

UUSIEN SAIRAALALÄÄKKEIDEN ARVIOINTI

1 Arviointiprosessin tarkoitus

Prosessin tavoitteena on tuottaa tietoa uuden sairaalassa käytettävän lääkkeen hoidollisista ja taloudellisista vaikutuksista. Arvioinnin tuloksia käytetään Terveystieteiden tutkimuskeskuksen (Palkon) lääkkeistä koskevien suositusten laadinnassa sekä sairaaloiden käyttöönotto- ja hankintapäätösten tukena. Arviointi perustuu osittain eri kriteereihin kuin myyntiluvan myöntäminen. Arvioinnissa huomioidaan kliinisten vaikutusten lisäksi myös taloudellinen näkökulma, ja arvioinnin kohteena olevaa lääkehoitoa pyritään mahdollisuuksien mukaan vertaamaan sen käytössä oleviin hoitovaihtoehtoihin.

2 Prosessissa arvioitavat lääkehoidot

Fimean arviointiprosessissa arvioidaan pääosin uusia sairaalalääkkeitä. Uudella lääkkeellä tarkoitetaan tässä yhteydessä juuri myyntiluvan saanutta lääkettä tai lääkettä, jolle on myönnetty merkittävä käyttöaiheen laajennus. Sairaalalääkkeille ei ole olemassa yksiselitteistä määritelmää, mutta niitä voidaan luonnehtia esimerkiksi seuraavasti:

- lääke on tarkoitettu käytettäväksi pääasiallisesti julkisen terveydenhuollon sairaaloissa
- lääkkeen pääasiallinen ostaja Suomessa on sairaala
- käyttö tai käyttökuntoon saattaminen edellyttää yleensä sairaalamaisia olosuhteita

3 Arvioinnin toteutus

3.1 Arviointiin osallistuvat tahot

Yritys (myyntiluvan haltija tai hakija)

- voi toimittaa arviointiin aineistoa, jota pyritään hyödyntämään arviointiraporttia laadittaessa
- tarkistaa, että julkinen arviointiraportti ei sisällä yrityksen toimittamia salassa pidettäviä tietoja

Sosiaali- ja terveydenhuollon yhteistyöalueiden arviointiylilääkärit ja muut lääkkeiden käyttöönottoa arvioivat tahot (FinCCHTA)

- avustavat tarvittaessa aihevalintaan liittyvissä kysymyksissä
- toimivat yhteyshenkilöinä yhteistyöalueilla
- tuovat hyvinvointialueiden näkökulmia arviointimenettelyihin, esimerkiksi arviointien aihevalintaan

