

Arja Juvonen ps

Kirjallinen kysymys kystiseen fibroosiin kehitettyjen uuden sukupolven lääkkeiden saattamisesta lääkekorvausjärjestelmän piiriin ja harvinaisiin sairauksiin tarkoitettujen lääkkeiden lääkekorvattavuusasioiden valmistelusta Lääkkeiden hintalautakunnassa

Eduskunnan puhemiehelle

Kystistä fibroosia (cystic fibrosis) sairastavia on Suomessa noin 100 henkilöä. Kyseessä on peittyvästi periytyvä, etenevä, moneen elimeen vaikuttava monogeneettinen aineenvaihduntasairaus, joka lyhentää eliniänennustetta ja on henkeä uhkaava. Keskimääräinen eliniänennuste kystistä fibroosia sairastavilla henkilöillä on 40 vuotta.

Kystiseen fibroosiin on olemassa sairauden juurisyynyn vaikuttavia, niin kutsuttuja modulaattorilääkkeitä, jotka ovat erittäin tehokkaita ja pysäyttävät sairauden etenemisen sekä nostavat eliniänennustetta. Näitä lääkkeitä on potilailla käytössä mm. USA:ssa, muualla Euroopassa ja muissa Pohjoismaissa, mutta ei Suomessa. Uusista lääkkeistä käytämme usein myös ilmaisia "uuden sukupolven lääkkeitä".

Euroopassa myyntilupa on tällä hetkellä kolmella lääkkeellä; Kalydeco, Orkambi ja Symdeko. Trikafta-nimiselle lääkkeelle on myyntilupahakemus jätetty viime marraskuussa. Kalydecolle soveltuvia käyttäjiä ei Suomessa ole, mutta sen sijaan Orkambista ja Symkevistä hyötyviä on n. 20—25 potilasta. Trikafta laajentaa lääkityksen piiriin soveltuvat potilaat n. 50 suomalaiseen. Asiantuntijoiden mukaan Trikafta tulee lähivuosina mullistamaan kystisen fibroosin hoidon myös Suomessa. Trikafta on paitsi soveltuvalta käyttäjäjoukoltaan laajin myös vaikuttavuudeltaan tähänastisista merkittävien. Lääkkeitä käyttävien potilaiden tarinat ja tutkimustulokset ovat jopa lupaavampia kuin on uskallettu toivoa. Valtaosalla näitä lääkkeitä maailmalla käyttäneistä keuhkofunktiot ovat parantuneet, sairaalahoito ja suonensisäiset antibioottihoidot ovat vähentyneet merkittävästi, paino on noussut ja elämänlaatu on parantunut pysyvästi. Trikaftan avulla jotkut potilaat USA:ssa ovat jopa päässeet eroon joistakin kroonisista bakteerikannoista.

Tällä hetkellä Lääkkeiden hintalautakunnan (Hila) käsittelyssä olevat korvaushakemukset Orkambille ja Symkeville ovat ensiarvoisen tärkeitä välietappeja ennen Trikaftan saamista Suomeen. Uusien lääkkeiden ongelmana on kuitenkin korkea hinta.

Kun lääkekorvattavuutta ei ole vahvistettu, asiakas maksaa lääkkeen kokonaan itse, eikä käytännössä sellaisia potilaita ja perheitä Suomessa ole, joilla olisi mahdollisuus kustantaa itse nämä lääkkeet sen korvattavuutta odotellessa. Monella potilaalla ei ole kuukausia aikaa odottaa tätä

Kirjallinen kysymys KK 10/2020 vp

päätöstä. Kaikissa Pohjoismaissa ja lähes kaikissa EU-maissa nämä lääkkeet ovat potilaiden saatavilla. (Suomen CF-yhdistys)

Harvinaisten tautien parantavien tai merkittävästi elinikää pidentävien lääkeaineiden markkinoille tulo houkuttaa myös taloudellisen hyödyn tavoitteluun. Tämä johtaa yhteiskuntamme eettiseen keskusteluun yhdenvertaisuuden ja inhimillisen kärsimyksen hinnasta.

Edellä olevan perusteella ja eduskunnan työjärjestyksen 27 §:ään viitaten esitän asianomaisen ministerin vastattavaksi seuraavan kysymyksen:

Mitä hallitus aikoo tehdä, jotta harvinaisia sairauksia sairastavat ihmiset saavat käyttöönsä uuden sukupolven lääkkeitä,

aikooko hallitus edistää kystistä fibroosia sairastavien henkilöiden mahdollisuutta saada markkinoille tulevia uusia lääkkeitä käyttöönsä lääkekorvattavuuden keinoin ja

miten Lääkkeiden hintalautakunta (Hila) valmistelee tällä hetkellä harvinaisiin sairauksiin kehitettyjen lääkkeiden lääkekorvattavuuteen liittyviä asioita?

Helsingissä 6.2.2020

Arja Juvonen ps