



2.7.2018

**TERVEYDENHUOLLON PALVELUVALIKOIMANEUVOSTON KOKOUS NRO 11
/TOIMIKAUSI 2017-2020**

Aika Tiistaina 12.6.2018 klo 12.27 – 15.54
Paikka kh. Kirkko, Katajanokan hotelli (Merikasarminkatu 1, Hki)
Osallistujat x Päivi Sillanaukee, puheenjohtaja, STM §§ 1, 3b-10

Jäsenet

- Kirsi Varhila, varapj, STM
x Ilona Autti-Rämö, varapj, Kela, pj §§1-3a
x Juha Koivisto, THL
x Risto Heikkinen, Valvira
x Päivi Koivuranta, Kuntaliitto
x Vesa Kiviniemi, Fimea (ei k. 6)
x Taina Remes-Lyly, Apollonia §§ 1-6a

x Miia Turpeinen, PPSHP §§ 1-6
x Pekka Rissanen, THL
x Pekka Mäntyselkä, Itä-Suomen yo.
- Kari-Matti Hiltunen, TAYS
- Katri Vehviläinen-Julkunen, Itä-Suomen yo.
x Mirva Lohiniva-Kerkelä, Lapin yo.
x Sirkku Pikkujämsä, POP-maakunta

x Jarmo Koski, Essote

Varajäsenet

- Liisa Siika-aho, STM
x Tanja Laukkala, Kela
- Pia Maria Jonsson, THL
x Tarja Holi, Valvira §§ 1-6a
- Tuula Kock, Kuntaliitto
- Mika Kastarinen, Fimea
x Olli-Pekka Lappalainen, Oulun yo.
- Petri Bono, HUS
x Marja Blom, Helsingin yo.
- Sari Mäkinen, PSHP
- Ilkka Kantola, VSSHP
x Minna Kaila, Helsingin yo.

- Samuli Saarni, OP-ryhmä
- Leena Turpeinen, Helsingin kaupunki
x Matias Lahti, Jämsän kaupunki

Pysyvä sihteeristö

x Taina Mäntyranta, pääsihteeri
x Reima Palonen, erityisasiantuntija
x Sari Koskinen, erityisasiantuntija
x Sini Tuovinen, tekninen sihteeri

Asiantuntijat

x Marjukka Mäkelä
- Lauri Pelkonen
x Jorma Komulainen
- Liisa-Maria Voipio-Pulkki
x Antti Malmivaara



1 Avaus, kokouksen osallistujat, päätösvaltaisuus ja edellisen kokouksen pöytäkirjat

Puheenjohtaja avasi kokouksen klo 12.27 ja siirsi puheenjohtajuuden varapuheenjohtaja Ilona Autti-Rämölle.

Todettiin osallistujat ja kokouksen päätösvaltaisuus.

Merkittiin tiedoksi edellisen kokouksen pöytäkirja (liite 1.)

2 Sote-tilannekatsaus

Todettiin, että siirretään Sote-tilannekatsaus käsiteltäväksi myöhemmin kokouksessa.

3 Miepä-jaosto

a) Psykoterapiat ja muut psykososiaaliset hoito- ja kuntoutusmuodot mielenterveys- ja päihdehäiriöiden hoidossa, *Sari Koskinen*

Sari Koskinen esitteli neuvoston 26.4.2018 kokouksessa annettujen linjausten pohjalta tehdyt muutokset perustelumuiistoon ja suositukseen. Erityisesti perustelumuiistion eettisen osion muotoiluun, johtopäätöksiin ja itse suosituslauseeseen on kiinnitetty huomiota edellisen kokouksen jälkeen.

Asian käsittely:

Varapuheenjohtaja Ilona Autti-Rämö siirsi puheenjohtajuuden takaisin Päivi Sillanaukeelle ennen asiasta päättämistä.

Päätös: Hyväksyttiin suosituksen laittaminen Ota kantaa –palveluun, kun ehdotetut muutokset on työstetty jaostossa.

b) Uudet aihe-ehdotukset, *Sari Koskinen*

Miepä-jaosto on valmistellut Palkolle aihe-ehdotuksen päihderiippuvuuksien hoidosta (liite 3 a). Jaosto on saanut aihe-ehdotuksen myös sukupuolen variaatioiden hoidosta. Nämä kerrottiin tiedoksi Palkon huhtikuun kokouksessa ja Palko päätti ottaa aihe-ehdotukset käsittelyyn kesäkuun kokouksessa.

1) Intensiivisen hoidon ja kuntoutuksen menetelmät riippuvuuksien hoidossa

Sari Koskinen esitteli perusteluja päihderiippuvuuksien hoito- ja kuntoutusmenetelmät -aihe-ehdotuksen ottamiseksi jatkovalmisteluun.

Keskustelussa nousi esiin lisätarkennuksen tarve sille, kuuluvatko esimerkiksi alkoholi- tai nikotiiniriippuvuus aiheen piiriin vai millaiset ovat rajaukset. Aiheeseen todettiin kuitenkin koskevan riippuvuuksia, joita hoidetaan laitos- tai intensiivisessä kuntoutuksessa, mikä rajaa osan riippuvuuksista suosituksen ulkopuolelle. Todettiin myös tarve selvittää hoito- ja kuntoutusmenetelmien lyhyt- ja pitkäaikaisvaikutukset. Tuotiin esille myös se, että on tärkeää kuvata ja täsmentää palvelujen rajapintaa sosiaalitoimeen sekä pohtia mahdollista yhteistyön tarvetta.



Päätös: Päätettiin, että jaosto jatkaa asian valmistelua keskustelussa annettujen linjausten pohjalta.

2) *Sukupuolen variaatioiden hoito*

Keväällä 2018 TAYS:n ja HYKS:n erityispoliklinikoilta tuli Miepä-jaoston kautta Palkolle aihe-ehdotus sukupuolen variaatioiden hoidosta Suomessa. Sukupuolivariaatioiden tutkimusta ja hoitoa on keskitetty näille erityispoliklinikoille.

Mielenterveys- ja päihdepalvelujen jaosto keskusteli aihe-ehdotuksesta ja totesi laajan keskustelun jälkeen, että kysymys on sangen laaja ja, että sen valmistelemiseen tarvitaan paljon muutakin kuin mielenterveys- ja päihdehäiriöiden osaamista, joten sen ei nähty kuuluvan jaoston varsinaiselle osaamisalueelle. Jaosto kuitenkin piti aihetta tärkeänä.

Sari Koskinen esitteli sukupuolen variaatioiden hoito -aihe-ehdotuksen perusteita Palkon näkökulmasta (liite 3b.)

Asian käsittely:

Asiasta käytiin laajaa keskustelua. Todettiin aihe-ehdotuksen olleen Palkossa esillä jo kolme vuotta sitten. Asiasta käydään julkista keskustelua ja lainsäädännön muutostarpeita on myös julkisuudessa otettu esiin. Tällä hetkellä odotettavissa on, että mahdollinen valmisteltava translaki voisi selkiyttää asiaa. Aiheesta todettiin tekevän laajan myös sukupuoliominaisuuksia muuttavien hoitojen tarjonnan paljous. Lisäselvitystä ja arvokeskustelua tarvittaisiin myös siitä, mistä ilmiössä on kyse; mitkä ovat lääketieteellisiä, mitkä eettisiä ja mitkä juridisia kysymyksistä. Keskustelun päätteeksi Palkossa nähtiin, että aihe on tärkeä ja selkiyttämistä vaativa, mutta luonteeltaan sellainen, että sitä ei voi ratkaista palveluvalikoiman määrittämisen keinoin.

Päätös: Päätettiin, että aihetta ei oteta Palkossa jatkokäsittelyyn. Puheenjohtaja totesi, että asian valmistelua kuitenkin jatketaan sosiaali- ja terveysministeriössä.

4 SOTE-tilannekatsaus, Päivi Sillanaukee

Puheenjohtaja, kansliapäällikkö Päivi Sillanaukee esitteli Sote-tilannekatsauksen.

Sosiaali- ja terveysministeriön vastine lähtee sosiaali- ja terveysvaliokuntaan kuluvalle viikolla ja valmistelu etenee. On epävarmaa, ehtivätkö valiokunnat, lähinnä sosiaali- ja terveysvaliokunta, saada mietintönsä valmiiksi ennen kesälomakauden alkua.

Päätös: Merkittiin tiedoksi



5 Elintapa ja omahoito -jaosto, *Sari Koskinen*

Jaosto ei ole kokoontunut edeltävän kokouksen jälkeen. Ei uutta tiedotettavaa.

Päätös: Merkittiin tiedoksi

6 Lääkejaosto

- a) Suositus ”Sebelipaasi alfa lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa” *Reima Palonen ja Miia Turpeinen* (liite 5a, 5b ja 5c)

Reima Palonen esitteli lopullisen suosituksen. Luonnos on ollut Ota kantaa – palvelussa kommentoitavana. Lääkkeen myyntiluvan haltijalta on tullut vastine. Lisäksi 8.6.2018 on julkaistu Irlannin lääketaloudellinen arviointi ja se on lääketieteelliseltä sisällöltään melko samankaltainen Palkon suosituksen kanssa.

Luonnokseen tehtyihin muutoksiin lukeutuvat täsmennykset later-onset- tautimuodon vaihtoehtoisiiin hoitoihin, mahdolliseen poikkeamiseen palveluvalikoi- masta sekä siihen, ettei sairauden jako kahteen muotoon ole niin tarkkarajainen kuin oletettiin.

Päätösesitys: Hyväksyttiin lopullinen suositus ja perustelumuu- stio.

Todettiin, että Vesa Kiviniemi ei osallistunut päätöksentekoon.

- b) Suositukset: ”Atetsolitsumabi, nivolumabi ja pembrolitsumabi uroteelikarsinooman hoidossa” *Taina Mäntyranta*

Taina Mäntyranta esitteli suositusten taustat. Kyseessä ovat suositukset kol- melle lääkkeelle virtsarakkosyövän hoidossa.

