomaiset sekä virkamiehet, julkisyhteisön työntekijät ja muutkin julkista tehtävää hoitaessaan noudattavat lakia ja täyttävät velvollisuutensa. Tehtävänsä hoitaessaan oikeusasiamies valvoo perusoikeuksien ja ihmisoikeuksien toteutumista.

Eduskunnan oikeusasiamiehestä annetun lain 3 §:n 2 momentin mukaan oikeusasiamies ryhtyy hänelle tehdyn kantelun johdosta niihin toimenpiteisiin, joihin hän katsoo olevan aihetta lain noudattamisen, oikeusturvan tai perus- ja ihmisoikeuksien toteutumisen kannalta.

3.2 Oikeudellisen arvioinnin lähtökohdat

3.2.1 Perustuslaki

Perustuslain 2 §:n 2 momentin mukaan kansanvaltaan sisältyy yksilön oikeus osallistua ja vaikuttaa yhteiskunnan ja elinympäristönsä kehittämiseen. Säännöksellä turvataan yksilön osallistuminen ja vaikutusmahdollisuudet yhteiskunnallisen toiminnan eri tasoilla. Siten se kattaa esimerkiksi äänestämisen vaaleissa ja kansanäänestyksissä, muunlaiset osallistumis- ja vaikuttamiskeinot samoin kuin kansalaisyhteiskunnan omaehtoisen toiminnan ja yksilön vaikuttamisen omassa lähiympäristössään itseensä ja elinympäristöönsä vaikuttaviin päätöksiin. (HE 1/1998 vp. s. 74)

Perustuslain 2 §:n 3 momentin mukaan julkisen vallan käytön tulee perustua lakiin. Kaikessa julkisessa toiminnassa on noudatettava tarkoin lakia.

Säännöksen jälkimmäisen virkkeen ilmaisema lakisidonnaisuusperiaate koskee kaikkia voimassa olevia oikeusnormeja ja koko oikeusjärjestystä. Lakisidonnaisuuden alaan kuuluvat näin ollen eduskunnan säätämien lakien ohella myös asetukset ja viranomaisten antamat määräykset.

Julkisessa toiminnassa on noudatettava myös vakiintuneita oikeusperiaatteita ja Euroopan unionin oikeutta.

Perustuslain 6 §:n 1 momentin mukaan ihmiset ovat yhdenvertaisia lain edessä. Pykälän 4 momentin mukaan sukupuolten tasa-arvoa edistetään yhteiskunnallisessa toiminnassa sen mukaan kuin lailla tarkemmin säädetään. Jälkimmäisen säännöksen sisältämän sääntelyvarauksen ja sen lainsäätäjään kohdistaman toimeksiannon mukaisesti on säädetty laki naisten ja miesten välisestä tasa-arvosta, josta jäljempänä kohdassa 3.2.3.

Perustuslain 10 §:n 1 momentin mukaan jokaisen yksityiselämä on turvattu. Perusoikeusuudistuksen esitöiden mukaan yksityiselämän suojan lähtökohtana on, että yksilöllä on oikeus elää omaa elämäänsä ilman viranomaisten tai muiden ulkopuolisten tahojen mielivaltaista tai aiheetonta puuttumista hänen yksityiselämäänsä. Siihen kuuluvat muun muassa yksilön oikeus vapaasti solmia ja ylläpitää suhteita muihin ihmisiin ja ympäristöön sekä oikeus määrätä itsestään ja ruumiistaan. (HE 309/1993 vp, s. 52 ja 53)

Perustuslakivaliokunnan käytännössä myös oikeus henkilökohtaiseen identiteettiin on luettu yksityiselämän suojan piiriin (ks. esim. PeVL 77/2022 vp, kohta 3; PeVL 25/2006 vp, s. 2). Valtiolta on yksityiselämän suojaamiseksi perinteisesti edellytetty sen ohella, että se itse pidättäytyy loukkaamasta kansalaisten yksityiselämää, myös aktiivisia toimenpiteitä yksityiselämän suojaamiseksi toisten taholta uhkaavilta loukkauksilta. (HE 309/1993 vp, s. 53; PeVL 6/2014 vp, s. 2/II; PeVL 16/2013 vp, s. 2/I)

Perustuslain 14 §:n 4 momentissa säädetään, että julkisen vallan tehtävänä on edistää yksilön mahdollisuuksia osallistua yhteiskunnalliseen toimintaan ja vaikuttaa häntä itseään koskevaan päätöksentekoon.

Perustuslakivaliokunta on arvioidessaan osallistumisoikeuksiin liittyvän sääntelyn merkitystä perustuslain 2 §:n 2 momentin kannalta korostanut perustuslain 14 §:n 4 momentin asettamia vaatimuksia julkiselle vallalle turvata ja edistää osallistumisoikeuksien toteutumista (ks. esim. PeVL 67/2014 vp, s. 5/I).

Perustuslain 19 §:n 3 momentin mukaan julkisen vallan on turvattava, sen mukaan kuin lailla tarkemmin säädetään, jokaiselle riittävät sosiaali- ja terveyspalvelut ja edistettävä väestön terveyttä.

Perusoikeusuudistuksen esitöiden mukaan säännös edellyttää riittävien palvelujen turvaamista jokaiselle. Palvelujen riittävyttä arvioitaessa voidaan lähtökohtana pitää sellaista palvelujen tasoa, joka luo jokaiselle ihmiselle edellytykset toimia yhteiskunnan täysivaltaisena jäsenenä. Palvelujen järjestämistapaan ja saatavuuteen vaikuttavat välillisesti myös muut perusoikeussäännökset, kuten yhdenvertaisuus ja syrjinnän kieltä, oikeus henkilökohtaiseen koskemattomuuteen ja turvallisuuteen sekä yksityiselämän suoja. (HE 309/1993 vp, s. 71)

Perustuslain 22 §:n mukaan julkisen vallan on turvattava perusoikeuksien ja ihmisoikeuksien toteutuminen.

3.2.2 Terveysthuoltolaki

Palveluvalikoimaa koskeva sääntely

Terveysthuoltolaissa (1326/2010) säädetään terveysthuollon palveluvalikoimasta. Palveluvalikoima koostuu niistä hoidoista, joita potilaalle annetaan julkisessa terveysthuollossa tai joita korvataan julkisista varoista.

Terveysthuoltolain 7 a §:n 1 momentin mukaan palveluvalikoimaan kuuluvat lääketieteellisesti ja hammaslääketieteellisesti perusteltu sairauksien ennaltaehkäisy, sairauden toteamiseksi tehtävät tutkimukset sekä taudinmääritys, hoito ja kuntoutus.

Palveluvalikoimaa koskevan hallituksen esityksen yksityiskohtaisten perustelujen mukaan palveluvalikoimaa ei käytännössä koskaan voida määrittellä täydellisen yksiselitteisesti. Yksilöllinen harkinta on aina tarpeen potilaan hoidossa ja sovellettaessa palveluvalikoimaa yksittäisessä tapauksessa. (HE 103/2013 vp, s. 87)

Terveysthuoltolain 78 a §:n 1 momentin mukaan sosiaali- ja terveystministeriön yhteydessä toimii terveysthuollon palveluvalikoimaneuvosto, jonka tehtävänä on seurata ja arvioida terveysthuollon palveluvalikoimaa sekä antaa suosituksia terveyst- ja sairaanhoidon toimenpiteiden, tutkimusten sekä hoito- ja kuntoutusmenetelmien kuulumisesta palveluvalikoimaan tai rajaamisesta pois palveluvalikoimasta. Suosituksia antaessaan neuvoston tulee ottaa huomioon eri alojen tutkimustieto ja muu näyttö sekä terveysthuollon eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat.

