

Tarkoituksenmukaisen lääkehoidon saatavuus on tärkeä edellytys potilaan terveyden edistämisessä. Sen sijaan saatavuuden helpottaminen lääkkeiden käytön lisäämiseksi ei ole mikään itseisarvo.

Kuvio 1. Lääkkeen matka potilaan luo yksinkertaistettuna.



Turvallisuuden maksimointi heikentää lääkkeiden saatavuutta

Vain pieni osa kehitteille tulevista lääkeaineista selviää markkinoille ja vielä harvempi on lääketieteellinen läpimurto. Näistäkin helmistä joudutaan pieni osa poistamaan markkinoilta turvallisuusongelmien takia.

Lääkeala on tarkassa viranomaisvalvonnassa. Nykyaikaisen lääkevalvonnan alkuvuosikymmenille oli tyypillistä reagointi erilaisiin lääkekatastrofeihin, jolloin valvonta jatkuvasti tiukentui. Tiukat laatu- ja turvallisuusvaatimukset ovat lisänneet lääkekehityksen kestoja, kustannuksia ja siten myös lääkkeiden hintoja. Vain suuret lääkeyritykset pystyvät sietämään lääkekehitykseen liittyvää taloudellista riskiä.

Lääkekehitys ja -valmistus ovat nopeasti keskittynyttä globaalia liiketoimintaa, joka painottaa toiminnassaan suuria lääke-markkinoita. Pienten maiden pienet markkinat voivat jäädä katveeseen. Uusien innovatiivisten lääkkeiden vuosittainen määrä näyttää vähenevän. Sääntely ja kilpailun puute aiheuttavat tunnetusti jähmeyttä, joka johtaa helposti saatavuusongelmiin. Lääkeviranomaisten toiminnassa lääkkeen turvallisuuden rinnalle on siten tullut yhä voimakkaammin sen saatavuuden turvaaminen. Tämä näkyy sekä Suomen Lääkepolitiikka 2020 -asiakirjassa että Euroopan lääkeviraston strategiassa Road Map to 2015.

Viranomaisen uuden lääkkeen kummina?

Lääkeinnovaatioiden kehitystä on tuettu taloudellisesti Suomessa varsin vaatimattomin tuloksin. Pullonkaulana ei siis näyttäisi olevan ainoastaan raha. On viitteitä siitä, että yksi syy lääkekehityksen epäonnistumiseen on tietämättömyys viranomaisvaatimuksista. Lääkkeen kehitys EU:ssa tapahtuu samoilla säännöillä kaikissa jäsenmaissa. Vaatimukset perustuvat lainsäädäntöön, Euroopan farmakopeaan ja monenlaisiin ohjeistoihin. Ohjeistojen tarkoitus on lisätä viranomaisvaatimusten ennakoitavuutta ja harmonisoida lääkkeiden arviointikriteerit EU:ssa ja laajemminkin.

Jos halutaan poiketa ohjeistoista tai jos ohjeistot eivät ole kattavia, voi lääkkeen kehittäjä pyytää kansallisilta lääkeviranomaisilta tai Euroopan lääkevirastosta tieteellistä neuvontaa. Alustavat tiedot viittaavat siihen, että tieteellinen neuvonta lisää lääkkeen mahdollisuuksia päästä markkinoille. Tämä on rohkaissut viranomaisia kehittämään tieteellistä neuvontaa yhä houkuttelevammaksi varsinkin pienille ja keskisuurille yritysille.

Lääkkeen kehittäjät haluavat käyttää korvaavia menetelmiä tavanomaisten teho- ja turvallisuustutkimusten sijasta. Viranomaiset puhuvat usein termistä ”regulatory science”, kun pohdiskellaan uusimpien tieteellisten menetelmien, kuten biomarkkereiden ja adaptiivisten tutkimusasetelmien, soveltamisesta lääkevalvonnan tarpeisiin. Tavoitteena on saada mahdollisimman nopeasti selvyys lääkkeen mahdollisuuksista selvitä markkinoille. Sekä teollisuuden, terveydenhuollon

että yhteiskunnan kannalta olisi toivottavaa, että mahdollisimman moni lupaava lääkekehitysprojekti onnistuisi ja huonot karsiutuisivat jo varhaisessa vaiheessa. Näin rajalliset resurssit saadaan mahdollisimman tehokkaaseen käyttöön uusien lääkkeiden kehittämisessä.