Päätös: Suositusluonnokset viedään 18.6.2018 lääkejaoston kokoukseen ja pi- detään Palkon sähköpostikokous ennen juhannusta. Juhannuksen jälkeen suosi- tukset julkaistaan Ota kantaa –palvelussa kommentoitavaksi noin elokuun puo- leen väliin asti. Suositukset on tarkoitus tuoda syyskuun neuvoston kokoukseen lopulliseen hyväksyntään.

Todettiin, että Vesa Kiviniemi ei osallistunut päätöksentekoon.

7 Tules-jaosto, *Reima Palonen*

- a) Kuntoutus selkäkivun kroonistumisen ehkäisemiseksi, *Reima Palonen*

Reima Palonen esitteli kirjallisuuskatsauksen tulokset ja perustelumuu- stion en- simmäisen luonnoksen. Näyttö vaikuttavista kuntoutusmenetelmistä on jäänyt yllättävän vähäiseksi. Jaostossa on kuitenkin päästy valmistelussa hyvin eteen- päin.



Vaikuttavuuden osalta saatavilla oleva näyttö puoltaa sitä, että potilaat, joiden selkäkipu on vaarassa pitkittyä ja kroonistua, tulisi arvioida yksilöllisesti ja laaja-alaisesti huomioiden biopsykososiaaliset tekijät, ja toimenpiteet tulee kohdistaa tarpeenmukaisesti nämä tekijät huomioiden.

Suositus on suunniteltu laitettavaksi Ota kantaa –palveluun syksyllä 2018. Valmis suositus tuodaan marraskuun neuvoston kokoukseen lopulliseen hyväksyntään.

Päätös: Merkittiin tiedoksi. Jaosto jatkaa suositusvalmistelua tavoitteenaan tuoda suositusluonnos syyskuun kokoukseen ja lopullisesti suositus hyväksyntäisiin marraskuun kokouksessa.

b) Leikkaus selkä kivun hoidossa (työnimi)

Jaosto on keskustellut asiasta, mutta varsinaisesti valmistelu alkaa kesän jälkeen.

Päätös: Merkittiin tiedoksi.

8 Puheenjohtajien jaosto, *Reima Palonen*

Reima Palonen kertoi terveiset samana päivänä pidetystä puheenjohtajien jaoston kokouksesta. Kokouksessa käsiteltiin:

- Ei-julkisen tiedon käyttäminen Palkon suosituksissa
Asia liittyy Fimean tuoreeseen arviointiraporttiin, josta on lääkeyrityksen vaatimuksesta peitetty tietoja. Lääkettä koskeva suositus on tulossa Palkon käsiteltäväksi kesän jälkeen. Kysymyksessä on kuitenkin laajempi kuin vain Palkoa koskeva asia eli viime kädessä kyse on siitä, millä tiedoilla päätökset julkisten terveyspalveluiden sisällöstä tehdään. Sihteeristö jatkaa asian valmistelua puheenjohtajien jaoston ja muiden asiaan liittyvien tahojen kanssa.
- Eettinen arviointi Palkon suosituksissa.
Suositukseen liittyvää eettistä arviointia on tarkoitus yhdenmukaistaa ja yksinkertaistaa. Sihteeristö ja puheenjohtajien jaosto valmistelevat Palkon käsikirjaan eettistä arviointia koskevan osion ja sen perusteella kysymyslue-ttelon yksittäisten suositusten laatimisessa hyödynnettäväksi.

Päätös: Merkittiin tiedoksi.

9 Muut asiat, *Taina Mäntyranta*

- Tiedoksi taulukko valmisteilla olevista suosituksista aikataulutuksineen (liite 8.) Todettiin, että on pysytty lähes aikataulussa. Sairaalalääkkeiden osalta lääkejaosto täydentää taulukkoa. Vuonna 2018 on tarkoituksena saada kaikkiaan noin 10 suositusta valmiiksi.



- Tiedoksi, että suosituksilla ohjaaminen otetaan sosiaali- ja terveysministeriön ohjausosastolla käsittelyyn ja tarkoituksena on täsmentää eri suositustyyppien asemaa. Suosituksilla ohjaamiseen palataan syksyllä.
- Palkon syksyn kokoussaikataulu:
 - tiistai 4.9.2018 klo 12–16
 - torstai 1.11.2018 klo 9–16
 - tiistai 18.12.2018 klo 12–16
- Sidonnaisuusilmoitukset pyydetään alkusyksystä

10 Kokouksen päätös

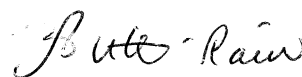
Puheenjohtaja päätti kokouksen klo 15:54

Puheenjohtaja



Päivi Sillanaukee

Varapuheenjohtaja



Ilona Autti-Rämö

Pääsihteeri



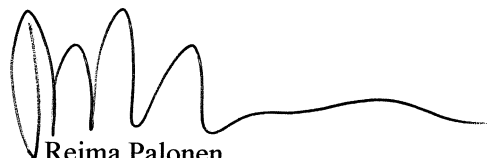
Taina Mäntyranta

Erityisasiantuntija



Sari Koskinen

Erityisasiantuntija



Reima Palonen



LIITTEET

Liite 1. Kokouksen 26.4.2018 pöytäkirja

Liite 3a. Aihe-ehdotus ”Kuuluvatko psykososiaaliset hoito- ja kuntoutusohjelmat riippuvuuksien hoidossa ja kuntoutuksessa terveydenhuollon palveluvalikoimaan.”

Liite 3b. Taustaa Palkon näkökulmasta aihe-ehdotukselle ”sukupuolen variaatioiden hoito”

Liite 5a. Perustelumuistio: sebelipaasi alfa –lääke lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa

Liite 5b. Suositus: sebelipaasi alfa lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa

Liite 5c. Yhteenveto Ota kantaa –kommenteista

Liite 8. Palveluvalikoimaneuvoston suosituskäsittelyjen työsuunnitelma 2018

JAKELU

Neuvoston varsinaiset jäsenet ja varajäsenet

Asiantuntijat

Sihteeristö





4.5.2018

TERVEYDENHUOLLON PALVELUVALIKOIMANEUVOSTON KOKOUS NRO 9 /TOIMIKAUSI 2017-2020

Aika torstaina 26.4.2018 klo 12.02 – 16.01
Paikka STM, kokoustila Meritulli, Meritullinkatu 8, Hki
Osallistujat x Päivi Sillanaukee, puheenjohtaja, STM §§ 1-6

Jäsenet

x Kirsi Varhila, varapj, STM §§ 1-2
x Ilona Autti-Rämö, varapj, Kela
x Juha Koivisto, THL §§ 1-8
x Risto Heikkinen, Valvira
x Päivi Koivuranta, Kuntaliitto
x Vesa Kiviniemi, Fimea paikalla §§ 1-3
x Taina Remes-Lyly, Apollonia

x Miia Turpeinen, PPSHP, etä
x Pekka Rissanen, THL
x Pekka Mäntyselkä, Itä-Suomen yo. §§1-10-
- Kari-Matti Hiltunen, TAYS
x Katri Vehviläinen-Julkunen,
Itä-Suomen yo. etä
x Mirva Lohiniva-Kerkelä, Lapin yo., etä
x Sirku Pikkujäämsä, POP-maakunta
kaupunki, etä
x Jarmo Koski, Essote

Varajäsenet

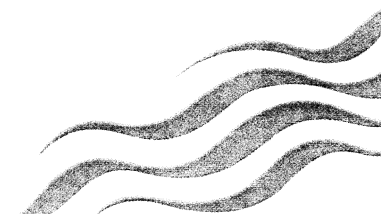
x Liisa Siika-aho, STM
x Tanja Laukkala, Kela
- Pia Maria Jonsson, THL
x Tarja Holli, Valvira
- Tuula Kock, Kuntaliitto
- Mika Kastarinen, Fimea
- Olli-Pekka Lappalainen, Oulun
yo.
- Petri Bono, HUS
- Marja Blom, Helsingin yo.
- Sari Mäkinen, PSHP
- Ilkka Kantola, VSSHP
- Minna Kaila, Helsingin yo.
- Samuli Saarni, OP-ryhmä
- Leena Turpeinen, Helsingin
yo.
x Matias Lahti, Jämsän kaupunki

Pysyvä sihteeristö

x Taina Mäntyranta, pääsihteeri
x Reima Palonen, erityisasiantuntija
x Sari Koskinen, erityisasiantuntija
x Sini Tuovinen, tekninen sihteeri

Asiantuntijat

x Marjukka Mäkelä
- Lauri Pelkonen
- Jorma Komulainen
- Liisa-Maria Voipio-Pulkki
x Antti Malmivaara



1 Avaus, kokouksen osallistujat, päätösvaltaisuus ja edellisen kokouksen pöytäkirjat

Puheenjohtaja avasi kokouksen klo 12.02.

Todettiin, että valtioneuvosto on 19.4.2018 nimittänyt neuvostoon kaksi uutta jäsentä (Sirkku Pikkujämsä ja Jarmo Koski) ja varajäsentä (Leena Turpeinen ja Matias Lahti). Lisäksi STM on 23.4.2018 myöntänyt eron varajäsen Lauri Kesolle ja nimittänyt hänen tilalleen Tanja Laukkalan.

Toivotettiin uudet jäsenet tervetulleiksi ja pidettiin esittelykierrros.

Todettiin osallistujat ja kokouksen päätösvaltaisuus.

Merkittiin tiedoksi edellisen kokouksen pöytäkirja (liite 1.)

2 Lääkejaosto

a) Suositus ”Sebelipaasi alfa lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa”: *Reima Palonen ja Miia Turpeinen*

Miia Turpeinen sekä Reima Palonen esittelivät suosituksen valmistelua ja taustoja.

Keskusteltiin aluksi uusien, erityisesti harvinaislääkkeiden markkinoilletulotavoista ja hinnoittelusta. Näyttö vaikuttavuudesta ja turvallisuudesta perustuu usein varsin pieniin ja lyhytaikaisiin tutkimuksiin ja lääkkeiden hinta on korkea.