Palveluvalikoimaa koskevan hallituksen esityksen yksityiskohtaisten perustelujen mukaan palveluvalikoiman määrittelyä tehdään avoimesti ja erilaiset näkökulmat laajasti huomioiden. Toimielin päättää palveluvalikoiman sisällöstä voimassa olevan lainsäädännön mukaisesti. Päätösten valmistelussa on kuultava laajasti kansalaisyhteiskuntaa ja erityisesti potilasjärjestöjä. (HE 103/2013 vp, s. 88)

Toimielimen tulee määrajoin tarkistaa palveluvalikoimamäärittelyn ajantasaisuus. (HE 103/2013 vp, s. 88)

Apuvälineitä koskeva sääntely

Terveysthuoltolain 29 §:n 1 momentin mukaan hyvinvointialueen on järjestettävä potilaan sairaanhoitoon liittyvä lääkinnällinen kuntoutus. Lääkinnälliseen kuntoutukseen kuuluvat pykälän 2 momentin 5 kohdan mukaan apuvälinepalvelut.

Pykälän 6 momentin mukaan sosiaali- ja terveysministeriön asetuksella voidaan antaa tarkempia säännöksiä apuvälineiden käyttöön luovutuksen perusteista.

3.2.3 Tasa-arvolaki

Naisten ja miesten välisestä tasa-arvosta annetun lain (609/1986), jäljempänä tasa-arvolaki, tarkoituksena on muun ohella estää sukupuoli-identiteettiin tai sukupuolen ilmaisuun perustuva syrjintä.

Sukupuoli-identiteetillä tarkoitetaan tasa-arvolain 3 §:n 5 momentin mukaan henkilön kokemusta omasta sukupuolestaan. Lain esitöiden mukaan sukupuoli-identiteetti on aina yksilöllinen eikä se välttämättä ole sama kuin henkilölle syntymässä määritelty sukupuoli. Syntymässä miespuoliseksi määritelty henkilö voi kokea olevansa nainen tai naispuoliseksi määritelty henkilö voi kokea olevansa mies. Tästä käytetään tavanomaisesti käsitettä transsukupuolisuus. Henkilö voi myös kokea olevansa esimerkiksi sukupuoleton tai osittain nainen ja osittain mies, jolloin henkilön sukupuoli-identiteettiä kuvataan ilmaisulla muunsukupuolinen. (HE 19/2014 vp, s. 109)

Tasa-arvolain 6 c §:n 1 momentin mukaan viranomaisten tulee ennaltaehkäistä sukupuoli-identiteettiin perustuvaa syrjintää tavoitteellisesti ja suunnitelmallisesti. Lain esitöiden mukaan viranomaisille säädetty velvoite koskee muun ohella julkisia palveluja. Niissä tulee huolehtia siitä, että sukupuolivähemmistöön kuuluvalla henkilölle järjestetään mahdollisesti tarpeelliset, kohtuulliset erityispalvelut. (HE 19/2014 vp, s. 119)

Tasa-arvolain 7 §:n 6 momentin mukaan seksuaalista häirintää ja häirintää sukupuolen perusteella samoin kuin käskyä tai ohjetta harjoittaa sukupuoleen perustuvaa syrjintää on pidettävä tasa-arvolaissa tarkoitettuna syrjintänä.

Pykälän 8 momentin mukaan sukupuoleen perustuvalla häirinnällä tarkoitetaan tasa-arvolaissa henkilön sukupuoleen, sukupuoli-identiteettiin tai sukupuolen ilmaisuun liittyvää ei-toivottua käytöstä, joka ei ole luonteeltaan seksuaalista ja jolla tarkoituksellisesti tai tosiasiallisesti loukataan tämän henkistä tai fyysistä koskemattomuutta ja jolla luodaan uhkaava, vihamielinen, halventava, nöyryyttävä tai ahdistava ilmapiiri. Lain esitöiden mukaan ei-toivotulla käytöksellä tarkoitetaan esimerkiksi nimittelyä tai epäsovivien kysymysten esittämistä. (HE 19/2014 vp, s. 121)

3.2.4 Laki terveydenhuollon ammattihenkilöistä

Terveydenhuollon ammattihenkilöistä annetun lain (559/1994), jäljempänä ammattihenkilölaki, 15 §:n 1 momentissa säädetään, että ammattitoiminnassaan terveydenhuollon ammattihenkilön tulee tasapuolisesti ottaa huomioon ammattitoiminnasta potilaalle koituva hyöty ja sen mahdolliset haitat. Pykälän 2 momentin mukaan terveydenhuollon

ammattihenkilöllä on velvollisuus ottaa huomioon, mitä potilaan oikeuksista säädetään.

3.2.5 Apuvälineasetus

Lääkinnällisen kuntoutuksen apuvälineiden luovutuksesta annetun sosiaali- ja terveysministeriön asetuksen (1363/2011), jäljempänä apuvälineasetus, 1 §:n 1 momentin mukaan lääkinnällisen kuntoutuksen apuvälineiden luovutuksen edellytyksenä on sellainen lääketieteellisin perustein todettu sairaus, vamma tai kehitysviivästymä, joka heikentää potilaan toimintakykyä ja vaikeuttaa hänen itsenäistä selviytymistään. Pykälän 2 momentin mukaan lääkinnällisen kuntoutuksen apuvälineinä luovutettavien välineiden, laitteiden, tarvikkeiden, tietokoneohjelmien sekä muiden ratkaisujen tarkoituksena on edistää potilaan kuntoutumista, tukea, ylläpitää tai parantaa toimintakykyä jokapäiväisissä toiminnoissa taikka ehkäistä toimintakyvyn heikentymistä.

Apuvälineen tarve on asetuksen 2 §:n mukaan arvioitava käyttäjälähtöisesti, oikea-aikaisesti ja yksilöllisesti. Tarpeen arvioinnissa on otettava huomioon potilaan toimintakyky, elämäntilanne ja elinympäristön apuvälineen toimivuudelle asettamat vaatimukset.

3.3 Arviointi

3.3.1 Sukupuolidysforiaa koskevat suositukset

Palko kertoo selvityksessään ottavansa kantaa sukupuolidysforiaa koskevien suositusten päivittämiseen aikaisintaan vuoden 2024 toimintasuunnitelmaa hyväksyessä.

Totean että Palkon verkkosivuilla sittemmin julkaistussa vuoden 2024 toimintasuunnitelmassa ei ole mainintaa sukupuolidysforiaa koskevien suositusten päivittämisestä.

Terveystieteiden tutkimuskeskuksen 78 a §:n 1 momentissa säädetään, että Palkon tulee suosituksia antaessaan ottaa huomioon eri alojen tutkimustieto ja muu näyttö sekä terveydenhuollon eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat.