Fimea

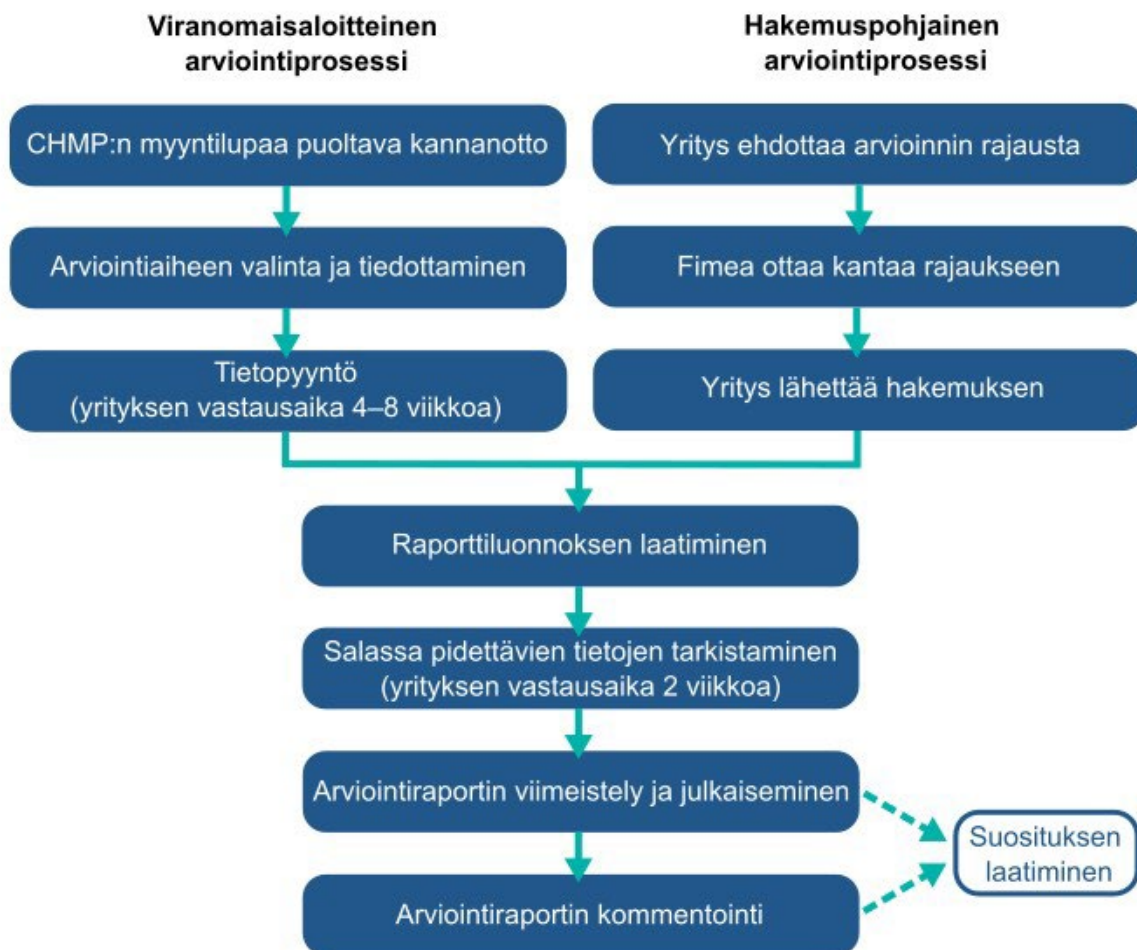
- päättää arviointien käynnistämisestä, resurssiensa mukaisesti
- koordinoi arviointitoimintaa
- tuottaa ja julkaisee arviointiraportin
- osallistuu tarvittaessa hintaneuvotteluihin liittyvien sopimusten vaikutusten arviointiin

Kliiniset asiantuntijat

- avustavat arvioinnin tavoitteiden (PICO) määrittelyssä
- kommentoivat arviointiryhmän tuottamaa materiaalia sekä vastaavat arviointiryhmän kysymyksiin erityisesti nykyisten hoitokäytäntöjen ja tutkimusnäytön sovellettavuuden osalta

3.2 Arvioinnin prosessi

Kaavio arviointiprosessin etenemisestä on esitetty alla olevassa kuviossa (CHMP = Euroopan lääkeviraston ihmislääkekomitea).



3.2.1 Arviointiaiheen valinta ja tiedottaminen

Aihevalinnassa painopiste on uusien ensikertaa markkinoille tulevien lääkkeiden arvioinnissa ja pyrkimyksenä on arvioida kaikki uudet lääkkeet joko viranomaisaloitteisen tai hakemuspohjaisen lähestymistavan kautta. Viranomaisaloitteisessa arviointiprosessissa Fimea käy ensin läpi kuukausittain ilmestyvät CHMP:n puoltavat kannanotot, poimii soveltuvat aiheet ja lähettää niiden pohjalta yrityksille tietopyyntöjä. Hakemuspohjaisessa

arviointiprosessissa yritys tiedottaa ensin Fimeaa¹ uudesta sairaalalääkkeestä ja hakemuksen jättämisen ennakoidusta ajankohdasta sekä ehdottaa arvioinnin rajausta (PICO-määrittely). Yhteydenottohetkellä yrityksellä tulee olla hyvä käsitys odotetusta Euroopan lääkeviraston ihmislääkekomitean (CHMP:n) kannanoton ajanhetkestä sekä käyttöaiheesta. Mikäli yritys ei ole ollut Fimeaan yhteydessä ennen CHMP:n puoltavaa kannanottoa, Fimea on yhteydessä yritykseen arvioinnin aloittamiseen liittyvistä asioista.

