

Väestön terveyden tohtoriohjelma  
Lääketieteellinen tiedekunta  
Helsingin yliopisto  
Dissertationes Universitatis Helsingiensis  
297/2024

# Potilasjärjestöjen lausunnot lääkkeiden hintalautakunnalle ja terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvostolle

Kokemuksia lääkeaiheisten lausuntojen antamisesta,  
osallisuudesta ja lausuntojen merkityksestä

**Mirjami Tran Minh**

AKATEEMINEN VÄITÖSKIRJA

Esitetään Helsingin yliopiston lääketieteellisen tiedekunnan  
suostumuksella julkisesti tarkastettavaksi Haartman-instituutin salissa II,  
perjantaina 29. marraskuuta 2024 klo 13.

Helsinki 2024

## **Väitöskirjatyön ohjaajat**

Tuuli Lahti

Dosentti, Lääketieteellinen tiedekunta, Helsingin yliopisto  
Dosentti, Yhteiskuntatieteellinen tiedekunta, Turun yliopisto  
Koulutusvastaava, yliopettaja, Turun Ammattikorkeakoulu

Marja Airaksinen

Professori, Kliinisen farmasian ryhmä, Farmasian tiedekunta,  
Helsingin yliopisto

## **Kustos**

Anna Keski-Rahkonen

Professori, Kansanterveystieteen osasto, Lääketieteellinen tiedekunta,  
Helsingin yliopisto

## **Esitarkastajat**

Anna-Maria Isola

Kestävän hyvinvoinnin ja osallisuuden dosentti, Itä-Suomen yliopisto  
Johtava tutkija, Terveyden ja hyvinvoinnin laitos

Juha Laine

Dosentti, Helsingin yliopisto, Itä-Suomen yliopisto  
Työelämäprofessori, InFLAMES, Turun yliopisto  
HEOR Manager & RWD Advisor, Roche Oy

## **Vastaväittäjä**

Jari Kylmä

Professori (tenure track), Terveystieteiden yksikkö,  
Yhteiskuntatieteiden tiedekunta, Tampereen yliopisto

Lääketieteellisen tiedekunnan ohjeiden mukaisesti tämä julkaisu on tarkastettu Ouriginal-järjestelmällä.

Julkaisija: Helsingin yliopisto

Sarja: Dissertationes Universitatis Helsingiensis 297/2024

ISBN 978-952-84-0382-1 (nidottu)

ISBN 78-952-84-0381-4 (PDF)

ISSN 2954-2898 (nidottu)

ISSN 2954-2952 (PDF)

PunaMusta, Joensuu 2024

# TIIVISTELMÄ

Potilaiden ja potilasjärjestöjen mahdollisuudet osallistua ja tuoda näkökulmia terveydenhuollon menetelmien arvioinnin eri vaiheisiin (engl. health technology assessment, HTA) ovat yleistyneet viime vuosikymmeninä. Tämä koskee myös lääkkeiden korvattavuuteen ja käyttöönottoon liittyvää päätöksentekoa, johon kokemustiedon katsotaan tuovan arvokasta näkökulmaa. Tämän väitöskirjatyön tarkoituksena oli tutkia, mikä merkitys potilasjärjestöjen tekemillä lausunnoilla on ja miten potilasjärjestöjen osallisuus toteutuu lääkkeiden hintalautakunnan (Hila) ja terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston (Palko) lausunto- ja päätöksentekoprosesseissa. Aihetta tutkittiin selvittämällä, kuinka paljon potilasjärjestöt ovat osallistuneet eli antaneet lääkkeisiin liittyviä lausuntoja Hilalle ja Palkolle, mitä haasteita lausuntojen antamiseen potilasjärjestöjen näkökulmasta liittyy, miten potilasjärjestöjen edustajat kokevat osallisuuden toteutumisen, ja miten viranomaiset hyödynävät lausuntoja suosituksia tai korvattavuutta koskevassa päätöksenteossa. Tutkimuksessa saatua tietoa voidaan hyödyntää sekä potilasjärjestöjen että viranomaisten toiminnan kehittämisessä potilasnäkökulman huomioimiseksi lääkkeiden arvioinnissa.

Tutkimuskokonaisuus muodostuu neljästä osatyöstä ja taustoittavasta kirjallisuuskatsauksesta, jossa potilasjärjestöjen osallisuuden toteutumista tarkastellaan Sherry Arnsteinin osallistumisen portaiden ja Health Technology International (HTAi) -järjestön laatustandardien valossa, sekä tutkimuksen yhteenvedosta.

Osatyössä I tutkittiin, kuinka paljon potilasjärjestöt ovat antaneet lääkkeisiin liittyviä lausuntoja Hilalle ja Palkolle vuosina 2017–2021. Tutkimuksen aineistona olivat viranomaisten tutkijan tietopyyntöön antamat vastaukset, jotka sisälsivät Hilan ja Palkon vastaanottamien lausuntojen määrän ja sen, mihin lääkevalmisteeseen tai suositusluonnokseen lausunto oli kohdentunut. Väitöskirjan yhteenvedoa varten aineistoa täydennettiin vuosien 2022 ja 2023 tiedoilla. Aineisto analysoitiin kuvailevilla kvantitatiivisilla menetelmillä.

Osatyössä II tutkittiin potilasjärjestöjen ja viranomaisten kokemuksia keskinäisestä yhteistyöstä, potilasjärjestöjen antamista lausunnoista ja niihin mahdollisesti liittyvistä haasteista. Lisäksi tutkittiin potilasjärjestöjen tieto- ja koulutustarpeita lääkkeiden arvioinnista. Osatyö III keskittyi potilasjärjestöjen edustajien kokemuksiin osallisuuden toteutumisesta sekä viranomaisten näkemyksiin siitä, mikä on lausuntojen merkitys suositusta tai korvattavuutta koskevassa päätöksenteossa. Osatöiden II ja III aineistona oli potilasjärjestö-

jen ja viranomaisten edustajien puolistrukturoidut yksilö- ja parihaastattelut (n=21), jotka analysoitiin laadullisella sisällönanalyysillä.

Osatyö IV toteutettiin kyselytutkimuksena (n=503), jonka tavoitteena oli tutkia, miten hyväksi kansalaiset arvioivat omat tietonsa lääkekehityksestä ja terveydenhuollon menetelmien arvioinnista, ja mistä lääkekehityksen osa-alueista he ovat kiinnostuneita oppimaan lisää. Aineisto analysoitiin tilastollisilla menetelmillä (Pearsonin khiin neliö -testi ja logistinen regressio).

Tutkimukseni perusteella potilasjärjestöt ovat ottaneet lausuntomahdollisuudet myönteisesti vastaan. Lausuntojen määrä on kuitenkin ollut melko pieni suhteessa käsiteltyjen korvattavuushakemusten tai lääkkeisiin liittyvien suositusluonnosten kokonaismäärään. Lausuntoja on annettu eniten syöpälääkkeiden ja immuunivasteen muuntajien sekä tuki- ja liikuntaelinten sairauksien lääkkeiden ryhmiin kuuluvista valmisteista. Lausuntojen antamisessa oli haasteita, joista merkittävimmät liittyvät siihen, että potilaskokemuksia uusista lääkkeistä on vaikea saada ja että resursseja lausuntojen valmisteluun on järjestöissä rajallisesti. Osaamisen puute oli yksi lausuntojen antamisen esteistä. Viranomaisten näkökulmasta potilasjärjestöjen lausunnot eivät aina vastaa käsiteltävään asiaan, mikä johtuu osittain siitä, että Hilalle saapuneiden hinta- ja korvattavuushakemusten yksityiskohdat eivät ole julkisia. Viranomaiset arvostivat eniten lausuntoja, jotka lisäävät heidän ymmärrystään sairastuneen hoidon kokonaisuudesta, harvinaisista sairauksista sekä hoidoista, joista tieteellinen näyttö on vielä vähäistä. Lausuntojen merkitys päätöksenteossa oli kuitenkin vähäinen. Pienet työntekijäresurssit ovat tutkimuksen perusteella haaste myös viranomaisorganisaatioissa, ja yksi este potilasjärjestöjen osallistumista tukevien toimintamallien ja viestinnän kehittämiseksi.

Organisaatioiden tasolla potilasjärjestöt ja viranomaiset ovat tehneet pitkäjänteistä yhteistyötä. Lausuntojen antaminen koettiin kuitenkin yksisuuntaisena ja kokemus osallisuudesta oli potilasjärjestöjen edustajien mukaan melko heikkoa. HTAi-järjestön laatustandardien mukaan viestintä ja tiedotus lausuntomahdollisuuksista sekä niiden aikatauluista toteutuu Hilan ja Palkon toiminnassa melko hyvin. Palautteen antamisessa, raportoinnissa ja potilasnäkökulman dokumentoinnissa oli kuitenkin puutteita. Arnsteinin osallisuuden portaiden asteikolla lausuntojen antaminen nähdään yhtenä näennäisen osallisuuden muotona, sillä lausunnon antajalla ei ole tietoa siitä, miten heidän esille tuomiaan näkökulmia hyödynnetään päätöksenteossa. Päätöksenteon avoimuutta ja läpinäkyvyyttä sekä osallisuuden kokemusta voisi jatkossa vahvistaa esimerkiksi ottamalla potilas- tai kansalaisyhteiskunnan edustaja mukaan Hilan ja Palkon asiantuntijaryhmiin tai päättäviin elimiin, dokumentoimalla ja avaamalla asian käsittelyyn liittyvää keskustelua julkisesti sekä kehittämällä palautteen antamista lausunnoista ja niiden merkityksestä.

## ABSTRACT

The involvement of patients and patient organisations in health technology assessment (HTA) has become increasingly common in recent decades. This also applies to decision-making on the reimbursement and uptake of new medicines. Patients' perspectives are seen as valuable input for decision-making. The purpose of this dissertation was to describe patient organisations' participation and experiences of involvement in the medicine-related consultation processes of Finland's Pharmaceutical Pricing Board (Hila) and Council for Choices in Healthcare (Palko). The present study investigated the extent to which patient organisations have provided submissions to Hila and Palko, how patient organisation representatives perceive their participation and involvement, preparation of submissions and the possible challenges of this, and how the authorities use patient organisations' submissions in decision-making on recommendations and reimbursement. The knowledge gained from this study can be used to improve the operations of both patient organisations and the authorities.

This dissertation consists of four studies (I–IV) and a summary that examines the implementation of patient involvement based on Sherry Arnstein's ladder of participation and the quality standards for patient involvement of Health Technology Assessment International (HTAi).

Study I examined the level of participation, which was measured as the number of submissions made by patient organisations to Hila and Palko between 2017 and 2021 based on the responses to a request for information from the authorities; the information included the number of submissions received by Hila and Palko and the medicinal products or draft recommendations to which the submissions related. In the dissertation summary, these data were supplemented with data from 2022 and 2023. The data were analysed using descriptive quantitative methods.

Study II explored the experiences of patient organisations and public authorities in terms of cooperation, the submissions made by patient organisations and the challenges faced by the latter. The information and training needs of patient organisations were also investigated.

Study III focused on the experiences of involvement of patient organisation representatives and the views of the authorities on the role of patient organisations' submissions in decision-making on recommendations and reimbursement. The data used in Studies II and III came from semi-structured interviews (n=21) with members of patient organisations and the authorities, and they were analysed using qualitative content analysis.

Study IV was a quantitative survey (n=503) that assessed how citizens evaluated their knowledge about medicine development, including HTA, and which areas of medicine development they were interested in learning more about. The data were analysed using statistical methods (Pearson's chi-square test and logistic regression).

The results indicate that patient organisations have welcomed the opportunity to provide submissions. However, the number of submissions has been relatively small compared to the total number of reimbursement applications and draft recommendations processed. Submissions have been most frequently made regarding medicines in the categories of cancer drugs and immunomodulators, as well as musculo-skeletal system. There were challenges associated with making submissions. For example, it is difficult to document patient experiences with new medicines, and patient organisations have limited resources to prepare submissions. Lack of expertise was also an obstacle. From the authorities' perspective, patient organisation submissions do not always correspond to the matter under consideration, partly because the details about the medicines' price and reimbursement applications received by Hila are not public. For the authorities, the most valuable statements were those that enhanced their understanding of the overall treatment of patients, rare diseases and treatments with limited scientific evidence. However, the submissions were of minor importance in the decision-making process. According to the findings, limited staff resources were a challenge also in government agencies, and they constituted a barrier to developing models and communication that supported patient organisations' involvement.

At the organisational level, patient organisations and public authorities have worked together on a long-term basis. However, according to the patient organisations, the provision of submissions was perceived as one-way communication, and the experience of involvement was rather poor. According to the HTAi's *Quality Standards for Patient Involvement in HTA*, communication and information on consultation opportunities and timelines are fairly well implemented in Hila and Palko, but there are shortcomings in providing feedback, reporting and the documentation of patient perspectives. On Arnstein's scale of participation, giving opinions is seen as a form of tokenism, as the person or organisation doing so is not aware of how their views are used in decision-making. The experience of involvement and the openness and transparency of decision-making could be strengthened by including a patient or civil society representative in Hila's and Palko's expert groups and decision-making bodies, by documenting the debate on the issue and opening it up to the public, and by providing feedback on submissions and their relevance.

## KIITOKSET

Tämä väitöskirjatyö sai alkunsa työelämässä koetusta ihmettelystä ja havainnosta, joka kiteytyi siihen, että osallisuudesta puhutaan ja sitä halutaan edistää, mutta tietoa osallisuuden toteutumisesta lääkkeiden arvioinnissa, osallisuutta edistävien toimintamallien vaikutuksista tai niihin liittyvistä haasteista ei ollut saatavilla. Kiitän lämpimästi Suomen Syöpäpotilaat ry:n (SSP) toiminnanjohtaja Minna Anttosta, joka kannusti tutkimaan aihetta ja aloittamaan väitöskirjaopinnot työn ohessa. Erityiskiitos myös muille SSP:n työkavereille ja luottamushenkilöille hyvistä keskusteluista sekä yhteisestä pohdinnasta potilaan osallisuuden teemojen äärellä.

Olen valtavan kiitollinen ohjaajilleni dosentti Tuuli Lahdelle ja professori Marja Airaksiselle innostavasta, kannustavasta ja asiantuntevasta ohjauksesta jatko-opintojeni ajan. Olen saanut teiltä molemmilta arvokasta palautetta, rohkaisua, korjausehdotuksia ja näkökulmia työn eri vaiheissa. Ilman teidän ohjaustanne väitöskirjan tekeminen ei olisi onnistunut ja kiitän teitä molempia sydämeni pohjasta.

Työni esitarkastajina ovat olleet työelämäprofessori, dosentti Juha Laine ja johtava tutkija, dosentti Anna-Maria Isola. Kiitän esitarkastajia hyvistä ja selkeistä kommentteista ja parannusehdotuksista, joiden ansiosta väitöskirjan yhteenvedosta tuli aiempaa parempi. Esitarkastajien kommentteista sain myös inspiraatioita ja näkökulmia tulevaisuuden tutkimusaiheisiin. Kiitän professori Jari Kylmää lupautumisesta vastaväittäjäksi. Hänen kirjoittamistaan laadullisen tutkimuksen menetelmäoppaista sekä artikkeleista opin jatkuvasti lisää tutkimuksen teon eri vaiheissa.

Kiitän lämpimästi professori Katri Hämeen-Anttilaa ja Potilaan osallisuus rationaalisen lääkehoidon tutkimuksessa -ryhmää hyvästä ja innostavasta yhteistyöstä osallisuuden parissa sekä lakimies Kaisa-Maria Kimmeliä antoisista keskusteluista ja aidon kiinnostuksen jakamisesta osallisuuden sekä priorisoinnin teemoista.

Tämä työ ei olisi ollut mahdollinen ilman haastateltaviani, joita kiitän haastatteluun osallistumisesta sekä arvokkaista näkemyksistä ja ajatuksista osallisuutta, lausuntojen valmistelua ja niiden merkitystä koskien. Olen kiitollinen artikkelieni käsikirjoituksia kommentoineille vertaisarvioijille ja julkaisujen toimittajille, joiden antamat korjausehdotukset ovat parantaneet tekstejä huomattavasti.

Väitöskirjatyöni on kirjoitettu päivätöiden ohessa. Jatko-opintovuosiin on mahtunut eri työyhteisöjä ja -tehtäviä, jotka kaikki ovat tavalla tai toisella lisänneet ymmärrystäni väitöskirjani aihepiiristä, potilasjärjestöjen osallisuus-

desta ja/tai lääkkeiden arvioinnista sekä käyttöönotosta. Isot kiitokset SSP:n lisäksi kaikille Cancer IO -hankkeessa mukana olleille sekä Klefström labin työkavereille, SOSTEn työkavereille ja jäsenjärjestöille sekä FICANin tiimille. SOSTelle kiitos joustavista työjärjestelyistä ja mahdollisuudesta osittaiseen opintovapaaseen.

Lämmin kiitos vanhemmilleni, jotka ovat olleet aina tukena ja antaneet hienon esimerkin elinikäisestä oppimisesta. Kiitos sisaruksille ja muulle perheelle, läheisille ja ystäville, joiden kanssa olen saanut viettää merkityksellistä aikaa aivan muiden asioiden kuin väitöskirjan parissa. Suurimmat kiitokset puolisololleni Fukille ja lapselleni Venlalle, jotka ovat tukena ja piristyksenä arjessa, ja auttavat asettamaan asioita oikeisiin mittasuhteisiin.

## **LISTA KÄYTETYISTÄ LYHENTEISTÄ**

ATC-luokitus	Lääkkeiden ryhmittely anatomis-terapeuttis-kemiallinen (Anatomical Therapeutic Chemical, ATC) luokitus-järjestelmän mukaisesti (WHO Collaborating Centre for Drug Statistics Methodology, ATC classification index with DDDs, 2024)
ATMP	Advanced Therapy Medicinal Product, pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävät lääkkeet (EU-asetus 1394/2007/EY)
CADTH	Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health
EMA	European Medicines Agency, Euroopan lääkevirasto
Fimea	Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus
FinCCHTA	Finnish Coordinating Center for Health Technology Assessment, Kansallinen HTA-koordinaatioyksikkö
Hila	Lääkkeiden hintalautakunta
HTA	Health Technology Assessment, terveydenhuollon menetelmien arviointi
Kela	Kansaneläkelaitos
NICE	National Institute for Health and Care Excellence (Englanti ja Wales)
Palko	Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto
QALY	Quality Adjusted Life Year
SMC	Scottish Medicines Consortium
STM	Sosiaali- ja terveysministeriö
TLV	Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (vastaa Suomen Hilaa Ruotsissa)
WHO	World Health Organization

## ALKUPERÄISJULKAISUT (I-IV)

Tämä väitöskirja perustuu seuraaviin vertaisarvioituihin alkuperäisjulkaisuihin:

- I Tran Minh M, Airaksinen M, Saastamoinen L, Lahti T: Potilasjärjestöjen lääkkeitä antamat lausunnot Lääkkeiden hintalautakunnalle ja Terveystenhuollon palveluvalikoimaneuvostolle vuosina 2017–2021. Dosis 39: 196–216, 2023. Open access.
- II Tran Minh M, Airaksinen M, Lahti T: Potilasjärjestöjen lausunnot Lääkkeiden hintalautakunnalle ja Terveystenhuollon palveluvalikoimaneuvostolle: järjestöjen ja viranomaisten kokemuksia. Sosiaalilääketieteellinen aikakauslehti 4/2024 (painossa).
- III Tran Minh M, Airaksinen M, Lahti T: Experiences of patient organizations' involvement in medicine appraisal and reimbursement processes in Finland – a qualitative study. *International Journal of Technology Assessment in Healthcare* 2024 Jul 2;40(1):e26. doi: 10.1017/S0266462324000229. Open access.
- IV Tran Minh M, Tamminen M, Tamminen-Sirkiä J, Majumder MM, Tabassum R, Lahti T: Quantitative online survey of self-perceived knowledge and knowledge gaps of medicines research and development among Finnish general public. *BMJ Open* 12(5):e053693, 2022. doi: 10.1136/bmjopen-2021-053693. Open access.

Julkaisuihin viitataan tekstissä niiden roomalaisen järjestysnumeron mukaan.

Väitöskirjan yhteenveto sisältää osatöissä julkaisemattomia tuloksia. Artikkeleiden uudelleen julkaisuun on julkaisusarjojen kustantajan lupa.