Pykälän yksityiskohtaisten perustelujen mukaan neuvosto päättää palveluvalikoiman sisällöstä voimassa olevan lainsäädännön mukaisesti. Palkon tulee esityksen mukaan määrääjään tarkistaa palveluvalikoimamäärittelyn ajantasaisuus. (HE 103/2013 vp, s. 88)

Totean että palveluvalikoimaneuvostoa velvoittaa sitä nimenomaisesti koskevan sääntelyn lisäksi muun ohella perustuslain 2 §:n 3 momentin säännös, jonka mukaan kaikessa julkisessa toiminnassa on noudatettava tarkoin lakia. Kuten edellä kohdasta 3.2.1 ilmenee, säännöksen ilmaisema lakisidonnaisuusperiaate koskee kaikkia voimassa olevia säädöksiä.

Tässä päätöksessäni tarkoitetut suositukset laadittiin ja hyväksyttiin, kun translaki ja -asetus olivat vielä voimassa. Suositusten hyväksymishetkellä

voimassa ollut translaki kumottiin 3.4.2023, kun laki sukupuolen vahvistamisesta tuli voimaan. Samalla kumoutui translain nojalla annettu transasetus.

Katson että palveluvalikoimaneuvosto on menetellyt vastoin perustuslain 2 §:n 3 momentissa säädettyä lakisidonnaisuusperiaatetta, kun se ei ole ryhtynyt toimenpiteisiin saattaakseen tässä päätöksessäni tarkoitetut suosituksensa vastaamaan voimassa olevaa lainsäädäntöä.

3.3.2 Kuulemisvelvoite

Vaikka Palkon hyväksymät suositukset eivät ole oikeudellisesti sitovia, niiden ohjausvaikutus on terveyden- ja sairaanhoitoa annettaessa nähdäkseni kuitenkin vahva siten, että suosituksilla on välittömiä vaikutuksia potilaiden asemaan ja oikeuksiin. Tästä syystä pidän erittäin tärkeänä, että potilailla ja heitä edustavilla järjestöillä on tosiasiallinen mahdollisuus osallistua Palkon suositusten valmisteluun ja vaikuttaa niiden sisältöön siten kuin perustuslain 2 §:n 2 momentissa säädetään. Osallistumis- ja vaikuttamismahdollisuuksien toteutumista arvioidaan perustuslain 14 §:n 4 momentin ja 22 §:n säännösten valossa.

Kuten Palko toteaa selvityksessään, sen käsikirjassa on oma lukunsa (luku 4.4) kansalaisnäkökulman ja potilaskokemuksen huomioon ottamisesta palveluvalikoimaa määriteltäessä. Käsikirjan mukaan väestötason näkökulman huomioiminen on keskeinen osa palveluvalikoiman määrittelyä ja se tulee ottaa huomioon kaikkia määrittelyn periaatteita sovellettaessa. Käsikirjassa mainittuja osallistumisen menetelmiä ovat potilaiden tai heidän edustajiensa tapaamiset ja mahdollisuus kommentoida suositusluonnosta otakantaa.fi -palvelussa. Näitä menetelmiä käytettiin nyt puheena olevia suosituksia valmisteltaessa. Suositusten liitteinä ovat lisäksi sukupuoli- ja seksuaalivähemmistöjä edustavien järjestöjen laatimat taustamuistiot.

Pidän myönteisenä, että Palko on suosituksia valmistellessaan järjestänyt kaksi tapaamista sukupuolivähemmistöihin kuuluvien henkilöiden ja heitä edustavien järjestöjen kanssa ja että heidän näkökulmansa on huomioitu osana eettistä arviota.

Palkolla on harkintavaltaa siinä, miten potilaiden ja heitä edustavien järjestöjen kuuleminen toteutetaan. Palkon tulee kuitenkin varmistaa, että kuuleminen täyttää perustuslain 14 §:n 4 momentissa ja 22 §:ssä säädetyt vaatimukset. Katson että osallistumis- ja vaikuttamisoikeuksien tehokas toteutuminen saattaa joissakin tapauksissa edellyttää asianomaisten potilaiden ja heitä edustavien järjestöjen yksittäisiä tapaamisia tiiviimpää osallistumista suositusten valmisteluun. Potilaat tai heitä edustavat järjestöt voivat esimerkiksi osallistua suositusta valmisteleavan työryhmän työskentelyyn asiantuntijoina. Käsitykseni mukaan näin voidaan saavuttaa valmistelun asianmukaisuuteen, suosituksen tietopohjan laaja-alaisuuteen ja suosituksen yleiseen hyväksyttävyyteen liittyviä etuja, jotka kokonaisuudessaan turvaavat perustuslaissa säädettyjen osallistumis- ja vaikuttamisoikeuksien toteutumista.

3.3.3 Painoindeksiä koskeva edellytys

Sosiaali- ja terveysministeriö viittaa lausunnossaan potilaslain 3 §:n 3 momentin säännökseen, jonka mukaan potilaan yksilölliset tarpeet on mahdollisuuksien mukaan otettava hänen hoidossaan ja kohtelussaan huomioon.

Viitaan edellä mainitun lisäksi siihen, mitä ammattihenkilölaissa säädetään terveydenhuollon ammattihenkilön velvollisuudesta ottaa tasapuolisesti huomioon ammattitoiminnasta potilaalle koitua hyöty ja sen mahdolliset haitat.

Totean että oikeusasiamiehen vakiintuneessa laillisuusvalvontakäytännössä on katsottu, että terveystalvelujen järjestämistä koskevat ohjeet ja käytännöt, jotka eivät jätä tilaa palvelujen tarvisijan yksilöllisen tarpeen huomioon ottamiselle, ovat ristiriidassa lainsäädännön kanssa.

Transsukupuolisuudesta johtuvan dysforian lääketieteellisistä hoitomenetelmistä annetussa suosituksessa todetaan seuraavaa: ”Lääketieteellinen hoito suunnitellaan aina yksilöllisesti. Toteutettavien hoitojen on oltava yksilöllisesti tavoiteltavaan tulokseen nähden lääketieteellisesti perusteltuja.” (s. 12) Suosituksessa ei aseteta painoindeksiä koskevaa edellytystä hoidon antamiselle.

Käytettävissäni olevan selvityksen perusteella katson, että painoindeksiä koskevan edellytyksen osalta asiassa ei ole ilmennyt aihetta epäillä lainvastaista tai virheellistä menettelyä taikka velvollisuuden laiminlyöntiä.

3.3.4 Penis- ja erektioproteesit

Lääkinnällinen kuntoutus on osa terveydenhuoltolaissa tarkoitettua sairaanhoitoa. Lääkinnälliseen kuntoutukseen kuuluvat apuvälinepalvelut. Potilaan lääkinnällisen kuntoutuksen tarve tulee arvioida hänen yksilöllisen tarpeensa mukaisesti. Potilaan terveydentilan edellyttämän lääkinnällisen kuntoutuksen tarpeen arvioinnin on perustuttava lääketieteellisesti hyväksyttäviin kriteereihin.

