

Amos Pasternack

LKT, sisätautiopin emeritusprofessori
Tampereen yliopisto

Lääkehoidon priorisoinnissa lääkäriin etiikkaa koetellaan

Lääketieteen nopea kehitys tuo käyttöön uusia lääkkeitä, jotka ovat entisiä vaikuttavampia ja kalliimpia. Terveystieteiden menot kasvavat sietämättömiksi, ellei niiden kasvua rajoiteta. Olisikin löydettävä kriteerit, joilla tunnistettaisiin kullekin potilaalle sopivin, turvallisin ja kustannusvaikuttavin lääkehoito.

Lääketieteelliseen päätökseen liittyy jatkuva pohdinta siitä, mitä lääkettä pitäisi määrätä ja kenelle. Etukäteen on vaikea arvioida, mikä on yksilötasolla hoidosta saadun hyödyn suhde siitä mahdollisesti ilmeneviin haittoihin. Lääkkeen oikean annostelun arviointi voi olla vaikeaa, ja epävarmuus lääketieteellisten diagnoosien oikeellisuudesta on aina läsnä. Toisaalta liiallinen luottamus lääkehoidon tehoon ja tarpeellisuuteen voi houkutella sen käyttöön tilanteissa, missä lääkkeetön hoito olisi tarpeellista asettaa etusijalle.

Lääkehoidon priorisointi, ensisijais-
taminen, on eettisesti ongelmallista
ja samalla keino, jolla pyritään paitsi

järkevään lääkehoitoon myös kustannusten hillitsemiseen. Sitä on käytetty aina, mutta yksilötasolla piilotetusti ilman yhteiskunnan sopimia periaatteita.

Priorisoinnin avuksi laatupainotteinen elinvuosi vai arvonta?

Lääkehoidon tehoa ja turvallisuutta mitataan satunnaistetuissa ja sokkoutetuissa tutkimusasetelmissa. Sen lisäksi lääkehoidon on kuitenkin oltava vaikuttavaa myös käytännössä, siitä tulee saada terveyshyötyä. Arvioimalla kliinisten lääketutkimusten tutkittavien elämän pituuden sekä elämänlaadun muutoksia voidaan lääkehoidon vaikuttavuutta ennakoita



Priorisointia koskevista periaatteista huolimatta lääkäri on oikeutettu toteuttamaan vain lyhyt-aikaisestikin vaikuttavan hoidon, mikäli se on hänen potilaansa elämänvaiheen ja kärsimyksen asteen kannalta mielekästä.

laatupainotettuina elinvuosina (*quality-adjusted life years, QALY*). QALY on numeerinen suure.

Laatupainotteista elinvuotta on pidetty lääkkeen parhaana terveyshyödyn mittarina, koska sille voidaan määritellä maksimaalinen hinta, jonka yhteiskunta (julkinen terveydenhuolto) voisi kustannusvaikuttavuuden pohjalta hyväksyä. Vaikeudeksi sen käytettävyyden kannalta muodos-

tuu kysymys siitä, mikä taho arvotaisi laatupainotteisen elinvuoden hinnan ja miten ihmisten sairastamisen kokemus ja tautien aiheuttamat haitat otettaisiin huomioon sitä määriteltäessä. Miten hinnan raja-arvo sopii terveydenhuollon monimuotoisten ongelmien oikeudenmukaiseen ratkaisuun?

Ulkopuolisen on vaikea arvioida elämänlaatua objektiivisesti. Elämänlaatu on sidoksissa ihmisten arvomaailmaan, eletyn elämän jättämiin jälkiin ja jäljellä olevan elämän odotuksiin. Kuolemansairaalle lyhytaikainen hyöty hoidosta voi olla merkittävä ja tärkeä asia, vaikka laatupainotteinen elinvuosilaskelma tuottaisi huonon tuloksen.

QALY jättää huomioimatta, miten eri-ikäisten ihmisten hoitojen hyödyllisyys asetetaan järjestykseen. Nuoret ovat etuasemassa, koska heillä on aina edessään enemmän laatupainotteisia elinvuosia kuin vastaavaa sairautta tai terveydentilaa ilmentävällä ikääntyneellä. QALY saattaa aliarvi-

oida sellaisten hoitojen merkityksen, jotka hyödyttävät ikääntyneitä tai niitä, joilla on muuten lyhyt elinajanodote. QALY ei siis ole arvovaraukseton tai selkeä väline, jota voisi käyttää päätöksenteossa hoitojen hyötyjä arvioitaessa. Tutkittuaan lähes 1 500:aa potilastapausta Englannissa, Belgiassa ja Ranskassa ECHOUTCOME (European Consortium in Healthcare Outcomes and Cost-Benefit research) onkin suositellut, ettei QALYä käytettäisi terveyttä koskevassa päätöksenteossa.