# SISÄLLYSLUETTELO

<b>Tiivistelmä</b> .....	3
<b>Abstract</b> .....	5
<b>Kiitokset</b> .....	7
<b>Lista käytetyistä lyhenteistä</b> .....	9
<b>Alkuperäisjulkaisut (I-IV)</b> .....	10
<b>1 Johdanto</b> .....	14
<b>2 Vaiheet myyntiluvasta uuden lääkkeen käyttöönottoon</b> .....	18
2.1 Lääkkeiden myyntilupa .....	18
2.2 Nopeutetut myyntiluvat.....	19
2.3 Terveydenhuollon menetelmien arviointi (HTA) .....	20
2.4 Terveydenhuollon menetelmien arvioinnin vaiheet .....	21
2.5 Eurooppalainen HTA-yhteistyö .....	23
2.6 Lääkkeiden arviointi ja käyttöönotto Suomessa .....	24
2.6.1 Avohoidon lääkkeiden arviointi ja korvattavuus.....	24
2.6.2 Sairaalalääkkeiden arviointi ja suositukset .....	26
2.6.3 Arviointijärjestelmän haasteet ja lähitulevaisuuden muutokset .....	28
<b>3 Osallisuus terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa ja lääkkeiden käyttöönotossa</b> .....	30
3.1 Mitä osallisuus on?.....	30
3.1.1 Sosiaalinen ja poliittinen osallisuus .....	30
3.1.2 Osallistuminen, osallistaminen ja osallisuus .....	31
3.2 Potilaiden osallisuus suomalaisessa terveydenhuollossa .....	34
3.3 Potilas, asiakas vai potilasjärjestön edustaja?.....	35
3.4 Osallisuus terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa.....	38
3.5 Potilasjärjestöjen osallistumismahdollisuudet Hilan ja Palkon toiminnassa .....	40
3.6 Potilasjärjestöjen osallistumisen mahdollisuuksia tutkimuskirjallisuuden perusteella.....	42
3.6.1 Perusteluja potilaiden ja potilasjärjestöjen osallistumiselle .....	42
3.6.2 Kokemuksia Englannista, Skotlannista, Kanadasta ja Ruotsista .....	43
3.7 Kansainvälisesti tunnistettuja haasteita osallisuuden toteutumisessa .....	47

<b>4 Tutkimuksen tavoitteet</b> .....	49
<b>5 Aineisto ja menetelmät</b> .....	50
5.1 Viranomaisdokumentteihin perustuva analyysi (osatyö I) .....	51
5.2 Haastattelututkimus (osatyöt II ja III) .....	53
5.2.1 Haastattelurunko .....	54
5.2.2 Aineiston analysointi .....	55
5.3 Kyselytutkimus (osatyö IV) .....	55
<b>6 Tulokset</b> .....	58
6.1 Potilasjärjestölausuntojen määrä (osatyö I) .....	58
6.1.1 Potilasjärjestöjen lausunnot Hilalle .....	58
6.1.2 Potilasjärjestöjen lausunnot Palkolle .....	60
6.2 Potilasjärjestöjen ja viranomaisten kokemuksia (osatyöt II ja III) .....	62
6.2.1 Osallistujat .....	62
6.2.2 Potilasjärjestöjen ja viranomaisten kokemuksia lausuntoprosessien kehittämisestä (osatyö II) .....	63
6.2.3 Lausuntojen käsittely Hilassa ja Palkossa .....	64
6.2.4 Lausuntojen valmistelu järjestöissä (osatyö II) .....	65
6.2.5 Potilasjärjestöjen kokemat haasteet lausuntojen valmistelussa (osatyö II) .....	66
6.2.6 Haasteet viranomaisten näkökulmasta (osatyö II) .....	68
6.3 Tiedon saanti ja tiedon tarpeet (osatyöt II ja IV) .....	69
6.3.1 Potilasjärjestöjen tiedon saanti arvioitavana olevista lääkehoidoista sekä Hilan ja Palkon toiminnasta (haastattelututkimus, osatyö II).....	69
6.3.2 Kansalaisten tiedon saanti (kyselytutkimus, osatyö IV) .....	70
6.4 Potilasjärjestöjen edustajien ja viranomaisten kokemuksia osallisuuden toteutumisesta ja lausuntojen merkityksestä (osatyö III).....	72
6.4.1 Potilasjärjestöjen edustajien kokemukset osallisuuden toteutumisesta .....	72
6.4.2 Lausuntojen rooli ja merkitys viranomaisten päätöksenteossa.....	73
6.5 Kehittämisehdotuksia.....	75

<b>7 Pohdinta</b> .....	77
7.1 Päälöydökset.....	77
7.2 Lausuntojen määrä ja haasteet niiden valmistelussa .....	78
7.3 Viranomaisten kokemat haasteet ja lausuntojen merkitys päätöksenteossa .....	81
7.4 Osallisuuden toteutuminen .....	83
7.4.1 Osallisuuden toteutuminen Arnsteinin asteikolla tarkasteltuna .....	83
7.4.2 Tavoitteiden merkitys osallisuuden toteutumisessa .....	86
7.5 Potilasjärjestölausuntojen merkitys .....	87
7.6 Hilan ja Palkon toiminta HTAi-järjestön laatustandardien valossa....	88
7.7 Arviointitoiminnan tulevaisuus ja mahdollisuudet osallisuuden kehittämiseksi .....	90
7.8 Tutkimuksen luotettavuuden tarkastelu.....	90
7.9 Tutkimuksen eettisyyden tarkastelu.....	93
7.10 Tutkimuksen vahvuudet ja heikkoudet.....	95
<b>8 Johtopäätökset</b> .....	97
8.1 Johtopäätökset .....	97
8.2 Suosituksia ja jatkotutkimusaiheita.....	98
<b>Lähteet</b> .....	101
<b>Liitteet</b> .....	122
Liite 1. Kooste Hilan vastauksista tietopyyntöihin (osatyö I).....	122
Liite 2. Kooste Palkon vastauksista tietopyyntöihin (osatyö I) .....	126
Liite 3. Tiedote tutkimuksesta.....	129
Liite 4. Teemahaastattelun runko potilasjärjestöille (osatyöt II ja III).....	131
Liite 5. Teemahaastattelun runko viranomaisille (osatyöt II ja III).....	133
Liite 6. Kysely kansalaisten lääkekehitykseen liittyvistä tiedontarpeista (osatyö IV).....	134
<b>Alkuperäisjulkaisut I-IV</b> .....	141

# 1 JOHDANTO

Miten lääkkeen käyttäjien ja heitä edustavien järjestöjen osallisuus toteutuu lääkehoitojen arvioinnissa ja korvattavuuteen liittyvässä päätöksenteossa? Tämä väitöskirjatutkimus sai alkunsa kysymyksestä, jota pohdin työskennellessäni potilasjärjestössä ja seurattessani lääkealan nopeaa kehitystä. Uudet lääkkeet saavat myyntiluvan yhä useammin rajallisella tieteellisellä näytöllä, ja hoitojen käyttöönotossa on Euroopan sisällä maakohtaisia eroja (Wiling ym., 2019; Mardetko ym., 2021; Mills & Kanavos, 2022; Wilsdon ym., 2023). Euroopassa myyntiluvat bioteknologisesti valmistetuille lääkkeille sekä uusille lääkkeille, jotka ovat tarkoitettu immuunikatoviruksen (HIV/AIDS), syövän, diabeteksen, hermoston rappeumasairauksien, autoimmuunisairauksien ja muiden immuunijärjestelmän toimintahäiriöiden, virussairauksien sekä harvinaissairauksien hoitoon myönnetään keskitetysti EU:n laajuisesti, mutta jäsenvaltioiden arviointi- ja käyttöönottoprosesseissa on suurta vaihtelua (Asetus (EY) N:o 726/2004; Allen ym., 2017a, 2017b). Uudet hoidot ovat yhä kalliimpia, hoidon tarve ja kysyntä kasvavat väestön ikääntymisen, diagnostiikan kehittymisen ja hoitojen yksilöllistymisen johdosta, ja terveydenhuollon resurssit ovat rajallisia (Leighl ym., 2021; Rome ym., 2022; Kansaneläkelaitos, 2024a). Näiden tekijöiden vuoksi uusien hoitojen käyttöönottoa ja käytön laajuutta joudutaan arvioimaan ja usein myös rajaamaan. Terveydenhuollon menetelmien arviointi (health technology assessment, HTA) tuottaa tietoa tämän päätöksenteon tueksi (Velasco ym., 2008, s. 6-17; O'Rourke, 2020).

Potilaat ja potilasjärjestöt on tunnustettu tärkeäksi sidosryhmäksi, jonka näkökulmat tulee huomioida myyntilupaa, lääkkeiden arviointia ja korvattavuutta koskeissa menettelyissä ja päätöksenteossa (HTAi, 2014; European Medicines Agency, 2022; EUnetHTA, 2023a). Esimerkiksi Euroopan lääkeviraston EMAn toiminnassa potilasjärjestöillä ja potilasedustajilla on merkittävä rooli: potilasjärjestöjen edustajilla on kaksi paikkaa EMA:n hallintoneuvostossa, potilasedustajat osallistuvat asiantuntijoina tieteellisiin neuvoo-antaviin ryhmiin ja yksittäisiä potilaita voidaan kutsua kuultavaksi lääkevalmistekomitean (CHMP) kokouksiin lääkkeen myyntilupakäsittelyn yhteydessä (European Medicines Agency, 2023). Suomalaisten potilaiden on mahdollista osallistua EMA:n järjestämiin kuulemisiin EMA:n yhteistyökumppaneiksi hyväksymien eurooppalaisten kattojärjestöjen kautta (eligible patients and consumers organisations) (European Medicines Agency, 2022, 2024). Suomessa potilaat ja potilasjärjestöt voivat antaa lausuntoja lääkkeiden hintalautakunnalle (Hila) ja terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvostolle (Palko) kun viranomaiset arvioivat lääkehoidon sisällyttämistä korvausjär-

jestelmään tai terveydenhuollon palveluvalikoimaan. Suomalaisten potilaiden tai potilasjärjestöjen osallisuuden toteutumista kansallisessa korvattavuuteen ja terveydenhuollon palveluvalikoimaan liittyvässä päätöksenteossa ei kuitenkaan ole aiemmin tutkittu.

Tutkimustietoa asiasta tarvitaan, sillä kustannusten kasvaessa ja terveydenhuollon resurssien ollessa rajalliset, hoitovalikoimaa joudutaan väistämättä rajaamaan. Mikäli hoitovalikoimaa rajaavilla päätöksillä ei ole potilaiden tai terveydenhuollon ammattilaisten hyväksyntää, riskinä on epäluottamus maksajien, palveluntuottajien ja potilaiden välillä (Saarni, 2023). Potilaiden osallisuus voi auttaa lisäämään luottamusta suosituksiin sekä vahvistaa hoitoon sitoutumista (Graffigna & Barello 2018; Sipilä ym., 2022). Avohuollon reseptilääkkeiden ja sairaalalääkkeiden kustannukset ovat Kansaneläkelaitoksen (Kela) ja Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskuksen (Fimea) mukaan kasvaneet viime vuosina merkittävästi (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea ja Kansaneläkelaitos, 2022, 2024). Kustannukset kasvavat toki myös muualla terveydenhuollossa (Terveyden ja hyvinvoinnin laitos, 2023a). Vuonna 2022 lääkkeiden kokonaisymyynti Suomessa oli 3 756 miljoonaa euroa, josta avohoidon reseptilääkkeiden myynti oli 2 493 miljoonaa euroa ja sairaalaja laitosmyynti tukkuohjehinnoin 865 miljoonaa euroa (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea ja Kansaneläkelaitos, 2024). Kokonaisymyynti kasvoi 3,8 %. Avohoidon lääkkeistä maksettiin Kela-korvauksia yhteensä 1 772 miljoonaa euroa. Korvaussumma kasvoi edelliseen vuoteen nähden 3,6 %. Kasvutahti on ollut sama jo useita vuosia. Korvauksia saa vuosittain noin 3 miljoonaa suomalaista. (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea ja Kansaneläkelaitos, 2022, 2024.)

Avohoidon lääkkeiden korvattavuudesta päättää Hila, joka saa vuosittain myyntiluvan haltijoilta eli lääkeyrityksiltä noin 900 hinta- tai korvattavuushakemusta (Lääkkeiden hintalautakunta 2024b). Uudet, merkittävät sairaalalääkkeet arvioidaan pääasiassa Fimeassa, jonka jälkeen Palko tekee suosituksen siitä, kuuluuko hoito suomalaiseen palveluvalikoimaan (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus, 2018; Ekholm, 2022). Hilan ja Palkon päätöksillä ja suosituksilla on suoria vaikutuksia potilaiden hoitoon Suomessa.

Osallisuuden ja demokratian periaatteiden mukaan kansalaisilla on oikeus osallistua heitä koskevaan päätöksentekoon (YK:n kansalaisoikeuksia ja poliittisia oikeuksia koskeva yleissopimus 8/1976; Suomen perustuslaki 11.6.199/731; Quick & Bryson, 2016). Osallisuuden vahvistamista voidaan perustella myös päätöksenteon prosessien ja laadun parantumisena, mikä terveydenhuollossa voi näyttäytyä esimerkiksi potilas- ja asiakaskeskeisempinä palveluina (Hakari, 2013, s. 59-60; Quick & Bryson, 2016; Nolte ym., 2020; Marzban ym., 2022).

Tutkimusnäyttö ja taloudellinen arviointi muodostavat pohjan Hilan ja Palkon arvioinnille ja päätöksenteolle (Asetus 360/2011; Laine, 2021; Laine ym., 2020; Lääkkeiden hintalautakunta, 2023a). Lääkehoitojen kohdalla taloudellinen arviointi tarkoittaa käytännössä kustannusvaikuttavuusanalyysiä, jossa tarkastellaan arvioitavan lääkehoidon kustannuksia ja vaikutuksia ja verrataan niitä yhteen tai useampaan vaihtoehtoiseen hoitoon (Kiviniemi & Rannanheimo, 2020; Laine ym., 2020). Tutkimusnäyttö ja kustannusvaikuttavuus eivät kuitenkaan ole ainoita päätöksentekoon vaikuttava tekijöitä, vaan arvioinnissa ja päätöksenteossa on huomioitava myös oikeudenmukaisuus, yhdenvertaisuus ja päätösten laajemmat yhteiskunnalliset vaikutukset (Saarni, 2023).

Suomessa potilaiden osallisuutta (engl. patient involvement, patient engagement) terveydenhuollossa on viime vuosina tutkittu asiakasraatien ja Käypä hoito -suositusten yhteydessä (Jones & Pietilä, 2019, 2020; Sipilä ym., 2022). Näissä tutkimuksissa on tunnistettu useita osallisuuden hyötyjä: osallisuuden avulla voidaan kuvata sairauden vaikutuksia arkeen, varmistaa potilaille merkityksellisten aiheiden käsittely suosituksessa sekä edistää suositusten ymmärrettävyyttä ja potilaiden luottamusta ja sitoutumista suosituksiin ja hoitoon. Osallisuuden edellytyksiksi tunnistettiin edustuksellisuus, avoin ja osallistava prosessi, ymmärryksen ja tiedon tuki ja prosessin legitimizeetti. (Sipilä ym., 2022.)

Samoja hyötyjä ja osallisuuden edellytyksiä on havaittu lääkkeiden arviointitoimintaan terveydenhuollon priorisointiin liittyvissä kansainvälisissä tutkimuksissa (Whitty, 2013; Abelson ym., 2016; European Patients Forum, 2013; Livingstone ym., 2021). Hyödyistä huolimatta osallisuuden toteutumisessa on raportoitu haasteita ja esteitä, jotka liittyvät osallisuuden toteuttamis- ja järjestämistapoihin sekä potilasjärjestöjen ja viranomaistahojen resursseihin (European Patients Forum, 2013; Scott & Wale, 2017; O’rourke ym., 2020; Dimitrova ym., 2022).

Oman väitöskirjatutkimukseni keskiössä on potilasjärjestöjen osallisuus ja sen toteutuminen Hilan ja Palkon lausuntoprosesseissa. Tutkimukseni keskittyy potilasjärjestöjen kollektiiviseen, edustukselliseen osallisuuteen potilasjärjestöjen edustajien kokemusten ja tulkintojen kautta. Laadullisia ja määrällisiä menetelmiä yhdistelevä väitöskirjani sijoittuu terveystieteiden ja sosiaalifarmasian tutkimuskenttään. Väitöskirjani koostuu neljästä vertaisarvioidusta artikkelista ja yhteenvedo-osasta. Yhteenvedo-osan kirjallisuuskatsauksessa luvussa 2 kuvaan lääkkeiden arviointitoimintaa myyntiluvasta terveydenhuollon menetelmien arviointiin ja siihen, miten Suomessa päätetään lääkkeen kuulumisesta korvausjärjestelmään (avohoidon lääkkeet) tai annetaan suositus palveluvalikoimaan kuulumisesta (sairaalaläkkeet). Luvussa 3 käsitelen potilaiden ja potilasjärjestöjen osallisuutta terveydenhuollossa,

terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa ja siihen pohjautuvassa päätöksenteossa aikaisemman tutkimuksen perusteella. Määrittelen osallistumiseen ja osallisuuteen liittyviä käsitteitä ja malleja erityisesti Sherry Arnsteinin osallistumisen portaiden ja terveydenhuollon menetelmien arvioinnin kansainvälisen Health Technology Assessment International (HTAi) -järjestön suositusten näkökulmasta (Arnstein, 1969; HTAi, 2014). Kuvaan lisäksi kansainvälisiä esimerkkejä potilaiden ja potilasjärjestöjen osallistumisen mahdollisuuksista ja haasteista, joita liittyy osallisuuteen ja sen toteutumiseen tutkimusten perusteella.

Tutkimusosan luvuissa 4 ja 5 kuvaan tutkimuksen tavoitteet, tutkimuskysymykset, aineistot ja menetelmät. Luvussa 6 esittelen osatöideni keskeisimmät tulokset, ja pohdinnassa (luku 7) käsittelen tuloksia ja niiden merkitystä aikaisempaan kirjallisuuteen suhteutettuna sekä arvioin tutkimukseni heikkouksia ja vahvuuksia. Yhteenvedon viimeisessä osassa (luku 8) esittelen tutkimuksen johtopäätökset, suositukset ja jatkotutkimusaiheet.

Tämä väitöskirjatutkimus sai alkunsa käytännön työssä havaituista tiedon tarpeista. Tutkimuksen tavoitteena on tuottaa tietoa, joka hyödyttää sekä potilasjärjestöjä, järjestöjen työntekijöitä, luottamushenkilöitä että viranomaisia, ja pidemmällä tähtäimellä myös sairastuneita ja heidän läheisiään. Tutkimuksen avulla potilasjärjestöt voivat kehittää omaa toimintaansa ja kohdentaa lausuntoja niihin hoitoihin, joissa potilasjärjestölausuntojen merkitys on suurin, ja viranomaiset voivat kehittää omia toimintamallejaan potilaslähtöisemmäksi sekä aitoa osallisuutta paremmin tukeviksi.

## 2 VAIHEET MYYNTILUVASTA UUDEN LÄÄKKEEN KÄYTTÖÖNOTTOON

### 2.1 Lääkkeiden myyntilupa

Ennen lääkkeiden hintalautakunnan (Hila) ja terveydenhuollon palveluvalikoimanuevoston (Palko) arviointia sekä päätöstä lääkkeen korvattavuudesta tai suositusta palveluvalikoimaan kuulumisesta, uusi lääke on käynyt läpi monta tutkimus- ja arviointivaihetta. Lääke voidaan tuoda markkinoille vasta, kun lääkeyritys on hakenut ja saanut sille myyntiluvan (Läkelaki 395/1987, European Medicines Agency, 2016a). Myyntilupaa on perinteisesti haettu laajojen faasin III satunnaistettujen kontrolloitujen tutkimusten jälkeen, kun lääkevalmisteen tehoa ja turvallisuutta on tutkittu tuhansia ihmisiä käsittävissä kliinisissä tutkimuksissa (European Medicines Agency, 1998). Euroopassa lääkkeiden myyntilupajärjestelmä on harmonisoitu ja se pohjautuu EU-lainsäädäntöön. Myyntilupajärjestelmän tarkoituksena on varmistaa, että myynnissä olevat lääkkeet ovat turvallisia, tehokkaita ja laadukkaita, ja että lääkkeen hyödyt ovat suurempia kuin sen haitat (European Medicines Agency, 2023). Myyntiluvan edellytyksenä on, että valmiste on todettu lääkkeenä tarkoituksenmukaiseksi, se täyttää valmistusta ja laatua koskevat vaatimukset sekä sen koostumus ja muut tiedot ovat asianmukaisesti ilmoitettu (Läkelaki 395/1987).

Euroopassa lääkkeiden myyntilupa voidaan myöntää keskitetyssä, hajautetussa, kansallisessa tai tunnustamismenettelyssä (Euroopan komissio, 2019). EU-lainsäädännön mukaan keskitetty menettely on pakollinen esimerkiksi bioteknologisesti valmistetuille lääkkeille sekä uusille vaikuttaville aineille, jotka ovat tarkoitettu harvinaissairauksien, syövän, diabeteksen, hermoston rappeumasairauksien, autoimmuunisairauksien ja virustautien hoitoon. Myös pitkälle kehitetyissä terapioissa (engl. advanced therapy medicinal products, ATMP) käytettävät lääkkeet, kuten geeniterapiat, somaattiset soluhoidot tai kudoslääkkeet kuuluvat keskitetyn menettelyn piiriin. (Asetus (EY) N:o 726/2004; European Medicines Agency, 2023). Keskitetyssä menettelyssä lääkeyritys toimittaa myyntilupahakemuksen Euroopan lääkevirastoon EMA:an, joka koordinoi hakemuksen käsittelyä. EMAn lääkevalmistekomitean tieteellisen arvion ja myönteisen suosituksen jälkeen Euroopan unionin komissio myöntää lääkkeelle myyntiluvan. (European Medicines Agency, 2023). Suurin osa tässä tutkimuksessa käsitellyistä lääkevalmisteista on tarkoitettu syövän, autoimmuunisairauksien, diabeteksen tai harvinaissairauksien hoitoon (liite 1 ja 2). Ne sisältyvät siten keskitetyn menettelyn kautta myyntiluvan saaneisiin

lääkkeisiin, mikä tarkoittaa myyntilupaa kaikissa EU- ja ETA-maissa. Lääkkeiden hinnoista, korvauksista ja käyttöönotosta päätetään kuitenkin aina kansallisella tasolla (European Medicines Agency, 2023).

## 2.2 Nopeutetut myyntiluvat

EMA on 2000-luvulla ottanut käyttöön mekanismeja, joiden avulla myyntilupaprosesseja on mahdollista nopeuttaa (Asetus (EY) N:o 726/2004, Asetus (EY) N:o 507/2006). Tavoitteena on ollut saada uusia, erityisesti harvinaisten sairauksien hoitoon käytettäviä lääkkeitä nopeammin potilaiden saataville. Osa uusista lääkkeistä tulee siten arvioitavaksi aiempaa varhaisemmassa vaiheessa. (Pelkonen ym., 2017; Kurko ym., 2022; Ollila ym., 2022; Mills ym., 2023). Esimerkiksi niin sanotun nopeutetun arvioinnin (Accelerated assessment) perusteella arviointiaikaa voidaan lyhentää 210 päivästä 150 päivään, mikäli lääkkeellä katsotaan olevan huomattava merkitys kansanterveydelle, tai jos lääke on tarkoitettu sellaisen sairauden hoitoon, johon ei ole saatavilla muita hoitovaihtoehtoja. (Asetus (EY) N:o 726/2004; European Medicines Agency, 2020.)

EMA voi myös suositella myyntiluvan myöntämistä tavanomaista vähäisemmän näytön perusteella (ehdollinen myyntilupa, conditional marketing authorisation) sellaisen hengenvaarallisen tai harvinaisen sairauden hoitoon, johon ei ole olemassa tyydyttävää hoitoa. Ehtona tällaisen myyntiluvan myöntämiselle on se, että myyntiluvan haltija toimittaa lisätietoja lääkkeestä vielä myöhemmässä vaiheessa (Asetus (EY) N:o 507/2006; European Medicines Agency, 2020, 2023; Garsen ym., 2021).

Mikäli lääke on tarkoitettu sellaisen sairauden hoitoon, jota sairastaa enintään viisi 10 000:sta EU:n kansalaisesta ja sairaus on hengenvaarallinen tai kroonisesti invalidisoiva eikä siihen ole saatavilla hyvää hoitoa, yrityksen on mahdollista hakea harvinaislääkestatusta (orphan designation). Harvinaislääkkeiden kehittäjille EMA tarjoaa tieteellistä ja hallinnollista neuvontaa sekä helpotuksia myyntilupa- ja muihin lääkevalvonnan maksuihin. (Asetus (EY) N:o 141/2000; Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea, 2023b).