Tarveperiaate käy ilmi lainsäädännöstä. Potilaslain 3 §:n mukaan potilaalla on oikeus ilman syrjintää hänen terveydentilansa edellyttämään terveyden- ja sairaanhoitoon. Apuvälineasetuksen 2 §:n 1 momentin mukaan apuvälineen tarve on arvioitava käyttäjälähtöisesti, oikea-aikaisesti ja yksilöllisesti. Tarpeen arvioinnissa on otettava huomioon potilaan toimintakyky, elämäntilanne ja elinympäristön apuvälineen toimivuudelle asettamat vaatimukset.

Valtakunnallista lääkinnällisen kuntoutuksen apuvälineiden luovutusperusteita koskevaa opasta (Sosiaali- ja terveysministeriön julkaisuja 2023:13; jäljempänä apuvälineopas) edeltäneissä oppaissa todettiin nimenomaisesti, että yksilöllisen tarveharkinnan perusteella

minkään CE-merkityn (93/42/ETY) apuvälineen luovuttaminen ei ole poissuljettua. Myös muita kuin lääkintälaitedirektiivin soveltamisalaan kuuluvia CE-merkittyjä apuvälineitä voidaan luovuttaa yksilöllisen tarvearvioinnin perusteella luovuttavassa organisaatiossa sovittujen toimintakäytäntöjen mukaisesti. (Sosiaali- ja terveysministeriön julkaisuja 2020:23, s. 31) Nämä tekstiosuudet on poistettu vuonna 2023 julkaistusta oppaasta, millä ei kuitenkaan ole vaikutusta tämän asian arviointiin.

Totean että oikeusasiamiehen vakiintuneen laillisuusvalvontakäytännön mukaan lääkinnällisen kuntoutuksen apuvälineiden luovuttamisperusteita koskevaan ohjeistukseen liittyy aina yksilöllinen harkinta. Ohjeistuksesta tulee poiketa, jos yksilöllinen tarve sitä edellyttää.

Sukupuolielämän apuvälineitä koskevassa apuvälineoppaan kohdassa 09 54 todetaan, että ”(s)eksuaali- ja lisääntymisterveys on olennainen osa ihmisen terveyttä ja hyvinvointia läpi elämän ja siten merkittävä osa kansanterveyttä. Seksuaali- ja lisääntymisterveys kattaa parisuhteen ja perheen perustamisen. Maailman terveysjärjestö WHO:n seksuaalioikeuksien julistuksen (2006) mukaan jokaisella ihmisellä on oikeus saada tutkittua tietoa seksuaalisuudesta, oikeus nauttia seksuaalielämästä ja oikeus saada luottamuksellisia seksuaaliterveyden palveluita. WHO määrittelee seksuaaliterveyden seksuaalisuuteen liittyväksi fyysisen, henkisen ja sosiaalisen hyvinvoinnin tilaksi.” (s. 132)

Asianomaisessa kohdassa on maininta, jonka mukaan sukupuolidysforian hoitoon ja kuntoutukseen tarkoitettujen apuvälineiden arvioinnista ja luovutuksesta vastaavat Helsingin ja Tampereen yliopistosairaaloiden (HUS ja TAYS) sukupuoli-identiteetin poliklinikat.

Päivitetty apuvälineopas on julkaistu 14.3.2023, joten sen vaikutusta penis- ja erektioproteesin saatavuuteen on sosiaali- ja terveysministeriön mukaan vielä vaikea arvioida. Ministeriön tiedossa on, että asianmukaisten penis- ja erektioproteesien saatavuudessa on ollut haasteita, eikä niiden luovuttamisesta ole toistaiseksi kokemuksia sukupuoli-identiteetin poliklinikoilla. Proteesien tarpeen arviointi- ja luovutusprosessi on kuitenkin ministeriön saaman tiedon mukaan kummassakin yksikössä kehittymässä.

Apuvälineoppaassa mainituista syistä pidän erittäin myönteisenä, että oppaaseen on sisällytetty sukupuolielämän apuvälineiden luovutusperusteet. Mielestäni on perusteltua, että vastuu sukupuolidysforian hoitoon ja kuntoutukseen tarkoitettujen apuvälineiden arvioinnista ja luovutuksesta osoitetaan oppaassa nimenomaisesti HUSin ja TAYSin sukupuoli-identiteetin tutkimuspoliklinikoille.

Totean kuitenkin, että penisproteesi, toisin kuin erektioproteesi, ei ole sukupuolielämän apuväline. Penisproteesin tarkoituksena on suojata henkilön yksityisyyttä tilanteissa, joissa hänen sukupuoli-identiteettiinsä liittyviä seikkoja voi tulla ulkopuolisten tietoon tavalla, joka loukkaa hänen oikeuttaan yksityiselämän suojaan ja altistaa hänet häirinnälle ja syrjinnälle. Tällaisia tilanteita saattaa esiintyä esimerkiksi uimahalleissa, yleisillä

uimarannoilla ja eräissä harrastustoiminnoissa sekä oppilaitosten ja työpaikkojen pukuhuoneissa, wc-tiloissa ja muissa vastaavissa tiloissa.

Viitataan tässä yhteydessä yksityiselämän suojaa koskevaan perustuslakivaliokunnan lausuntokäytäntöön, jota on käsitelty lähemmin edellä kohdassa 3.2.1. Perustuslakivaliokunnan mukaan valtiolta on perinteisesti edellytetty aktiivisia toimenpiteitä yksityiselämän suojaamiseksi toisten taholta uhkaavilta loukkauksilta. Viitataan lisäksi tasa-arvolakiin, jonka 6 c §:ssä säädetään viranomaisille velvollisuus ennaltaehkäistä sukupuoli-identiteettiin perustuvaa syrjintää.

Edellä sanotun perusteella totean, että HUSin ja TAYSin sukupuoli-identiteetin tutkimuspoliklinikoiden on huolehdittava siitä, että penis- ja erektioproteeseja on tarjolla potilaille, joiden yksilöllinen tarve sitä edellyttää.

4 TOIMENPITEET

Saatan edellä kohdassa 3.3.1 esittämäni käsityksen terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston menettelyn lainvastaisuudesta sen tietoon. Samalla kiinnitän palveluvalikoimaneuvoston huomiota siihen, mitä totean edellä kohdassa 3.3.2.

Tässä tarkoituksessa lähetän sille jäljennöksen tästä päätöksestäni.

Kiinnitän HUSin ja TAYSin sukupuoli-identiteetin tutkimuspoliklinikoiden huomiota siihen, mitä totean edellä kohdassa 3.3.4.

Tässä tarkoituksessa lähetän niille jäljennöksen tästä päätöksestäni.

Lähetän myös sosiaali- ja terveysministeriölle jäljennöksen tästä päätöksestäni.

Apulaisoikeusasiamies

Maija Sakslin

Vanhempi oikeusasiamiehensihteeri

Riitta Burrell

Asiakirja on hyväksytty sähköisesti asianhallintajärjestelmässä.

 PALVELUVALIKOIMA Tjänsteutbudet Choices in health care	Muistio	
07.11.2024		

MUISTIO

Jaoston jäsenen eriävä näkemys suositusluonnoksesta

Palkon jaostoissa suositusten valmisteluvaiheessa käytetään konsensusmenettelyä. Tämä tarkoittaa sitä, että vastuusihteeri valmistelee yhteistyössä jaoston kanssa suositusluonnoksen ja valmistelumuistion tekstit. Jaosto pyrkii keskustelun perusteella saavuttamaan yksimielisen lopputuloksen.