Englannissa on kokeiltu QALYä käytännössä. Sikäläinen NICE (National Institute of Health and Care Excellence) on esittänyt yhden laatupainotteisen elinvuoden hinnaksi 20 000–30 000 puntaa. Määrittelyyn perustuva sääntö tely ei kuitenkaan toiminut käytännössä, sillä hoitojen todetut kustannukset ylittyivät moninkertaisesti. Lääketieteelliset perusteet esimerkiksi kalliiden uusien syöpälääkkeiden käyttöönotossa painoivat lääkäreiden päätöksenteossa enemmän kuin lääkkeen hinta.



Olisiko sitten vaihtoehtoisia kalliiden lääkehoitojen priorisointiperusteita? Nykytiedon valossa mahdollisia voisivat olla potilaskohtaiset kriteerit, kuten ikä (*fair innings*), hoitontulojärjestys, sosiaalinen asema, mahdollisesti itse aiheutettu sairaus ja arvonta. Näistä arvonta olisi yksittäisen potilaan kohdalla ehkä ainoa eettisesti oikeudenmukainen säännösten menetelmä.

Kalliiden lääkkeiden ongelma

Kalliiden lääkkeiden käyttöaiheet ovat vaikeasti ratkaistava ongelma. Jos lääkehoitojen priorisoinnissa lähdetään siitä utilitaristisesta periaatteesta, että hoidon hyödyn tulisi kohdistua mahdollisimman moneen ihmiseen, voi olla vaikea perustella sellaisten kalliiden lääkkeiden käyttöä, joiden hyöty rajoittuu elinajan pitenemiseen korkeintaan vuodella. Niiden suuret kustannukset voivat

rajoittaa muiden sairauksien järkevää hoitoa. Toisaalta velvollisuusetiikan periaatteiden mukaan kaikille olisi pyrittävä tarjoamaan vähäinenkin hyöty, jos sen voi tehdä tuottamatta tuskaa ja kärsimystä.

Syöpään on viime aikoina tullut uusia, erittäin kalliita lääkehoitoja. Niiden käyttöönoton hyötyjä on julkisesti arvioitu monessa elimessä, kuten ASCOssa (American Society of Clinical Oncology), ESMOssa (European Society for Medical Oncology), Fimeassa ja Suomen yliopistosairaaloissa. Kriteereinä on käytetty lääketutkimuksissa havaittuja kokonaisuoloajan ja taudin etenemismuutoksia. Kustannuksia ei kaikissa arvioinneissa ole otettu huomioon.

Suomessa Fimean julkaisemat hoitokustannusten ja taloudellisen arvon arviot koskevat vain osaa uusista syöpälääkkeistä, ja yliopistosairaaloiden toteuttamat arviot poikkeavat tois-

taan. Lopulliset päätökset uuden lääkkeen käyttöönottamisesta vaihtelevat puolen vuoden kokeiluajasta vuoden mittaiseen, ja sallittu kokeiluajan kustannus vaihtelee 15 000:n ja 30 000 euron välillä.

Markkinoilla on myös sellaisia uusia syöpälääkkeitä, joiden odotettavissa oleva vaikutus kokonaisuoloaikaan on vain kymmeniä päiviä. Parantumattoman syövän hoidossa lääkäri kuitenkin toteuttaa tärkeintä tehtäväänsä, lääkärin eettistä velvoitetta eli inhimillisen kärsimyksen lieventämistä. Priorisointia koskevista periaatteista huolimatta lääkäri on oikeutettu toteuttamaan vain lyhytaikaisesti vaikuttavan hoidon, mikäli se on hänen potilaansa elämänvaiheen ja kärsimyksen asteen kannalta mielekästä. Läheisten mukanaolo on tällöin päätöksenteon kannalta oleellista. Lääkärin etiikan kannalta kestäväksi tilanteen tekee vasta se, kun raha pääsee vaikuttamaan lääkärin ja potilaan yhteiseen päätökseen.

Kuka asettaa oikean hinnan uudelle vaikean tai harvinaisen taudin lääkkeelle?

Uuden lääkkeen kehittäminen on pitkä, kymmeniä vuosia kestävä ja suurta asiantuntemusta edellyttävä hanke, joka vaatii arviolta miljardien dollarien investointia. On ymmärrettävää ja eettiseltä kannalta oikeutettua, että lääkkeen kehittäjä pyrkii 15–20 vuoden patenttisuojan aikana lunastamaan itselleen mahdollisimman hyvän taloudellisen tuoton. Näin lääkkeen kehittäjällä on riittävästi resursseja seuraavaan innovaatioon. Ulkopuolisen tahon on mahdoton arvioida, onko patenttisuojan ajan kestävä korvaus sopiva lääkkeen vaatimien panostuksiin nähden.