PRIME (PRiority MEDicines), uusin EMAn myyntiluvan nopeuttamista edistävistä järjestelyistä otettiin käyttöön vuonna 2016 (Asetus (EY) N:o 726/2004; European Medicines Agency, 2016b). PRIMEn tavoitteena on tukea uusien lääkkeiden päätymistä potilaiden käyttöön sellaisten sairauksien hoidossa, joihin ei ole aiemmin ollut saatavilla lääkettä tai tilanteissa, joissa uusi lääke on selkeästi aiempaa parempi. PRIME-järjestelyyn valitut lääkkeiden kehittäjät saavat EMAlta tukea ja tieteellistä neuvontaa sekä apua tutkimussuunnitelman valmisteluun. (DRA Consulting, 2017; Garsen ym., 2021).

Yksi lääke voi kuulua useampaan edellä mainittuun kategoriaan, jolloin esimerkiksi PRIME- ja/tai harvinaislääkestatuksen saanut valmiste voi saada myyntiluvan nopeutetun menettelyn tai ehdollisen korvattavuuden kautta (Kurko ym., 2022; European Medicines Agency, 2023b). Esimerkiksi vuosien 2010–2021 välillä myyntiluvan saaneista syöpälääkkeistä (n=66) 32:lla oli harvinaislääkestatus, 16 valmisteen myyntilupa oli ehdollinen, ja 10 lääkettä kuului molempiin kategorioihin (Kurko ym., 2022).

## 2.3 Terveydenhuollon menetelmien arviointi (HTA)

Uudet innovatiiviset lääkkeet saavat myyntiluvan keskitetysti Euroopan unionin ja ETA-alueen laajuisesti, mutta lääkkeiden hinnoista, korvauksista ja käytön otosta päätetään kansallisella tasolla (European Medicines Agency, 2023). Terveydenhuoltojärjestelmien rakenteet ja rahoitus vaihtelevat eri EU-maissa, ja siten myös niiden mahdollisuudet ottaa käyttöön uusia hoitoja. Hoitojen käyttöönotossa tutkimusnäytöllä on suuri merkitys. Sen lisäksi on pohdittava, kannattaako yhteiskunnan resursseja käyttää tähän hoitoon, ja mikä on sen suhteellinen hyöty potilaalle ja yhteiskunnalle (Kiviniemi & Rannanheimo, 2020; Laine, 2014, 2021).

Myyntiluvan myöntämisen jälkeen uuden lääkehoidon hyötyjä, haittoja, kustannuksia ja kustannusvaikuttavuutta muihin hoitovaihtoehtoihin verrattuna arvioidaan terveydenhuollon menetelmien arvioinnin (health technology assessment, HTA) avulla (Pelkonen ym., 2017; O'Rourke ym., 2020). Yleisesti tunnustetun määritelmän mukaan HTA on monitieteinen prosessi, jossa käytetään parhaita saatavilla olevia tietoja ja menetelmiä terveysteknologian arvon määrittämiseksi sen elinkaaren eri vaiheissa (Suomalainen lääkärisseura Duodecim, 2017; O'Rourke ym., 2020). Tarkoituksena on tuottaa tietoa päätöksentekoa varten ja edistää oikeudenmukaista, tehokasta ja korkealaatuista terveydenhuoltojärjestelmää (O'Rourke ym., 2020). Arviointia koskevien periaatteiden mukaan terveydenhuollon menetelmien arvioinnin tulisi olla systemaattista ja läpinäkyvää ja pohjautua tutkittuun tietoon (O'Rourke ym., 2020; World Health Organisation, 2024).

Uuden hoitomenetelmän soveltaminen käytäntöön ei siis riipu ainoastaan sen kliinisestä hyödystä ja taloudellisista näkökulmista, vaan siihen vaikuttavat aina myös monet muut tekijät, kuten sosiaalinen konteksti ja ympäröivä yhteiskunta (Clausen & Yoshinaka, 2004; Palmhøj Nielsen ym., 2008, s. 24; Saarni, 2010). Terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa tulisi tarkastella terveysvaikutusten ja hoidon kustannusten ohella eettisiä, sosiaalisia, kulttuurisia ja oikeudellisia kysymyksiä, samoin kuin menetelmän vaikutuksia potilaisiin, heidän läheisiinsä, hoitohenkilökuntaan ja yhteiskuntaan. Kokonaisarvio voi

vaihdella riippuen päätöksentekotilanteesta ja siitä, keiden näkökulmista vaikutuksia arvioidaan ja ketkä osallistuvat arviointiin tai tuottavat siihen tietoa. (Pelkonen ym., 2017; Suomalainen Lääkäriseura Duodecim, 2017; O'Rourke ym., 2020). Kustannusvaikuttavuuteen liittyvä harkinta on Suomessa keskeinen osa-alue terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa ja osin myös päätöksenteossa (Laine ym., 2020; Laine, 2021). Kiviniemen ja Rannanheimon (2020) mukaan kustannusvaikuttavuuden painoarvoa on kuitenkin vaikea arvioida tarkasti, sillä Hilan päätösten perustelut eivät ole julkisia, ja sairaalalääkkeiden osalta kustannusvaikuttavuustiedon hyödyntäminen on ollut hajanaista.

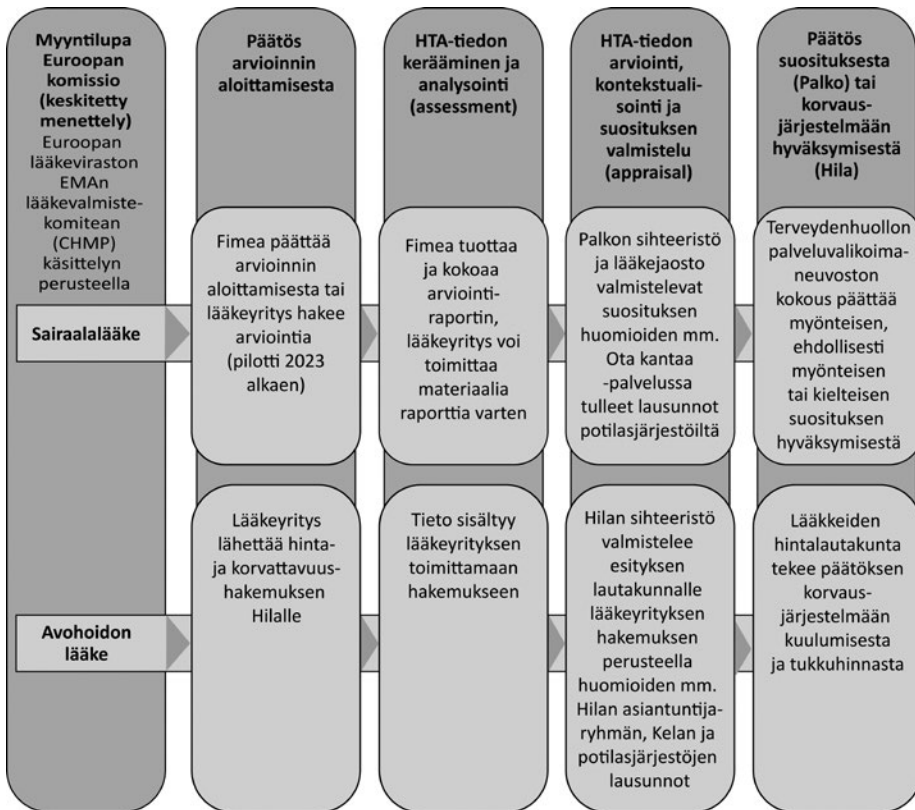
Kustannusvaikuttavuusanalyseissä terveyshyötyä mitataan yleisesti laatu-painotettujen elinvuosien avulla (Quality-Adjusted Life-Year, QALY)(Kiviniemi & Rannanheimo, 2020; Laine ym., 2020). Tätä hyödynnetään myös Hilan ja Palkon arvioinneissa (Asetus 360/2011; Lääkkeiden hintalautakunta, 2023, Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, 2023a, 2023b). Laatu-painotetut elinvuodet lasketaan arvioimalla potilaan elinvuodet tietyn hoidon aloituksen jälkeen ja painottamalla jokainen vuosi elämänlaatupisteillä (Kiviniemi & Rannanheimo, 2020). Laatu-painotettujen elinvuosien laskennassa käytetään pääasiassa yleisiä elämänlaatumittareita. Yleisten elämänlaatumittareiden avulla voidaan vertailla erilaisia menetelmiä ja potilasryhmiä, mutta haasteena on, että ne eivät pysty mittaamaan tai kuvaamaan riittävällä tarkkuudella eri sairaus- ja potilasryhmien tai hoitojen erityispiirteitä tai vaikutusta elämänlaatuun (Patrick & Deyo, 1989; Carr & Higginson, 2001).

## 2.4 Terveydenhuollon menetelmien arvioinnin vaiheet

Terveydenhuollon menetelmien arviointi voidaan jakaa useampaan osaan, ja yksi käytetyistä jaoista on jako tieteellisen ja kustannusvaikuttavuutta koskevan tiedon keräämiseen ja analysointiin (assessment), tiedon kontekstuaalisointiin, arviointiin ja käyttöönottoa koskeviin suosituksiin (appraisal) sekä näiden perusteella tehtävään päätöksentekoon (Walley, 2007; Kristensen ym., 2008; Sandman & Heintz, 2014; Allen ym., 2017; Saarni, 2023). Allen ym. (2017) tunnistivat 28 eri tapaa, jolla tiedon kerääminen, arviointi ja päätöksentekoprosessit voidaan järjestää riippuen siitä, kuka HTA-tiedon tuottaa ja kerää, kuka arvioi suhteellisen hyödyn, ja kuka tekee käyttöönottoa koskevat suositukset ja päätökset.

Suomessa HTA-arviointien toteutus lääkkeiden osalta riippuu toistaiseksi siitä, mitä kautta valmiste tulee potilaiden käyttöön. Avohoidon lääkkeet ja sairaalalääkkeet arvioidaan eri mekanismeilla ja niitä ohjaa erilainen lainsäädäntö (Sairausvakuutuslaki 21.12.2004/1224; Terveydenhuoltolaki 30.12.2010/1326). Avohoidon lääkkeellä tarkoitetaan lääkevalmistetta, jonka

potilas hankkii avohuollon apteekista, ja joka voidaan rahoittaa sairausvakuutuksen kautta (Ruskoaho, 2018; Sosiaali- ja terveysministeriö, 2023a). Sairaalalääkkeellä tarkoitetaan puolestaan valmistetta, jonka annostelu tai käyttökuntoon saattaminen edellyttää sairaalamaisia olosuhteita (Sosiaali- ja terveysministeriö, 2023c). Kuvassa 1 on esitetty avohoidon ja sairaalalääkkeiden arviointi ja päätöksenteko tässä tutkimuksessa hahmotetulla tavalla (Stevens & Milne, 2004; Kristensen ym., 2008; Pelkonen ym., 2017; Saarni, 2023). Sairaala- ja avohoidon lääkkeiden arviointia käsitellään tarkemmin luvuissa 2.6.1 ja 2.6.2.



**Kuva 1.** Sairaala- ja avohoidon lääkkeiden arviointiprosessi ja päätös suosituksesta tai korvattavuudesta (Stevens & Milne, 2004; Kristensen ym., 2008; Pelkonen ym., 2017; Saarni, 2023; Lääkkeiden hintalautakunta, 2024a; Terveystieteiden tutkimuskeskus, 2024b).

On esitetty, että HTA-prosessi on aina arvoladattua (Saarni, 2010; Clark & Weale, 2012; Sandman ym., 2020). Terveystieteiden tutkimuskeskusten menetelmien arvioinnin tavoitteena on parantaa terveyttä ja hyvinvointia sekä terveydenhuollon toimintaa ja päätöksentekoa. Sen tulisi tukea yleistä periaatetta siitä, että terveydenhuollon tulee pohjautua näyttöön perustuviin menetelmiin (evidence-based medicine, EBM). Näyttöön perustuvan toiminnan ja terveydenhuollon

menetelmien arvioinnin sisällä tehdään kuitenkin jatkuvasti arvovalintoja, jotka voivat liittyä esimerkiksi arvioinnin kohteiden, tutkimuskysymysten ja tulomuuttujien valintaan sekä siihen, mikä hyväksytään riittäväksi näytöksi (Grunwald, 2004; Laine, 2014; Rozmovits ym., 2018; Saarni, 2010, 2023). Keskeinen kysymys on myös se, kenen näkökulmasta vaikutuksia tulisi arvioida (Suomalainen Lääkäriseura Duodecim, 2017).

Potilasnäkökulma on noussut yhä tärkeämmäksi osaksi terveydenhuollon menetelmien arviointia (INAHTA, 2021). Potilaat ja läheiset nähdään nykyisin aktiivisina toimijoina, jotka vaikuttavat sekä hoitoon että hoidon tuloksiin (Suomalainen Lääkäriseura Duodecim, 2017). Potilasnäkökulman merkitystä on korostettu uusien lääkehoitojen ja harvinaisten sairauksien kohdalla, joissa potilasryhmät ovat usein pieniä ja myyntilupa on myönnetty suhteellisen vähäisen tutkimusnäytön perusteella (Annemans ym., 2017a; Nicod ym., 2019; Wilking ym., 2019). Yhdeksi merkittäväksi haasteeksi nykyjärjestelmässä on kuitenkin noussut ristiriita lääketieteen mahdollisuuksien, ihmisten odotusten, uusien hoitojen kustannusten ja terveydenhuollon käytettävissä olevien resurssien välillä (Saarni, 2010, 2023; Kaila & Lohiniva-Kerkelä, 2020; Torkki ym., 2022). Tämä lisää tarvetta säännöstelylle ja priorisoinnille terveydenhuollossa (Saarni, 2010; Torkki ym., 2022).

## **2.5 Eurooppalainen HTA-yhteistyö**

Ratkaisut menetelmien käyttöönotosta tehdään kansallisella tasolla, mutta päällekkäisen HTA-työn vähentämiseksi EU:ssa on tehty vapaaehtoista arviointiyhteistyötä vuodesta 2006 lähtien EUnetHTA-hankkeen yhteydessä (Kristensen, 2008; EUnetHTA 2021). EUnetHTA-yhteistyössä on tuotettu yhteisiä kliinisiä arviointeja, joita jäsenvaltiot ovat voineet hyödyntää omassa laajemmassa arviossaan. EUnetHTA-toiminta päättyi syyskuussa 2023, mutta HTA-yhteistyö jatkuu entistä tiiviimpänä jäsenvaltioiden HTA-koordinointiryhmän johdolla EU:n HTA-lainsäädännön astuessa voimaan vuonna 2025 (Asetus (EU) 2021/2282; EUnetHTA, 2023b). Vuonna 2025 yhteisen kliinisen arvioinnin piiriin tulevat syöpälääkkeet ja pitkälle kehitetyt terapiat (ATMP), joita ovat geeni- ja soluterapiassa käytettävät valmisteet ja kudosten tuotteet (Asetus (EU) 2021/2282). Vuonna 2028 mukaan tulevat harvinaissairauksien lääkkeet ja vuonna 2030 kaikki uudet myyntiluvalliset lääkevalmisteet. Siirtymäkauden jälkeen arviointeihin osallistuminen ja yhteisten kliinisten arviointiraporttien käyttö on jäsenvaltioissa pakollista (Asetus (EU) 2021/2282; Rajaniemi, 2023). Yhteinen kliininen arviointi sisältää arvioitavaa menetelmää koskevan kliinisen näytön tieteellisen kokoamisen ja sen vertaamisen yhteen tai useampaan jo käytössä olevaan menetelmään (Asetus (EU) 2021/2282;

Sosiaali- ja terveysministeriö, 2023c). Taloudellisen, oikeudellisen, eettisen, organisatorisen ja sosiaalisen arvioinnin toteuttaminen on jatkossakin kunkin jäsenvaltion omalla vastuulla (Asetus (EU) 2021/2282; Sosiaali- ja terveysministeriö, 2023c).

## **2.6 Lääkkeiden arviointi ja käyttöönotto Suomessa**

### **2.6.1 Avohoidon lääkkeiden arviointi ja korvattavuus**

Avohoidon reseptilääkkeiden osalta viranomaisen arviointiprosessi Suomessa alkaa lääkeyrityksen lähetettyä hinta- ja korvattavuushakemuksen Hilalle. Hilan toiminta perustuu sairausvakuutuslakiin (21.12.2004/1224). Hilan organisaatio koostuu sihteeristöstä, joka valmistelee korvattavuus- ja tukkuhintahakemukset päätöksentekoa varten, lääkkeiden hintalautakunnasta, joka päättää korvausjärjestelmään sisällytettävistä valmisteista sekä asiantuntijaryhmästä, joka antaa lausuntoja korvattavuus- ja tukkuhintahakemuksista lääkkeiden hintalautakunnalle (Lääkkeiden hintalautakunta, 2024a).

Hakijana toimivan lääkeyrityksen on liitettävä hakemukseensa selvitys lääkkeen käyttötarkoituksesta, hoidollisesta arvosta ja korvattavuudella saavutettavista hyödyistä verrattuna muihin saman sairauden hoidossa käytettäviin lääkevalmisteisiin (Sairausvakuutuslaki 21.12.2004/1224; Pelkonen ym., 2017, Lääkkeiden hintalautakunta, 2023b) Lisäksi hakemukseen tulee sisällyttää selvitys lääkehoidon kustannuksista ja taloudellisuudesta, arvio lääkkeen myynnistä ja valmistetta käytävien potilaiden määrästä, selvitys markkinaennusteesta sekä hinta- ja korvattavuustiedot Euroopan talousalueen (ETA) maissa. (Sairausvakuutuslaki 21.12.2004/1224; Pelkonen ym., 2017, Lääkkeiden hintalautakunta, 2023b). Hakemustyyppiä on erilaisia riippuen esimerkiksi siitä, onko kyseessä uusi vaikuttava lääkeaine tai muu uusi lääkevalmiste, uusi rinnakkaisvalmiste, uusi lääkemuoto, uusi vahvuus, uusi pakkauskoko/pakkausmuoto, uusi erityislupavalmiste, laajennushakemus tai uusintahakemus (Lääkkeiden hintalautakunta, 2024c).

Sairausvakuutuslain mukaan Hila voi pyytää tarvittaessa lausunnot Kelalta ja Hilan asiantuntijaryhmältä päätöksentekonsa tueksi (21.12.2004/1224). Myyntiluvan haltijan lähettämän hakemuksen ja edellä mainittujen lausuntojen lisäksi Hila voi päätöksissään ottaa huomioon myös muuta, kyseistä lääkevalmistetta koskevaa tietoa, kuten potilasjärjestöjen lausuntoja lääkevalmisteen hoidollisesta arvosta potilasnäkökulmasta katsottuna (Lääkkeiden hintalautakunta, 2020b).

Hilan on sairausvakuutuslain mukaisesti otettava huomioon päätöksessään lääkkeen hoidollinen arvo (21.12.2004/1224). Peruskorvattavuudesta pää-

tettäessä lääkkeen hoidollisen arvon tulee olla sairausvakuutuslain mukaan vähäistä suurempi. Peruskorvattavuus voidaan hyväksyä enintään myyntilupaviranomaisen lääkevalmisteelle vahvistaman valmisteyhteenvedon ja siinä hyväksytyjen käyttöaiheiden mukaisessa laajuudessa (Sairausvakuutuslaki 1224/2004). Erityiskorvattavuuden kohdalla vaatimuksena on, että lääkevalmisteen hoidollisesta arvosta vaikean ja pitkäaikaisen sairauden hoidossa sekä sen hyödyllisyydestä on riittävästi käyttökokemusta ja tutkimustietoa. Lääkevalmisteen erityiskorvattavuuden edellytyksenä on, että valmiste on hyväksytty peruskorvattavaksi (Sairausvakuutuslaki 1224/2004).

Sairausvakuutuslain (1224/2004) mukaan Hila voi rajoittaa lääkkeen peruskorvattavuuden tarkoin määriteltyihin käyttöaiheisiin eli vain tietyille potilasjoukkoille. Erityiskorvattavuus voidaan rajoittaa koskemaan vain sairauden tiettyä muotoa tai vaikeusastetta (Ruskoaho, 2018; Sairausvakuutuslaki 1224/2004). Korvattavuuden rajoittamisella on mahdollistettu erityisen kalliiden lääkkeiden ottaminen mukaan korvausjärjestelmään kohdentamalla hoidot eniten hyötyville potilaille (Ruskoaho, 2018). Erityiskorvausluokkia on kaksi, joista ylempi erityiskorvaus on 100 % lääkekohtaisen omavastuun tai poikkeavan lääkekohtaisen omavastuun ylittävältä osalta ja alempi erityiskorvaus 65 % (Kansaneläkelaitos, 2024b).

Euroopan unionin nopeutettujen myyntilupamenettelyjen johdosta uusien lääkkeiden hinta- ja korvattavuushakemuksissa tieto voi olla rajallista. Päätöksiä uusien lääkkeiden käyttöönotosta tehdään aiempaa vähäisemmän näytön perusteella, ja lääkkeiden hoidollisiin ja taloudellisiin vaikutuksiin liittyy epävarmuutta. (Sosiaali- ja terveysministeriö, 2019; Kurko ym., 2022; Mills, 2023). Epävarmuus voi liittyä esimerkiksi tutkimusasetelmaan, jos myyntilupa on myönnetty vertailuryhmättömän, yksihaaraisen tutkimuksen perusteella, tai jos potilaiden määrä on tutkimuksessa ollut hyvin pieni (Kurko ym., 2022; Mills, 2023). Tällaisissa tilanteissa voi olla vaikea osoittaa hoidon hyötyjä tai kliinisesti merkittäviä haittoja (Kurko ym., 2022).

Epävarmuuden hallintaan on kehitetty kansainvälisesti erilaisia riskienjakomalleja ja hallitun käyttöönoton sopimuksia (Hwang ym., 2020). Näiden suomalainen sovellus, ehdollisen korvattavuuden malli, otettiin käyttöön Hilassa vuonna 2017 ja se on voimassa 31.12.2025 saakka (Sairausvakuutuslaki 1224/2004; Sosiaali- ja terveysministeriö, 2019; Martikainen & Pelkonen, 2020). Sairausvakuutuslain mukaan Hila voi tehdä korvattavuus- ja tukkuhintapäätöksen ehdollisena, jos “uudelle lääkehoidolle on osoitettu erityinen lääketieteellinen tarve ja hoitokustannuksiin, kyseisen lääkevalmisteen hoidolliseen arvoon, kustannusvaikuttavuuteen tai muihin vastaaviin lääkevalmisteen korvattavuuteen tai tukkuhinnan kohtuullisuuden arviointiin vaikuttaviin tekijöihin liittyy merkittävää epävarmuutta”. (Sairausvakuutuslaki 1224/2004). Ehdollisen korvattavuuden mallissa Hila ja lääkeyritys tekevät

luottamuksellisen sopimuksen korvattavuuden ehdoista, jonka tarkoituksena on jakaa uuden valmisteen käyttöönottoon liittyvää taloudellista riskiä. Toistaiseksi tehdyt sopimukset ovat olleet taloudellisia ja niissä on sovittu palautusmaksusta Kelalle (Sosiaali- ja terveysministeriö, 2023b). Valtaosa ehdollisesti korvattavista lääkkeistä on syöpälääkkeitä (Martikainen & Pelkonen, 2020). Helmikuuhun 2024 mennessä ehdollisen korvattavuuden kautta korvausjärjestelmään on hyväksytty hieman yli 70 lääkevalmistetta (Lääkkeiden hintalautakunta, 2024d).