Erimielisyyden ilmaisemisen menettelytavasta on käyty keskustelu 2.5.2024 ja 7.6.2024 PJ-jaoston kokouksissa. Jaosto päätyi ehdottamaan, että tilanteessa, jossa jaoston jäsenillä on ristiriitaisia näkemyksiä näytön tulkinnasta tai jaostossa on asiasta erilaisia asiantuntijanäkemyksiä, eriävät näkemykset kirjataan suosituksen valmistelumuistioon.

Palveluvalikoimaneuvosto kävi menettelytavasta keskustelua viimeksi kokouksessaan 12.6.2024 ja edellytti asian jatkovalmistelua edelleen. Neuvosto edellytti, että menettelytavan jatkovalmistelussa tulee huomioida eriävän mielipiteen perusteleminen. Neuvosto edellytti esityksen jatkovalmistelua puheenjohtajien jaostossa. Neuvosto edellytti päätösesitykseen viimeistellyt sanamuodot, joita ehdotetaan kirjattavaksi Palkon käsikirjaan.

Sihteeristö on valmistellut erimielisyysmenettelyn toimintamallia tilanteeseen, jossa neuvostolle hyväksyttäväksi esitettävään suositusluonnokseen kohdistuu sitä valmistelleessa jaostossa yhden tai useamman jaoston jäsenen eriävä näkemys. Toimintamallin jatkovalmistelussa on katsottu, että toimintamallin tulee olla yhdenmukainen palveluvalikoimaneuvostosta annetun lain (ThL 1326/2010, 78 a §:n), sen nojalla annetun valtioneuvoston asetuksen (63/2014, muutossäädökset 718/2017 ja 995/2019) sekä työjärjestyksen kanssa. Jaostolla ei ole itsenäistä päätösvaltaa, vaan päätösvalta suosituksesta päättävänä toimielimenä on palveluvalikoimaneuvoston kokouksella.

Suosituksista päättäessään palveluvalikoimaneuvoston kokouksen tulee ensisijaisesti pyrkiä saavuttamaan yksimielinen lopputulos. Äänestettäessä neuvoston kokouksen ratkaisuksi tulee kanta, jota useimmat kokoukseen osallistuvat ovat kannattaneet tai, äänten mennessä tasan, se, johon puheenjohtaja tai puheenjohtajana toimiva varapuheenjohtaja on yhtynyt. Mikäli eriävää mielipidettä ei kirjata kokouksessa äänestyksen yhteydessä, sen jättäneen jäsenen tai esittelijän on toimitettava se kirjallisesti viivytyksettä kokouksen jälkeen.

Palveluvalikoimaneuvoston kokous voi asettaa jaostoja enintään neuvoston jäljellä olevaksi toimikaudeksi. Samalla määrätään jaoston puheenjohtaja, jäsenet, mahdolliset jäseninä toimivat ulkopuoliset asiantuntijat sekä jaoston sihteeri.

Jaoston tehtävä on määritelty palveluvalikoimaneuvoston käsikirjassa siten, että se valmistee yhteistyössä sihteeristön kanssa suositus- ja kuvantamiskriteeriluonnoksia omalta alaltaan, ja että jaoston jäsenenä voi olla neuvostoon kuulumattomia asiantuntijoita. Suosituksen esittelijänä toimii valtioneuvoston asetuksen nojalla annetun työjärjestyksen mukaisesti palveluvalikoimaneuvoston pääsihteeri tai hänen määräämänsä pysyvään sihteeristöön kuuluva henkilö.

Jaoston jäsenenä toimivilla asiantuntijoilla ei ole päätösvaltaa suositusten sisällöstä päätettäessä. Mikäli jaoston jäsenenä toimii neuvoston jäsen, hänellä puolestaan neuvoston kokouksessa suosituksesta päätettäessä on mahdollisuus eriävän mielipiteen jättämiseen työjärjestyksessä kuvatussa kokousmenettelyssä. Jaoston puheenjohtajan tulee olla neuvoston jäsen tai varajäsen.

Palveluvalikoimaneuvoston toiminnan periaatteena on avoimuus ja yleisenä periaatteena viranomaisten toiminnassa tulee olla hyvän hallinnon noudattaminen.

Edellä oleva huomioden on päädytty seuraavaan toimintamalliin ja sen tekstiehdotukseen käsikirjaan lisättäväksi:

” Jaostossa valmistelumuistion sekä suositusluonnoksen ja kriteeristöluonnoksen valmistelu perustuu lähtökohtaisesti konsensusmenettelyyn. Mikäli jaoston valmistelussa valmistelumuistiosta, suositusluonnoksesta tai kriteeristöluonnoksesta ei tule yhteisymmärrystä, voi jaoston jäsen toimittaa kirjallisesti mahdollisen perustellun eriävän näkemyksensä jaoston puheenjohtajalle ja sihteeristölle. Eriävä näkemys välitetään neuvostolle samalla, kun suositusluonnos esitetään neuvoston kokoukseen hyväksyttäväksi. Neuvosto päättää kokouksessaan, miten jaoston jäsenen eriävä näkemys huomioidaan hyväksyntävaiheessa ja miten se kirjataan kokouksen pöytäkirjaan, valmistelumuistioon tai suositukseen.”

Muistio
7.11.2024

STM023:00/2023
VN/29681/2024

Esiselvitys-muistio IPS-työhön valmennuksen toimintamallista tehdystä aihe-ehdotuksesta

Tausta ja tarkoitus

Tämä muistio käsittelee aihe-ehdotusta IPS-työhönvalmennusmenetelmästä (Individual Placement and Support). Aihe-ehdotuksen ovat tehneet STM:n asiantuntijat, jotka ovat olleet mukana IPS työhönvalmennusta implementoivissa hankkeissa. IPS on työvalmennuksen toimintamalli, jonka tavoitteena on tukea erityisesti mielenterveysongelmista kärsiviä henkilöitä integroitumaan takaisin työelämään tarjoamalla yksilöllistä työhönvalmennusta.

AIHE-EHDOTUS:

Arvioitava terveysongelma tai terveydenhuollon menetelmä (esim. lääkehoito, toimenpide, tutkimus):

IPS – Sijoita ja valmenna! –toimintamalli. Kyseessä on käsikirjan mukaan toteutettava psykiatrisen avohoitotiimin työn osaksi integroitu tuetun työllistymisen malli. Olennaista mallissa on, että työhönvalmentajan työ on osa terveydenhuollon tiimin työtä eli osa terveydenhuollon toimintaa.

Missä potilasryhmässä terveysongelmaa tai menetelmää tulisi arvioida?

- Skitsofrenia ja muut vakavat mielenterveyden häiriöt
- Muut mielenterveyden häiriöt (mukaan lukien päihdehäiriöt)?
- Muut terveysongelmat (IPS muiden hoitotiimien osana)?

Tavoitteena rajaus sellaisiin terveysongelmiin, joissa IPS-mallin vaikuttavuudesta on näyttöä.

Mitä arvioinnissa pitäisi mielestäsi ottaa huomioon?