Tehtiin lääkejaoston hyväksymiin suositus- ja perustelumuistiolounnoksiin muutoksia erityisesti näytön luotettavuutta kuvaaviin kohtiin, jotta siihen liittyvät epävarmuudet tulevat riittävästi esille.

Luonnokset julkaistaan kommentoitavaksi toukokuun alkupuolella ja lopullisesti ne pyritään hyväksymään neuvoston seuraavassa kokouksessa kesäkuussa.

Päätös: Hyväksyttiin suositus- ja perustelumuistiolounnokset julkaistavaksi Ota kantaa –sivustolla kommentointia varten.

Todettiin, että Vesa Kiviniemi ei osallistunut päätöksentekoon.

3 Miepä-jaosto

a) Psykoterapiat ja muut psykososiaaliset hoito- ja kuntoutusmuodot mielenterveys- ja päihdehäiriöiden hoidossa

Sari Koskinen ja Risto Heikkinen esittelivät perustelumuistiota ja suositusta aiheesta ”psykoterapiat ja muut psykososiaaliset hoito- ja kuntoutusmuodot mielenterveys- ja päihdehäiriöiden hoidossa”.



Kokouksessa keskusteltiin erityisesti suosituslauseesta sekä muistion ”eettinen tarkastelu”-osiosta.

Päätös: Päätettiin, että jaosto jatkaa suositusvalmistelua annettujen linjausten pohjalta tavoitteena jatkaa suosituksen käsittelemistä seuraavassa kokouksessa.

b) Uudet aihe-ehdotukset

Päätös: Päätettiin siirtää mielenterveys- ja päihdepalveluihin kuuluvien aihe-ehdotusten käsitteleminen kesäkuun kokoukseen.

4 Elintapa ja omahoito -jaosto, *Sari Koskinen*

Pekka Mäntyselkä kertoi jaoston kuulumisia.

Päätös: Merkittiin tiedoksi.

5 Tules-jaosto, *Reima Palonen*

a) Kuntoutus selkäkivun kroonistumisen ehkäisemiseksi, *Reima Palonen*

Esiteltiin tilannekatsaus (liite 5.)

Kirjallisuuskatsaus on hyväksytty. Tules-jaosto kokoontuu toukokuussa ja suositusluonnos ja muistio on tarkoitus tuoda alustavaan käsittelyyn 12.6.2018. Sen jälkeen luonnokset julkaistaisiin kommentoitavaksi kesän ajaksi ja hyväksyttäisiin lopullisesti syksyn ensimmäisessä neuvoston kokouksessa.

Päätös: Merkittiin tiedoksi

b) Suositustyön aloittaminen: Leikkaus selkäkivun hoidossa (työnimi)

Esiteltiin tilannekatsaus. Seuraavassa neuvoston kokouksessa tarkoitus hyväksyä uudet asiantuntijat täydentämään jaoston asiantuntemusta.

Päätös: Merkittiin tiedoksi

6 Puheenjohtajien jaosto, *Reima Palonen*

Esiteltiin tilannekatsaus. Viime kokouksessa hyväksytty prosessikuvaus vietään kotisivuille ja sitä sovelletaan 1.7.2018 alkaen. Jaosto jatkaa työtään periaatteiden kehittelyllä.

Päätös: Merkittiin tiedoksi

7 Palveluvalikoimaneuvoston suosituskäsittelyjen työsuunnitelma, *Taina Mäntyranta* (liite 7.)

Puheenjohtaja Päivi Sillanaukee poistui kohdan 7 alussa ja varapuheenjohtaja Ilona Autti-Rämö jatkoi puheenjohtajana loppukokouksen ajan.



Työsuunnitelmasta on tarkoitus tuoda jokaiseen kokoukseen uusi päivitetty versio tiedoksi. Neuvoston syyskaudeksi on suunniteltu kolmea kokousta: elosyyskuun taitteeseen, lokakuulle (todennäköisesti pitkä kokous) ja joulukuulle. Joka kokoukseen tulee 1-3 suositusluonnosta valmistelevaan käsittelyyn ja 1-3 päätöskäsittelyyn.

Suunniteltu työsuunnitelma on lääkesuosituksia lukuun ottamatta toteutunut hyvin. Lääkesuosituksien laatimista tehostetaan mm. tiivistämällä yhteistyötä Fimean kanssa.

Päätös: Merkittiin tiedoksi.

8 PPSHP:n HTA-koordinaatio ja Palkon suositukset, *Miia Turpeinen*

Miia Turpeinen esitteli terveydenhuollon menetelmien arvioinnin (HTA) koordinaation käynnistämisen nykytilaa ja ajatuksia sen työn ja Palkon suositusten yhteensovittamista. Palkon sihteeristö jatkaa yhteistyössä Pohjois-Pohjanmaan sairaanhoitopiirin FinCCHTA-yksikön kanssa asian valmistelemista. Asia vietään aikanaan STM:ssä käsiteltäväksi asianmukaisiin johtoryhmiin.

Päätös: Merkittiin tiedoksi.

9 Komission HTA-asetusehdotus, *Taina Mäntyranta*

Komissio on antanut asetusehdotuksen kliinisistä arvioinneista uusille lääkkeille sekä tietyille lääkinnällisille laitteille EU-tasoisesti. Valtioneuvoston kanta on annettu eduskunnalle viikolla 15 (Valtioneuvoston U-kirjelmä U14/2018 vp.) Eduskunnan valiokunnat ovat aloittaneet asian käsittelyn.

Päätös: Merkittiin tiedoksi.

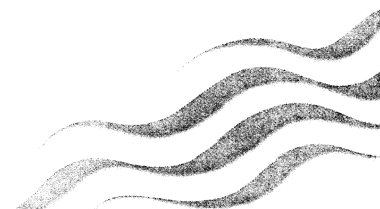
10 Muut asiat

Palkon kesäseminaari pidetään 12.6.2018 klo 9.00-11.30. Keskusteltiin seminaarin mahdollisista aiheista. Tärkeänä pidettiin, että koottaisiin kokemuksia kentältä Palkon antamien suositusten ohjausvaikutuksista. Myös maakuntien odotukset Palveluvalikoimaneuvoston työltä herätti kiinnostusta, mutta siirretään käsiteltäväksi jonkin syksyn kokouksen yhteydessä.

Päätös: Sovittiin, että sihteeristö valmistelee seminaarin ohjelman käydyn keskustelun pohjalta.

11 Tiedoksi asiat

- Palkon kevään kokoukset:
12.6.2018 klo 12-16 (+kesäseminaari aamupäivällä 12.6.2018)
- Syksyn kokousaikataulu lähetetään viikolla 19.



- o Terveysfoorumi 2018 pidettiin 19.4.2018. Teemana oli ”Priorisoinnilla yhdenvertaisuutta uuteen soteen”
- o Toimittajatapaaminen on siirretty syksyyn

12 Kokouksen päätös

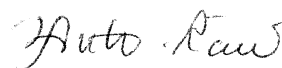
Varapuheenjohtaja päätti kokouksen klo 16.01.

Puheenjohtaja
(kohdat 1-6)



Päivi Sillanaukee

Varapuheenjohtaja
(kohdat 7-12)



Ilona Autti-Rämö

Pääsihteeri



Taina Mäntyranta

Erityisasiantuntija



Sari Koskinen

Erityisasiantuntija



Reima Palonen

LIITTEET

Liite 1. 15.3.2018 kokouksen pöytäkirja
Liite 5. Tilannekatsaus: kuntoutus selkäkivun kroonistumisen estämiseksi
Liite 7. Palveluvalikoimaneuvoston suosituskäsittelyjen työsuunnitelma 2018

JAKELU

Neuvoston varsinaiset jäsenet ja varajäsenet
Asiantuntijat
Sihteeristö



MIEPÄ-jaoston aihe-ehdotus Palkolle 12.6.2018

Kysymyksenasettelu:

Kuuluvatko psykososiaaliset hoito- ja kuntoutusmenetelmät riippuvuuk-sien hoidossa ja kuntoutuksessa terveydenhuollon palveluvalikoimaan.

Rajaukset:

- koskee laitoshoidon ja -kuntoutusta sekä intensiivistä avohoitoa ja -kuntoutusta
- mahdolliset muut rajaukset (esim. ikärajaus) valmistellaan myöhem-min

Perusteluja:

Laitosmuotoinen päihdehoito ja -kuntoutus tai sitä korvaava intensiivi-nen avohoito ja -kuntoutus ovat menetelmiä, joita käytetään osana päih-deongelmista tai muista riippuvuuksista toipumisen prosessia osalle riip-puvuusongelmallisista. Suurissa kunnissa on yleensä tarjolla monipuolisia avo- ja laitosmuotoisia päihdepalveluja ja palveluja riippuvuuksien hoi-toon. Laitosten palveluvalikoima on kuitenkin vaihtelevaa, minkä lisäksi palvelujen sisällöstä on vähän tietoa. Niukimmillaan palvelun sisältö saattaa rajoittua arkielämän taitojen harjoitteluun. Osa ohjelmista perus-tuu vankkaan tutkimusnäyttöön, mutta osaa on tutkittu niukasti tai ei ol-lenkaan. Erityisesti pienissä kunnissa intensiivisen riippuvuuksien hoi-don ja -kuntoutuksen haasteena ovat olleet sen kustannukset, ja kynnys hoitoon ja kuntoutukseen on saattanut nousta korkeaksi. Koko maassa riippuvuuksien hoidon laskennalliset laitospaikat ovat vähentyneet.

Nykytilanteessa riippuvuuksien hoidossa ja kuntoutuksessa käytettävien erilaisten menetelmien tarjonta siis vaihtelee huomattavasti maan eri osissa ja erityisen huonosti palveluita on mahdollista saada pienissä kun-nissa. Käytettyjen menetelmien sisältö, laajuus ja laatu sekä näyttöpohja vaihtelevat. Uudessa sotessa on eri keinoin varmistettava maakuntien ja asiakasryhmien välinen yhdenvertaisuus ja rajallisten voimavarojen kus-tannusvaikuttava käyttö. Vaikuttamattomista menetelmistä on kyettävä luopumaan.