## 2.6.2 Sairaalalääkkeiden arviointi ja suositukset

Sairaalassa käytettäville hoidoille ja niiden käyttöönotolle ei ole yhtä tarkasti määriteltyjä arviointiperusteita kuin Hilan arvioimille avohoidon lääkkeille (Rajaniemi, 2023). Sairaalalääkkeiden arviointeja toteuttaakin useampi taho.

Uusien sairaalalääkkeiden HTA-arviointi tiedon kokoamisen osalta tehdään pääosin Fimeassa (Sosiaali- ja terveysministeriö 2023c). Fimean tavoitteena on ollut arvioida kaikki uudet sairaalalääkkeet ja merkittävät käyttöaiheen laajennukset, mutta käytännössä arviointeihin on valittu vuosittain 10–12 sairaalalääkettä (Ekholm, 2022). Fimea valitsee sairaalalääkkeiden arviointiin soveltuvat aiheet Euroopan lääkeviraston lääkevalmistekomitean (CHMP) positiivisista myyntilupalausunnoista. (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus, 2018).

Fimea ottaa aiheen valinnassa ja tärkeysjärjestykseen asettamisessa huomioon terveysongelman yleisyyden, vakavuuden ja sairaustaakan, lääkehoidon talousvaikutukset sekä lääkehoidon odotetut vaikutukset kyseisen terveysongelman hoitokäytäntöihin (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus, 2018). Aihe-ehdotuksen Fimealle voi tehdä myös muu taho, kuten sairaala tai lääkeyritys. (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus, 2018). Lisäksi vuonna 2023 Fimea käynnisti pilotin hakemusmenettelystä sairaalalääkkeiden arviointitoiminnassa (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea, 2023a).

Fimea voi hyödyntää arvioinneissa julkisten tutkimustulosten lisäksi lääkeyrityksen sille toimittamaa materiaalia, kuten lisätietoja kliinisistä tutkimuksista, alaryhmäanalyyseista, hoidon kestosta, elämänlaatuun liittyvistä tiedoista, hoidon kustannuksista, arvioidusta potilasmäärästä Suomessa ja hoidon budjettivaikutuksesta. Yritys voi toimittaa Fimealle myös kustannusvaikuttavuus-analyysin. Fimea tekee lisäksi yhteistyötä yliopistosairaaloiden arviointiylilääkäreiden ja kliinisten asiantuntijoiden kanssa. (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus, 2018; Ekholm, 2022). Kliiniset asiantuntijat ovat oman alansa erikoislääkäreitä ja he kommentoivat arviointiryhmän tuottamaa materiaalia sekä vastaavat kysymyksiin erityisesti nykyisten hoitokäytäntöjen ja tutkimusnäytön sovellettavuuden osalta (Lääkealan turvallisuus-

ja kehittämiskeskus, 2018). Fimea on tehnyt suosituksen potilasnäkökulman huomioimisesta haastattelututkimuksella lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnissa sekä siihen liittyvässä lääkeinformaatiossa (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus, 2012; Kleme ym., 2014; Hämeen-Anttila ym., 2016). Tutkimusta suosituksen toteutumisesta ei ole kuitenkaan tehty.

Fimealla ei ole resursseja arvioida kaikkia uusia sairaalalääkkeitä tai käyttöaiheita. Mikäli Fimea ei arvioi hoitoa, arviointi voi tapahtua kansallisen HTA-koordinaatioyksikkö FinCCHTA:n (Finnish Coordinating Center for Health Technology Assessment) koordinoiman arviointiverkoston kautta. Verkostossa ovat mukana yliopistosairaaloiden arviointiyliääkärit ja muita sairaanhoitopiirien arviointitoiminnasta vastaavia henkilöitä. (Rajaniemi, 2023; Sosiaali- ja terveysministeriö, 2023c).

FinCCHTA julkaisee sivuillaan entisillä erityisvastuualueilla (erva) ja nykyisillä yhteistoiminta-alueilla (YTA) tehtyjen, niin sanottujen mini-HTA-ehdotusten perusteella tehtyjen sairaalatason arviointien otsikot sekä vuodesta 2023 alkaen myös niiden johtopäätökset (FinCCHTA, 2024). Mini-HTA:ssa arvioidaan tiivistetysti uuden, kustannusvaikutuksiltaan merkittävän terveydenhuollon menetelmän etuja ja haittoja, taloudellisia vaikutuksia sekä seurauksia potilaalle ja organisaatiolle tutkimusnäyttöön pohjautuen (Räsänen ym., 2021). Tässä tutkimuksessa käsitellään ainoastaan Fimean ja Palkon arvioimia sairaalalääkkeitä.

Fimean koostaman raportin pohjalta Palko tekee myönteisen, ehdollisesti myönteisen tai kielteisen suosituksen siitä, tuleeko hoito sisällyttää suomalaiseen palveluvalikoimaan (kuva 1). Fimea ja Palko tekevät yhteistyötä ja Palkon tavoitteena on tehdä suositukset kaikista Fimean arvioimista sairaalalääkkeistä (Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, 2024b).

Palkon organisaatio koostuu sihteeristöstä, jaostoista ja asiantuntijoista sekä varsinaisesta päätöksentekoelementistä eli terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston kokouksesta (Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, 2024d). Palkon sihteeristö tekee yhteistyössä jaostojen kanssa esivalmistelun neuvoston kokouksessa tapahtuvaa päätöksentekoa varten. Sihteeristö huolehtii lisäksi neuvoston ja jaostojen kokousten valmistelusta, viestinnästä ja sidosryhmäyhteistyöstä. Neuvoston kokouksissa päätetään suositusten sekä kuvantamiskriteerien laatimisen aloittamisesta ja niiden hyväksymisestä. (Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, 2024d.) Terveydenhuoltolain (30.12.2010/1326) ja siihen vuonna 2014 tulleiden lakimuutosten (1202/2013) mukaan "neuvostossa on puheenjohtaja ja enintään 15 jäsentä, joilla kullakin on henkilökohtainen varajäsen. Neuvosto tulee asettaa siten, että sosiaali- ja terveysministeriö, Terveyden ja hyvinvoinnin laitos, Sosiaali- ja terveysalan lupa- ja valvontavirasto, Kansaneläkelaitos ja Suomen Kuntaliitto ry ovat edustettuina. Neuvostossa tulee lisäksi olla lääketieteen, hammaslääketie-

teen, hoitotyön, oikeustieteen, terveystaloustieteen sekä suomalaisen terveydenhuolto- ja sosiaaliturvajärjestelmän asiantuntemus” (Terveydenhuoltolaki 30.12.2010/1326).

Palkon suositukset eivät ole oikeudellisesti sitovia. Terveydenhuoltolain 7a §:n 3 momentti mahdollistaa yksittäisen potilaan hoidon palveluvalikoimaan kuulumattomilla menetelmillä “jos se on potilaan henkeä tai terveyttä vakavasti uhkaavan sairauden tai vamman takia lääketieteellisesti välttämätöntä potilaan terveydentila ja sairauden ennakoitavissa oleva kehitys huomioon ottaen” (Terveydenhuoltolaki 30.12.2010/1326). Vaikka suositukset eivät ole sitovia, niiden painoarvoa voi kuitenkin pitää suurena Palkon lakisääteisen mandaatin vuoksi (Kaila & Lohiniva-Kerkelä, 2020).

### **2.6.3 Arviointijärjestelmän haasteet ja lähitulevaisuuden muutokset**

Avohoidon ja sairaalalääkkeiden arviointitoiminnan ja arviointia ohjaavien periaatteiden erilaisuus on tunnistettu haasteeksi lukuisissa suomalaista lääkehuoltoon koskevista raporteissa. Professori Heikki Ruskoahon vuonna 2018 julkaistun, lääkekorvausjärjestelmän kehittämistä koskevan loppuraportin ensimmäinen ehdotus oli, että yhtenäinen kansallinen lääkkeiden hoidollisen arvon ja kustannusvaikuttavuuden arviointi tulisi tehdä kattavasti kansallisella tasolla kaikille lääkkeille lääkemuodosta riippumatta (Ruskoaho, 2018). Perusteena tälle ehdotukselle oli potilaiden yhdenvertainen mahdollisuus vaikuttavaan, turvalliseen, kohtuuhintaiseen ja innovatiiviseen lääkehoitoon (Ruskoaho, 2018).

Lääkehoitojen ohjauksen ja rahoituksen kehittämisen yhdeksi tavoitteeksi on asetettu avo- ja sairaalalääkkeitä koskevien periaatteiden ja menettelyjen lähentäminen (Sosiaali- ja terveysministeriö, 2023c). Tämän edistämiseksi sosiaali- ja terveysministeriö on keväällä 2024 asettanut työryhmän, joka laatii ehdotuksen lääkkeiden arviointi- ja päätöksentekojärjestelmästä. Työn tavoitteena on Petteri Orpon hallitusohjelmakirjauksen mukaan uudistaa lääkkeiden käyttöönottoon liittyvät arviointiprosessit ja -kriteerit, jotta ne olisivat yhtenäiset riippumatta lääkkeen annostelumuodosta (Valtioneuvosto, 2023; Sosiaali- ja terveysministeriö, 2024.) Vuoden 2025 alussa voimaan tulevassa EU:n HTA-asetuksessa ei erotella toisistaan avo- ja sairaalalääkkeitä, ja asetuksen voimaantulo ohjaa arviointitoiminnan yhdenmukaistamista kansallisesti (Asetus (EU) 2021/2282, Sosiaali- ja terveysministeriö, 2023c). HTA-asetus astuu voimaan vaiheittain, ja ensimmäisenä yhteisen kliinisen arvioinnin piiriin tulevat syöpälääkkeet ja pitkälle kehitetyt terapiat tammikuusta 2025 alkaen (Asetus (EU) 2021/2282). Vuonna 2028 mukaan tulevat harvinaissairauksien lääkkeet ja vuonna 2030 kaikki uudet myyntiluvalliset lääkevalmisteet.

Arviointeihin osallistuminen ja yhteisten kliinisten arviointiraporttien käyttö tulee olemaan pakollista kaikissa jäsenvaltioissa. (Asetus (EU) 2021/2282.; Rajaniemi, 2023).

### **3 OSALLISUUS TERVEYDENHUOLLON MENETELMIEN ARVIOINNISSA JA LÄÄKKEIDEN KÄYTTÖÖNOTOSSA**

#### **3.1 Mitä osallisuus on?**

Osallisuutta pidetään joustavana käsitteenä, jota voidaan tilanteen mukaan tulkita eri tavalla (Theis 2009; Raivio ja Karjalainen 2013; Piškur ym., 2014; Isola ym. 2017; Maunu & Kiilakoski 2018; Salminen ym. 2021). Osallisuudelle on kuitenkin luotu erilaisia viitekehyksiä. Kuvaan tässä luvussa osallisuuden käsitteitä ja terminologiaa, ja tarkennan, mitä osallisuudella tarkoitetaan omassa väitöstutkimuksessani.

##### **3.1.1 Sosiaalinen ja poliittinen osallisuus**

Osallisuus voidaan jakaa kahteen pääkategoriaan, sosiaaliseen osallisuuteen ja poliittiseen osallisuuteen (Maunu & Kiilakoski, 2018; Salminen ym., 2021). Sosiaalinen osallisuus (engl. social inclusion) kuvaa kuulumista ja kiinnittymistä yhteisöön ja yhteiskuntaan, ja se korostaa syrjäytymisen ehkäisyä ja heikoimmassa asemassa olevien ihmisten mahdollisuuksia osallistua yhteiskunnassa (Leemann ym., 2015; United Nations Department of Economic and Social Affairs, 2016; Maunu & Kiilakoski, 2018). Poliittisella osallisuudella (engl. participation) puolestaan tarkoitetaan vaikuttamista, muutosten aikaansaamista ja julkista keskustelua (Quick & Bryson, 2016; Maunu & Kiilakoski 2018). Poliittinen osallisuus on puoluepolitiikkaa laajempi käsite, joka viittaa yhteisistä asioista päättämiseen ja hahmottuu suhteessa päätöksentekoon (Quick & Bryson, 2016; Maunu & Kiilakoski 2018). Sosiaalinen ja poliittinen osallisuus ovat liityksissä toisiinsa, ja sosiaalisen osallisuuden vahvistaminen voi mahdollistaa poliittisen osallisuuden (Nivala, 2021).

Osallisuus voidaan Isolan ym. (2017) mukaan hahmottaa myös sisäkkäisinä kehinä, jotka muodostuvat osallisuudesta omaan elämään, osallisuudesta vaikuttamisen prosesseissa, ja paikallisesta osallisuudesta. Näistä ensimmäinen, osallisuus omaan elämään, viittaa sosiaaliseen osallisuuteen ja toinen, vaikuttaminen, sisältää myös poliittisen osallisuuden. Oma väitöskirjatutkimukseni käsittelee poliittista osallisuutta potilasjärjestön edustajien kokemusten kautta, sekä potilasjärjestöjen roolia suhteessa viranomaistoimintaan.

### **3.1.2 Osallistuminen, osallistaminen ja osallisuus**

Arkikielessä osallistumisesta, osallisuudesta ja osallistamisesta puhutaan usein synonyymeinä, mutta lähemmin tarkasteltuna käsitteet eroavat selvästi toisistaan (Leemann ja Hämäläinen 2016). Anttiroiko (2003, s. 16) esittää, että siinä missä osallistuminen on ensi sijassa toiminnallinen käsite, osallisuus on vahvasti kokemuksellista eikä sen laajuutta voi kuvata pelkästään toimintamallien tai osallistumisen muotojen kautta. Osallisuuteen liittyy kuuluminen ja kuulluksi tuleminen, osallistuminen ja sitä kautta vaikuttaminen (Isola ym., 2017; Leemann & Hämäläinen, 2016; Terveyden ja hyvinvoinnin laitos, 2023). Osallisuuteen liittyy lisäksi kokemus toimintaympäristön ymmärrettävyydestä ja hallittavuudesta (Antonovsky 1987; Isola ym, 2017). Osallistamisella puolestaan viitataan julkisen sektorin tai hallinnon pyrkimykseen lisätä kansalaisten osallistumista tarjoamalla osallistumismahdollisuuksia (Anttiroiko, 2003, s. 18; Toikko & Rantanen, 2009). Osallistaminen korostaa viranomaisten tai muiden institutionaalisten toimijoiden ylhäältä alaspäin tapahtuvaa toimintaa (Anttiroiko, 2003, s. 17). Julkisen organisaation aloitteesta tapahtuva osallistaminen voi kuitenkin johtaa omaehtoiseen osallistumiseen (Toikko & Rantanen, 2009). Terveyden ja hyvinvoinnin laitos (THL) painottaa Osallisuuden edistäjän oppaassaan (2023b), että osallistaminen kuuluu osallisuuden edistämiseen, mutta osallisuuden edistämiseksi tarvitaan myös laajempia toimia, kuten hallinnon ja osaamisalojen rajojen ylittämistä ja yhteistyötä. Osallisuutta edistävien toimien onnistumisen tärkein mittari on se, kokevatko ihmiset olevansa osallisia (Terveyden ja hyvinvoinnin laitos, 2023b). Olennaista osallisuutta edistävissä toiminna on määritellä etukäteen se, mihin osallistumisella voi vaikuttaa ja mihin ei, miten prosessi etenee, kuka tietoa käsittelee, ja miten osallistujien näkökulmia hyödynnetään (Jousilahti ym., 2022; OECD, 2022; Terveyden ja hyvinvoinnin laitos, 2023b).

On tärkeää pohtia myös, kuka osallistuu, miten ja millä ehdoilla (White, 1996). Tässä tutkimuksessa keskityttiin potilasjärjestöjen osallistumiseen, jota tutkittiin haastatteleamalla potilasjärjestöjen työntekijöitä tai luottamushenkilöitä. Kyseessä on siten edustuksellinen osallisuus, jossa keskiössä on potilasjärjestöjen edustajien kokemus osallisuudesta. Osallistumisen, osallistamisen ja osallisuuden käsitteet ja niiden konkreettiset vastineet tässä tutkimuksessa on esitetty taulukossa 1.

Osallistumisen ja osallisuuden kuvaamisessa on yleisesti käytetty amerikkalaisen Sherry Arnsteinin (1969) tikapuumallia (kuva 2). Se kuvaa kansalaisten osallisuuden asteittaista kasvua yksisuuntaisesta mielipiteiden manipuloinnista ja tiedottamisesta kansanvaltaan (Arnstein, 1969). Arnsteinin teoriaa ovat Suomessa soveltaneet esimerkiksi Horell ja Kukkonen (2002, s. 243–244), Saikku (2018), Wallin (2019), Tuomiaho (2019, s. 23) ja Terveyden ja hyvinvoinnin laitos (2024).

**Taulukko 1.** Osallistumisen, osallistamisen ja osallisuuden käsitteiden määrittely ja käyttö tässä tutkimuksessa (Antonovsky 1987, White 1996; Anttiroiko 2003, s.13-18; Toikko ja Rantanen 2009; Isola ym., 2017).

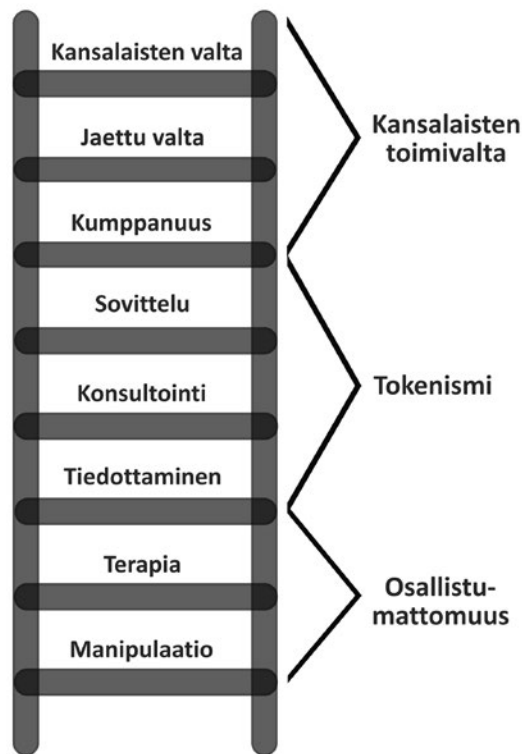
Käsite	Osallistuminen	Osallistaminen	Osallisuus
<b>Kuvaus</b>	Toiminnallinen käsite, mahdollisuuksien hyödyntäminen. Osallistumisessa olennaista on määritellä kuka osallistuu, miten, ja millä ehdoilla.	Viranomaislähtöinen ja/tai viranomaisten tarjoama osallistumisen mahdollisuus.	Kokemus osallistumisesta ja kuulluksi tulemisesta, usko omaan toimijuuteen, joka rakentuu vuorovaikutuksessa. Osallisuutta tukevat toimintaympäristön ymmärrettävyys ja hallittavuus.
<b>Käsitteen merkitys tässä tutkimuksessa</b>	Potilasjärjestöt osallistuvat antamalla lausuntoja Hilalle ja Palkolle.	Hilan ja Palkon luomat mahdollisuudet antaa lausuntoja.	Potilasjärjestöjen edustajien kokemukset lausuntojen antamisesta, Hilan ja Palkon toimintamalleista sekä kuulluksi tulemisesta ja vaikuttamisesta.

Arnsteinin tikapuiden kaksi alinta porrasta, manipulointi ja terapointi, kuvaavat tilannetta, jossa hallinto ja päätöksentekijät kertovat kansalaisille mitä ja miten heidän tulisi ajatella sekä toimia (Arnstein, 1969). Kolme seuraavaa porrasta, tiedottaminen, konsultointi ja sovittelu, sijoittuvat Arnsteinin (1969) asteikolla tokenismin kategoriaan. Tokenismilla viitataan toimintatapaan, joka on etupäässä symbolinen ja jossa näennäisesti yritetään täyttää asetettuja tavoitteita, kuten osallisuutta tai edustuksellisuutta koskevia velvoitteita (Arnstein, 1969; Cambridge Dictionary, 2024). Kolme ylintä porrasta kuvaavat kansalaisten eri asteista toimivaltaa kumppanuudesta jaettuun valtaan ja kansalaisten hallintaan (Arnstein, 1969).

Terveysthuollon kontekstissa Arnsteinin teoriaa on hyödynnetty, mutta myös kritisoitu. On katsottu, että se korostaa liikaa valta-asetelmaa päätöksenteossa, ja jättää huomiotta itse osallistumisen ja sen erilaiset muodot sekä osallisuuden prosessin (Tritter & McCallum, 2006). Terveysthuollossa osallistuminen ja osallisuus voivat ilmetä esimerkiksi potilaan osallisuutena omassa hoidossaan, palveluiden kehittämisessä ja arvioinnissa esimerkiksi potilas- tai asiakasraatien jäsenenä, potilasnäkökulmana terveysthuollon ammattilaisten koulutuksessa tai kliinisten tutkimusten tavoitteiden määrittelyssä (Tritter & McCallum, 2006; Tritter, 2009; Ocloo & Matthews, 2016; Jones & Pietilä, 2019).

Tikapuiden sijaan Tritter ja McCallum (2006) ehdottavat mosaiikkia, jossa monitahoiset ja dynaamiset suhteet yhdistävät palveluiden käyttäjiä, yhteisöjä, järjestöjä ja terveydenhuollon toimijoita. Olennaista onnistuneen osallisuuden toteutumisessa on tässä mallissa erilaisten palveluiden käyttäjien ja terveydenhuollon toimijoiden yhteistyö (Tritter & McCallum, 2006). Omassa tutkimuksessani Arnsteinin portaiden tarkastelu on perusteltua, sillä portaatt keskittyvät viranomaisen ja kansalaisyhteiskunnan (tässä tutkimuksessa potilasjärjestöjen) rajapintoihin, joita Arnstein mallissaan kuvaa. Tritterin ja McCallumin (2006) mosaiikki kuvaa monipuolisemmin yksilöiden, yhteisöjen ja eri terveydenhuollon toimijoiden kokonaisuutta.

Käsittelen tutkimuksessani viranomaisten ja potilasjärjestöjen yhteistyötä Arnsteinin mallin mukaan. Otan lisäksi huomioon Tritterin erottelun epäsuorasta osallistumisesta, jossa osallistujilta kerätään tietoa, jota voidaan käyttää tai olla käyttämättä päätöksenteossa (Arnsteinin konsultointi) ja suorasta osallistumisesta, jossa potilasedustajat ovat mukana varsinaisessa päätöksenteossa (Arnsteinin kumppanuus ja jaettu valta) (Arnstein, 1969; Horelli & Kukkonen, 2002; Tritter & McCallum, 2006).