- ✓ Kliininen vaikuttavuus ja turvallisuus
- ✓ Kustannukset
- ✓ Potilasnäkökulma

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto

Meritullinkatu 8, Helsinki

PL 33, 00023 VALTONEUVOSTO

Puhelin 0295 16001

www.palveluvalikoima.fi

palveluvalikoima.stm@gov.fi



Sosiaali- ja
terveysministeriö

- ✓ Eettiset kysymykset
- ✓ Juridinen näkökulma
- ✓ Organisatorinen näkökulma

Milloin arvioinnin tai suosituksen tulisi olla valmiina? Miksi?

Hallitusohjelmaan sisältyy kirjaus: *Hallitus laajentaa IPS – Sijoita ja valmenna! -toimintamallia osatyökykyisten työllistämiseksi. Mallilla tuetaan mielenterveyden häiriöihin sairastuneita henkilöitä saamaan töitä avoimilta työmarkkinoilta ja pärjäämään työssään.*

PALKOn suositusta toivotaan voimaan mielellään vuonna 2025, jolloin hyvinvointialueiden hankkeet ovat päättäneet, ja hyvinvointialueiden tulisi pystyä jatkamaan mallin käyttöä omana toimintana. IPS-toimintamallia pilotoitiin osana Kansallisen mielenterveysstrategian toimeenpanoa vuosina 2020–2023 viidellä hyvinvointialueella. Rahoituksen päättymisen jälkeen kaikki pilotointiin osallistuneet hyvinvointialueet eivät ole pystyneet jatkamaan toimintaa. Toimintamallia on laajennettu kuudelle hyvinvointialueelle osana Suomen Kestävän kasvun ohjelmaa vuosina 2023–2024. Toimintamalli sisältyy myös Terveystieteiden tutkimusohjelman toimenpide-ehdotuksiin. Terveystieteiden tutkimusohjelmassa mallia laajennettaisiin edelleen uusille alueille vuoteen 2027 saakka. Terveystieteiden tutkimusohjelma ei koske aikaisemmin rahoitusta saaneita hyvinvointialueita.

Mitä arviointeja tai suosituksia aiheesta on jo tehty tai on tekeillä?

IPS on jo vuosien ajan sisältynyt skitsofrenian Käypä hoito –suositukseen. Näytön aste on A.

THL on selvittänyt, miten mallia voidaan toteuttaa Suomen palvelurakenteissa.

IPS-malli valittiin keväällä 2024 Euroopan osatyökykyisten henkilöiden työllistymistä avoimille työmarkkinoille tukevien hyvien käytäntöjen joukkoon. Hyvät käytännöt tunnistettiin Euroopan komission tilaamassa selvityksessä, joka kuuluu komission Työllisyyspakettiin vammaisten henkilöiden työmarkkinatulojen parantamiseksi.

THL on julkaissut IPS-mallin pilottien tuloksista arviointitutkimuksen. THL aikoo seurata rekisteritutkimuksella (vuonna 2024) Suomessa IPS-asiakkaiden pitkän aikavälin työmarkkinastatusta, mielenterveyspalvelujen käyttöä sekä ansioita ja etuuksia kuten työkyvyttömyyseläkkeitä.

Muita kommentteja:

Työhönvalmentajan toimiminen osana terveydenhuollon tiimiä on maailmalla pitkään käytössä ollut, mutta Suomessa uusi toimintatapa. Käyttöönottoa Suomessa on haastanut se, että mallia ei välttämättä mielletä terveydenhuollon toiminnaksi. Pitkäaikainen sisältyminen Skitsofrenian käypä hoito -suositukseen ei ole johtanut IPS-mallin käyttöönottoon. Mallia on pyritty levittämään Suomeen usealla eri hanketoiminnalla. PALKOn suositus tukisi mallin vakiinnuttamista.

Lisäksi on tarve arvioida mallin asemaa muiden mielenterveyden häiriöiden ja mahdollisesti myös muiden terveysongelmien hoidon osana.

Kustannusvaikuttavuustietoa on olemassa ulkomailta, mutta ei Suomesta. On tarvetta myös arvioida, onko malli tavanomaisia työllistymistoimia tehokkaampi myös vakavimpia mielenterveyshäiriöitä (kuten skitsofrenia) lievemmissä tilanteissa.

Ehdotusta tarkentavat liitetiedostot:

Palvelurakenneselvitys: <https://www.julkari.fi/handle/10024/138530>

Skitsofrenian käypä hoito: <https://www.kaypahoito.fi/nak02842>

THL:n Tutkimuksesta tiiviisti –julkaisu 14/2020: https://thl.fi/documents/155392151/190159961/TUTI+2020_14_Sijoita+ja+valmenna+-malli+tukee+osatyokykyisten+tyollistymist%C3%A4.pdf/d85bdfed-f667-6bad-a223-33d9050b374e/TUTI+2020_14_Sijoita+ja+valmenna+-malli+tukee+osatyokykyisten+tyollistymist%C3%A4.pdf?t=1652438244278

THL:n arviointitutkimus: <https://www.julkari.fi/handle/10024/148127>

Kustannusvaikuttavuus: https://www.dol.gov/sites/dolgov/files/ODEP/topics/pdf/Cost-Effectiveness_of_Individual_Placement_and_Support.pdf

Työvoimapaketti vammaisten henkilöiden työmarkkinatulosten parantamiseksi: Disability Employment Package to improve labour market outcomes for persons with disabilities (Euroopan komissio)

<https://ec.europa.eu/social/main.jsp?catId=1597&langId=en%20>

Palkon arviointikriteerit suositusaiheista päätettäessä	
Kliinisten käytäntöjen ja saatavuuden alueellinen vaihtelu, yhdenvertaisuus (jo käytössä olevan menetelmän osalta)	Käytössä 10 hyvinvointialueella (Helsingin psykoosipalvelut, Etelä-Pohjanmaan hva, Hus Psykiatria, Siun Sote, Kainuun hva, Keski-Pohjanmaan hva, Keski-Suomen hva, Pohjanmaan hva, Pohjois-Savon hva, Varsinais-Suomen hva), ts. puolet hyvinvointialueista on ottanut mallin käyttöön.
Terveysongelman yleisyys	1 % väestöstä eli noin 55 000 henkilöä sairastaa skitsofreniaa. Lisäksi aiheen rajauksesta riippuen muut mielenterveyden häiriöt.
Terveysongelman vakavuus	Skitsofrenia on vakava, monimuotoinen psyykkinen sairaus, jonka ennustetta voidaan parantaa aktiivisella kuntoutuksella.
Terveystuonon oneneteljän (intervention) turvallisuus (mm. haitat)	Malli on osoitettu vaikuttavaksi nimenomaan terveydentuononssa. Menetelmälle uskollisella tavalla toteutettuna se on osoittautunut turvalliseksi. Jos mallia muokataan tai sitä siirretään terveydentuonon ulkopuolelle, tuloksia tulisi seurata tutkimuksella, koska esimerkiksi pelkästään työvoimapalveluissa toteutettuna malli ei ole ollut toimiva.
Taloudelliset vaikutukset	Mielenterveyden häiriöihin sairastutaan usein nuorella iällä, ja siksi erityisesti vaikeampien mielenterveyden häiriöiden vaikutukset toimintakykyyn voivat muodostua pitkäkestoisiksi ja elämän mittaisiksi. IPS-mallissa tuetaan henkilön toiminta- ja työkykyä kokonaisuutena paitsi hoitoyksikössä, myös hänelle soveltuvalla työpaikalla työpaikan etsimisen jälkeen. Tulokset näkyvät paitsi oireiden määrässä, myös toiminnallisuuden ja osallisuuden lisääntymisenä ja hoidon tarpeen vähenemisenä työllistymisen ohessa. Mielenterveysstrategian hankkeissa vuoden kuluttua IPS:n aloittamisesta 55 % potilaista oli työssä tai opiskelussa. IPS-malli edellyttää kouluttautumista ja riittävää henkilöressursseja. Malli on todettu kustannusvaikuttavaksi amerikkalaisissa tutkimuksissa.
Eettiset kysymykset (esim. julkinen arvokeskustelu tarpeen, erityisen haavoittuvat potilasryhmät, yhdenvertaisuuskysymykset, menetelmän voimakas markkinointi)	Lisää vaikeita mielenterveyden häiriöitä sairastavien henkilöiden yhdenvertaisuutta ja osallisuutta ympäröivään yhteiskuntaan.