Lääkekehitys on markkinavetoista. Hyvät alkuperäislääkkeiden tuottamat tulot houkuttelevat investoimaan kalliiden lääkkeiden kehittämiseen. Potentiaalisesti vähemmän tuottavat mutta kansanterveyden kannalta merkittävät lääkeshoidot jäävät herkästi toissijaiseen asemaan. Lopulta tarjolla oleva lääkevalikoima voi ohjata sitä, mitä hoitoja yhteiskunnassamme priorisoidaan ja kenelle. Olisi terveydenhuollon etiikan kannalta ensiarvoista, että ongelmaan etsittäisiin taloudellista ratkaisua kansainvälisiltä yhteisöiltä ja maailmanlaajuisilta, yhteiseen hyvään pyrkiviltä järjestöiltä. Hyvä uutinen on, että EU on päättänyt osallistua 50 %:n osuudella tiettyjen uusien antibioottien kehittämiseen.

Alkuperäisten kemiallisten lääkkeiden rinnakkaislääkkeet (geneeriset lääkkeet) ovat laadultaan ja vaikutusiltaan identtisiä. Siksi niiden käyttöä tulee suosia silloin, kun markkinat avautuvat niille. Myös biosimilaareja tulisi suosia alkuperäislääkkeiden patenttien rauettua. On arvioitu, että näin voitaisiin vähentää kyseisten lääkeshoitosten kustannuksia jopa kolmanneksella. Samalla luotaisiin terveyttä kilpailua lääkemarkkinoille.

Yksilöity lääketiede, uudet diagnostiset menetelmät ja uudet mahdollisuudet

Ihmiset reagoivat lääkkeisiin vaihtelevasti genominsa erilaisuuden ja muiden ominaisuuksiensa pohjalta. Lääkkeen farmakodynamiikka ja -kinetiikka voi olla yhdellä erilainen kuin toisella. Kun nämä yksilöiden väliset vaihtelut opitaan tunnistamaan entistä paremmin ja niille kehitetään yksinkertaiset testit, on mahdollista valita potilaat, joille lääkettä kannattaa ensisijaisesti käyttää. Säännöstely

Lääkehoidon priorisoinnin kannalta uudet tutkimukset yksilöidyn lääketieteen kehittämiseksi ovat lupaavia, ja ne saattavat muuttaa lääkeshoidon kuvaa merkittävästi. Yksilökohtaisen lääkevalinnan toteuttaminen voi poistaa suuren osan eettisten valintojen vaikeudesta.

ei enää ole silloin sattumanvaraista vaan perustuu farmakogeneettiseen näyttöön, jonka pohjalta priorisointi on oikeutettua.

Farmakogenomiikan tutkimus on voimakkaassa kehitysvaiheessa, ja odotukset sitä kohtaan ovat suuret. CPIC (Clinical Pharmacogenetics Implementation Consortium) on laatinut potilaan geneettiseen tietoon perustuvat annosteluohjeet usealle lääkeaineelle, ja luettelo laajenee koko ajan. Lääkehoidopäätöksiä ohjaavia geenitestejä on jo kehitetty kliiniseen käyttöön.

Duodecimin Terveysportissa on Farmakogenetiikka-tietokanta. Tietokannassa on tällä hetkellä tiedot noin 100 lääkkeestä sekä farmakogeneettisistä testeistä, joiden avulla voidaan valita oikea lääke oikealla annoksella potilaan perimän mukaan.

Priorisointikeskustelun aika on nyt

Lääkehoidon priorisoinnin kannalta uudet tutkimukset yksilöidyn lääketieteen kehittämiseksi ovat lupaavia, ja ne saattavat muuttaa lääkeshoidon kuvaa merkittävästi. Yksilökohtaisen lääkevalinnan toteuttaminen voi poistaa suuren osan eettisten valintojen vaikeudesta.

Priorisointipäätösten taustalle tarvitaan silti lisää avoimuutta. On tärkeää, että niin terveydenhuollon ammattilaiset kuin poliittiset päättäjätkin tiedostavat tarpeen. Piilopriorisointi yksilötasolla on nimittäin liian vaikea tehtävä lääkärille, joka toimii eettisesti potilaansa parhaaksi. ●

KIRJALLISUUTTA

- Beresniak A, ym. Validation of the underlying assumptions of the quality-adjusted life-years outcome: results from the ECHOUT-COME European project. *Pharmacoeconomics* 2015; 33: 61–9.
- Johnson JA. Pharmacogenetics in clinical practice: how far have we come and where are we going? *Pharmacogenomics* 2013; 14: 835–43.
- Kataja V. Onko uusi syöpälääke aina hintansa arvoinen? *Duodecim* 2014; 130: 196–7.
- Laine J. Kustannusvaikuttavuus ei yksin riitä priorisoinnin perustaksi. *Duodecim* 2014; 130: 2094–8.
- Tarkkanen M, Kataja V. Mitä syövän hoito saa maksaa? *Duodecim* 2015; 131: 2309–11.