TAUSTAA PALKON NÄKÖKULMASTA AIHE-EHDOTUKSELLE ”SUKUPUOLEN VARIAATIOIDEN HOITO”

Keväällä 2018 Katinka Tuisku Husin aikuispsykiatriasta, Riittakerttu Kaltiala-Heino, nuorten palveluiden osalta, Tampereen yliopistosta, Laura Suomalainen Husista, Marja Työläjärvi Pshp:stä ja Katja Raimovaara Husista lähettivät Palkolle aihe-ehdotuksen sukupuolen variaatioiden hoidosta Suomessa (liite 3d). Suomessa transsukupuoli-identiteetin tutkimus ja hoito on keskitetty TAYS:n ja HYKS:n erityispoliklinikoille.

Suomen laki turvaa lääketieteellisen hoidon transsukupuolisuuden perusteella. Sukupuolen variaatioilla tarkoitetaan sukupuoli-identiteetin asettumista mihin tahansa kohtaan mies-nainen dimensiolla tai sen ulkopuolelle, ei ainoastaan jalkoa miehiin ja naisiin. Sukupuoliominaisuuksia muuttavia hoitoja on runsaasti enemmän kuin muuntohormonihoidot ja sukuelinkirurgia. Sukupuoli-identiteettipohjaisten interventtioiden kysyntä on kääntynyt valtavaan nousuun. Ongelmana on se, että linjaukset julkisten palveluiden roolista näiden tuottajana ja niiden korvaamisesta julkisin varoin ovat epäselviä. Identiteetti-indikaatiolla toteutettavien lääketieteellisten hoitojen kustannustehokkuudesta ei ole tietoa.

Palko käsitteli kokouksessaan 27.8.15 sukupuolen variaatioita. Silloin käydystä keskustelusta kirjattiin pöytäkirjaan näin: ”...Keskustelun lopuksi Jaana Leipälä totesi, että sukupuolidysforiat ovat erityisen haasteellinen kysymys niihin liittyvän suuren yksilöllisen vaihtelun vuoksi. PALKO ei ota kantaa yksittäisten potilaiden hoitoon, vaan antaa yleisluonteisia suosituksia. Sukupuolidysforioihin liittyy paljon ihmisoikeus- ja muita eettisiä kysymyksiä. Niitä sivuaa myös translakiuudistus, jonka mahdollinen jatko odottaa parhaillaan ministerin kannanottoa. Kannanoton saamisen ajankohdasta ei ole tietoa eikä siis myöskään uudistuksen jatkon mahdollisesta aikataulusta. Todettiin, että neuvostolla ei toistaiseksi ole riittäviä perusteita ottaa asiaa käsittelyyn.”

Vuonna 2015 julkaistiin myös ns. translaki-työryhmän loppuraportti: ”Sukupuolen oikeudellisen vahvistamisen edellytykset” (Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2015:23). Vaikkakin siinä käsiteltiin sukupuolen vaihtamisen oikeudellista prosessia, yhtenä siinä todetuista kehittämissuhteista oli, että ”jos nykyinen translaki ja -asetus kumotaan, hoidon keskittämiseen, porrastukseen ja julkisesti kustannettaviin hoitoihin liittyvät näkökohdat määrittäisivät keskitettävien hoitojen määrittelyn, yhtenäisten hoidon perusteiden ja kansallisen palveluvalikoiman määrittelyn kautta.”

Jos joku henkilö hakeutuu toisiin EU-maihin saadakseen ko. hoitoja, ollaan tilanteessa, jossa pitää määrittellä hoitojen kuulumisesta/kuulumattomuudesta palveluvalikoimaan, jotta hoitoja voidaan rajat ylittävän terveydenhuollon määrittelemissä tilanteissa korvata ko. henkilölle.





Hyväksytty terveydenhuollon palveluvalikomanuevoston kokouksessa 12.6.2018

Palveluvalikoimaneuvoston perustelumuistio ja perusteet
neuvostolle suosituksen antamiseksi

Sebelipaasi alfa –lääke lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa



Sisällys

1.	Taustaa, perusteet suosituksen laatimiseen	1
2.	Aiheen määrittely ja rajaus	1
2.1.	Kysymyksenasettelu; terveysongelma-interventio-parin muotoilu.....	1
3.	Terveysongelman vakavuus	1
4.	Aihetta koskevat selvitykset ja suositukset	2
4.1.	Selvitys/Fimean arviointiraportti tms.....	2
4.2.	Kotimaiset hoitosuositukset ja selvitykset	2
4.3.	Ulkomaiset hoitosuositukset ja selvitykset	2
5.	Intervention sisällöstä	3
6.	Vaihtoehdot interventiolle	3
7.	Terveysongelman ja intervention käytön yleisyys	4
8.	Intervention vaikuttavuus	4
9.	Intervention turvallisuus	5
10.	Intervention kustannukset ja budjettivaikutukset	5
11.	Intervention kustannusvaikuttavuus	6
12.	Eettinen tarkastelu	7
13.	Poikkeaminen palveluvalikoimasta	8
14.	Lisänäytön kerääminen ja suositusten vaikutusten seuranta	8
15.	Johtopäätökset	8
15.1.	Johtopäätös edellä todetun perusteella	10
Liite 1.	Suosituksen valmistelun vaiheet.....	11
Liite 2.	Lähteet	11



STM038:00/2017

1. Taustaa, perusteet suosituksen laatimiseen

Palkon lääkejaosto ehdotti suosituksen laatimista sebelipaasi alfa-lääkkeen käytöstä lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa. Vaikka sairaus on harvinainen, lääke on uusi ja erittäin kallis. Alueellisen yhdenvertaisuuden varmistamiseksi suositus olisi tarpeen. Palkon pääsihteeri päätti suositusvalmistelun aloittamisesta.

2. Aiheen määrittely ja rajaus

2.1. Kysymyksenasettelu; terveysongelma-interventio-parin muotoilu

Terveysongelma

Lysosomaalisen happaman lipaasin puutos, joka on LIPA-geenin mutaatiosta johtuva rasva-aineenvaihdunnan häiriö.

Interventio

Sebelipaasi alfa on valmisteyhteenvedon mukaan tarkoitettu pitkäaikaiseen entsyymikorvaushoitoon kaiken ikäisille lysosomaalisen happaman lipaasin puutosta sairastaville potilaille. Sebelipaasi alfa annostellaan laskimonsisäisenä infuusiona. Lääke on saanut Euroopan komission myöntämän myyntiluvan elokuussa 2015.

3. Terveysongelman vakavuus

Lysosomaalisen happaman lipaasin puutos on LIPA-geenin mutaatiosta johtuva rasva-aineenvaihdunnan häiriö, joka johtaa siihen, että kolesterolin aineenvaihduntatuotteita kertyy lysosomeihin aiheuttaen elinvarioita muun muassa maksaan, sydämeen ja verisuonten seinämiin. Kyseessä on harvinaissairaus, josta tunnetaan karkeasti jaoteltuna kaksi erilaista muotoa: yleensä jo ensimmäisten elinviikkojen aikana ilmenevä ja nopeasti etenevä ja kuolemaan johtava infantile-onset-tautimuoto (Wolmanin tauti) sekä myöhemmin ilmenevä lievempi later-onset-tautimuoto (CESD, kolesteryyliesterien kertymä –sairaus). Koska taudin ilmentymä on liukuma, on infantile-onset-tautimuoto määritelty tässä yhteydessä alle kuuden kuukauden iässä alkavaksi taudiksi kuten kirjallisuudessa on kuvattu.

Infantile-onset-tautimuoto

Infantile-onset-tautimuoto johtaa hoitamattomana kuolemaan yleensä ennen yhden vuoden ikää. Se ilmenee jo ensimmäisten elinviikkojen aikana, ja tyypillisiä oireita ovat esimerkiksi oksentelu, rasvaripuli sekä maksan ja/tai pernan suurentuminen. Noin puolella potilaista lisämunuaisiin kertyy kalsiumia. Rasva-aineita voi kerrostua ruoansulatuskanavan seinämiin, mikä



STM038:00/2017

aiheuttaa aliravitsemusta ja laihtumista. Myös kasvun hidastuminen on tyypillistä infantile-onset-tautimuotoa sairastavilla potilailla. Aliravitsemus sekä maksan ja lisämunuaisen kuorikerroksen vajaatoiminta johtavat yleensä kuolemaan ennen yhden vuoden ikää.

Later-onset -tautimuoto

Later-onset -tautimuodossa elinajanodote voi parhaimmillaan olla normaali, mutta oirekuva, taudin vaikeusaste ja ennuste vaihtelevat yksilöiden välillä. Tämä tautimuoto voi ilmetä lapsuusiällä samankaltaisin oirein kuin infantile-onset-tauti, mutta diagnoosin jäljille voidaan päästä vasta aikuisiällä esimerkiksi selvitellessä kohonneita maksa-arvoja tai hyperkolesterolemiaa. Oireina ovat iso maksa, maksasairaus ja kolesterolin kertymisen merkit. Suuri osa sairastuvuudesta johtuu ateroskleroosista eli verisuonten kalkkiutumisesta sekä muista verisuoniperäisistä ongelmista.

Sairauden oireita ja ennustetta kuvataan tarkemmin Fimean arviointikoosteen luvussa 1.

4. Aihetta koskevat selvitykset ja suositukset

4.1. Selvitys/Fimean arviointiraportti tms

Fimea on Palkon pyynnöstä laatinut arviointikoosteen ”Sebelipaasi alfa lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa” (Fimea 2018). Tässä muistiossa on lähteenä käytetty koosteen tietoja, ellei toisin ole maninittu.

4.2. Kotimaiset hoitosuositukset ja selvitykset

Ei ole julkaistu.