Arvioinnin aloittamisen yhteydessä voidaan sopia yrityksen kanssa aloituspalaverista, jonka tarkoituksena on keskustella arvioinnin aikataulutuksesta ja sisällöstä, aiheen rajauksesta sekä yritykselle kohdistettavasta tietopyynnöstä tai yrityksen hakemuksesta. Arviointi pyritään käynnistämään siten, että arvioinnin tulos on käytettävissä mahdollisimman pian yrityksen jättämän hakemuksen, myyntiluvan myöntämisen tai käyttöaiheen laajenemisen jälkeen. Fimea aikatauluttaa arvioinnin etenemisen ja tiedottaa arviointiin liittyviä tahoja arvioinnin käynnistymisestä. Arvioinnin käynnistymisestä tiedotetaan myös Fimean verkkosivuilla. Euroopan Unionin HTA-mekanismin mukaisten arviontien osalta noudatetaan erillistä ohjetta², joka on saavilla Fimean verkkosivuilla.

Arviointitoiminnan suunnittelua ja ennakointia varten Fimea järjestää lääkeyrityksille tarkoituksenmukaisin aikavälein horizon scanning -tilaisuuksia, joissa kartoitetaan lähitulevaisuudessa potentiaalisesti markkinoille tulevia uusia sairaalakäyttöön tarkoitettuja lääkehoitoja.

3.2.2 Tietopyynnot ja arvioinnissa käytettävä materiaali

Arviointi perustuu ensisijaisesti julkaistuihin tutkimuksiin, Euroopan lääkeviraston tuottamaan julkiseen arviointilausuntoon sekä muista lähteistä saataviin tietoihin. Lisäksi arvioinnissa voidaan hyödyntää yrityksen toimittamaa aineistoa. Tästä syystä arvioinnin alussa

- 1) Fimea lähettää myyntiluvan haltijalle (tai hakijalle) tietopyynnön (viranomaisaloitteinen arviointiprosessi), tai
- 2) yritys toimittaa Fimealle ennalta sovitusti hakemuksen (hakemuspohjainen arviointiprosessi).

Viranomaisaloitteiseen arviointiprosessiin liittyvä tietopyyntö laaditaan aina tapauskohtaisesti ja siinä voidaan pyytää lisätietoa esimerkiksi kliinisistä tutkimuksista, alaryhmäanalyyseista, hoidon kestosta, hoidon kustannuksista, arvioidusta potilasmäärästä Suomessa ja hoidon budjettivaikutuksesta. Lisäksi yritystä pyydetään toimittamaan Fimean käyttöön kustannusvaikuttavuusanalyysi ja -malli sekä tähän liittyvä materiaali (jatkossa kustannusvaikuttavuusanalyysi).

Viranomaisaloitteisessa arviointiprosessissa vastausten toimittamiseen yritykselle annetaan aikaa neljä viikkoa. Mikäli yritys sitoutuu toimittamaan kustannusvaikuttavuusanalyysin ja -mallin sekä tähän liittyvän materiaalin, vastausaika näiden tietojen toimittamisen osalta on kahdeksan viikkoa. Yrityksellä ei kuitenkaan ole velvoitetta toimittaa aineistoa. Arviointi voidaan suorittaa myös ilman yrityksen toimittamaa aineistoa.

Hakemuspohjaisessa arviointiprosessissa sairaalalääkkeiden arviointiin Fimealle lähetettäviä hakemuksia varten on laadittu erillinen ohje (liite 1).

¹ Yhteydenotot: hta@fimea.fi

² [EU:n HTA-asetuksen huomioiminen sairaalalääkearvioinnissa \(pdf\)](#)

Yrityksen toimittama aineisto tai hakemus voi sisältää liike- tai muun salaisuuden nojalla salassa pidettävää tietoa. Ennen arvioinnin alkua yritys antaa Fimealle luvan arviointiraportin luovuttamiseen Palkolle suosituskäsittelyä varten kokonaisuudessaan, ilman salassa pidettävien tietojen peittämistä raportista. Viimeistään aineiston toimittamisen yhteydessä yritys toimittaa tiedot yhteyshenkilöstä ja liitteessä 2 kuvatun lupalomakkeen allekirjoittajasta sekä tarvittaessa valtuutuksen.