Lääkekehitys on keskittynyt pääasiassa suurten kansainvälisten lääkeyritysten käsiin, mikä ei ole hyvä asia innovaatioiden hyödyntämisen näkökulmasta. Monella taholla on pelätty, että kliiniseen tutkimusvaiheeseen on syntynyt pullonkaula. Viranomaiset pyrkivät nopeuttamaan kliinisten lääketutkimusten aloittamista harmonisoimalla kansallisesti päätettäviä vaatimuksia.

Kliinisiä tutkimuksia on siirretty halvempiin maihin. Suomi voi kuitenkin halutessaan kilpailla laadulla ja erikoisosaamisella, jos käytössä on tutkijaverkostoja ja korkeatasoisia tutkimuskeskuksia. Lääketutkimus tarjoaa mahdollisuuden saada Suomessa käyttöön uusia lupaavia hoitoja varhaisessa vaiheessa. Terveystieteiden pitäisi tarkastella sen piirissä tapahtuvaa lääkekehitystä pikemminkin kilpailuetuna kuin ylimääräisenä riesana.

Lääkkeiden jakelujärjestelmä tienhaarassa

Apteekkilaitos on lääkevalvonnan näkökulmasta vanha instituutio. Se on vastuussa lääkkeiden saatavuudesta maan eri kolkissa. Viranomainen päättää apteekkien perustamisesta Suomessa. Lääkejakelelun turvaamiseksi harvaan asutuilla alueilla on mahdollista perustaa sivuapteekkeja ja apteekkien palvelupisteitä. Verkkopapteekkitoiminta on mahdollista myös Suomessa.

Apteekit ovat saaneet uusia tehtäviä, kuten lääkevaihdon. Lääkevaihdon edellyttävää valikoimaa voi joskus olla vaikea ylläpitää ja yksittäisen lääkkeen saatavuudessa voi olla ongelmia. Toisaalta lääkevaihto voi olla avainroolissa uuden lääkehoidon rahoittamisessa.

Apteekkilaitokseen kohdistuu ristiriitaisia muutospaineita. Toisaalta sen halutaan olevan julkisen terveydenhuollon jatke lääkeasioissa, jolloin se olisi enemmän yhteiskunnan ohjauksessa ja toimisi kansanterveyden ehdoilla. Vaatimusta voidaan perustella sillä, että yhteiskunta käytännössä rahoittaa apteekkien toiminnan. Toisaalta lääkkeiden jakelua pidetään puhtaasti liiketoimintana, jota haluttaisiin tehostaa ja vapauttaa avoimelle kilpailulle sekä lisätä varsinkin itsehoitolääkkeiden myyntikanavia.

Lääkkeiden jakelujärjestelmät kehittyvät eri suuntiin Suomessa ja naapurimaissamme. EU haluaa edistää sisämarkkinoita ja vähentää kaupan esteitä. Nämä tekijät on ennen pitkää otettava huomioon Suomessa tehtäessä lääkkeiden vähittäisjakeluun liittyviä linjauksia.

Pitääkö itsehoitolääkkeiden saatavuutta parantaa?

Itsehoito on terveydenhoidon kulmakivi. Tärkein osa itsehoitoa on terveiden elintapojen noudattaminen. Monet tilapäiset kolhut, säryt ja vaivat voidaan hoitaa omin voimin. Lääkkeiden pitäisi yleensä olla itsehoidossa vain muun hoidon tukena tarvittaessa. Itsehoitolääkkeitä on saatavissa muun muassa kivun ja ohimeneviin infektiosairauksiin liittyvien oireiden, kuten kuumeen ja yskän, sekä allergisten oireiden, lievien ruuansulatuselin- ja ihosairauksien hoitoon.

Nykyisen laajuudessa käytössä itsehoidon haitat näyttävät selvästi hyötyjä pienemmiltä. Sen sijaan itsehoitolääkkeiden käytön, valikoiman ja jakelukanavien lisääminen on kiistanalainen asia, vaikka kysymys onkin tavallaan lääkkeiden saatavuudesta. Laajentamista puoltaa toive terveydenhuollon kuormituksen vähentymisestä, lääkekorvausten vähentymisestä, paremmista katteista ja lääkkeiden helpommasta saatavuudesta. Laajentamista vastaan puhuu pelko lääkkeiden haittojen lisääntymisestä, vakavien sairauksien diagnoosin viivästyttämisestä ja lääkkeettömän hoidon vesittämisestä. Erityisen huolestuttavana pidetään itsehoitolääkkeiden tuloa kroonisten, seurantaan vaativien ja vakavia komplikaatioita aiheuttavien sairauksien hoitoon.