4.3. Ulkomaiset hoitosuositukset ja selvitykset

Tiedossa ei ole, että lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidosta olisi julkaistu hoitosuosituksia ulkomailla.

Vaikka sebelipaasi alfalla on ollut myyntilupa Euroopassa yli 2 vuotta, siihen liittyviä HTA-arviointeja on julkaistu vain vähän. Siksi Fimea keräsi tietoa lääkkeen käyttöön ja korvattavuuteen liittyvistä suosituksista sähköpostikyselyllä. Kysely lähetettiin EUnetHTA-verkoston kautta 38 organisaatiolle 25 eri maahan joulukuussa 2017. Määräaikaan mennessä vastaus saatiin 9 maasta.

Joidenkin kyselyyn vastaamattomien maiden osalta tietoja täydennettiin etsimällä HTA-raportteja kyseisten maiden arviointiyksiköiden verkkosivuilta. Joidenkin kyselyyn vastanneiden maiden osalta tietoja täydennettiin jälkikäteen, koska niiden arviointiraportit julkaistiin myöhemmin.



STM038:00/2017

Espanjassa ja Saksassa on päätetty, että sebelipaasi alfa -hoito kuuluu lakisääteisen sairausvakuutuksen korvattavuuden piiriin sekä infantile- että later-onset-taudin hoidossa. Italiassa hoito korvataan infantile- mutta ei later-onset-potilaille. Monissa maissa päätös sebelipaasi alfan korvattavuudesta tai käyttöönnotosta on ollut kokonaisuudessaan kielteinen tai arviointia ei ole tehty lainkaan.

Tarkemmat tiedot vastauksista on koottu Fimean arviointikoosteen lukuun 2.3.

5. Intervention sisällöstä

Sebelipaasi alfa on yhdistelmä-DNA-tekniikalla valmistettu ihmisen lysosomaalinen hapan lipaasi (rhLAL). Se pienentää haitallisten LDL- ja non-HDL-kolesterolin sekä triglyseridien pitoisuutta ja suurentaa elimistön kannalta suotuisan HDL-kolesterolin pitoisuutta eli parantaa veren rasva-arvotasapainoa/parantaa rasva-aineenvaihdunnan häiriötä.

Sebelipaasi alfa on tarkoitettu pitkäaikaiseen entsyymikorvaushoitoon kaiken ikäisille lysosomaalisen happaman lipaasin puutosta sairastaville potilaille (valmisteyhteenveto). Sebelipaasi alfa annostellaan sairaalaolosuhteissa laskimonsisäisenä infuusiona seuraavasti:

- Suositeltu aloitusannos vauvoille (< 6 kuukauden ikäisille), joilla on nopeasti etenevä lysosomaalisen happaman lipaasin puutos, on 1 mg/kg kerran viikossa. Kliinisen vasteen mukaan on harkittava annoksen suurentamista 3 mg:aan/kg kerran viikossa annettuna.
- Suositeltu annos lapsille ja aikuisille, joilla ei ole nopeasti etenevää lysosomaalisen happaman lipaasin puutosta ennen 6 kuukauden ikää, on 1 mg/kg joka toinen viikko.

6. Vaihtoehdot interventiolle

Entsyymikorvaushoito sebelipaasi alfa on toistaiseksi ainoa syyn mukainen hoito sekä infantile- että later-onset-tautimuotoa sairastaville potilaille.

Infantile-onset-tautimuodossa muu hoito koostuu lähinnä oireiden lievittämisestä, mutta elinajanodotteeseen vaikuttavaa hoitoa ei ole. Ravitsemuksesta huolehditaan tarvittaessa parenteraalisesti (suonensisäisesti). Lisämunuaisen vajaatoimintaan voidaan tarvittaessa harkita kortikosteroidi- tai mineralokortikoidi-korvaushoitoa.

Later-onset-tautimuotoa voidaan hoitaa myös kolesterolipitoisuutta alentavilla lääkkeillä (statiinit, etsetimibi), dieetillä, lipofiilisillä vitamiineilla ja tarvittaessa maksansiirrolla. Kolesterolin kertymisen aiheuttamia elinmuutoksia, etenkin maksavauriota, ei ole tehokkaasti voitu estää statiineilla. Maksansiirtoja on tehty niille aikuispotilaille, joilla sairaus on aiheuttanut pitkälle edenneen maksavaurion. (Arvonen ym 2017)



STM038:00/2017

7. Terveysongelman ja intervention käytön yleisyys

Lysosomaalisen happaman lipaasin puutosta sairastavien potilaiden määrää ei tunneta tarkasti. Jos Saksassa arvioidut potilasmäärät suhteutetaan Suomen väkilukuun, se tarkoittaisi noin yhtä uutta infantile-onset-potilasta joka kolmas vuosi. Hoidon kohderyhmään kuuluvia later-onset-potilaita olisi Suomessa arviolta 2–56.

Infantile- ja later-onset-tautimuotojen kokonaisesiintyvyydeksi on muissa lähteissä arvioitu 1:40 000–1:300 000. Suomen väkilukuun suhteutettuna tämä tarkoittaisi 18–138 potilasta. Todellisuudessa diagnosoituja potilaita lienee kuitenkin vähemmän, sillä later-onset-muotoa ei sen lievöireisuuden ja harvinaisuuden vuoksi useinkaan diagnosoida.

Tukkumyyntirekisterin mukaan Suomessa ei ole myyty yhtään pakkausta sebelipaasi alfaa vuoden 2017 loppuun mennessä. Kaikki sairaalassa käytetyt lääkkeet eivät kuitenkaan välttämättä näy tukkumyyntitilastoissa.

8. Intervention vaikuttavuus

Kysymyksessä on elinikäinen hoito, joka ei paranna itse sairautta. Hoito korvaa osittain sebelipaasi alfa-entsyymin puutosta.

Infantile-onset-tautimuoto

Tutkimusnäyttö sebelipaasi alfan vaikutuksista infantile-onset-taudin hoidossa perustuu pääasiassa yhteen yksihaaraiseen ja potilasmäärältään pieneen (n = 9) VITAL-tutkimukseen. Fimean koosteessa kuvattujen tulosten perusteella vähintään kahden vuoden iän saavutti suurempi osa potilaista kuin historialliseen vertailukohorttiin kuuluneista potilaista. Koosteen julkaisemisen jälkeen on julkaistu VITAL-tutkimuksesta alustavia uusia, toistaiseksi vertaisarvioimattomia tuloksia kolmen vuoden seurannasta, jossa tulokset olivat saman suuntaisia (Jones ym. 2018).

VITAL-tutkimuksessa huomattava osa sebelipaasi alfaa saaneista potilaista (44 %, n = 4/9) kuoli kahden vuoden ikään mennessä. Kuolleilla potilailla on raportoitu ilmenneen liitännäissairauksia, ja historiallisen vertailututkimuksen mukaan varhainen kasvun hidastuminen voi olla nopeaa taudin etenemistä sekä suurentunutta kuoleman riskiä ennustava tekijä. VITAL-tutkimuksen sisäänottokriteerinä oli kasvun hidastuminen, joten toistaiseksi tämän tutkimuksen perusteella ei tiedetä, miten voitaisiin tunnistaa ne potilaat, jotka parhaiten hyötyvät hoidosta.

Later-onset-tautimuoto

Later-onset-tautimuotoa sairastavien potilaiden hoidossa sebelipaasi alfan vaikutuksia on verrattu lumeeseen ARISE-tutkimuksessa (n = 66). Tutkimusnäyttö on lumeeseen verrattuna suotuisaa, mutta se perustuu vain korvikelopputuloksiin (esim. laboratorioarvot, kuvantamislöydökset). Ei ole tutkimusnäyttöä siitä, miten hoito vaikuttaa potilaiden elossaoloaikaan tai



STM038:00/2017

maksa-, sydän- ja verisuonisairauksien ilmentymiseen. Tällaista tutkimusnäyttöä ei tiettävästi ole tulossakaan.

Sebelipaasi alfan vaikuttavuutta on kuvattu tarkemmin Fimean arviointikoosteen luvuissa 3.3-3.5.

9. Intervention turvallisuus

Sebelipaasi alfa -hoidon turvallisuuden arviointi on haasteellista erityisesti infantile-onset-tautimuodon osalta, koska hoitoa saaneita potilaita on toistaiseksi hyvin vähän.

Euroopan lääkevirasto (EMA) on arvioinut sebelipaasi alfa -hoidon turvallisuutta kuuden tutkimuksen yhdistetyssä aineistossa. Aineisto koostui 106 potilaasta, joista oli käytettävissä tiedot vähintään 120 hoitopäivän ajalta (D120 safety update). Yhdistetyn aineiston potilaista 84 % (n = 89/106) koki vähintään yhden haittavaikutuksen, mutta vain 29 % (n = 31/106) koki haittavaikutuksen, jonka katsottiin liittyvän hoitoon (treatment related). Kuolemantapauksia oli kuusi, mutta yksikään niistä ei todennäköisesti liittynyt sebelipaasi alfa -hoitoon.

Yliherkkyysoireita sekä lääkkeeseen liittyviä vasta-aineita ilmeni enemmän alle 2-vuotiailla nopeasti etenevää tautimuotoa sairastavilla potilailla kuin later-onset-potilailla.

Seuranta-ajat ovat tutkimuksissa olleet lyhyitä ja pitkäaikaisvaikutuksia eliniän pituisessa hoidossa ei tunneta.

Sebelipaasi alfa -hoidon turvallisuutta on kuvattu tarkemmin Fimean arviointikoosteen luvussa 3.6.

10. Intervention kustannukset ja budjettivaikutukset

Sebelipaasi alfa -hoito on erittäin kallista ja potilaan eliniän kestävä. Infantile-onset-taudin hoidossa yhden potilaan vuosittaiset lääke- ja annostelukustannukset ovat verottomin tukkumyyntihinnoin noin 0,5–1,4 miljoonaa euroa, jos potilaan paino on enintään 20 kg. Lääkehoito jatkuu potilaan koko eliniän, jolloin kokonaiskustannukset voivat nousta useisiin kymmeneen miljooniin euroihin.