**Kuva 2.** Sherry Arnsteinin (1969) osallistumisen portaatt suomen kielelle mukailtuna ja Suomessa sovelletussa muodossa (Horelli ja Kukkonen, 2002; Saikku 2018; Tuomioaho 2019; Wallin 2019).

## 3.2 Potilaiden osallisuus suomalaisessa terveydenhuollossa

Maailman terveysjärjestö WHO:n vuonna 1978 perusterveydenhuollon kansainvälisessä konferenssissa julkaiseman Alma-Atan julistuksen mukaan ihmisillä on oikeus ja velvollisuus osallistua yksilöinä ja yhdessä terveydenhuollon suunnitteluun ja toimeenpanoon (Declaration of Alma-Ata, 1978). Osallistuminen ja osallisuus ovat tulleet 2000-luvulla vahvasti esiin myös suomalaisissa terveydenhuollon tavoitteissa ja lainsäädännössä. Suuntaus liittyy ns. uuden julkisen hallinnan (new public governance) viitekehykseen, jonka mukaan julkinen hallinto ei voi enää ohjata yhteiskuntaa yksin, vaan ratkaisujen löytyminen ja hallinnan onnistuminen perustuu yhteistyöhön kansalaisten, kansalaisyhteiskunnan ja yksityisen sektorin kanssa (Osborne, 2006; Hakari, 2013; Isola ym., 2017).

Laki potilaan asemasta ja oikeuksista (17.8.1992/785) ja laki sosiaalihuollon asiakkaan asemasta ja oikeuksista (22.9.2000/812) painottavat palvelun käyttäjän osallisuutta omaan palveluunsa. Perustuslaissa (11.6.1999/731) puolestaan todetaan, että julkisen vallan tehtävänä on edistää yksilön mahdollisuuksia osallistua yhteiskunnalliseen toimintaan ja vaikuttaa häntä itseään koskevaan päätöksentekoon. Sosiaali- ja terveysministeriö korostaa osallisuuden merkitystä kansallisessa hyvinvointitalouden toimintaohjelmassa sekä aiemmin sosiaali- ja terveystalouden strategiassa (Sosiaali- ja terveysministeriö, 2011a, 2023c). Tämä on heijastunut vahvasti myös lääkepolitiikkaan, ja osallisuuden merkitystä korostetaan esimerkiksi Lääkepolitiikka 2020 -raportissa ja Rationaalisen lääkehoidon toimeenpano-ohjelmassa sekä tuoreessa Lääkehoidon ohjauksen kehittäminen -raportissa (Sosiaali- ja terveysministeriö 2011b, Hämeen-Anttila, ym, 2018; Rajaniemi, 2023).

Viranomaistahoista THL on Suomessa tehnyt pitkäjänteistä työtä osallisuuden viitekehyksen määrittelyssä sekä asukas- ja asiakasosallisuuden edistämisessä (Isola ym., 2017; Terveyden ja hyvinvoinnin laitos, 2023b ja 2024). Isolan ym. (2017) määritelmässä osallisuus ilmenee kolmella tasolla: päätösvaltana omassa elämässä, vaikuttamisen prosesseissa ja paikallisesti, kun pystyy panostamaan yhteiseen hyvään ja olemaan mukana merkityksellisissä, vastavuoroisissa sosiaalisissa suhteissa. Tämän tutkimuksen kannalta olennaista on osallisuuden ilmeneminen vaikuttamisen prosesseissa, joissa ihminen pystyy vaikuttamaan itsensä ulkopuolelle esimerkiksi ryhmissä, palveluissa, asuinympäristössä tai laajemmin yhteiskunnassa.

Suomalaisessa terveydenhuollon kontekstissa osallisuutta on tutkittu potilasraatien ja Käypä hoito -suositusten yhteydessä (Jones & Pietilä, 2019, 2020; Sipilä ym., 2022). Käypä hoito -suosituksia koskevissa tutkimuksissa tunnistettiin useita osallisuuden hyötyjä: osallisuuden avulla voidaan kuvata

sairauden vaikutuksia arkeen, varmistaa potilaille merkityksellisten aiheiden käsittely suosituksessa sekä edistää suositusten ymmärrettävyyttä ja potilaiden luottamusta ja sitoutumista suosituksiin ja hoitoon. Osallisuuden edellytyksiksi tunnistettiin edustuksellisuus, avoin ja osallistava prosessi, ymmärryksen ja tiedon tuki ja prosessin legitimeetti (Sipilä ym., 2022). Hämeen-Anttila ym. (2016) toteuttivat vuonna 2014 fokusryhmähaastattelun, jossa haastateltiin potilasjärjestöjen edustajia terveydenhuollon menetelmien arviointiin ja hoitosuosituksen laatimiseen liittyvästä osallisuudesta. Tutkimuksessa todettiin, että potilasjärjestöt ovat halukkaita olemaan mukana terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa ja hoitosuosituksen laatimisessa työryhmien jäsenenä, ja järjestöillä on kanavat laajemman potilasnäkökulman kokoamiseen (Hämeen-Anttila ym., 2016).

### **3.3 Potilas, asiakas vai potilasjärjestön edustaja?**

Terveydenhuollon toimintakentässä puhutaan yleisesti potilaiden ja kansalaisten osallisuudesta (patient and public involvement, PPI) (Street ym., 2020; Ocloo ym., 2021). Tätä kattotermiä on kuitenkin kritisoitu, sillä se ei erottele eri osallistujaryhmiä, joilla voi olla hyvinkin erilaisia ja jopa ristiriitaisia näkökulmia, painotuksia ja tarpeita, riippuen esimerkiksi siitä, miten omakohtaista kokemusta henkilöillä on käsiteltävästä asiasta (Wait & Nolte, 2006; Clark & Weale, 2012; Fredriksson & Tritter, 2016; McCoy ym., 2019)

Eri osallistujaryhminä voidaan erottaa asiakkaat ja potilaat, heidän läheisensä, asiakkaita tai potilaita edustavat järjestöt ja toisaalta kansalaiset ja veronmaksajat. Tavoitteista ja tilanteesta riippuen eri osallistujaryhmien näkökulmat ovat perusteltua ottaa huomioon. (Leemann & Hämäläinen, 2016; McCoy ym., 2019; Street ym., 2020.) Palveluiden kehittämisessä on tärkeä kuulla henkilöitä, joilla on kokemusta kyseisistä palveluista. On toisaalta esitetty, että potilaiden osallisuuden lisääminen voi vahvistaa konsumerismia ja lisätä paineita rahoittaa palveluita tai menetelmiä, jotka käytössä olevien kriteereiden mukaan jäisivät muuten palveluvalikoiman ulkopuolelle (Toivainen, 2007; Street ym., 2020). Kansalaisten näkökulma voi puolestaan toimia tasapainottavana tekijänä, kun tavoitteena on huomioida koko terveydenhuoltojärjestelmä ja sen rajalliset resurssit veronmaksajan kannalta, laajemmasta kuin yhden sairausryhmän edustajan tai edustajien perspektiivistä (Fredriksson & Tritter, 2016; Street ym., 2020; taulukko 2).

Termien valinnalla on myös merkitystä. On ajateltu, että esimerkiksi termi asiakas tai palveluiden käyttäjä viittaa aktiivisempaan rooliin ja mahdollisuuden valita ja vaikuttaa saamansa palveluun kuin termi potilas. Termi potilas on liitetty passiivisempaan hoidon vastaanottajaan ja on joissain määritelmissä

sidottu tiettyyn hoitojaksoon tai hoidossa olemiseen (Jones & Pietilä, 2018; Karppinen, 2019). Laissa potilaan ja asiakkaan oikeuksista (17.8.1992/785) potilaalla tarkoitetaan terveyden- ja sairaanhoitopalveluja käyttävää tai muuten niiden kohteena olevaa henkilöä. Potilaat nähdään kuitenkin nykyisin myös aktiivisina toimijoina, jotka vaikuttavat sekä omaan hoitoonsa että terveydenhuollon kehittämiseen (Armstrong, 2014; Karppinen, 2019). Tämän tutkimuksen kannalta tärkeimmät erottelut ja määrittelyt on esitetty taulukossa 2.

Tässä tutkimuksessa keskitytään potilasjärjestöjen edustajien ja viranomaisten kokemuksiin sekä potilasjärjestöjen rooliin Hilan ja Palkon kuulemisprosesseissa. Potilasjärjestöt toimivat järjestönsä kokoaman sairausryhmän tai -ryhmien edunvalvojina, ja potilasjärjestön edustajien tehtävänä on tässä kontekstissa välittää tietoa laajalta ryhmältä sairastuneita viranomaisten suuntaan ja toisaalta viranomaisilta jäsenistölle (vrt. taulukko 2). Ihmisellä voi olla eri tilanteissa ja elämänvaiheissa eri rooleja, ja potilasjärjestön edustajat saattavat olla joissain tapauksissa myös itse potilaita tai läheisiä ja ovat myös kansalaisia. Tässä tutkimuksessa keskitytään kuitenkin heidän rooliinsa potilasjärjestön edustajana joko työntekijän tai luottamushenkilön tehtävässä.

Tutkimuksen pääasiallisen kohderyhmän valintaan vaikutti se, että Hila on luonut osallistumismahdollisuuden ja ohjeen nimenomaisesti potilasjärjestöille (Lääkkeiden hintalautakunta, 2020a). Palkon suositusluonnoksia voi kommentoida vapaasti Ota kantaa –palvelussa, mutta lomakkeella pyydetään ilmoittamaan vastaajan tausta (Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto 2024c). Vastausvaihtoehtoina on muun muassa Potilas, asiakas tai omainen, Potilaita tai asiakkaita edustava järjestö, Terveyspalvelujen tuottaja, Lääkevalmistaja tai Terveydenhuoltoalan tieteellinen järjestö. Tähän tutkimukseen otettiin mukaan vastaajaryhmät ”Potilaita tai asiakkaita edustava järjestö” ja ”Potilas, asiakas tai hänen läheisensä.”

**Taulukko 2.** Tässä tutkimuksessa käytetyt, osallistujia kuvaavat käsitteet (EUnetHTA, 2023a; Leemann & Hämäläinen, 2016; Street ym., 2020; Toivainen, 2007; Greenhalgh 2017, European Medicines Agency, 2022; HTA Glossary 2024).

<b>Suomenkielinen termi</b>	<b>Englanninkielinen termi</b>	<b>Rooli</b>	<b>Huomioita</b>
<b>Potilas</b>	Patient Consumer (US)	Tuo omakohtaiseen kokemukseen pohjautuvaa näkökulmaa sairaudesta, terveydenhuollon palveluista tai menettelmästä.	Termi kattaa terveydenhuollossa usein myös potilaiden läheiset. Consumer-käsitettä käytetään pääasiassa Yhdysvalloissa, mutta sillä voidaan tarkoittaa myös tervettä palveluiden käyttäjiä (esimerkiksi seulonnoissa, rokotuksissa).
<b>Asiakas Palveluiden käyttäjä</b>	Client Customer Service-user	Tuo kokemukseen pohjautuvaa näkökulmaa palveluiden käytöstä.	Termiä käytetään sosiaalihuollossa ja yhä useammin myös terveydenhuollossa, kattaa toisinaan myös potilaat.
<b>Läheinen Omainen</b>	Carer Caregiver	Tuo kokemukseen pohjautuvaa tietoa sairastuneen läheisen näkökulmasta ja sairauden vaikutuksista sairastuneeseen sekä läheisiin. Voi edustaa tilanteen mukaan joko potilasta, potilaita tai ryhmää läheisiä.	Henkilö, yleensä perheenjäsen tai ystävä, joka säännöllisesti auttaa tai hoitaa sairastunutta tai vammautunutta arjessa, sairauden hoidossa ja / tai palveluihin pääsyssä.
<b>Potilasjärjestö</b>	Patient organisation	Järjestö tai yhdistys, joka on järjestäytynyt tietyn sairauden, taudin tai vamman ympärille. Järjestöjen jäsenet ja luottamushenkilöt ovat pääasiassa sairastuneita, sairaudesta toipuneita tai heidän läheisiä.	Potilasjärjestöille ei ole Suomessa tarkkaa määritelmää. Potilasjärjestöt ja niiden toiminta vaihtelevat esimerkiksi järjestön iän, järjestön edustaman sairauden ja vamman sekä jäsenmäärän mukaan.
<b>Potilasedustaja Potilasjärjestön edustaja</b>	Patient advocate Patient representative Consumer advocate Consumer representative (US)	Edustaa (ja on mandaatti edustaa) laajempaa sairastuneiden tai haavoittuvassa asemassa olevien ryhmää.	Henkilö, joka on aktiivisesti mukana sairastuneita edustavassa järjestössä tai sairastuneiden muodostamassa yhteisössä. Voi olla työntekijä, luottamushenkilö tai järjestön / yhteisön jäsen.
<b>Maaillikko (-jäsen)</b>	Lay person	Henkilö, jolla ei ole terveydenhuollon koulutusta tai erityisosaamista.	Tätä termiä käyttää erityisesti NICE, Suomessa termi on käytössä mm. lääketehteilisissä tutkimuseettisissä toiminnoissa.
<b>Kansalainen</b>	Public Citizen Tax-payer	Edustaa kansalaista ja veronmaksajaa, jolla ei yleensä ole omakohtaista kokemusta tai sidosia tiettyyn menetelmään tai hoitoon, "neutraali" näkökulma.	Katsoo asiaa laajemmasta kuin yhden sairaus- tai vammaryhmän näkökulmasta.

### 3.4 Osallisuus terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa

Potilaiden osallisuus terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa on yleistynyt 2000-luvulla (Abelson ym., 2016; Norburn & Thomas, 2020; Gagnon ym., 2021). Edelläkävijänä on toiminut yli kahdenkymmenen vuoden kokemuksella Englannin National Institute for Health and Care Excellence (NICE). NICE on kehittänyt osallisuustoimintaa vuodesta 1999 eli organisaation perustamisesta lähtien (NICE, 2013). Nykyisin jokaisessa NICE:n toimikunnassa on mukana vähintään kaksi maallikkojäsentä, joiden tehtävänä on välittää potilaiden, läheisten ja kansalaisten näkökulmia keskusteluun ja päätöksentekoon (NICE, 2013; Norburn & Thomas, 2020). Maallikkojäsenten lisäksi NICE kutsuu toimikuntiin potilasedustajia tai läheisiä, joilla on kokemusta tiettyyn arvioitavaan menetelmään liittyvästä sairaudesta. Potilasjärjestöt voivat antaa NICE:n työryhmille kirjallisia lausuntoja, jotka maallikkoedustajat kokoavat ja esittelevät toimikunnassa. Maallikkojäsenten, potilasedustajien, läheisten ja potilasjärjestöjen tukena on erillinen potilaiden osallisuuden vahvistamiseen keskittynyt yksikkö (PIP, Public Involvement Programme). Yksikön henkilökunnan tehtävänä on ohjeistaa ja kouluttaa arviointeihin osallistuvia henkilöitä ja järjestöjä sekä arvioida ja kehittää osallisuustoimintaa. (NICE, 2013; Norburn & Thomas, 2020; Livingstone ym., 2021.)

NICE:n toiminnassa toteutuu ajatus siitä, että potilaat ja potilasjärjestöt voivat osallistua terveydenhuollon menetelmien arviointiin prosessin kaikissa vaiheissa (Norburn & Thomas, 2020; INAHTA, 2021). Käytännössä tämä kattaa arvioitavan aiheen valinnan, aiheen rajauksen, tutkimustiedon kokoamisen, tiedon arvioinnin, päätelmien ja suositusten laatimisen sekä suosituksia tai päätöksiä koskevan kuulemisen (Norburn & Thomas, 2020).

Osallisuus voi toteutua myös menetelmien ja organisaatioiden toiminnan kehittämisessä sekä suositusten tai päätösten levittämisessä ja toimeenpanossa (INAHTA, 2021). Eurooppalainen terveysteknologioiden arviointiverkosto EUnetHTA on julkaissut ohjeistuksen potilaiden ja terveydenhuollon ammattilaisten konsultoinnista sekä sidosryhmien huomioimisesta HTA-asetuksen määrittelemissä yhteisissä kliinisissä arvioinneissa (EUnetHTA, 2023a). Ohjeistus koskee kuitenkin vain arvioinnin kliinistä osaa, ja ohjeistuksessa korostetaan, että jäsenvaltioiden HTA-toimijoiden tulee järjestää sidosryhmien kuuleminen kansallisella tasolla.

Kansainvälinen Health Technology Assessment International (HTAi) -järjestö on luonut Delphi-menetelmän avulla arvot ja laatustandardit potilaiden osallisuudelle terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa (HTAi, 2014). HTAi-järjestön määritelmässä käsite potilaat kattaa sekä potilaat, joihin käsiteltävänä oleva menetelmä vaikuttaa, että läheiset, potilasjärjestöt ja vertais-

tukiryhmät. Arvoiksi on määritelty merkityksellisyys, oikeudenmukaisuus, tasa-arvo, legitimitetti ja valmiuksien kehittäminen (HTAi, 2014).

HTAi-järjestö painottaa, että potilailla on tietoa, näkökulmia ja kokemuksia, joilla on oma merkittävä roolinsa terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa. Potilaiden tuottama tieto auttaa parhaimmillaan ymmärtämään paremmin erilaisten potilasryhmien tarpeita ja suhteuttamaan niitä terveydenhuoltojärjestelmälle asetettuihin tavoitteisiin resurssien oikeudenmukaisesta jakautumisesta. Potilailla tulisi olla samat mahdollisuudet osallistua arviointeihin kuin muilla sidosryhmillä, ja osallistumista tukevien toimintamallien tulee mahdollistaa niiden potilasryhmien osallistuminen, joihin päätökset vaikuttavat. Potilaiden osallisuuden vahvistaminen edistää päätöksentekoprosessien läpinäkyvyyttä, vastuullisuutta ja uskottavuutta. (HTAi, 2014.) HTAi on luonut arvojen pohjalta laatustandardit potilaiden osallisuudelle. Laatustandardit on jaettu yleisesti terveydenhuollon menetelmien arviointia koskeviin standardeihin (standardit 1–5) ja yksittäisiä arviointeja koskeviin standardeihin (standardit 6-10). (HTAi, 2014.)

### **Yleistä HTA-prosessia koskevat standardit, vapaamuotoinen käännös (HTAi, 2014):**

1. Terveydenhuollon menetelmien arviointia toteuttavilla organisaatioilla on strategiassa linjatut toimintamallit potilaiden osallisuuden varmistamiseksi.
2. Osallisuuden tukemiseen on varmistettu riittävät resurssit.
3. Koulutusta potilaiden osallisuudesta sekä potilaiden näkökulman huomioimisesta tulee tarjota kaikille terveydenhuollon menetelmien arvioinnin parissa toimiville asiantuntijoille, mukaan lukien tutkijat, arvioijat, muu henkilökunta ja työryhmien jäsenet.
4. Potilailla ja potilasjärjestöjen jäsenillä on mahdollisuus osallistua koulutuksiin, jotta he voivat kehittää osaamistaan ja osallistumista arviointeihin.
5. Osallisuustoimintaa arvioidaan säännöllisesti kaikkien asianosaisten näkökulmat huomioiden ja toimintaa kehitetään jatkuvasti arvioinnin perusteella.

## **Yksittäisiä arviointeja koskevat laatustandardit, vapaamuotoinen käänös (HTAi 2014):**

1. Arviointeihin liittyvä viestintä on proaktiivista, jotta viestinnän avulla voidaan tehokkaasti tavoittaa, tiedottaa ja mahdollistaa monenlaisten potilaiden osallistuminen.
2. Jokaisella arvioinnilla ja sen eri vaiheilla on selkeät aikataulut ja määräajat.
3. Jokaisella yksittäisellä arvioinnilla on nimetty työntekijä, jonka tehtävänä on tukea potilaiden osallistumista arviointiin.
4. Arvioinnin yhteydessä dokumentoidaan potilaiden antamat näkökulmat ja kerrotaan, miten ne ovat vaikuttaneet johtopäätöksiin ja varsinaiseen päätöksentekoon.
5. Arviointiin osallistuneille tai siihen materiaalia tuottaneille potilasjärjestöille annetaan palautetta siitä, mikä on arvioinnin kannalta ollut hyödyllisintä, ja tuetaan järjestöjen osallistumista jatkossa.

Tässä tutkimuksessa Hilan ja Palkon lausuntoprosesseja tarkastellaan HTAi-järjestön laatustandardien valossa keskittyen yksittäisiä arviointeja koskeviin standardeihin. Kansainvälisestä näkökulmasta katsottuna HTA-toimijoiden roolit ja tehtävien jako vaihtelevat maasta toiseen. Hilan lausuntoprosessi ja Palkon Ota kantaa -vaihe ovat kuitenkin verrannollisia monien eurooppalaisten ja kanadalaisten HTA-toimijoiden kuulemiskäytänteisiin HTA-tiedon arviointi- ja kontekstualisointivaiheissa (engl. appraisal) (kuva 1).

### **3.5 Potilasjärjestöjen osallistumismahdollisuudet Hilan ja Palkon toiminnassa**

Tässä tutkimuksessa tarkastellaan potilasjärjestöjen edustajien kokemuksia osallisuuden toteutumisesta Hilan ja Palkon lausuntoprosesseissa. Potilasjärjestöjen on ollut vuodesta 2016 lähtien mahdollista antaa kirjallisia lausuntoja Hilalle arvioitavana olevista lääkevalmisteista ja kommentoida Palkon suositusluonnoksia Ota kantaa -palvelussa (Lääkkeiden hintalautakunta, 2016, 2020b; Sosiaali- ja terveysministeriö, 2024c).

Hila julkaisee verkkosivuillaan kuukausittain listan edellisen kuukauden aikana saapuneista, lääkeyritysten lähettämistä hakemuksista. Tämä lista on julkisesti näkyvillä Hilan verkkosivuilla ja lista lähetetään myös sähköpostitse niille potilasjärjestöille, jotka ovat ilmoittautuneet Hilan sähköpostilistalle. Tämän tiedon saatuaan potilasjärjestöillä on noin kuukausi aikaa toimittaa

oma lausuntonsa Hilalle. (Lääkkeiden hintalautakunta, 2020b.) Hila on julkaissut sivuillaan potilasjärjestöille suunnatun dokumentin ”Ohje potilasjärjestöjen lääkevalmisteesta antamiin lausuntoihin”, joka antaa suuntaviivat lausuntojen sisällöstä ja rakenteesta (Lääkkeiden hintalautakunta 2020a). Ohjeessa kehoitetaan sisällyttämään lausuntoon erityisesti näkökulmia lääkevalmisteen tarpeesta ja suhteesta muihin nykyisen hoitokäytännön mukaisiin lääke- tai lääkkeettömiin hoitoihin, käyttäjien kokemuksista lääkevalmisteesta ja sen vaikutuksista toimintakykyyn, arjessa selviytymiseen ja elämänlaatuun, sekä lääkevalmisteen käyttöä mahdollisesti rajoittavista tekijöistä. Hila ohjeistaa lausunnonantajia ilmoittamaan myös asiaan tai hakemukseen liittyvät sidonaisuutensa. (Lääkkeiden hintalautakunta, 2020a.)