Lääkkeiden saatavuus poikkeusoloissa on turvattava

Elintärkeiden lääkkeiden saatavuus on turvattava kaikissa oloissa. Lääkevalmistuksen osaaminen ja kapasiteetti on kaventunut Suomessa. Rokotteiden ja plasmaperäisten lääkkeiden tuotantoa ei enää ole ja aseptinen lääketuotanto on uhanalainen.

Lait lääkkeiden velvoitevarastoinnista ja huoltovarmuuden turvaamisesta on laadittu lääkkeiden saatavuuden turvaamiseksi poikkeusoloissa Suomessa. Lakien tarkoitus on varmistaa vaikeiden sairauksien lääkehoito sekä laaja yleiskirurginen valmius. Sosiaali- ja terveysministeriö, Fimea, Huoltovarmuuskeskus, Terveyden ja hyvinvoinnin laitos sekä terveydenhuollon yksiköt ovat vastuussa lääkeaineiden ja -valmisteiden saatavuudesta poikkeusoloissa. Kaikkein kriittisimpiä valmisteita säilytetään valtion varmuusvarastoissa.

Lakia ja asetusta velvoitevarastoinnista ryhdytään uudistamaan, koska ne eivät nyky muodossaan turvaa kaikkea lain tarkoittamaa lääkehoitoa. Velvoitevarastoinnin periaate on, että varastointivelvoite määräytyy edellisen vuoden myynnin perusteella. Tämä johtaa siihen, että riittävä varasto saadaan ainoastaan, jos varastointivelvoite koskee niitä lääkkeitä, joita normaalioloissa käytetään eikä menneen ajan halpalääkkeitä. Toinen tärkeä linjanveto on niiden sairauksien luettelo, joiden hoito halutaan lailla turvata. Kolmas peruskysymys on määritellä se, minkälaiseen uhkaan halutaan varautua. Ääripäinä ovat toisaalla sodan kaltainen poikkeustila ja toisaalla esimerkiksi tuotevirheen aiheuttama tilapäinen saatavuusongelma. Jälkimmäisiä esiintyy usein ja velvoitevarastot pelastavat usein potilaan ja lääkeyrityksen saatavuusongelmasta.

Lapsille tulossa paremmin tutkittuja lääkkeitä

Lapset ovat meidän silmäteriamme, myös lääkkeiden kehittäjiä ja viranomaisten. Niinpä lapsia suojeltiin takavuosina lääketutkimuksilta. Tämän seurauksena suurta osaa lapsilla käytetyistä lääkkeistä ei ole tutkittu lapsilla, mikä on turvallisen ja tehokkaan lääkehoidon kannalta nurinkurista.

Lastenlääkeasetus (Regulation (EC) No 1901/2006) tuli voimaan 2007 ja antoi vihdoin vauhtia lapsille sopivien lääkkeiden kehittämiseksi. Asetus koskee kaikkia uusia lääkkeitä niin kauan kuin niiden tieto- ja patenttisuoja on voimassa. Se määrittelee, miten lääkkeitä kehitetään ja arvioidaan sekä millaisia tukitoimenpiteitä ja palkintoja lääkkeiden kehittäjät voivat saada. Asetuksen toimeenpano on Euroopan lääkeviraston ja sen lastenlääkekomitean vastuulla. Lääkkeen kehittäjiä motivoivat useat edut, joista merkittävin on lääkkeen suoja-ajan pidentäminen.

Kliinisten tutkimusten osalta tilanne on kääntynyt pääläelleen – nyt lastenlääketutkimuksia on tarjolla enemmän kuin tutkimuskeskukset pystyvät tekemään. Pullonkaula on siirtynyt toiseen paikkaan. Aika näyttää, kuinka nopeasti lapset saavat paremmin tutkittuja lääkkeitä.