Lääkekustannukset vaihtelevat potilaan painon mukaan. Later-onset-taudin hoidossa vuosittaiset potilaskohtaiset lääke- ja annostelukustannukset ovat vastaavasti noin 0,2 miljoonaa euroa, jos potilaan paino on enintään 20 kiloa ja 0,9 miljoonaa euroa, jos potilaan paino on enintään 80 kg. Huomattava potilaskohtainen kustannusten vaihtelu johtuu potilaan painosta, kerta-annoksen suuruudesta (1–3 mg/kg) sekä annostelutiheydestä (1–2 viikkoa). Later-onset-tautimuotoa sairastavien henkilöiden lukumääräksi Fimea arvioi 2–56 henkilöä.



STM038:00/2017

Kustannukset on laskettu lääkkeen tukkumyyntihinnoin, eikä mahdollisia sairaalakohtaisia alennuksia lääkkeen hinnassa ole huomioitu.

Sebelipaasi alfaa on saatavilla vain 20 mg:n pakkauksessa, ja siksi lääkehävikin osuus kustannuksista voi joissakin tilanteissa olla merkittävän suuri, hyvin pienillä potilailla jopa yli 50 %. Mikäli sebelipaasi alfaa olisi saatavilla pienemmissä pakkauksissa, hävikin määrä voisi olla vähäisempi ja siten myös hoidon kokonaiskustannukset voisivat olla alhaisemmat.

Sebelipaasi alfa annostellaan laskimoon aluksi noin 2 tuntia kestävästä infuusiona sairaalassa, ja 1 tunnin kestoista infuusiota voidaan harkita, kun potilaan sietokyky on varmistettu (valmisteyhteenveto). Fimean laskelmassa yhden infuusion annostelukustannukseksi oletettiin 275,80 euroa. Tämän hinta-arvion mukaan yhden potilaan vuosittaiset annostelukustannukset ovat viikoittain toistuvassa hoidossa noin 14 000 euroa ja kahden viikon välein toistuvassa hoidossa noin 7 000 euroa.

Fimean arvion mukaan Suomessa mahdollisesti syntyisi yksi infantile-onset-tautimuotoa sairastava lapsi noin kolmen vuoden välein. Koska näitä potilaita on vähän ja heidän määränsä vaihtelee vuosittain ja alueittain, lääkkeen käytöstä terveydenhuollolle aiheutuvien kokonaisbudjettivaikutusten arviointi ei ole tarkoituksenmukaista, koska kustannusten vaihtelu tulisi olemaan suuri.

Later-onset-muodon kokonaisbudjettivaikutusten arviointi on vaikeaa, koska Fimean arvion mukaan potilaita voisi olla 2-56 ja hoidon hinta 0,2-0,9 miljoonaa euroa vuodessa. Kokonaisbudjettivaikutuksen vaihteluväli näillä tiedoilla olisi 0,4-50,4 miljoonaa euroa vuodessa riippuen potilaiden määrästä, heidän painostaan ja lääkehävikin määrästä. Suuren vaihteluvälin takia ei ole mahdollista esittää tarkempaa arviota later-onset-muodon kokonaisbudjettivaikutuksesta.

Kustannuksia ja budjettivaikutuksia kuvataan tarkemmin Fimean arviointikoosteen luvussa 4.

11. Intervention kustannusvaikuttavuus

Fimean arvioinnissa ei erikseen tarkasteltu sebelipaasi alfa -hoidon kustannusvaikuttavuutta. Infantile-onset tautimuodon osalta hoitoa ei sen tukkumyyntihinnalla voida Fimean näkemyksen mukaan uskottavasti osoittaa kustannusvaikuttavaksi.

Later-onset-tautimuodossa hoidon vaikutuksia elossaoloaikaan tai liitännäissairauksien ilmentymiseen ei tunneta. Selkeitä vaikutuksia elämänlaatuun ei ole osoitettu, joten suhteessa näyttöön liittyviin rajoituksiin sebelipaasi alfan hinta on Fimean mukaan täysin kohtuuton.

Irlannissa 8.6.2018 julkaistun lääketaloustieteellisen arvion mukaan yhden laatupainotetun elinvuoden (QALY) hinta infantile-onset-potilailla on 2 813 000 euroa ja later-onset-potilailla 2 701 000 euroa. Lääkkeen korvaamista infantile-onset-tautimuodossa ei suositeltu, ellei sen kustannus-



STM038:00/2017

vaikuttavuutta voida parantaa nykyisiä hoitoja vastaavaksi. Later-onset-tautimuodossa ei ole näyttöä merkittävästä kliinisestä lisähyödystä, eikä lääkkeen korvaamista siksi suositella. (NCPE 2018)

Kanadan (CADTH) arviointia ei ole julkaistu suosituksen hyväksymiseen eli 12.6.2018 mennessä. Palkon tiedossa ei ole, että muissa maissa olisi julkaistu tai työn alla taloudellisia arviointeja sebelipaasi alfasta.

12. Eettinen tarkastelu

Ihmisarvo ja itsemääräämisoikeus

Lysosomaalisen happaman lipaasin puutos on geenimutaation aiheuttama sairaus, jonka syntyyn potilas ei voi vaikuttaa omilla valinnoillaan. Siihen ei ole geenivirhettä parantavaa hoitoa.

Infantile-onset-tautimuoto todetaan pienillä lapsilla. Osalla potilaista sebelipaasi alfa-hoito saattaa pidentää elinikää ja vaikuttaa toimintakykyyn ja avun tarpeeseen.

Eri hoitovaihtoehtoja on punnittava myös elämän pidentymisen ja kärsimyksen pitkittymisen näkökulmasta. Pienet lapset eivät kykene ilmaisemaan omaa tahtoaan ja osallistumaan itseään koskevaan päätöksentekoon. Hoitopäätös tulee tehdä yhdessä vanhempien kanssa. Vanhemmille tulee myös kertoa hoidon vaikuttavuuteen liittyvät epävarmuustekijät ja osallistaa heidät päätökseen hoidon aloituksesta ja jatkamisesta.

Later-onset-tautimuotoon liittyy nuorilla potilailla samat päätöksentekoon liittyvät kysymykset kuin edellä on todettu.

Oikeudenmukaisuus

Yhteiskunnassa rajalliset voimavarat pyritään jakamaan oikeudenmukaisesti terveydenhuoltopalveluja tarvitsevien kesken. Tärkeää on taata yhtäläinen käyttömahdollisuus yhtäläisessä tarpeessa oleville. Tästä seuraa että hoitoon käytettävät kustannukset voivat ja saavat vaihdella potilasryhmien välillä.

Infantile-onset-tautimuodon kohdalla kysymys on vakavasta sairaudesta, joka on tähän asti johtanut kuolemaan varhaisessa iässä. Tutkimusnäytön mukaan sebelipaasi alfa-hoito näyttäisi pidentävän elinikää osalla potilaista ja hoitovasteen saaneiden lasten kasvu ja kehitys ovat edenneet suotuisasti, mikä puoltaisi lääkkeen ottamista palveluvalikoimaan. Lääkettä saavia potilaita on kuitenkin seurattava säännöllisesti ja harkittava lääkityksen jatkamisen edellytyksiä hoitovasteen mukaan.

Koska later-onset-potilailla sebelipaasi alfa-hoidolla ei ole näytetty olevan vaikuttavuutta tai sen vaikuttavuus on korkeintaan vähäinen, ja sen kustannukset ovat vaihtoehtoihin hoitoihin nähden korkeat, ei olisi oikeudenmukaista muita potilasryhmiä kohtaan tarjota tällaista hoitoa. On punnittava yksilön etua suhteessa yhteiseen hyvään, kun rajallisilla



STM038:00/2017

terveydenhuollon voimavaroilla pyritään saamaan aikaan mahdollisimman paljon terveyshyötyä oikeudenmukaisesti jakautuneena ja varmistamaan julkisen talouden kestävyys.

Terveydenhuollon kulloinkin käytettävissä olevat voimavarat voidaan käyttää vaihtoehtoisilla tavoilla terveyshyötyjen aikaan saamiseksi. Rajalliset voimavarat tulisi käyttää niin, että niillä saataisiin mahdollisimman paljon terveyshyötyjä. Jos terveydenhuollon voimavarat käytetään hoitomenetelmiin, joiden kustannukset saavutettuihin hyötyihin nähden ovat korkeat, menetetään ne terveyshyödyt, jotka vastaavalla voimavarojen käytöllä muissa tilanteissa saataisiin.

Hyvän tekeminen ja vahingon välttäminen

Hoitoon liittyvät riskit tulee suhteuttaa hoidettavan sairauden vakavuuteen ja siihen liittyviin riskeihin. Sebelipaasi alfa –hoitoon ei toistaiseksi ole kuvattu liittyvän erityisiä, vakavia turvallisuusriskejä, mutta tutkimustietoa on niukasti. Lääke annostellaan laskimonsisäisesti polikliinisesti sairaalaolosuhteissa. Annosteluun liittyvät tavanomaiset laskimonsisäiseen lääkehoitoon liittyvät riskit.

13. Poikkeaminen palveluvalikoimasta

Terveydenhuoltolain 7 a §:n 3 momentin mukaan potilasta voidaan tutkia ja hoitaa palveluvalikoimaan kuulumattomalla lääketieteellisellä tai hammaslääketieteellisellä tutkimus- ja hoitomenetelmällä, jos se on potilaan henkeä tai terveyttä vakavasti uhkaavan sairauden tai vamman takia lääketieteellisesti välttämätöntä potilaan terveydentila ja sairauden ennakoitavissa oleva kehitys huomioon ottaen.