Aihe-ehdotuksen esivalmistelu ja -arviointi

Palkon toimivalta ja suositusten antaminen

Palko voi antaa suosituksia terveyden- ja sairaanhoidon sekä kuntoutuksen menetelmien kuulumisesta palveluvalikoimaan tai niiden rajaamisesta pois. Palkon toimivalta perustuu terveydenhuoltolain 7 a § mukaisesti lääketieteellisesti perusteltuun sairauksien ennaltaehkäisyyn, diagnosointiin, hoitoon ja kuntoutukseen.

Terveydenhuollon menetelmästä on Palkon käsikirjassa kohdassa 3.2 Palkon toimivalta, todettu seuraavasti:

Terveydenhuoltolain 7 a §:n mukaan palveluvalikoimaan kuuluu lääketieteellisesti perusteltu sairauksien ennaltaehkäisy, sairauden toteamiseksi tehtävät tutkimukset sekä taudinmääritys, hoito ja kuntoutus. Luettelolla ei ole ollut tarkoitus rajata palveluvalikoiman määrittelyn ja Palkon toimivallan ulkopuolelle mitään terveydenhuoltolain piiriin kuuluvaa, yksilöön kohdistuvaa toimintaa, vaan kuvata, mitä erityyppistä toimintaa palveluvalikoiman piiriin voi kuulua.

Edellä mainitun perusteella menetelmän käsite voitaisiin ajatella laajasti, jolloin se voi sisältää uusiakin menetelmiä. Toisaalta käsikirjan mukaan:

”Aihe-ehdotuksen tulee kuulua Palkon tehtäväalueeseen, joka on antaa suosituksia terveyden- ja sairaanhoidon ja kuntoutuksen menetelmien kuulumisesta palveluvalikoimaan tai rajaamisesta pois palveluvalikoimasta. Tässä yhteydessä menetelmällä tarkoitetaan lääkettä, lääkinnällistä laitetta taikka lääketieteellisiä tai kirurgisia menetelmiä sekä terveydenhuollossa käytettäviä toimenpiteitä sairauksien ehkäisemiseksi, diagnosoimiseksi tai hoitamiseksi.”

Edellisen perusteella aihe-ehdotuksia tulisi tarkastella suppeasti sen suhteen, onko kyse terveydenhuollon menetelmästä.

IPS-sijoita ja valmenna toimintamalli on työhön valmennuksen toimintamalli, jonka ensisijainen tavoite on mielenterveyskuntoutujan työllistyminen, josta tutkimusnäyttöä on eniten. Toimintamallin vaikutus



kuntoutujan terveyshyötyyn on välillinen ja siitä tutkimusnäyttö on vasta kertymässä. Toimintamallia toteutetaan osana mielenterveyskuntoutujan muuta hoitoa ja kuntoutusta.

Palveluvalikoimaneuvosto on hyväksynyt kokouksessaan 15.6.2023 suosituksen "Skitsofreniaryhmän psykooseja sairastavien kognitiivinen kuntoutus". Kyseisessä suosituksessa sivulla 6 (osa vaikuttavuuden arviointia) viitataan IPS malliin seuraavasti: *"Kognitiivinen kuntoutus sisällytettynä tehostettuun ammatilliseen kuntoutukseen, verrattuna tavanomaiseen ammatilliseen kuntoutukseen, ei useinkaan lisää niiden kuntoutujien, jotka saivat työpaikan avoimilta työmarkkinoilta tai hyväksyivät työharjoittelu-paikan, kokonaismäärää. Kognitiivisella kuntoutuksella ei ole myöskään havaittu yhteyttä työssäkäyvien suhteellisiin osuuksiin, tehtyjen tuntien määrään tai palkan suuruuteen. Kuitenkin yhdessä tutkimuksessa ryhmässä, joka sai kognitiivista remediaatiota yhdistettynä yksilöllisiin työllisyyttä tukeviin toimiin (IPS - Sijoita ja valmenna) verrattuna ryhmään, joka sai vain jälkimmäistä, oli enemmän työssäkäyviä ja korkeampi viikoittainen työtuntimäärä kuin kontrolliryhmässä 12 kuukauden kohdalla."* Ko. Palkon suosituksen johtopäätökset-osassa (sivu 11): *"Vaikuttavalla kognitiivisella kuntoutuksella on yhteyksiä mm. toimintakyvyn ja kognitiivisten toimintojen paranemiseen, arjessa selviytymisen vahvistamiseen ja työssä käymisen lisääntymiseen silloin, kun siihen yhdistetään yksilöllisiä työllisyyttä tukevia toimia. Hoidon tarve voi vähentyä potilaiden tilan parantumisen myötä."* Kohdassa 9 (yhteenvedo): *"Kuntoutuksen suunnittelussa tulisi huomioida potilaan yksilöllinen tarve sekä tavoitteet ja laatia potilaalle räätälöity kuntoutuspolku. Kognitiivisen kuntoutuksen tulisi olla osa muuta hoitoa ja eri interventiot yhdistetty toisiaan tukevaksi kokonaisuudeksi."*

Yksilön oikeus kuntoutukseen

Henkilöllä on tiettyjen kriteerien täytyessä oikeus Kelan ammatilliseen kuntoutukseen. Vaikka IPS mallissa keskeinen hyöty liittyy juuri mallin integroimiseen terveydenhuoltoon, on potilailla kuitenkin oikeus Kelan ammatilliseen kuntoutukseen. Potilaan ei siten pitäisi nykytilanteessa jäädä täysin vaille minkäänlaista työhön valmennusta, vaikka mallia ei olisi hyvinvointialueella käytössä. Potilaalla on myös oikeus hyvinvointialueen järjestämään muuhun kuntoutukseen. Terveydenhuoltolaki ohjaa myös siihen (27§), että *"mielenterveyden hoitoa saavalle potilaalle on turvattava hänen tarvitsemansa terveyden- ja sairaanhoidon kokonaisuus. Mielenterveyden hoitoa on toteutettava myös perusterveydenhuollon*

ja erikoissairaanhoidon yhteistyönä. Potilaan siirtyessä terveydenhuollon toimintayksiköstä toiseen tai sosiaalihuollon laitos- tai asumispalveluihin on turvattava tarpeenmukaisen hoidon jatkuvuus.