3.2.3 Raporttiluonnoksen laatiminen

Tietopyyntöön liittyvien vastausten tai hakemuksen saapumisen jälkeen arviointiprosessi on yhtenevä viranomaisaloitteisella ja hakemuspohjaisella arviointiprosessilla. Fimea koostaa arviointiraportin luonnoksen kaikesta käytettävissä olevasta materiaalista.

3.2.4 Salassa pidettävien tietojen tarkistaminen

Fimealle luovutettavan aineiston julkisuus ja salassapito määräytyy kaikilta osin julkisuuslain (621/1999) mukaisesti. Aineisto voi sisältää julkisuuslain 24 §:n mukaan salassa pidettäviä tietoja yksityisestä liikesalaisuudesta tai muita kyseisen lainkohdan mukaan salassa pidettäviä tietoja. Tällaista voivat olla esimerkiksi julkaisemattomat tutkimustulokset, yrityksen kustannusvaikuttavuusanalyysissä käyttämä päätösanalyttinen malli ja siihen liittyvä terveystaloudellinen selvitys sellaisinaan sekä esimerkiksi muu kuin julkaistun listahintaan perustuva hinnoittelutapa.

Fimea toivoo, että arviointityön sujuvoittamiseksi yritys merkitsee jo aineiston luovuttamisvaiheessa sellaiset osiot tai kokonaisuudet, jotka ovat yrityksen näkemyksen mukaan kokonaisuudessaan salassa pidettäviä ja joita koskevaa arviointia ei tästä syystä voi sisällyttää julkaistavaan arviointiraporttiin.

Jos yritys luovuttaa Fimealle taloudelliseen arviointiin liittyvän kustannusvaikuttavuus- tai budjettivaikutusmallin, luovuttamisen tarkoituksena on, että Fimea sisällyttää arviointiraporttiin kuvauksen mallinnuksessa käytetyistä menetelmistä ja mallinnuksen tulokset sekä näitä koskevan arvioinnin. Fimea voi myös julkaista yrityksen toimittaman mallin avulla Fimean itse tuottamia tuloksia ja analyyskejä, jotka eivät sellaisenaan ilmene yrityksen toimittamasta aineistosta.

Yritys saa Fimealta nähtäväkseen arviointiraportista luonnoksen siltä osin, kun siinä on raportoitu yrityksen toimittamaa julkaisematonta aineistoa. Yrityksellä on kaksi viikkoa aikaa merkitä luonnokseen sellaiset yksittäiset tiedot tai lukuarvot, jotka se katsoo julkisuuslain nojalla liike- tai muun salaisuuden perusteella salassa pidettäviksi tai ilmoittaa, että luonnos ei sisällä salassa pidettävää tietoa. Fimea arvioi yrityksen merkitsemien tietojen julkisuutta julkisuuslain perusteella.

Fimea voi ennen salassa pidettävien tietojen merkitsemistä antaa arviointiraportin luonnoksen ja yrityksen toimittamaan aineistoon sisältyviä tietoja nähtäväksi Fimean erikseen nimeämille ja salassapitosopimuksen allekirjoittaneille, arvioinnissa mukana oleville kliinisille asiantuntijoille tarpeelliseksi katsomassaan laajuudessa.

Mikäli aineistoon kohdistuu tietopyyntö, ratkaistaan aineistoon kuuluvien tietojen julkisuus ja salassapito julkisuuslain mukaisesti. Julkisuuslaki tulee aina ensisijaisesti sovellettavaksi luovutettavan aineiston julkisuuden arvioinnissa. Yrityksen salassapitotahtoa käytetään asiakirjojen julkisuuden arvioinnin pohjana.

3.2.5 Arviointiraportin viimeistely ja julkaiseminen

Lopuksi Fimea viimeistelee arviointiraportin ja julkaisee sen verkkosivuillaan sekä tiedottaa arvioinnista siihen liittyville tahoille. Arviointiraportista julkaistaan versio, jossa julkisuuslain nojalla salassa pidettävät tiedot on peitetty. Malli arviointiraportin rakenteesta ja siinä käsiteltävistä asioista on liitteessä 3.