Sebelipaasi alfan käyttöä on mahdollista harkita yksittäistapauksessa lateronset-potilailta, mikäli muilla hoitohoitomenetelmillä ei saavuteta riittävää hoitovastetta ja palveluvalikoimasta poikkeamisen edellytykset täytyvät.

14. Lisänäytön kerääminen ja suositusten vaikutusten seuranta

Lääkehoitoon mahdollisesti soveltuvien potilaiden määrää ja tarvittaessa tarkemmin lääkityksen kohdentumista on tarpeen seurata erityisvastuualueittain.

Lisänäyttöä on taudin harvinaisuuden vuoksi mahdollista saada ainoastaan kansainvälisessä yhteistyössä tehtävillä lääketieteellisillä tutkimuksilla.

15. Johtopäätökset

PALKO on 26.5.2016 hyväksymässään väliraportissa katsonut, että palveluvalikoiman määrittelyssä tulee perustuslain ja terveydenhuoltolain



STM038:00/2017

(TervHL 7a § ja TervHL 78a §) asettamien reunaehtojen puitteissa noudattaa seuraavia periaatteita:

Terveysongelman merkittävyys

Terveysongelman on oltava riittävän merkittävä, jotta sitä on perusteltua hoitaa lääketieteen keinoin julkisin varoin. Merkityksen arvioinnissa sovelletaan lääketieteellisen tiedon lisäksi yhteiskunnallisia arvoja.

Lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoitaminen julkisin varoin on perusteltua.

Lääketieteellinen perusteltavuus

Palveluvalikoimaan kuuluvan toiminnan on terveydenhuoltolain 7a §:n 1 momentin mukaan oltava lääketieteellisesti tai hammaslääketieteellisesti perusteltua. Perusteltavuutta arvioidaan suhteuttamalla toisiinsa vaikuttavuus, turvallisuus ja terveysongelman vakavuus.

Vaikuttavuutta ja turvallisuutta arvioidaan suhteessa hoidettavan terveysongelman vakavuuteen tutkimustiedon ja muun näytön perusteella. Toiminnalla on oltava näytön perusteella riittävä vaikuttavuus ja siihen liittyvien riskien suuruuden on oltava hyväksyttäviä.

Infantile-onset-tautimuodon kohdalla kysymys on vakavasta sairaudesta, joka on tähän asti johtanut kuolemaan varhaisessa iässä. Muuta hoitovaihtoehtoa ei ole tarjolla. Tutkimusnäytön, joskin varsin lyhyeen seurantaan ja pieniin potilasmääriin perustuvan, mukaan sebelipaasi alfa-hoito näyttäisi pidentävän elinikää osalla potilaista, mutta tietoa pidentymisen kestosta ja elämänlaadusta sen aikana ei ole käytettävissä. Kun otetaan lisäksi huomioon, ettei hoitoon nyt käytettävissä olevien tietojen mukaan tiedetä liittyvän merkittäviä riskejä, sitä voidaan puhtaasti lääketieteellisesti näkökulmasta tarkastellen pitää perusteltuna infantile-onset-potilailla silloin, kun tauti todetaan varhain, ennen pysyvien elinmuutosten ilmaantumista.

Lääkehoitoa saavien potilaiden hoitovastetta on seurattava säännöllisesti. Lääkehoidon aloittaminen tai jatkaminen ei ole lääketieteellisesti perusteltua potilailla, joiden elintoiminnot ovat merkittävästi heikentyneet sairauden aiheuttamien muutosten takia. Sen sijaan näille potilaille tulee tarjota oireenmukainen hoito.

Later-onset-potilailla sebelipaasi alfa-hoidon vaikuttavuus on osoitettu vain korvikelopputuloksin (esim. laboratorioarvot, kuvantamislöydökset). Näyttää muita käytettävissä olevia hoitomenetelmiä suuremmasta vaikuttavuudesta potilaiden elossaoloaikaan tai maksa-, sydän- ja verisuonisairauksiin ei ole, joten tässä potilasryhmässä hoitoa ei voida pitää lääketieteellisesti perusteltuna, kun otetaan lisäksi huomioon, että käytettävissä on myös muita hoitokeinoja, joilla voidaan vaikuttaa korkeisiin kolesteroliarvoihin ja sydän- ja verenkiertoelimistöön liittyviin riskitekijöihin.



STM038:00/2017

Eettisyys ja taloudellisuus kokonaisuutena

Palveluvalikoiman määrittelyssä on terveydenhuoltolain 78a §:n 1 momentin mukaan otettava huomioon eettiset ja terveydenhuollon organisointiin liittyvät näkökohdat. Tämä tarkoittaa esimerkiksi sitä, että julkisin varoin rahoitettu terveydenhuollon toiminta rakentuu yhteiskunnassa hyväksytyille arvoille, muun muassa ihmisarvoisen kohtelun periaatteelle. Kokonaisvoimavarat pyritään jakamaan oikeudenmukaisesti terveydenhuoltopalveluja tarvitsevien kesken. Erityisesti kalliiden uusien menetelmien käyttöönottoa arvioidaan myös yhteiskunnan ja terveydenhuoltojärjestelmän taloudellisen kokonaiskantokyvyn kannalta.

Julkisesti rahoitetussa terveydenhuollossa käytettäviä lääkkeitä koskevassa päätöksenteossa tulee käyttää samoja periaatteita kuin muidenkin terveydenhuollon menetelmien kohdalla.

Päätöksellä aloittaa erittäin kallis, elinikäinen lääkitys yksittäiselle potilaalle sidotaan terveydenhuollon resurssien käyttöä hyvin pitkäksi aikaa.

15.1. Johtopäätös edellä todetun perusteella

Palko katsoo, että sebelipaasi alfan käyttö on syytä rajata potilasryhmään, jossa sen vaikuttavuudesta on tällä hetkellä käytävissä olevien tietojen perusteella eniten tutkimusnäyttöä.

Tässä muistiossa todetun perusteella Palko toteaa johtopäätöksensä, että sebelipaasi alfa-hoito kuuluisi kansalliseen palveluvalikoimaan lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa infantile-onset-potilaille, joilla on odotettavissa suotuisa hoitovaste eli joilla elintoimintoja heikentäviä muutoksia ei ole kehittynyt, mikäli lääkkeen hinta olisi merkittävästi alhaisempi.

Sebelipaasi alfa-lääkkeen nykyinen potilaskohtainen veroton tukkumyyntihinta on kuitenkin kohtuuttoman korkea suhteessa odotettuun vaikuttavuuteen, jotta lääke voitaisiin ottaa palveluvalikoimaan edes infantile-onset-tautimuotoa sairastavilla potilaille. On huomioitava, ettei lääke paranna sairautta, että sitä on käytettävä koko potilaan eliniän ja että kustannukset nousevat potilaan kasvaessa.

Infantile-onset -potilaille, joilla seurannassa todetaan elintoimintojen merkittävästi heikentyneen sairauden aiheuttamien muutosten takia, sebelipaasi alfa-hoidon aloittaminen tai jatkaminen ei ole lääketieteellisesti perusteltua. Sen sijaan näille potilaille tulee tarjota oireenmukainen hoito.

Later-onset-tautimuotoa sairastavilla ei tällä hetkellä käytävissä olevien tietojen perusteella ole perusteltua katsoa sebelipaasi alfa-hoidon kuuluvan palveluvalikoimaan.



STM038:00/2017

Liite 1. Suosituksen valmistelun vaiheet

Päätös suosituksen valmistelun aloittamisesta lokakuu 2018
Fimean arviointikooste helmikuu 2018
Suositusluonnoksen hyväksyminen Palkon kokouksessa 26.4.2018
Kommentoitavana otakantaa.fi-sivustolla 16.-31.5.2018
Suosituksen lopullinen hyväksyminen 12.6.2018

Liite 2. Lähteet

Fimea 2017: Sebelipaasi alfa lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa. Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea. Fimea kehittää, arvioi ja informoi -julkaisusarja 6/2017
<http://www.fimea.fi/documents/160140/5960337/Fimea+KAI+6+2018+Sebelipaasi+alfa+lysosomaalisen+happaman+lipaasin+puutoksen+hoidossa.pdf/df7a29ee-9543-1399-8f1f-17609483e054>

Valmisteyhteenveto:

sebelipaasi alfaa koskevat tiedot Euroopan lääkeviraston sivuilla :
http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/human/medicines/004004/human_med_001896.jsp&mid=WC0b01ac058001d124

Jones, Simon A., Vijay, Suresh, Fecarotta, Simona, Ghosh, Arunabha, Allen, Kerstin, Friedman, Mark; Effect of sebelipase alfa on survival to 3 years of age and liver function in infants with rapidly progressive lysosomal acid lipase deficiency: Results from two studies; Molecular Genetics and Metabolism; 2018, vol. 123, issue 2, page S73. <https://doi.org/10.1016/j.ymgme.2017.12.182>

Arvonen M, Katri Backman K, Heiskanen-Kosma T. Lysosomaalinen happaman lipaasin puutos ja sebelipaasialfa. Sic! 4/2017.
http://sic.fimea.fi/arkisto/2016/4_2016/vain-verkossa/lysosomaalinen-happaman-lipaasin-puutos-ja-sebelipaasialfa

National Centre for Pharmacoeconomics: Cost-effectiveness of sebelipase alfa (Kanuma®) for the treatment of lysosomal acid lipase (LAL) deficiency (NCPE 2018)
<http://www.ncpe.ie/wp-content/uploads/2017/03/Summary-sebelipase-alfa.pdf>
<http://www.ncpe.ie/drugs/sebelipase-alfa-kanuma/>