Palkon valmistelemat suositusluonnokset julkaistaan Ota kantaa -palvelussa, jossa kaikki aiheesta kiinnostuneet voivat kommentoida suositusluonnoksia (Sosiaali- ja terveysministeriö, 2024c). Kommentointia varten Ota kantaa -palvelussa on verkkolomake, jossa pyydetään kommentoimaan suositusluonnoksen eri osa-alueita, esimerkiksi suosituksen kohdetta, rajausta ja tietopohjaa, arvioitavaa menetelmää ja nykyistä hoitokäytäntöä, vaikuttavuutta, turvallisuutta, kustannuksia ja kustannusvaikuttavuutta sekä eettisiä ja järjestämiseen liittyviä näkökohtia (Sosiaali- ja terveysministeriö, 2024c). Ota kantaa -palvelussa pyydetään lisäksi ilmoittamaan vastaajan tausta, eli mistä näkökulmasta vastaaja kommentoi suositusluonnosta. Lomakkeella määriteltyjä vastaajaryhmiä ovat muun muassa Terveyspalvelujen tuottaja, Viranomainen, Lääkevalmistaja, maahantuojat tai markkinoijat sekä tässä tutkimuksessa käsitellyt vastaajaryhmät Potilas, asiakas tai heidän omaisensa (jatkossa yksittäiset kansalaiset) ja Potilaita ja asiakkaita edustava järjestö (jatkossa potilasjärjestö).

Palko tiedottaa käynnissä olevista arvioinneista ja Ota kantaa -palvelussa kommentoitavana olevista suositusluonnoksista verkkosivuillaan ja uutiskirjeessä, jonka voi tilata Palkon kotisivuilta. Suositusluonnos on Ota kantaa -palvelussa avoimena noin kolmen viikon ajan. (Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, 2024b.)

Tämän tutkimuksen kohteena olevat potilasjärjestölausunnot ovat muuta HTA-materiaalia täydentävää tietoa, jota voidaan hyödyntää lääkkeen korvattavuudesta tai suosituksesta päätettäessä (Sairausvakuutuslaki 21.12.2004/1224; Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, 2024b). Potilasjärjestöjen käytössä olevat tiedot arvioitavana olevista lääkehoidoista ovat erilaiset Hilan ja Palkon kohdalla: Palkon suositusluonnosta kommentoitaessa potilasjärjestöllä on käytössään Palkon valmisteleva suositusluonnos sekä Fimean julkaissut arviointiraportti. Potilasjärjestö tietää lausuntoa valmistellessaan, mitä käyttöaiheita suositus koskee ja mitkä ovat alustavat johtopäätökset. Hilan kohdalla potilasjärjestöllä on tiedossaan ainoastaan se, mitä lääkevalmistetta Hilan

käsittelyssä oleva hakemus koskee sekä hakemuksen tyyppi. Hakemustyyppejä ovat esimerkiksi uutta vaikuttavaa lääkeainetta koskeva hakemus, uusintahakemus tai laajennushakemus (Lääkkeiden hintalautakunta, 2024c). Potilasjärjestö ei lausuntoa antaessaan tiedä hakemuksen yksityiskohtia, esimerkiksi sitä, koskeeko korvattavuushakemus myyntilupaviranomaisen lääkevalmistelle vahvistaman valmisteyhteenvedon ja siinä hyväksytyjen käyttöaiheiden mukaista laajuutta, vai onko se hakemusvaiheessa tai hakemusprosessin edetessä rajoitettu johonkin tiettyyn käyttöaiheeseen, potilasryhmään tai sairauden vaikeusasteeseen.

### **3.6 Potilasjärjestöjen osallistumisen mahdollisuuksia tutkimuskirjallisuuden perusteella**

#### **3.6.1 Perusteluja potilaiden ja potilasjärjestöjen osallistumiselle**

Suoria vertailuja eri maiden käytäntöihin on vaikea tehdä, koska toimintamallit terveydenhuollon menetelmien arvioinnille ja käyttöönottoa koskevalla päätöksenteolle vaihtelevat maasta toiseen (Allen ym., 2017a, 2017b). On kuitenkin hyviksi havaittuja ja käytänteitä ja kansainvälisiä ohjeistuksia, joita voi noudattaa riippumatta siitä, miten HTA-tiedon kerääminen, arviointi ja päätöksenteko on toteutettu (HTAi, 2014; Hunter ym., 2018; INAHTA, 2021). Potilaiden ja potilasjärjestöjen osallistuminen ja osallisuus voivat toteutua eri vaiheissa arviointia: arviointiaiheiden valinnassa, tiedon kokoamisessa ja analysoinnissa, johtopäätösten ja suositusten laatimisessa, suosituksia koskevissa kuulemisissa, päätöksenteossa ja HTA-toiminnan kehittämisessä sekä tiedon jakamisessa tehdyistä suosituksista tai päätöksistä (INAHTA, 2021). Tutkimusten mukaan potilaiden ja potilasjärjestöjen osallistuminen on yleisintä siinä arvioinnin vaiheessa, jossa tutkimus- ja kustannusvaikuttavuustietoa käsitellään suhteessa sosiaalisiin ja eettisiin näkökohtiin (Scott & Wale, 2017). Yleisin tapa tuoda näkökulmia arviointeihin on antaa kirjallisia lausuntoja tai osallistua kuulemistilaisuuksiin (European Patients Forum, 2013; Scott & Wale, 2017; Arthur ym., 2023).

Potilaan osallisuuden vahvistamiselle terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa on esitetty useita perusteluita (Abelson ym., 2007). Perusteluissa painotetaan yleisesti päätöksenteon demokraattisuuden, avoimuuden, legitimitetin ja oikeudenmukaisuuden vahvistumista. Potilaiden osallistumista pidetään keinona lisätä luottamusta terveydenhuollon menetelmiin ja laajemmin terveydenhuoltojärjestelmään, ja se voi vahvistaa käyttöönottoa tai korvattavuutta koskevien päätösten hyväksyttävyyttä (Saarni, 2023). Perusteluna pidetään lisäksi potilasnäkökulman tuomaa lisäarvoa arviointiprosessiin.

Potilaille ja läheisillä katsotaan olevan arvokasta omakohtaista kokemustietoa sairauden kanssa elämisestä ja eri hoitomenetelmien tai terveyspalveluiden käytöstä. Näiden kokemusten avulla voidaan huomioida paremmin potilaiden tarpeet ja parantaa arviointien laatua ja merkityksellisyyttä palvelun tai menetelmän käyttäjän näkökulmasta. (Abelson ym., 2007, 2016; Hansen ja Street, 2017.).

On kuitenkin esitetty myös kritiikkiä siitä, edistääkö osallisuus lopulta päätöksenteon läpinäkyvyyttä, legitimiyyttä tai laatua. Sandman ym. (2020) kritisoivat erityisesti potilasedustajien mukana oloa päätöksentekoeleimissä. Päätöksillä on yleensä aina vaihtoehtokustannuksia, joita terveydenhuollon kompleksisuuden vuoksi ei useinkaan pystytä määrittämään tarkasti. Sandmanin ym. (2020) mukaan potilasedustajat ajavat usein käsiteltävänä olevaa hoitoa tarvitsevien etuja, jolloin vaihtoehtokustannuksista kärsivien, mahdollisesti tunnistamattomien ryhmien ääni ei tule esille. Yksittäisten potilasedustajien mukana olo ei myöskään automaattisesti lisää päätösten hyväksyttävyyttä laajemmassa potilasjoukossa (Sandman ym., 2020). Kirjottajat pitävätkin parempana potilaiden konsultoimista, mikä auttaa lisäämään ymmärrystä käsiteltävänä olevasta sairaudesta tai hoidosta tunnistuen samalla sen, että potilasedustajien näkökulmat ovat harvoin täysin objektiivisia (Sandman ym., 2020). Kritiikistä huolimatta myös suoralla osallistumisella ja potilasedustajien mahdollisuudella olla mukana päätöksenteossa on vankka kannatus sekä potilasjärjestöjen että monien HTA-toimijoiden parissa (European Patients Forum, 2013; Berglas ym., 2016; Livingstone ym., 2021; Wale ym., 2021). Osallistumisen rajoittaminen ainoastaan konsultointiin kaventaa potilaiden oikeutta osallistua varsinaiseen päätöksentekoon.

### **3.6.2 Kokemuksia Englannista, Skotlannista, Kanadasta ja Ruotsista**

Tässä luvussa kuvaan kirjallisuuteen perustuen kokemuksia Englannista, Skotlannista, Kanadasta ja Ruotsista. Tutkimustietoa potilasjärjestöjen osallisuuden toteutumisesta terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa on rajallisesti. Julkaistuissa tutkimuksissa korostuivat tutkimukset Englannista, Skotlannista ja Kanadasta (Kreis & Schmidt, 2013; Facey ym., 2017; Wale & Sullivan, 2019; Norburn & Thomas, 2020; Cook ym., 2021; Boothe, 2021; Mason ym., 2021). Lisäksi näissä maissa lääkkeiden arviointijärjestelmä ja potilaiden mahdollisuudet tuoda kirjallisesti näkökulmia arviointiin ovat melko lähellä Hilan ja Palkon toimintamalleja. Englannissa, Skotlannista ja Kanadassa potilasjärjestöjä kannustetaan antamaan kirjallisia lausuntoja, ja lausuntomahdollisuuksien lisäksi maallikko- ja / tai potilasedustajia on jäsenenä lääketoimia arvioivissa toimikunnissa tai asiantuntijaryhmissä (Facey & Single,

2017; Scott & Wale, 2017; Wale ym., 2017; CADTH, 2021). Ruotsissa potilasjärjestöjen mahdollisuus tuoda kirjallisia lausuntoja yksittäisiin arviointeihin pääsääntöisesti puuttuu, mutta Ruotsin lääkeviranomaisella Tandvårds- och läkemedelsförmånsverketillä (TLV), on yhtäläisyyksiä Suomen Hilan kanssa TLV:n päättäessä lääkkeiden korvattavuudesta ja hinnoista (Sosiaali- ja terveysministeriö, 2013; TLV, 2023b).

## **Englanti**

Kattavin kokemus potilaiden ja potilasjärjestöjen osallisuuden huomioimisesta terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa on kiistatta NICellä (Kreis & Schmidt, 2013; Norburn & Thomas, 2020). NICE arvioi hoitoteknologioita ja tekee suosituksia (Technology Appraisals), joita julkisen terveydenhuoltojärjestelmän National Health Servicen (NHS) tulee noudattaa. Suositukset voivat olla eri asteisesti myönteisiä tai ne voivat rajata hoidon pois palveluvaihtoimasta. Myönteisten suositusten kohdalla NHS:n tulee saattaa hoito potilaiden ulottuville pääsääntöisesti kolmen kuukauden kuluessa suosituksen valmistumisesta. (NICE, 2024a.)

NICE on kehittänyt johdonmukaisesti osallistumista tukevaa toimintaa organisaation perustamisesta lähtien, ja organisaatio tukee kerrallaan 200–250 maallikko- tai potilasedustajan osallistumista Englannissa ja Walesissa. Esimerkiksi vuosina 2017–2018 NICE rekrytoi 185 maallikko- tai potilasedustajaa toimikuntien jäseniksi tai potilasedustajaksi arviointeihin (NICE, 2018). NICE:n toimintaa on käsitelty tarkemmin luvussa 3.4.

## **Skotlanti**

Skotlannissa terveydenhuollon menetelmiä arvioi kaksi viranomaistahoa: Scottish Medicines Consortium (SCM) arvioi lääkehoitoja ja Scottish Health Technologies Group (SHTC) arvioi muita terveydenhuollon menetelmiä. SMC ottaa lääkevalmisteet käsittelyyn lääkeyrityksen hakemuksen perusteella, ja voi joko hyväksyä valmisteeseen, hyväksyä sen tietyin rajoituksin, tai tehdä päätöksen siitä, että valmistetta ei suositella käyttöön. (Healthcare Improvement Scotland, 2023). Kun SMC on hyväksynyt hoidon, National Health Service in Scotlandin (NHS Scotland) tulee saattaa valmiste tai vastaava valmiste potilaiden käyttöön (Healthcare Improvement Scotland, 2022). SMC perustettiin vuonna 2001, ja vuonna 2002 sen päättävään elimeen otettiin jäseneksi kaksi maallikkoedustajaa (Public Partners). Nykyisin maallikkoedustajia on kolme (Single ym., 2017). Muut jäsenet ovat terveydenhuollon ammattilaisia, NHS:n tai lääketeollisuuden edustajia. Kaikki jäsenet, maallikkoedustajat mukaan lukien, osallistuvat päätöksentekoon. SMC:n päättävä elin kokoontuu kuukau-

sittain, ja sen tukena toimii farmasian alan, taloustieteiden ja osallisuuden edistämisen ammattilaisista sekä terveyspalveluiden tutkijoista koostuva tiimi. (Single ym., 2017; Healthcare Improvement Scotland, 2023.)

SMC:n kumppaneiksi (SMC Patient Group Partner) rekisteröityneet potilasryhmät ja -järjestöt voivat antaa lausuntoja arvioitavana olevista lääkehoidoista. Lausuntoja varten on luotu lomake ja ohjeistus, jotka ovat saatavilla SMC:n verkkosivuilla. Ohjeistuksessa on tuotu esille sekä lausunnoilta toivotut sisällöt (nykyisen hoitokäytännön mahdolliset haasteet, uuden hoiton vaikutukset elämänlaatuun ja potilaan arkeen, jne.), että SMC:n päätöksenteon kannalta tarpeettomat sisällöt (tieteellinen näyttö, jonka SMC saa muuta kautta, ylitsevuotavan tunteellinen tai SMC:n prosesseja kritisoiava sisältö tai tarpeeton toisto). Lausunnoista tehdään yhteenveto, joka julkaistaan osana arviointiraporttia (Detailed Advice Document, DAD). (Single ym., 2017; Healthcare Improvement Scotland, 2022, 2023.)

Lausunnon antaneen potilasryhmän tai -järjestön edustaja voi osallistua SMC:n kokoukseen, kun lausunnon kohteena ollutta valmistetta käsitellään. Edustajan tehtävänä on vastata mahdollisiin kysymyksiin ja selvittää lausunnon sisältöä tarpeen mukaan potilaiden ja läheisten näkökulmasta. (Healthcare Improvement Scotland, 2022).

SMC:n uusien lääkkeiden komitea (New Drugs Committee) tekee alustavan arvion uudesta hoidosta ja voi pyytää tarkennuksia hakemuksen lähettäneeltä lääkeyritykseltä ennen SMC:n kokousta. Mikäli harvinaisen sairauden tai elämän loppuvaiheen hoitoon käytettävä valmiste saa SMC:n uusien lääkkeiden komitealta kielteisen suosituksen, lääkeyritys voi pyytää potilas- ja kliinikotapaamista (Patient and Clinician Engagement meeting, PACE) (Wale & Sullivan, 2019, Single ym. 2017). Tapaamisessa potilasedustajat, läheiset ja kyseiseen sairauteen perehtyneet lääkärit keskustelevat hoidosta ja sen mahdollisista vaikutuksista, jotka eivät ole tulleet esille kliinisissä tutkimuksissa ja terveystaloustieteellisessä tarkastelussa. PACE-kokouksen johtopäätökset otetaan huomioon SMC:n käsittelyssä ja raportoinnissa (Wale & Sullivan, 2019). SMC:n osallisuustoiminnan kehittämiseksi on lisäksi luotu asiantuntijaryhmä (Public Involvement Network Advisory Group, PIN), jossa ovat mukana SMC:n maallikkoedustajat, kolme edustajaa rekisteröityneistä potilasjärjestöistä, SMC:n edustaja sekä SMC:n kliininen asiantuntija. (Single ym., 2017; Healthcare Improvement Scotland, 2022, 2023.)

## ***Kanada***

Kanadassa CADTH (Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health, nyk. Canada's Drug Agency) tekee ei-sitovia suosituksia terveydenhuollon menetelmistä terveyspalveluiden järjestäjille ja lääkeohjelmille (Drug Pro-

grams). CADTH on luonut erilaisia malleja potilasjärjestöjen osallistumiselle sekä lausuntojen antajina että arviointityöryhmien jäseninä (CADTH, 2021 ja 2022). Kanadassa maallikko- tai potilasedustajat ovat mukana äänivaltaisina jäseninä seuraavissa toimikunnissa: Canadian Drug Expert Committee, pan-Canadian Oncology Drug Review Expert Review Committee ja Health Technology Expert Review Panel (Berglas ym., 2016; CADTH, 2021, 2022). Lisäksi potilasjärjestöt tai -yhteisöt voivat antaa kirjallisia lausuntoja arvioitavana olevista hoidoista. CADTH pyytää lausuntoja nimenomaisesti potilasjärjestöiltä tai -yhteisöiltä, jotka edustavat laajempaa potilasjoukkoa.

Lausuntoja antaville järjestöille ja yhteisöille on luotu Kanadassa selkeät ohjeet ja mallipohjat lausunnoille (CADTH, 2021). Kehittämisessä otettiin mallia Skotlannin SMC:n aiemmin luoduista ohjeistuksista (Weeks ym., 2017). Lausunnoissa pyydetään kuvaamaan kokemuksia sairaudesta ja sairauden vaikutuksista potilaan ja läheisten arkeen, kokemuksia nykyisistä käytössä olevista hoidoista, niiden hyödyistä ja mahdollisista haitoista, odotuksia ja mahdollisia käytännön kokemuksia uudesta arvioitavasta hoidosta sekä arviointia siitä, mihin uusi hoito sijoittuu hoitolinjauksissa. Arvioitavaa hoitoa ja sairautta koskevien kommenttien lisäksi CADTH pyytää lausunnon antajaa kertomaan lyhyesti järjestön tai yhteisön taustasta, mahdollisista sidonnaisuuksista sekä siitä, miten kokemuksia on lausuntoa varten kerätty. (CADTH, 2021.) Toimikunnan jäsenenä toimiva maallikko- tai potilasedustaja kokoaa potilasjärjestöjen tai -yhteisöjen antamat lausunnot, tekee niistä yhteenvedon ja esittää sen toimikunnan muille jäsenille sekä osallistuu asiaa koskevaan pohdintaan ja päätöksentekoon. (CADTH, 2021; Scott & Wale, 2017). SMC:n ja CADTH:in toimintamallit lausuntojen antamiseen ovat hyvin lähellä Hilan ja Palkon lausuntomahdollisuuksia.

## **Ruotsi**

Ruotsin lääkeviranomaisen Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) vastaa Suomen Hilaa ja päättää lääkkeiden korvattavuudesta ja hinnoista (Sosiaali- ja terveystieteiden ministeriö, 2013; TLV, 2023b). TLV:ssä potilasjärjestön edustajat ovat mukana TLV:n avoimuustoimikunnissa (insynsråd) ja TLV:n päätävissä elimissä eli lääkelautakunnassa (nämnden för läkemedelsförmåner) ja hammashoidon tuista päättävässä lautakunnassa (nämnden för statligt tandvårdsstöd) (TLV, 2023b). Lautakunnissa mukana olevat potilas- tai kuluttajajärjestöjen edustajat eivät lautakunnan jäseninä edusta ainoastaan omaa sairausryhmäänsä, vaan laajemmin potilasyhteisöä. TLV järjestää lisäksi kaksi kertaa vuodessa dialogifoorumin, johon kutsutaan potilas-, kuluttaja- ja eläkeläisjärjestöjä. Foorumissa käsitellään ajankohtaisia lääkealaan ja potilaiden osallistumiseen liittyviä asioita. Esimerkiksi vuonna 2022 foorumi käsiteli

innovatiivisten lääkkeiden rahoitusta ja EU:n HTA-asetusta. TLV:llä on myös säännöllisiä syövän ja diabeteksen hoitoon keskittyviä pyöreän pöydän keskusteluja, joihin kutsutaan terveydenhuollon ammattilaisia ja potilaiden edustajia keskustelemaan ajankohtaisista asioista. (TLV, 2023b; Werkö & Andersson, 2017.)

TLV on julkaissut verkkosivuillaan potilasyhteistyön periaatteet (Policy patientmedverkan på TLV) sekä menetelmäoppaan yhteistyön suunnittelun ja arvioinnin tueksi (Metodstöd med syfte att bidra vid analys och planering av medverkansaktiviteter) (TLV, 2020, 2023a). TLV noudattaa yhteistyössä eurooppalaista ohjeistoa kansalaisjärjestöjen osallistumisesta päätösprosessiin (Code of good practice for civil participation in decision-making processes). Ohjeistus on luotu Euroopan neuvoston kansainvälisessä kansalaisjärjestöjen INGO-konferenssissa vuonna 2009 ja sitä on päivitetty vuonna 2019 (Council of Europe, 2019).

TLV:lle lähetetyt hinta- ja korvattavuushakemukset ovat luottamuksellisia, minkä vuoksi potilasjärjestöjen osallistuminen yksittäisiin arviointeihin on ollut rajallista (Werkö & Andersson, 2017). Hakemuksen lähettänyt yritys voi kuitenkin luopua oikeudestaan luottamuksellisuuteen, mikäli se haluaa avata hakemuksen ja sen yksityiskohdat keskustelulle muiden sidosryhmien kanssa. Muutamissa tapauksissa yritykset ovat toimineet näin, josta yhtenä esimerkkinä on C-hepatiitin hoitoon käytettävän lääkkeen arviointi ja arvoon perustuva hinnoittelu. (TLV, 2015; Werkö & Andersson, 2017.) Uusintakäsittelyissä, joihin aloitteen on yrityksen sijaan tehnyt TLV, voi keskustella potilas- tai kuluttajajärjestöjen kanssa korvattavuuden uusimisesta ja siihen liittyvistä näkökulmista (Werkö & Andersson, 2017).