Mielenterveyden hoito on suunniteltava ja toteutettava siten, että se muodostaa toimivan kokonaisuuden muun sosiaali- ja terveydenhuollon kanssa sekä hyvinvointialueella ja kunnissa tehtävän mielenterveyden edistämisen kanssa.”. Lisäksi terveydenhuoltolaki 30§ mukaan, jos henkilö tarvitsee kuntoutusta, jota ei ole säädetty hyvinvointialueen tehtäväksi, hyvinvointialueen tehtävänä on huolehtia siitä, että asianomaiselle annetaan tietoja muista kuntoutusmahdollisuuksista. Henkilö on ohjattava tarpeen mukaan työhallinto- tai opetusviranomaisen taikka Kansaneläkelaitoksen tai muun palvelujen järjestäjän palvelujen piiriin yhteistyössä näitä palveluja järjestävien tahojen kanssa. (8.7.2022/581)

Palvelujen yhteensovittaminen muiden kuntoutusta antavien tahojen kanssa määritellään potilaan yksilöllisessä kuntoutussuunnitelmassa. (19.12.2014/1221)

Järjestämiseen liittyvät näkökohdat:

Hyvinvointialueilla on ollut vaikeuksia järjestää ensisijaisia (kognitiivinen kuntoutus) kuntoutusmenetelmiä psykiatrisessa hoidossa. Erilaisista mielenterveyden häiriöistä kärsivien potilaiden hoitoon pääsyssä esimerkiksi kiireettömän hoidon osalta on merkittäviä viivästymisiä hyvinvointialueilla.

IPS-toimintamallia implementoidaan vuoden 2024 loppuun asti RRP hankkeesta kohdennetuilla resursseilla ja toimintamallin implementaatio jatkuu Terveystieteiden hankkeen puitteissa. Terveystieteiden hake on hyvinvoinnin ja terveyden edistämisen hallitusohjelman mukainen erillisrahoitettu hanke, joten hankkeessa on mahdollista kohdentaa resursseja (rahoitus) hyvinvointialueille myös IPS-toimintamallin käyttöönottoon. Hanke jatkuu vuodelle 2027. IPS-toimintamallia on arvioitu THL:n HYTE-toimintamalliarvioinnissa vuonna 2019 ja arviontia ollaan päivittämässä.

Palkon suosituksilla ohjataan järjestäjää sisällyttämään palveluvalikoimaan vaikuttavaksi todettuja menetelmiä. Suositukset eivät ole kuitenkaan järjestäjää sitovia, ja siten palveluvalikoimaan sisällyttäviin

suosituksiin ei ole mahdollista kohdentaa lisäresursseja hyvinvointialueille, vaan menetelmän käyttöönoton edellyttämät resurssit on voitava kohdentaa HVA:n olemassa olevista toiminnoista resurssien allokointia muuttamalla.

Palveluvalikoimaneuvoston riippumattomuus ja resurssit

Palko on päätöksissään itsenäinen ja riippumaton toimielin. Perusteena suositusvalmisteluun ottamiselle ei siten voi olla yksinomaisesti poliittinen paine.

Palkossa valmistellaan parhaillaan laajaa perustason mielenterveyspalveluihin liittyvää suositusta, joka Palkon vuoden 2024 toimintasuunnitelman linjausten mukaisesti toteuttaa tavoitetta laaja-alaisempiin suosituskokonaisuuksien valmisteluun ja perustason palveluihin kohdentuen. Tähän valmisteluun on jo kohdennettu lisäresursseja, joten IPS-toimintamallin arviontia ei tällä hetkellä voida aloittaa.

Johtopäätökset ja päätösesitys

Edellä olevan perusteella ei ole itsestään selvää, että Palkolla on toimivaltaa antaa suositusta IPS-toimintamallista. Toimintamallia implementoidaan ja arvioidaan hyvinvoinnin ja terveyden edistämisen toimintamallina ja hankkeiden puitteissa, joista kohdennetaan HVA budjetin ulkopuolista rahoitusta toimintamallin implementoimiseen.

Huomoiden myös Palveluvalikoimaneuvoston suositusvalmisteluun käytettävissä olevat resurssit, neuvoston kokoukselle esitetään, ettei se päättä aloittaa suositusvalmistelua IPS-toimintamallista.

Toimintamallista on mahdollista tehdä uusi aihe-ehdotus Palkolle tai palko voi ottaa toimintamallin arvioitavaksi oma-aloitteisesti Terveystieteiden tutkimuskeskukseen hankkeen implementoimisvaiheen päätyttyä siinä saadut kokemukset ja THL:n toteuttaman arviointitutkimuksen tulokset huomioden.

30.10.2024

SUSANNA KAULASEN VALITSEMINEN PALVELUVALIKOIMA- NEUVOSTON PLASTIIKKAKIRURGIAN JAOSTON JÄSENEKSI

Päätösehdotus Ehdotetaan, että palveluvalikoimaneuvosto valitsisi Susanna Kauhasen plastiikkakirurgian jaoston jäseneksi 7.11.2024-30.6.2026 väliseksi ajaksi.

Nimityksen perustelut:

1. Ammatillinen pätevyys ja erityisosaaminen:

Susanna Kauhasella on laaja koulutus ja osaaminen kirurgiassa ja plastiikkakirurgiassa (lääkärintutkinto 1992, kirurgian erikoislääkäri 2003, plastiikkakirurgian erikoislääkäri 2005), ja hän on dosentti Helsingin yliopistossa (2017). Hän on myös suorittanut Euroopan plastiikkakirurgian lautakunnan EBOP-RAS-tutkinnon.

2. Johtotehtävät ja vastualueet:

Susanna Kauhanen toimii ylilääkärinä Akademiska Sjukhusetissa Uppsalassa Ruotsissa (65 %) sekä Helsingin yliopistollisessa sairaalassa (35 %), erityisalueinaan mikrokirurgia, rintarekonstruktiot ja lymfaturvotuksen hoito.

3. Tutkimus ja opetus:

Kauhasella on vahvaa akateemista asiantuntemusta ja hän on kokenut tutkimustyön ohjaaja ja vastaväittäjä sekä aktiivinen toimija kansainvälisissä asiantuntijatehtävissä. Hän on toiminut lukuisissa arviointitehtävissä ja ohjannut väitöskirjatoita. Lisäksi hänellä on kokemusta kliinisistä tutkimuksista vastuullisena tutkijana muun muassa lymfaturvotuksen mikrovaskulaarisen imusolmu-

kesiirron (LyNT-tutkimus, vaiheen II interventiotutkimus, aloitus 2018) ja rinta-syövän jälkeisen lymfaturvotuksen hoitovaihtoehtojen (2023) parissa.

4. Ammatillinen vaikuttaminen ja johtamisosaaminen:

Kauhanen on toiminut Suomen plastiikkakirurgien yhdistyksen sihteerinä ja puheenjohtajana sekä edustanut Suomea ICOPLAST:ssa. Hänellä on myös Suomen Lääkäriliiton johtamiskoulutus (30 op).