Helpotusta harvinaissairauksien lääkehoitoon

Lääkkeiden kehittäjiä kiinnostaa lääkkeiden markkinoiden koko. Takavuosina lääkeyritykset halusivat kehittää lääkkeitä verenpainetautiin, hyperkolesterolemiaan, tyypin 2 diabetekseen ja muihin erittäin yleisiin sairauksiin. Tiede on kuitenkin oikullinen eikä aina edisty siellä, missä sitä haluttaisiin hyödyntää, vaan jossakin muualla, esimerkiksi harvinaisten sairauksien hoidossa. Lääkkeen kehittäminen erittäin harvinaisten sairauksien hoitoon ei silti ole ollut kaupallisesti kovin kiinnostavaa. Tilanne muuttui vuonna 2000 hyväksytyin harvinaislääkeasetuksen (Regulation (EC) No141/2000) ansiosta.

Harvinaislääkeasetuksen soveltamista ja toteuttamista koordinoivat Euroopan lääkevirasto ja sen harvinaislääkekomitea COMP. COMP arvioi hakemuksia harvinaislääkeasetuksen saamiseksi. Harvinaislääkeasetuksen saanut lääke saa pidennetyn suoja-ajan ja sen kehittäjä erinäisiä etuja lääkkeen kehittämisessä.

EU:n ensimmäiset harvinaislääkkeet, agalsidaasi alfaa tai betaa sisältävät Replagal® ja Fabrazyme® saivat myyntiluvat yhtä aikaa vuonna 2001 Fabryn taudin hoitoon. Fabrazymen alkutaival Suomessa oli vaivalloinen, koska lääkkeiden maksajia kauhuttivat lääkkeen vuosikustannukset, 100 000–200 000 euroa vuodessa. Saatavuuden pullonkaula siirtyi kehittämisestä lääkkeen kustannuksiin.

Lääkkeiden hinta ja korvattavuus

Uusi lääke ei menesty markkinoilla, ellei sille löydy maksajaa. Yhteiskunta maksaa suurimman osan lääkehoidon kustannuksista lääkekorvauksina tai sairaalakustannuksina. Nykyinen korvausjärjestelmä toimisi paremmin, jos käytössä olisi parempaa tietoa uuden lääkkeen hoidollisesta ja taloudellisesta arvosta.

Lääkeyritykset joutuvat yleensä tekemään myyntiluvan myöntämisen jälkeen lisätutkimuksia lääkkeen hoidollisen ja taloudellisen arvon määrittämiseksi, mikä hidastaa lääkkeen käyttöönottoa. Nykyisin lääke joutuu odottamaan lisätietojen ja kokemusten kertymistä muutaman vuoden ennen mahdollista erityiskorvauspäätöstä. Taustalla on yhteiskunnan tarve hillitä lääkekustannusten nousua tilanteessa, jossa väestön ikääntyminen lisää lääkkeiden kulutusta ja toisaalta vähentää yhteiskunnan kykyä lisätä panostusta terveydenhuoltoon vastaavasti.

Markkinoille tulee yhä enemmän uusia lääkkeitä, joiden hinta ylittää entisen lääkehoidon kustannukset moninkertaisesti. Lääkehoito räätälöidään tulevaisuudessa vastaamaan sairauden alatyyppejä ja vaihetta tai potilaan yksilöllistä vastetta lääkehoitoon. Näiden lääkkeiden kehittäminen on yhtä kallista kuin ennenkin, mutta markkinat ovat pienemmät.

Fimea on yhdessä lääkealan muiden toimijoiden kanssa käynnistämässä lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon systemaattista arviointitoimintaa Suomessa. Tarkoituksena on tukea rationaalista lääkkeiden käyttöä ja lääkekorvausjärjestelmää. Toimivat lääkemarkkinat turvaavat lääkekustannusten kestävä kehitystä. Fimea kiinnittää erityistä huomiota rinnakkaislääkkeiden ja biosimilaarilääkkeiden saatavuuteen. Näin turvataan epäsuorasti uusien innovaatioiden pääsy sairaskorvauksen piiriin. Lääkkeen hoidollisen arvon määrittäminen vaatii viranomaisten, tutkimuslaitosten ja terveydenhuollon yhteistyötä arvioinnin nopeuttamiseksi. Lisäksi vaaditaan yhteistyötä viranomaisten ja lääketeollisuuden välillä, jotta lääkkeiden tehoa ja turvallisuutta koskevissa varmistavissa tutkimuksissa saataisiin myös korvattavuuden kannalta tärkeitä tietoja.

Pekka Kurki

LKT

Tutkimusprofessori, emeritus, Fimea

Dosentti, Helsingin yliopisto