12.6.2018

Sebelipaasi alfa-lääke lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa

Hyväksytty Palkon kokouksessa 12.6.2018

Palkon suositus	<p>Sebelipaasi alfa-hoito kuuluisi kansalliseen palveluvalikoimaan lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa infantile-onset-potilailla, mikäli sen hinta olisi merkittävästi alhaisempi. Lääkkeen nykyinen potilaskohtainen listahinta on kuitenkin kohtuuttoman korkea suhteessa odotettuun vaikuttavuuteen, jotta lääke voitaisiin ottaa palveluvalikoimaan edes infantile-onset-tautimuotoa sairastavilla potilailla. Infantile-onset-potilailla, joiden elintoiminnot ovat merkittävästi heikentyneet sairauden aiheuttamien muutosten takia, sebelipaasi alfa -hoidon aloittaminen tai jatkaminen ei ole lääketieteellisesti perusteltua. Sen sijaan näille potilaille tulee tarjota oireenmukainen hoito. Later-onset-tautimuotoa sairastavilla potilailla sebelipaasi alfa-hoito ei kuulu palveluvalikoimaan, koska sen vaikuttavuudesta ei ole riittävä näyttöä ja koska käytettävissä on muitakin lääkkeitä.</p>	
Arvioinnin osa-alueet	<p>Terveysongelman vakavuus ja yleisyys</p>	<p>Lysosomaalisen happaman lipaasin puutos on LIPA-geenin mutaatiosta johtuva rasva-aineenvaihdunnan häiriö, jossa rasva-aineita kertyy elimistöön. Kyseessä on harvinaissairaus, josta tunnetaan karkeasti jaoteltuna kaksi erilaista muotoa: yleensä jo ensimmäisten elinvaikeiden aikana ilmenevä, nopeasti etenevä ja kuolemaan johtava infantile-onset-tautimuoto (Wolmanin tauti) sekä myöhemmin ilmenevä lievempi later-onset-tautimuoto (CESD, kolesteryyliesterien kertymä –sairaus), jossa elinajanodote voi parhaimmillaan olla normaali, mutta oirekuva, taudin vaikeusaste ja ennuste vaihtelevat yksilöiden välillä. Uusia infantile-onset-potilaita voisi ilmetä yksi joka kolmas vuosi. Later-onset-potilaiden esiintyvyys olisi arviolta 2–56.</p>
	<p>Vaikuttavuus</p>	<p>Sebelipaasi alfa-hoitoa saaneista infantile-onset-potilaista kahden vuoden iän saavutti suurempi osa kuin vertailuryhmän potilaista, mutta tietoa lääkkeen vaikutuksesta elämän laatuun ei ole. Later-onset-potilailla lääkkeellä on ollut suotuisa vaikutus korvikelopputuloksiin, mutta ei ole tietoa, miten hoito vaikuttaa elossaoloaikaan tai sairastavuuteen. Sebelipaasi alfa ei paranna sairauden aiheuttavaa geenivirhettä.</p>
	<p>Turvallisuus</p>	<p>Sebelipaasi alfa -hoitoon ei ole kuvattu liittyvän erityisiä, vakavia turvallisuusriskejä, mutta tutkimukset perustuvat pieniin potilasmääriin. Annosteluun liittyvät tavanomaiset laskimonsisäiseen lääkehoitoon liittyvät riskit.</p>
	<p>Kustannukset ja budjettivaikutukset</p>	<p>Yhden infantile-onset-potilaan lääkehoidon hinta vuodessa on 0,5–1,4 miljoonaa euroa ja later-onset-potilaan 0,2-0,9 miljoonaa euroa. Kokonaisbudjettivaikutuksen arviointi ei ole tarkoituksenmukaista potilaskohtaisen kustannuksen ja potilaiden määrän suuren vaihteluvälän takia.</p>
	<p>Eettisyys ja taloudellisuus kokonaisuutena</p>	<p>Sebelipaasi alfa poikkeuksellisen kallis lääke ja on eettisesti perusteltua rajata sen käyttö ainoastaan potilasryhmään, jolla lääkehoidon vaikuttavuudesta saatavilla näyttöä.</p>
	<p>Diagnoosikoodit</p>	<p>E75.5 Muu rasva-aineiden kertymätauti (ICD-10) 275761 (ORPHA-koodi)</p>
	<p>Taustatiedot ja lähteet</p>	<p>Palkon perustelumuuisto, Fimean arviointikooste</p>



4.6.2018

OTAKANTAA-KOMMENTIT SUOSITUSLUONNOKSESTA “SEBELIPAASI ALFA LYSOMAALISEN HAPPAMAN LIPAASIN PUUTOKSEN HOIDOSSA”

Palkon kokouksessaan 26.4.2018 hyväksymä suositusluonnos oli 16.-31.5.2018 julkisesti kommentoitavana otakantaa.fi-palvelussa. Määräajan kuluessa annettiin kaksi kommenttia ja kumpikin vastaaja ilmoitti taustakseen sosiaali- ja terveysalan työntekijä.

Varsinainen suosituslause

Toinen kommentoijista katsoi, että sairauden yksilöllisyyttä tulisi korostaa kahteen tautimuotoon jakautumisen sijaan, ja tarjota hoitoa kaikille potilaille, joilla sairaudesta aiheutuu merkittävä haitta. Hoito olisi aluksi määräaikainen ja jatkosta päätettäisiin selkeän mittariston perusteella.

Toinen kommentoija totesi, että lääke parantaa infantile-onset-muotoa sairastavan potilaan elämänlaatua huomattavasti, vaikkei se nousekaan terveen lapsen tasolle.

Toinen kommentoijista piti terminaalivaiheen rajausta asianmukaisena, mutta toinen totesi arvoinnin olevan taudin harvinaisuuden hyvin vaikeaa.

Lääkkeen hinnan osalta kommentoijat olivat samaa mieltä Palkon kanssa.

Terveysongelman vakavuus ja yleisyys

Toinen kommentoijista korosti Infantile-onset-potilaiden diagnostiikan nopeutta, jolloin välttyään myös tilanteilta, joissa hoitoa ei enää ole syytä aloittaa. Toinen kommentoijista korosti keskushermostovaurioiden välttämisen tärkeyttä. Osa potilaista on erittäin sairaita, mutta toisaalta tulee varoa mitättömien geenimutaatioiden julistamista tautia aiheuttaviksi. Hoidon keskittäminen ja kansainvälinen yhteistyö ovat tärkeitä.

Vaikuttavuus

Lääkkeestä huolimatta jäännöstautia jää ja muutakin hoitoa tarvitaan paljon.

Infantile-onset-potilaiden elämänlaatua kartoittavia vertaisarvioituja tutkimuksia ei liene tehty, koska aiemmin potilaat eivät eläneet pitkään. Lääkehoitoa saaneessa ryhmässä sattuneet kuolemantapaukset eivät ilmeisesti liittyneet suoraan itse tautiin tai lääkitykseen.



Turvallisuus

Kommentoijat olivat samaa mieltä Palkon kanssa turvallisuudesta. Lääkityksen ongelmat ovat samankaltaisia kuin muillakin entsyymivalmisteilla. Pitkäkestoinen keskuslaskimoyhteys on riski.

Kustannukset ja budjettivaikutukset

Toisen kommentoijan mukaan kokonaiskustannus ei ole suunaton, koska potilaita on niin vähän. Siitä huolimatta lääkkeen hinta tulee saada järkeväksi. Toinen kommentoija totesi olevansa Palkon kanssa samaa mieltä lääkkeen korkeasta hinnasta. Lisäksi hän totesi, että harvinaissairauksien hoitamiseen sisältyy paljon sellaista työtä, jota ei voi mitata rahassa.

Eettisyys ja taloudellisuus kokonaisuutena

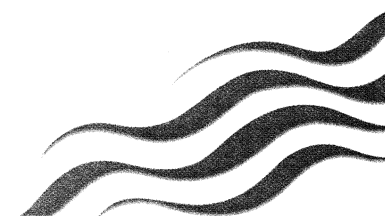
Toisen kommentoijan mielestä keinotekoisia rajalinjoja ei tulisi vetää, vaan tarjota kaikille potilaille mahdollisuus. Toinen kommentoija totesi, että infantile-onset-potilaiden joukko on pieni ja näyttöä hoidon tehosta on nyt kertymässä.

Arvio suosituksen hyödyllisyydestä asteikolla 1-5

1 kpl 3/5, 1 kpl 5/5 (paras=5)

Suosituksen ymmärrettävyys

Toinen kommentoijista piti suositusta liian yksinkertaistavana ja osoittavan, ettei tunneta alaa. Toinen puolestaan toivoi kommentteja infantile-onset-potilaiden elämänlaadusta, mutta totesi, ettei siitä ole tutkimuksia saatavilla.



Liite 7.
 Palveluvalikoimaneuvoston suosituskäsittelyjen työsuunnitelma 2018

versio 180605

Suositusaihe	Valmisteleva käsittely Palkossa	Ota kantaa	Päätöskäsittely Palkossa
Psykoterapiat ja muut psykososiaaliset hoito- ja kuntoutusmuodot mielenterveys- ja päihdehäiriöiden hoidossa	12.6.2018	kesä-elokuu	4.9.2018
Sebelipaasi alfa lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa	26.4.2018	toukokuu	12.6.2018
Atetsolitsumabi, pembrolitsumabi ja nivolumabi uroteeli-karsinoomassa.	12.6.2018	kesä-elokuu	4.9.2018
Reslitsumabi ja mepolitsumabi sekä benralistumabi eosinofiilisen astman hoidossa	2017, jatkuu 4.9.2018	syyskuu	1.11.2018
Kuntoutus selkävivun kroonistumisen ehkäisemiseksi	12.6.2018, jatkuu 4.9.2018	syys-lokakuu	1.11.2018
Nivolumabi, pembrolitsumabi, atetsolitsumabi ja pembrolitsumabi ei-pienisoluisessa keuhkosyövässä	4.9.2018, tarvittaessa jatkuu 1.11.2018	syys-lokakuu	1.11.2018, tarvittaessa 18.12.2018
Obinutsumabi follikulaarisen lymfooman ensilinjan hoidossa	1.11.2018?	marraskuu	18.12.2018?
Omahoion tuki ja elintapaohjaus terveystieteiden hoidossa (työnimi)	2019	kevät 2019	kesä 2019
Leikkaus selkävivun hoidossa (työnimi)	2019	kevät 2019	kesä 2019