3.2.6 Arviointiraportin kommentointi

Arvioinnin lopputuotetta voi kommentoida. Kommentit lähetetään Fimean kirjaamoon. Kommentit ja kommentoijan tiedot ovat julkisia, ja ne voidaan tarvittaessa julkaista.

4 Suosituksen laatiminen

Fimea esittelee arvioinnin tulokset Palkon lääkejaostolle. Arviointiraportti ja arvioinnin tulokset esitellään Palkolle kokonaisuudessaan, ilman salassa pidettävien tietojen peittämistä tai poistamista. Ennen arvioinnin alkua yritys antaa Fimealle luvan tietojen luovuttamiseen erillisellä lupalomakkeella (liite 2). Suositusten laatimisesta ja suositusprosessista vastaa kokonaisuudessaan [Terveystieteiden tutkimuskeskus](#).

5 Kansallinen hintaneuvottelu

Fimealla voi olla asiantuntijarooli kansallisissa hintaneuvottelussa ehdotetun hallitun käyttöönoton sopimuksen vaikutusten arvioinnissa. Fimea ei kuitenkaan toimi hankinnan osapuolena tai tee hankintaan liittyviä sopimuksia. Kansalliseen hintaneuvotteluun liittyvät prosessit eivät ole vielä kaikilta osin vakiintuneet, ja niitä pyritään kehittämään saatujen kokemusten myötä.

LIITE 1. Lääkkeiden hintalautakunnan (Hila) hakemusohjeiden soveltamisohje

Yleistä

Tätä ohjetta sovelletaan, kun myyntiluvan haltija hakee uudelle sairaalalääkkeelle HTA-arviointia Fimeasta hakemus pohjaisen arviointiprosessin kautta. Hakemusmateriaalin sisällössä noudatetaan lääkkeiden hintalautakunnan uuden lääkevalmisteen korvattavuuden hakemusohjeita³ sekä terveystaloudellisen selvityksen laatimisen ohjetta⁴, joiden soveltamista Fimean sairaalalääkearvioinneissa tämä ohjeisto kuvaa. Hintalautakunnan sähköisen asiointipalvelun käyttöä koskeva ohjeistus ei kosketa Fimeaan toimitettavaa materiaalia. Ensivaiheen yhteydenotot pyydetään asiointipostilaatikkoon hta@fimea.fi. Varsinainen hakemusmateriaali toimitetaan Fimean turvapostipalvelulla⁵ erikseen nimetyille yhteyshenkilöille.

Uuden lääkevalmisteen korvattavuuden hakemusohjeen soveltaminen

Fimeaan toimitetaan hakemusohjeessa luetelluista liitteistä ainakin seuraavat:

- voimassa oleva myyntilupapäätös tai CHMP:n myyntiluvan myöntämistä puoltava kannanotto
- voimassa oleva valmisteyhteenveto tai sen luonnos
- myyntilupaviranomaisen kliininen arviointilausunto tai sen luonnos
- selvitys hoidollisesta arvosta, sis. lähdeluettelo
- selvitys kustannuksista ja taloudellisuudesta
- terveystaloudellinen selvitys, sis. lähdeluettelo
- lähteet

Hoidollisen arvon selvityksessä noudatetaan erityiskorvattavuushakemuksen ohjeistoa. Markkinaennuste sekä myynti- ja potilasmäärätiedot voidaan ilmoittaa Hilan hakemusohjeesta poiketen, kuitenkin niin että esitettävät tiedot sisältävät riittävät perusteet budjettivaikutusten arvioinnille. Kustannusten ja taloudellisuuden arviointia varten yrityksellä on mahdollisuus esittää ehdotus luottamukselliseksi hinnaksi tai hinnoittelumalliksi. Selvityksissä tulee kuitenkin aina esittää tiedot perustuen myös valmisteen julkiseen tukkuhintaan.

Lisäksi pyydetään toimittamaan viitetiedot (linkit) muiden ETA-maiden ja Kanadan meneillään olevista HTA-arvioinneista sekä tiedot valmistuneiden suositusten tuloksista tai niiden käsittelyn vaiheesta.

Terveystaloudellisen selvityksen laatimisen ohjeen soveltaminen

Hoitovaihtoehtoina tulee käyttää PICO-määrittelyn mukaisia vertailuhoitoja.