### **3.7 Kansainvälisesti tunnistettuja haasteita osallisuuden toteutumisessa**

Kansainvälisissä terveydenhuollon menetelmien arviointia tai käyttöönottopäätöksiä koskevissa tutkimuksissa on tunnistettu useita haasteita potilaiden ja potilasjärjestöjen osallisuuden toteutumiselle. HTAi-järjestön vuonna 2023 toteuttamassa selvityksessä havaittiin, että eurooppalaiset potilasjärjestöt kokivat suurimpina esteinä tiedon ja resurssien puutteen (Holtorf & Bertelsen, 2023). Euroopan potilasfoorumin EPF:n aiemmin toteuttamassa kyselyssä HTA-toimijat, päätöksentekijät ja potilasjärjestöt kokivat haasteiksi hyväksi havaittujen menetelmien puutteen potilasnäkökulman keräämiseksi tai antamiseksi sekä epäselvyyden siitä, missä vaiheessa potilaiden osallistuminen olisi tarpeellista tai hyödyllisintä (European Patients Forum, 2013). Puutteita osaamisessa kokivat sekä HTA-toimijat että potilasedustajat (European

Patients Forum, 2013; Gagnon ym., 2021; Dimitrova ym., 2022). Haasteiksi on tunnistettu myös ajan ja taloudellisten resurssien puute sekä potilailta saadun näytön uskottavuus (European Patients Forum, 2013; Dimitrova ym., 2022). HTA-toimijoiden huolenaiheina on lisäksi raportoitu potilasjärjestöjen mahdolliset sidonnaisuudet ja yhteys lääketeollisuuteen (Hashem ym., 2018; Gagnon ym., 2021; Dimitrova ym., 2022). Tässä tutkimuksessa tavoitteena oli kartoittaa suomalaisten potilasjärjestöjen ja lääkealan viranomaisten mahdollisesti kokemia haasteita.

## 4 TUTKIMUKSEN TAVOITTEET

Tämän tutkimuksen tarkoituksena oli kuvata, miten potilasjärjestöjen osallisuus toteutuu Hilan ja Palkon lääkkeitä koskevissa lausuntoprosesseissa. Tutkin väitöskirjatyössäni sitä, kuinka paljon potilasjärjestöt ovat antaneet lääkkeisiin liittyviä lausuntoja Hilalle ja Palkolle, mitä haasteita lausuntojen antamiseen potilasjärjestöjen näkökulmasta liittyy, miten potilasjärjestöjen edustajat kokevat osallisuuden toteutumisen, ja miten viranomaiset hyödyntävät annettuja lausuntoja suositusta tai korvattavuutta koskevassa päätöksenteossa.

Tutkimuksen tarkempina tavoitteina oli vastata seuraaviin kysymyksiin:

1. Minkä verran potilasjärjestöt ovat hyödyntäneet mahdollisuuksia antaa potilasjärjestölausuntoja Hilalle uusista, arvioitavana olevista avohoidon lääkkeistä ja kommentoida Palkon laatimia uusia sairaalalääkkeiden suositusluonnoksia? (Osatyö I)
2. Minkälaisia kokemuksia potilasjärjestöjen edustajilla ja viranomaisilla on potilasjärjestöjen lääkeaiheisista lausunnoista Hilalle ja Palkolle sekä lausuntoprosesseihin liittyvästä yhteistyöstä?
  - Mitä haasteita lausuntojen antamiseen ja potilasjärjestöjen kuulemiseen liittyy potilasjärjestöjen ja viranomaisten näkökulmista? (Osatyö II)
  - Miten potilasjärjestöjen edustajat kokevat osallisuuden toteutumisen lausuntoprosesseissa? (Osatyö III)
  - Minkälaisena viranomaiset näkevät potilasjärjestöjen roolin Hilan ja Palkon arviointi- ja päätöksentekoprosesseissa, ja miten lausuntoja voisi sisällöllisesti kehittää niin, että ne tukevat viranomaisen toimintaa? (Osatyö III)
3. Kuinka hyväksi kansalaiset arvioivat tietonsa lääkkeiden kehityksestä ja terveydenhuollon menetelmien arvioinnista, ja minkälaista tietoa, tukea tai koulutusta erityisesti potilasjärjestöjen edustajat tarvitsevat osallistuakseen Hilan ja Palkon lääkkeisiin liittyviin lausuntoprosesseihin? (Osatyöt II ja IV)

## 5 AINEISTO JA MENETELMÄT

Väitöstutkimukseni koostuu neljästä osatyöstä (I–IV). Tutkimus oli monimenetelmällinen ja siinä käytettiin sekä laadullisia (II ja III) että määrällisiä (I ja IV) tutkimusmenetelmiä (taulukko 3). Osatöissä II ja III tarkasteltiin samaa haastatteluaineistoa eri tutkimuskysymysten näkökulmista. Tässä luvussa esitelen käyttämäni tutkimusasetelman (kuva 3), menetelmät, aineistot ja niiden analysointiprosessit tulosten tuottamiseksi.



Kuva 3. Tutkimusasetelma

**Taulukko 3.** Yhteenvedo osatöiden tavoitteista, menetelmistä ja aineistoista.

Osatyö	Tavoitteet	Aineisto	Analyysimenetelmä
I	Tutkia, kuinka paljon potilasjärjestöt ovat antaneet lääkkeisiin liittyviä lausuntoja Hilalle ja Palkolle vuosina 2017–2021.	Lääkkeiden hintalautakunnan ja terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston tutkijalle toimittamat lääkkeisiin liittyvät lausunnot vuosilta 2017–2021 vastauksena tutkijan tekemään tietopyyntöön	Viranomaisdokumentteihin perustuva kuvaileva tilastollinen analyysi
II	Tutkia, mitä haasteita lausuntojen antamiseen ja potilasjärjestöjen kuulemiseen liittyy potilasjärjestöjen ja viranomaisten näkökulmista.	Litteroidut teemahaastattelut (n=17) potilasjärjestöjen työntekijöille ja luottamushenkilöille (n=14) ja viranomaisille (n=7). Haastateltavia oli yhteensä 21, haastatteluja 17. Haastatteluaineistoa oli yhteensä 618 minuuttia. Haastattelut toteutettiin kesä-marraskuussa 2021.	Laadullinen sisällönanalyysi Atlas.ti -ohjelmaa hyödyntäen. Ensimmäisessä vaiheessa aineisto analysointiin deduktiivisesti tutkimuskysymysten ohjatessa analyysiä, ja toisessa vaiheessa induktiivisesti.
III	Tutkia potilasjärjestöjen kokemuksia osallisuudesta ja viranomaisten näkemyksiä siitä, minkälaisena he näkevät potilasjärjestöjen roolin Hilan ja Palkon lääkkeisiin liittyvässä arviointi- ja päätöksentekoprosesseissa.		
IV	Selvittää kansalaisten itse kokemia tiedon tasoa lääkkeiden kehityksestä ja terveydenhuollon menetelmien arvioinnista.	Vastaukset kansalaisille suunnattuun kyselytutkimukseen (n=503).	Internetpaneelin kautta toteutettu kyselytutkimus. Tilastollinen analyysi (Pearsonin khiin neliö-testi ja logistinen regressio).

## 5.1 Viranomaisdokumentteihin perustuva analyysi (osatyö I)

Osatyön I tavoitteena oli tutkia, kuinka paljon Hila ja Palko olivat saaneet lääkkeisiin liittyviä lausuntoja potilasjärjestöiltä vuosina 2017–2021. Keräsin tutkimuksen aineiston lähettämällä sähköpostitse kirjallisen tietopyynnön Hilalle ja Palkolle perustuen lakiin viranomaisten toiminnan julkisuudesta (21.5.1999/621). Lähetin ensimmäisen tietopyynnön viranomaisille vuosien 2016–2020 aineistosta syyskuussa 2021 ja toisen tietopyynnön vuoden 2021 aineistosta huhtikuussa 2022. Hilan ei ollut mahdollista toimittaa vuoden 2016 aineistoa, joten tarkastelujakso käsitti vuodet 2017–2021. Väitöskirjan

yhteenvedon varten pyysin tammikuussa 2024 aineistot vuosilta 2022 ja 2023, joten yhteenvedon osan aineisto kattaa 7-vuotiskauden 2017–2023.

Tietopyynnöt Hilalle käsittivät organisaation vuosittain vastaanottamien lääkkeisiin liittyvien potilasjärjestölausuntojen lukumäärän hakemusluokittain ja anatomis-terapeuttis-kemiallisen (ATC) -luokan mukaisesti. Hila toimitti vastaukset tietopyyntöihin Excel-tiedostoina tai taulukkona sähköpostin viestikentässä. Hilan vastaus sisälsi listan niistä hakemuksista, joihin Hila oli vastaanottanut potilasjärjestölausunnon tai -lausuntoja. Listaan oli koottu hakemuksen diaarinumero, lausunnon saapumisvuosi, asiakirjatyyppi ja lääkevalmisteen nimi. Uusintahakemukset ja erityislupavalmisteet oli merkitty erikseen. Hila pyysi lisäksi huomioimaan, että yhtä hakemusta/lääkevalmistetta kohden Hila on voinut vastaanottaa yhden tai useamman lausunnon ja/ tai yksi lausunto on voinut koskea useampaa hakemusta/lääkevalmistetta.

Palkolle lähetetyissä tietopyynnöissä pyysin Palkoa listaamaan lausuntojen lukumäärän jokaisesta lääkehoitoa käsittelevästä suositusluonnoksesta, jonka olivat antaneet vastaajaryhmät Potilaita tai asiakkaita edustava järjestö (tästä vastaajaryhmästä käytetään jatkossa nimitystä potilasjärjestö) ja Potilas, asiakas tai heidän omaisensa (tästä vastaajaryhmästä käytetään jatkossa nimitystä yksittäiset kansalaiset). Palko toimitti vastaukset tietopyyntöihin Excel- ja PDF-tiedostoina. Palkon vastaukset sisälsivät lääkehoitojen suositusluonnoksia koskevien lausuntojen lukumäärät pyydytyiltä vastaajaryhmiltä vuosina 2015–2020, 2021 ja 2022–2023. Lausuntojen määrä oli eritelty sen mukaan, oliko lausunnonantajina potilasjärjestöjä vai yksittäisiä kansalaisia. Osatyössä I ovat mukana vuosien 2017–2021 aikana tulleet lausunnot, jotta tarkastelujakso olisi sama kuin Hilan tiedoissa. Vuosina 2015–2016 Palko julkaisi ainoastaan yhden lääkehoitoja koskeneen suositusluonnoksen (Silmänpohjan koston ikärappeuman hoito silmänsisäisellä bevasitsumabilla), johon ei liittynyt Ota kantaa -lausuntoja. Väitöskirjan yhteenvedon on lisätty tiedot vuosilta 2022 ja 2023.

Saatuani vastaukset tietopyyntöihin kokosin Hilan ja Palkon listat eri vuosien aineistosta Excel-tiedostoon. Jaottelin vastaukset lääkeaineryhmittäin ATC-luokkiin. Tarkistin jokaisen valmisteen ATC-koodin Fimean lääkehaku-palvelusta ja kävin koodit kertaalleen läpi yhteenvedon varten WHO:n ATC/DDD Index 2024 -palvelussa (Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea, 2024; WHO Collaborating Centre for Drug Statistics Methodology, 2024). Analysoin vastauksista Excel-ohjelmalla lausuntojen ja ryhmien (ATC-luokka, vuosi, Palkon kohdalla myös vastaajan tausta) lukumäärät ja prosenttiosuudet. Keräsin lisätietoja Hilan vuosittaisista hakemusmääristä Hilan kotisivuilta (Lääkkeiden hintalautakunta, 2024b). Tutkimuksessa käytetty tieto on julkista viranomaistietoa, jossa ei ollut mukana henkilötietoja, joten eettistä ennakoarviointia tai tutkimuslupaa ei tarvittu.

## 5.2 Haastattelututkimus (osatyöt II ja III)

Osatoissa II ja III oli tavoitteena tutkia potilasjärjestöjen ja viranomaisten kokemuksia potilasjärjestölausuntojen antamisesta ja niiden hyödyntämisestä viranomaistoiminnassa, osallisuuden kokemuksista sekä lausuntoihin liittyvistä haasteista tai koulutuksen ja tiedon tarpeista. Osatyössä II käsiteltiin kokemuksia viranomaisten ja potilasjärjestöjen yhteistyöstä, kokemuksia lausuntoprosessista, kokemuksia lausuntoihin liittyvistä haasteista sekä tiedon, tuen ja koulutuksen tarpeista. Osatyössä III käsiteltiin osallisuuden kokemuksia ja lausuntojen merkitystä Hilan ja Palkon päätöksenteossa potilasjärjestöjen ja viranomaisten näkökulmista.

Osatöiden II ja III aineisto koostuu potilasjärjestöjen edustajien (työntekijä tai hallituksen jäsen) ja viranomaisten puolistrukturoiduista haastatteluista. Haastateltavat kutsuttiin haastatteluihin harkinnanvaraisesti tarkoituksenmukaisuuden perusteella, mikä on laadullisessa tutkimuksessa yleisesti käytetty otantamenetelmä (Kylmä & Juvakka, 2014, s. 26; Eskola & Suonranta, 2014, s. 18; Tuomi & Sarajärvi, 2018, s. 98). Laadullisessa tutkimuksessa ei pyritä tilastollisiin yleistyksiin vaan ymmärtämään tutkimuksen kohteena olevia ilmiöitä mahdollisimman monipuolisesti. Tämän vuoksi laadullisessa tutkimuksissa osallistujiksi tavoitellaan yleensä henkilöitä, joilla on kokemusta tutkimuksen kohteena olevasta aihepiiristä. (Elo ym., 2014; Tuomi & Sarajärvi, 2018, s. 98; Palonen & Kylmä, 2022). Potilasjärjestöjen edustajat rekrytoitiin Suomen sosiaali ja terveys ry:n (SOSTE) koordinoiman Potilas- ja kansanterveysjärjestöjen verkoston (POTKA) kautta kertomalla tutkimuksesta verkoston kokouksessa sekä sähköpostilistalla, ja suorilla sähköpostiyhteydenotoilla 15 järjestön henkilöstölle. POTKA-verkostossa oli vuonna 2021 noin 40 valtakunnallista jäsenjärjestöä, joihin kuuluu sekä vapaaehtoisvoimin toimivia pieniä, sairauskohtaisia järjestöjä että suurempia potilasliittoja (Innokylä, 2024).

Suorat haastattelukutsut lähetettiin sähköpostitse järjestöille, joiden edustamiin sairauksiin on viime vuosina tullut uusia lääkkeitä ja joiden on siten ollut mahdollista antaa lausuntoja Hilalle ja/tai Palkolle. Kutsuttujen joukossa oli eri kokoisia ja eri sairausryhmiä edustavia järjestöjä. Kutsu välitettiin haastatellun järjestön ehdotuksesta lisäksi yhdelle POTKA-verkoston kuulumattomalle järjestölle, jolla oli kokemusta lausuntojen antamisesta. Tavoitteena oli saada mukaan laaja edustus erilaisia järjestöjä, joilla on ollut mahdollisuus antaa lausuntoja Hilalle ja Palkolle. Viranomaistahot kutsuttiin haastatteluun lähettämällä sähköpostia Hilan ja Palkon sihteeristölle. Haastateltavien valintakriteereinä olivat potilasjärjestöillä joko potilasjärjestön työntekijä tai hallituksen jäsen, ja viranomaistahoilla työn liittyminen Hilan tai Palkon toimintaan. Organisaatiot valitsivat itse haastatteluun osallistuvat henkilöt työtehtävien tarkoituksenmukaisuuteen tai rooliin perustuen.

Haastateltujen määrään vaikutti se, kuinka moni kutsutuista järjestöistä ja viranomaisista vastasi myönteisesti haastattelukutsuun. Yksi järjestöistä ilmoittautui mukaan haastatteluun heti POTKA-verkoston kokouksessa pidetyn esittelyn jälkeen. Yhdeksän järjestöä vastasi myönteisesti suoraan heille lähetettyyn haastattelukutsuun. Haastateltavien yksityisyyden suojaamiseksi haastateltavien taustatietoja ei artikkelissa eritellä yksityiskohtaisesti.

## 5.2.1 Haastattelurunko

Valitsin menetelmäksi puolistrukturoidun haastattelun, sillä tutkittavasta aiheesta oli jonkin verran aiempaa tietoa, minkä avulla oli mahdollista tunnistaa ja määritellä tutkimuksen teemat (Palonen & Kylmä, 2022). Suunnittelin haastattelurungon yhteistyössä potilasjärjestöjen kanssa käytännön työssä koettujen haasteiden ja kirjallisuuteen perustuvan taustatutkimuksen perusteella (European Patients Forum, 2013; Gagnon ym., 2021; Palonen & Kylmä, 2022). Testasin haastattelurungon potilasjärjestön työntekijän kanssa ennen varsinaisten haastattelujen aloittamista. Testihaastatteluun valitsin järjestön, joka oli antanut lausuntoja sekä Hilalle että Palkolle. Tein haastattelurunkoon testihaastattelun perusteella pieniä, kysymyksiä tarkentavia muutoksia. Testihaastattelua ei otettu mukaan aineiston analyysiin.

Haastattelurunkojen sisältämät teemat olivat samat, mutta kysymykset oli muotoiltu hieman eri tavalla potilasjärjestöjen edustajille ja viranomaisille (liitteet 4 ja 5: haastattelurungot). Käsiteltävät teemat olivat seuraavat: 1) kokemukset lausuntoprosesseihin liittyvästä yhteistyöstä sekä potilasjärjestöjen lääkeaiheisista lausunnoista, 2) lausuntojen antamiseen ja potilasjärjestöjen kuulemiseen liittyvät haasteet potilasjärjestöjen ja viranomaisten näkökulmista, 3) kokemus osallisuuden toteutumisesta ja lausuntojen hyödyntämisestä viranomaisen päätöksenteossa, 4) tiedon, tuen tai koulutuksen tarpeet.

Toteutin tutkimukseen sisältyvät haastattelut kesä-marraskuussa 2021 (taulukko 6, s. 63). Sovin haastateltavien kanssa sähköpostitse haastatteluajan ja tein haastattelut Teams-videopuhelun välityksellä. Tallensin haastattelut erilliselle nauhurille äänitiedostona. Ennen haastatteluun osallistumista lähetin haastateltaville sähköpostitse tiedotteen tutkimuksesta, haastattelurungon ja tieteellisen tutkimuksen tietosuojailmoituksen. Ennen haastattelua haastateltavat allekirjoittivat suostumuksen haastattelututkimukseen osallistumisesta ja henkilötietojen käytöstä, ja lähettivät allekirjoitetun lomakkeen minulle takaisin sähköpostitse. Haastattelun alussa kerroin heille vielä suullisesti tutkimuksen tavoitteista ja taustasta sekä kävimme läpi tiedotteen ja tietosuojailmoituksen sisällöt. Muistutin haastateltavia osallistumisen vapaaehtoisuudesta ja luottamuksellisuudesta.

Haastattelut etenivät haastattelurungon ohjaamina, mutta teemojen järjestys saattoi vaihdella haastattelutilanteissa keskustelun luonnollisen kulun mukaan. Haastattelurungon avulla varmistin, että käsittelin kaikkien haastateltavien kanssa tutkimuskysymysten kannalta olennaiset teemat (Hirsjärvi & Hurme, 2000, s. 103–104; Tuomi & Sarajärvi, 2018, s. 87; Palonen & Kylmä, 2022).

### **5.2.2 Aineiston analysointi**

Ulkopuolinen litterointiin erikoistunut yritys (Spoken Oy) litteroi äänitallenteet. Tämän jälkeen tarkistin litteroinnit ja poistin litteroiduista teksteistä mahdolliset tunnistetiedot. Analysoin litteroidun haastatteluaineiston sisällönanalyysillä, aluksi deduktiivisesti tutkimuskysymysten ohjatessa luokittelua ja myöhemmässä vaiheessa induktiivisesti, jotta analyysiin saatiin mukaan myös teemoja, joita tutkimuskysymyksiä luotaessa ei oltu osattu ottaa huomioon (Elo & Kyngäs, 2008; Elo ym., 2014; Tuomi ja Sarajärvi 2018, s. 108–109). Aineisto analysoitiin erikseen osatöitä II ja III varten. Analysoinnissa käytin Atlas.ti -ohjelmaa. Tein analysoinnin itsenäisesti, jonka jälkeen keskustelin luokittelusta ja tulosten tulkinnasta ja esittämisestä ohjaajieni kanssa.

Väitöskirjan yhteenvedoa varten analysoin haastatteluaineiston vielä kertaalleen deduktiivisesti, ja etsin vastauksia haastatteluissa esitettyyn kysymykseen kehittämisehdotuksista (liite 4 ja 5, luku 6.5).

## **5.3 Kyselytutkimus (osatyö IV)**

Tämä väitöskirjan osatyö sai alkunsa työskennellessäni Suomen Syöpäpotilaat ry:ssä, jossa havaitsimme tarpeen selvittää kansalaisten tietämystä lääketutkimuksesta, lääkkeiden kehityksestä ja terveydenhuollon menetelmien arvioinnista. Menetelmäksi valitsimme kyselytutkimuksen, jonka perustana oli kuudessa Euroopan maassa (Espanjassa, Iso-Britanniassa, Italiassa, Puolassa, Ranskassa ja Saksassa) vuonna 2013 toteutettu kansalaiskysely (Parsons ym., 2015). Toimin tutkimuksen vastuuhenkilönä ja päätutkijana. Pyysin alkuperäisen kyselylomakkeen laatijoilta luvan lomakkeen käyttämiseen ja kääntämiseen englannista suomeksi. Kyselylomake käännettiin käännöstoimistossa, takaisinkäännettiin ja lomakkeen ymmärrettävyys testattiin neljällä koehenkilöllä (liite 6. Suomessa käytetty kyselylomake). Kysymykset liittyivät kansalaisten itse kokemaan tietämykseen ja kiinnostukseen oppia lisää lääkekehityksen eri vaiheista sekä terveydenhuollon menetelmien arvioinnista (Parsons ym., 2015). Kysely perustui Euroopan komission ja Innovatine Medicines Initiativen rahoittamaan EUPATI-hankkeeseen (2012–2017), jonka tavoitteena on vahvis-

taa potilaiden osallisuutta ja lisätä tietämystä lääkkeiden kehityksestä (Parsons ym, 2015; EUPATI, 2024). Terveystieteiden menetelmien arviointi oli englannista suomeksi käännetty kyselylomakkeella määritelty seuraavasti: Uusien menetelmien (kuten lääkkeiden) arviointi sen perusteella miten hyvin ne toimivat sairauksien ehkäisemisessä, diagnosoinnissa ja hoitamisessa. Lääkehoitojen kustannusvaikuttavuus oli avattu seuraavasti: Lääkkeiden kustannusten, riskien ja hyötyjen arvioiminen ja vertaaminen eri hoitovaihtoehtoihin, sekä resurssien kustannustehokkaan käytön määrittäminen.