Kaikkien terveystaloudellisen selvityksen tietojen tulee ensisijaisesti perustua hoidollisen arvon selvityksessä esitettyyn tietoon. Tulokset voidaan lisäksi esittää käyttäen salassa pidettävää sopimushintaa tai hinnoittelumallia.

³ <https://www.hila.fi/hakeminen-ja-ilmoitukset/korvattavuuden-ja-tukkuhinnan-hakeminen-ohjeet-uusi/myyntiluvalliset-uusi-laakevalmiste/>

⁴ <https://www.hila.fi/hakeminen-ja-ilmoitukset/korvattavuuden-ja-tukkuhinnan-hakeminen-ohjeet-uusi/ohje-terveystaloudellisesta-selvityksesta/>

⁵ https://www.fimea.fi/tietoa_fimeasta/yhteystiedot/turvaposti

LIITE 2. Suostumus salassa pidettävien tietojen luovuttamiseen Fimeasta Palkolle

(Yritys) antaa tällä asiakirjalla Fimealle luvan luovuttaa terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvostolle (Palko) suosituksen valmistelua varten asiaan (*täydennä asia ja diaarinumero*) liittyvän arviointiraportin tai -lausunnon myös siltä osin, kun se sisältää viranomaisten toiminnan julkisuudesta annetun lain (621/1999) (julkisuuslaki) mukaan salassa pidettäviä tietoja.

Tiedot voidaan luovuttaa kirjallisesti tai suullisesti. Yrityksen yhteyshenkilö voi sähköpostitse laajentaa tätä lupaa koskemaan myös muita yrityksen luovuttamia tietoja.

Palko ja Fimea noudattavat Yritykseltä saamiaan tietoja käsitellessään ja muutoinkin toiminnassaan julkisuuslakia.

Yrityksen yhteyshenkilönä tässä asiassa toimii

Etunimi Sukunimi

sähköposti

Puhelin

Päivämäärä ja allekirjoitus

Etunimi Sukunimi

tehtävänimike

XX Oy

y-tunnus xxx

Osoite

puh nro

LIITE 3. Arvioinnin sisältö ja arviointiraportin rakenne

Arviointiraportti jakaantuu alla kuvattuihin osa-alueisiin.

1. Arvioinnin tavoite ja arviointikysymyksen määrittely

P	Väestö (population, patients)
I	Arvioitava lääkehoito (intervention)
C	Vertailuhoito (comparison, comparators)
O	Lopputulokset (outcomes)

2. Terveysongelma ja arvioitava lääkehoito

- Terveysongelma (arvioinnin kohteena oleva sairaus)
- Hoitovaihtoehdot (nykyhoito)
- Arvioitava lääkehoito ja arvioinnin kohteena oleva käyttöaihe

3. Kliininen vaikuttavuus ja turvallisuus

- Arvioitavan hoidon vaikutuksia koskevat tutkimukset
- Arvioitavan hoidon vaikutus hoidon lopputuloksiin. Keskeisimmät tulosmuuttujat esitetään omina alalukuinaan. Esimerkiksi:
 - kokonaisalossaoloaika (OS)
 - elossaoloaika ennen taudin etenemistä (PFS)
 - hoitovaste
 - terveyteen liittyvä elämänlaatu
- Alaryhmäanalyysit
- Epäsuora vertailu (esitetään tarvittaessa)
- Turvallisuus
- Meneillään olevat tutkimukset
- Pohdinta

4. Kustannusvaikuttavuus

- Myyntiluvan haltijan/hakijan analyysissä käytetyt menetelmät
- Myyntiluvan haltijan/hakijan esittämät tulokset
- Fimean arvio myyntiluvan haltijan/hakijan mallista ja mallinnuksessa tehdyistä oletuksista
- Fimean omat skenaariot myyntiluvan haltijan/hakijan kustannusvaikuttavuusanalyysistä (esitetään tarvittaessa)
- Pohdinta

5. Kustannukset ja budjettivaikutus

- Kustannusten arvioinnissa käytetyt menetelmät
- Potilaskohtaiset kustannukset
- Potilasmäärä
- Budjettivaikutus
- Pohdinta

6. Johtopäätökset