Kyselytutkimus toteutettiin tammikuussa 2019 käyttäen markkina-tutkimusyriytys Kantar TNS:n Gallup Forum-paneelia (Kantar, sähköpostitiedontanto 11.3.2019; Tietoarkisto, 2024). Paneelissa on yli 40 000 jäsenen vastaajakanta, joka on valittu kuntakohtaisena satunnaisotantana edustamaan suomalaisia. Paneeli koostuu siihen rekrytoituista 15-80-vuotiaista henkilöistä, jotka ovat antaneet nimenomaisen suostumuksensa tulla kutsutuksi vastaamaan kyselyihin. Paneelin jäseniä rekrytoidaan pääasiassa puhelinhaastatteluin, ja paneelin rekrytointi on jatkuvaa, jotta siitä otettavat näytteet olisivat demografisesti edustavia. (Kantar, sähköpostitiedontanto 11.3.2019). Vastaajakannasta valittiin tähän kyselyyn kiintiöpoiminnalla 503 panelistia ikähaarukasta 16–64 vuotta huomioiden vastaajien ikä, sukupuoli ja asuinpaikka. Kiintiöpoiminta viittaa otantamenetelmään, jossa asetetaan määrälliset tavoitteet erityyppisten (käytännössä eri-ikäisten ja sukupuolta olevien) ihmisten sisällyttämiseen tutkimusjoukkoon (Rukmana, 2014). Satunnaisesti valikoituneita uusia, kiintiöön sopivia henkilöitä kutsutaan mukaan niin kauan, että kyseisestä ryhmästä on saatu riittävänä pidetty määrä vastauksia (taulukko 4). Kantar TNS Gallup Forum kutsui panelistit vastaamaan kyselyyn sähköpostitse. Vastaaminen kyselyyn tapahtui anonymisti.

**Taulukko 4.** Kyselytutkimuksessa (osatyö IV) käytetyt kiintiöinnit, joilla saatiin edustava vastaajajoukko 16-64-vuotiaista suomalaisista iän, sukupuolen ja asuinpaikan mukaan (n=503).

<b>Ryhmä</b>	<b>Tavoiteltu vastaajien määrä</b>
<b>Naiset</b>	260 vastaajaa
<b>Miehet</b>	240 vastaajaa
<b>Alle 50-vuotiaat</b>	300 vastaajaa
<b>Yli 50-vuotiaat</b>	200 vastaajaa
<b>Helsinki-Uusimaa</b>	160 vastaajaa
<b>Etelä-Suomi</b>	105 vastaajaa
<b>Länsi-Suomi</b>	125 vastaajaa
<b>Pohjois- ja Itä-Suomi</b>	110 vastaajaa

Kantar TNS toimitti kyselyyn osallistuneiden anonyymeihin vastauksiin perustuvan Excel-aineiston tutkimusryhmälle. Toteutin itse aineiston alustavan kuvailevan analyysin Excel-ohjelmalla, jonka jälkeen kaksi muuta kanssajulkaisijaa toteuttivat varsinaisen tilastollisen analyysin ja tulosten visualisoinnin SPSS-ohjelmalla ja R-ohjelman versiolla 3.6.0. Vastaajien demografisten tietojen (ikä, sukupuoli, koulutus), osallistumisen kliinisiin tutkimuksiin ja lääketieteellisen tutkimuksen sekä terveydenhuollon menetelmien arvioinnin tuntemuksen tai kiinnostuksen väliset suhteet määritettiin Pearsonin khiin neliö -testeillä. Tilastollisesti merkitsevät vastaukset määritettiin logistisen regressiomallin avulla, käyttäen selittävinä muuttujina ikäryhmää, koulutusta, sukupuolta ja osallistumista lääketieteelliseen tutkimukseen.

## 6 TULOKSET

### 6.1 Potilasjärjestölausuntojen määrä (osatyö I)

#### 6.1.1 Potilasjärjestöjen lausunnot Hilalle

Osatyössä I tarkastelujakso oli 2017–2021, ja tätä tietoa on täydennetty vuoden 2024 alussa toteutetulla uudella tietopyynnöllä. Yhteenveto-osan tarkastelussa mukana ovat siten vuodet 2017–2023. Hila sai vuosina 2017–2023 yhteensä 151 potilasjärjestölausuntoa myyntiluvan haltijan toimittamiin hinta- ja korvattavuushakemuksiin (liite 1, taulukko 5). Lausuntojen vuosittainen määrä kasvoi vuosien 2017–2020 aikana, mutta tasaantui vuosien 2021–2023 aikana noin 20 lausuntoon vuodessa (taulukko 5).

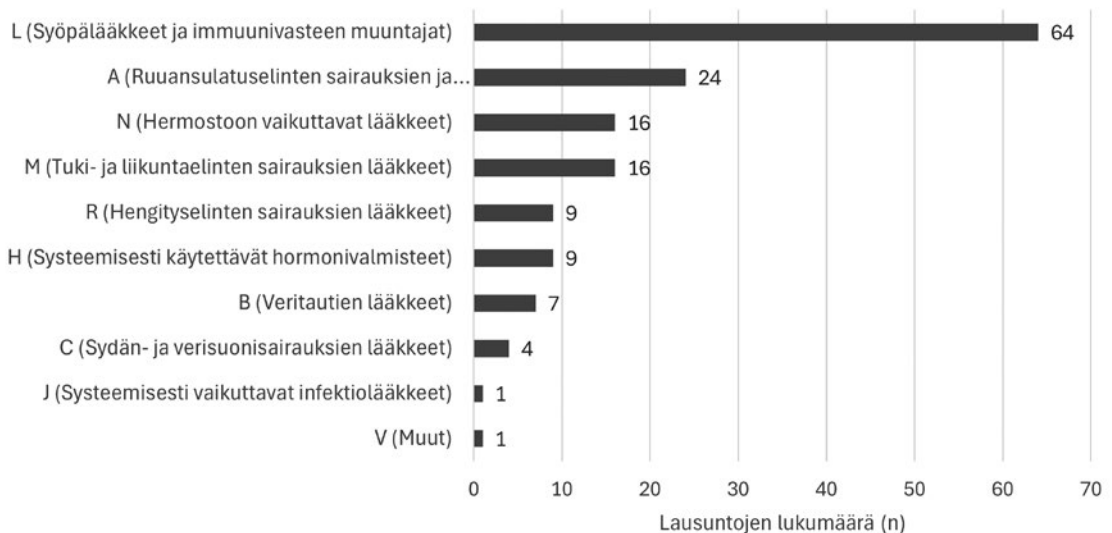
Yhtä hakemusta/lääkevalmistetta kohden Hila on voinut vastaanottaa yhden tai useamman lausunnon ja/tai yksi lausunto on voinut koskea useampaa hakemusta/lääkevalmistetta. Lausuntojen kohteena olevien hinta- ja korvattavuushakemusten lukumäärä voi siten olla hieman eri kuin lausuntojen lukumäärä. Hilan toimittaman tiedon perusteella esimerkiksi vuonna 2017 on tullut kaksi lausuntoa hakemukseen 00806/2017 ja vuonna 2021 kaksi lausuntoa hakemukseen 00339/2021 (liite 1).

**Taulukko 5.** Lääkkeiden hintalautakunnan käsittelemien hinta- ja korvattavuushakemusten ja potilasjärjestölausuntojen lukumäärä vuosina 2017–2023 (Lääkkeiden hintalautakunta, 2024b).

Vuosi	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023
Hilan käsittelemien hinta- ja korvattavuushakemusten kokonaismäärä	847	756	883	883	823	996	669
Uutta lääkeainetta ja muuta uutta valmistetta koskevia hinta- ja korvattavuushakemuksia	53	55	56	56	49	73	39
Potilasjärjestölausuntojen lukumäärä	12	17	27	31	22	20 <sup>1</sup>	22 <sup>1</sup>

<sup>1</sup> vuosien 2022–2023 tulokset lisätty yhteenveto-osaan (Tran Minh, 2024, julkaisematon tutkimus).

Lähes puolet (42 %, n=64) Hilan vuosina 2017–2023 vastaanottamista lausunnoista (n=151) annettiin syöpälääkkeiden ja immuunivasteen muuntajien ryhmään (ATC-luokka L) kuuluvista valmisteista (kuva 4). Toiseksi eniten annettiin lausuntoja ruuansulatuselinten sairauksien ja aineenvaihduntasairauksien hoitoon käytettävien lääkkeiden hakemuksista (ATC-ryhmä A, 16 %, n=24).



**Kuva 4.** Hintalautakunnalle saapuneiden lääkkeitä koskeneiden potilasjärjestölausuntojen lukumäärät ATC-luokittain (anatomis-terapeuttis-kemiallinen luokittelu, WHO Collaborating Centre for Drug Statistics Methodology, 2024) vuosien 2017–2023 aikana.

ATC-luokkaa L koskevat lausunnot jakaantuivat pääasiassa kahteen alaryhmään: 55 % (n=35) lausunnoista koski alaryhmään LO1 antineoplastiset lääkeaineet ja 44 % (n=28) alaryhmään LO4 immunosuppressantit kuuluvia valmisteita (kuva 4, liite 1). Käyttöaiheittain tarkasteltuna potilasjärjestölausuntojen kohteina oli ATC-luokassa LO1 muun muassa keuhkosyövän, melanooman, myelooman, munuaissyövän, gynekologisten syöpien ja idiopaattisen keuhkofibroosin hoitoon käytettäviä valmisteita (liite 1). Luokassa LO4 oli valmisteita elinsiirron tai luuytimen tai kantasolujen siirron jälkeisen hyljinnän ehkäisyyn sekä autoimmuunisairauksien kuten multipeliskleroosin (MS-taudin), reuman ja psoriasiksen hoitoon (liite 1).

Valtaosa (67 %, n=16) ruuansulatuselinten sairauksien ja aineenvaihduntasairauksien hoitoon käytettävien lääkkeiden (ATC-luokka A) hakemuksia koskevista potilasjärjestölausunnoista (n=24) liittyivät diabeteksen hoitoon käytettäviin lääkevalmisteisiin (alaryhmä A10). Diabeteslääkkeissä korostuivat GLP-1-valmisteita koskevat hakemukset (liite 1).

Potilasjärjestölausuntoja oli annettu myös ripulin ja suolistoinfektioiden hoitoon käytettäviä lääkkeitä koskevista hakemuksista (alaryhmä A07, n=6), ja muista ruuansulatuselimistön sairauksien ja aineenvaihduntasairauksien lääkkeistä (alaryhmä A16, n=2). Muista lääkeaineryhmistä lausuntoja oli annettu useista osteoporoosin, kystisen fibroosin ja Parkinsonin taudin hoitoon käytettävistä valmisteista ja migreenin uusista biologisista estolääkkeistä (liite 1.).

Hintalautakunnan antamien tietojen mukaan potilasjärjestölausunnoista 25 % (n=37) koski uusintahakemuksia. Muita hakemustyyppisiä ei oltu aineistossa johdonmukaisesti eritelty, mutta 75 % lausunnoista koski siten muita hakemustyyppisiä (uudet korvattavat lääkeaineet, erityislupavalmisteet tai korvattavuuden laajennukset). Osasta valmisteista oli annettu useita lausuntoja, tämä koski erityisesti ryhmään L04D kuuluvia siklosporiinivalmisteita (liite 1).

## 6.1.2 Potilasjärjestöjen lausunnot Palkolle

Vuosien 2015–2023 aikana Palko julkaisi 46 lääkehoitoa koskevaa suositusluonnosta. Tässä tutkimuksessa käsitellään vuosina 2017–2023 julkaistuja suosituksia, joita oli yhteensä 45. Osatyössä I tarkastelujakso oli 2017–2021, ja tätä tietoa on täydennetty vuoden 2024 alussa toteutetulla uudella tietopyynnöllä. Yhteenvedon osan tarkastelussa mukana ovat siten vuodet 2017–2023, kuten Hilan kohdalla (liite 2).

Palkon julkaisemien lääkeaiheisten suositusluonnosten määrä vaihteli vuosittain, samoin saapuneiden Ota kantaa -lausuntojen lukumäärä (kuva 5). Palko sai vuosina 2017–2023 potilasjärjestöiltä tai yksittäisiltä kansalaisilta lausuntoja 42 %:iin Ota kantaa -palvelussa julkaistuista suositusluonnoksista (n=19). Lausuntoja tuli yhteensä 63. Niistä 25 (40 %) oli potilasjärjestöiltä ja 38 (60 %) yksittäisiltä kansalaisilta (kuva 5 ja kuva 6).

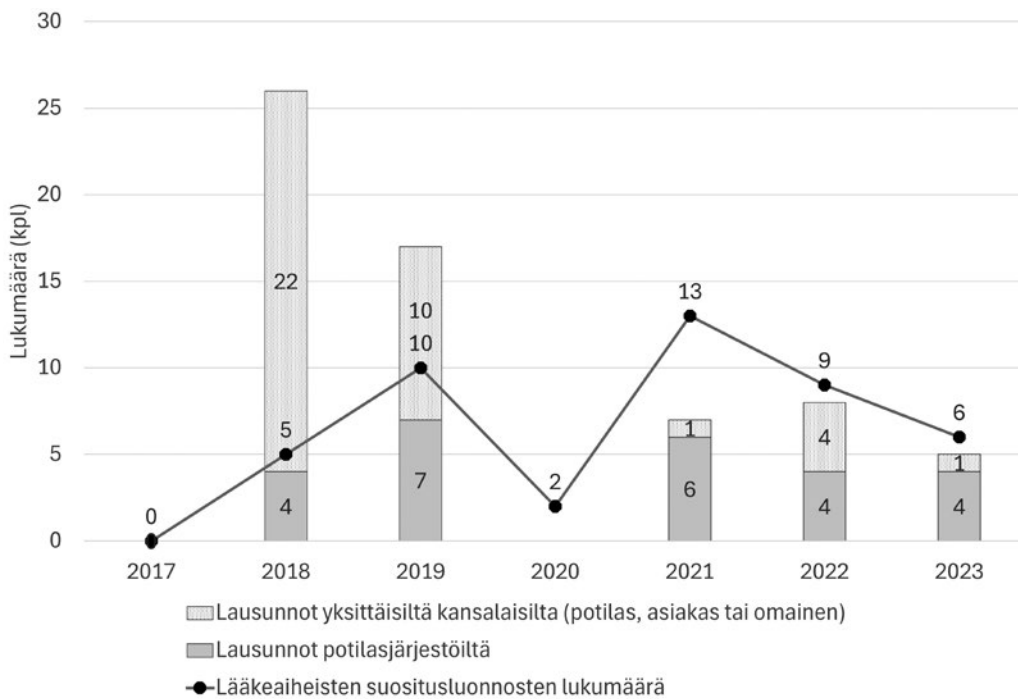
Palkon vastaanottamista lausunnoista 70 % (n=44) annettiin neljästä spinaalisen lihasatrofian eli SMA-taudin hoidon suositusluonnoksesta, jotka olivat 1) Nusinerseeni SMA-taudin hoidossa, 2) Nusinerseeni – jatkohoidon kriteerit, 3) Onasemnogeneeniabeparvoveekki (Zolgensma) SMA-taudin hoidossa ja 4) Nusinerseeni SMA-taudin hoidossa – päivitetty suositus (liite 2.). Nämä kuuluvat tuki- ja liikuntaelinten sairauksien hoidossa käytettäviin lääkkeisiin (ATC-luokka M). Lähes kaikki muut potilasjärjestöiltä tai yksittäisiltä kansalaisilta tulleet lausunnot liittyivät erilaisiin syöpälääkkeiden ja immuunivasteen muuntajien (ATC-luokka L) suositusluonnoksiin (27 %, n=17). Näiden lisäksi yksi lausunto (n=1) liittyi Luspatersepti<sup>1</sup> (ATC-luokka B) myelodysplastiseen

---

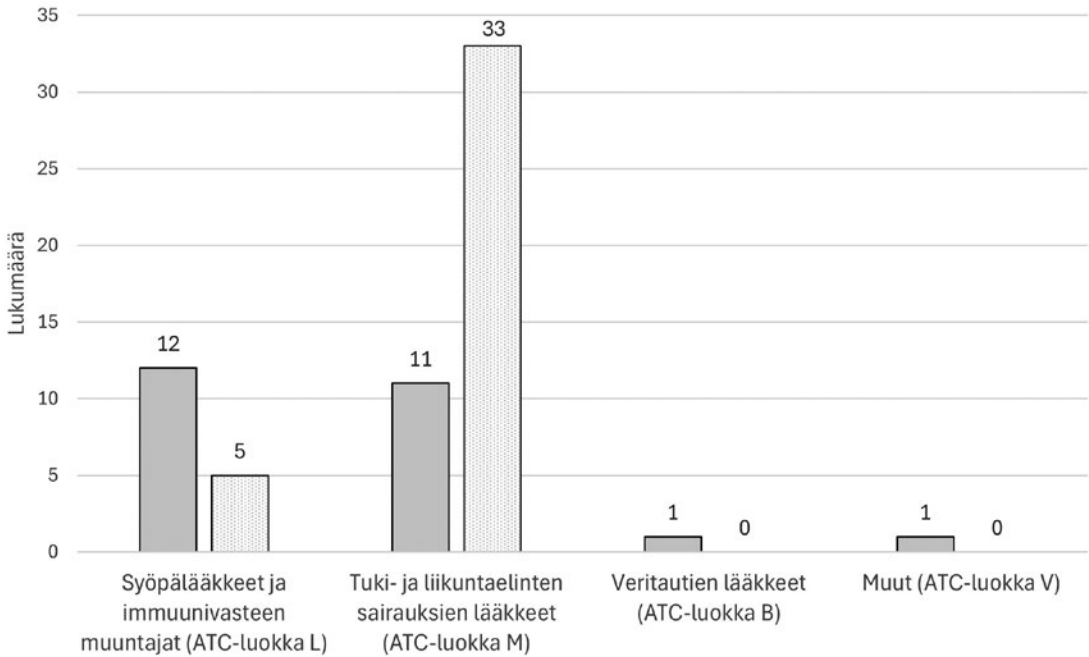
1 Tämä oli artikkelissa I virheellisesti sisällytetty syöpälääkkeiden ja immuunivasteen muuntajien ryhmään, korjattu yhteenvedon osassa oikeaan ATC-luokkaan.

oireyhtymään liittyvän punasolusirroista riippuvaisen anemian hoidossa- ja yksi (n=1) Difelikefaliini kroonisen munuaissairauteen liittyvän kutinan hoidossa -suositusluonnoksiin (ATC-luokka V) (liite 2).

Palkolle annetuista lausunnoista määrällisesti hieman yli puolet (56 %, n=35) kohdistui suositusluonnoksiin, joiden mukaan hoito ei kuuluisi kansalliseen palveluvalikoimaan. Koko tarkastelujaksolla 2017–2023 potilasjärjestöiltä tulleiden lausuntojen määrä pysyi varsin vakaana (0–7 lausuntoa vuodessa, keskiarvo 3,6), mutta yksittäisiltä potilailta tulleiden lausuntojen määrässä oli enemmän vaihtelua (0–22 lausuntoa vuodessa, keskiarvo 5,4) (kuva 5).



**Kuva 5.** Terveystuon palveluvalikoimaneuvoston vastaanottamien Ota kantaa -lausuntojen ja lääkeaiheisten suositusluonnosten lukumäärä vuosina 2017–2023.



**Kuva 6.** Palkolle saapuneiden potilasjärjestöjen tai yksittäisten kansalaisten toimittamien lausuntojen lukumäärä ATC-luokittain vuosina 2017–2023 (n=63).

## 6.2 Potilasjärjestöjen ja viranomaisten kokemuksia (osatyöt II ja III)

### 6.2.1 Osallistujat

Haastatteluihin (n=17) osallistui yhteensä 21 henkilöä (taulukko 6). Heistä 14 oli potilasjärjestöjen edustajia yhteensä 10:stä potilas- tai kansanterveysjärjestöstä tai kattojärjestöstä, ja seitsemän sosiaali- ja terveysministeriön (STM) alaisia viranomaisia. Haastatteluista 13 toteutettiin yksilöhaastatteluin ja neljä parihaastatteluin haastateltavien toiveiden mukaan (taulukko 6). Haastattelujen kesto vaihteli 19 ja 65 minuutin välillä ollen keskimäärin 40 minuuttia (taulukko 6).

**Taulukko 6.** Osatöihin II ja III liittyvät haastattelut (n=17).

Haastattelun tunnus	Ajankohta	Haastateltavia (n)	Haastattelun kesto
PO1*	Kesäkuu 2021	1	43:21
PO2	Kesäkuu 2021	2	48:17
PO3	Kesäkuu 2021	1	28:03
PO4	Kesäkuu 2021	2	45:53
PO5	Elokuu 2021	1	28:09
PO6	Elokuu 2021	1	23:10
PO7	Elokuu 2021	1	19:46
PO8	Elokuu 2021	2	47:57
PO9	Elokuu 2021	2	46:59
PO10	Lokakuu 2021	1	51:24
VO1**	Syyskuu 2021	1	23:09
VO2	Lokakuu 2021	1	41:59
VO3	Lokakuu 2021	1	55:32
VO4	Lokakuu 2021	1	38:21
VO5	Lokakuu 2021	1	1:05:15
VO6	Marraskuu 2021	1	36:29
VO7	Marraskuu 2021	1	47:12
<b>Yhteensä</b>	17 haastattelua	21 henkilöä	681 minuuttia

\*PO = potilasjärjestö

\*\*VO = viranomainen

### 6.2.2 Potilasjärjestöjen ja viranomaisten kokemuksia lausuntoprosessien kehittämisestä (osatyö II)

Haastatteluiden (n=17) alussa sekä viranomaisille että potilasjärjestöjen edustajille esitettiin kysymys lausuntoihin ja lausuntomallien kehittämiseen liittyvästä yhteistyöstä. Lausuntomallit ja -mahdollisuudet otettiin sekä Hilassa että Palkossa käyttöön vuonna 2016, mutta tietoa tähän johtaneesta yhteistyöstä ei ole ollut aiemmin kirjallisesti saatavilla. Haastatellut viranomaiset ja järjestöjen edustajat kertoivat lausuntoihin liittyvän yhteistyön alkaneen vuoden 2015 aikana. Yksittäiset potilasjärjestöt olivat antaneet lausuntoja Hilalle jo aiemmin, mutta toiminta ei ollut järjestelmällistä, eikä siihen ollut viranomaisten puolelta selkeitä ohjeita tai toimintamalleja. Potilasjärjestöillä ei ollut ennen vuotta 2016 mahdollisuutta saada tietoa Hilalle saapuneista hinta- ja korvattavuushakemuksista, ja tieto käsiteltävänä olevista hakemuksista tuli heille

toisinaan lääkeyrityksen kautta. Näiden tekijöiden johdosta sekä järjestöt että viranomaiset olivat havainneet tarpeen kehittää ja ottaa käyttöön lausuntojen antamista ja potilasjärjestöjen kuulemista tukevia avoimia toimintamalleja.

Valtakunnalliseen sosiaali- ja terveystieteiden kattojärjestöön SOSTEen (Suomen sosiaali ja terveys ry) oli vuonna 2014 perustettu Potilas- ja kansanterveysjärjestöjen verkosto POTKA, joka kokoaa yhteen Suomessa toimivia järjestöjä. Useampi vastaaja (sekä viranomaisesta että potilasjärjestön edustaja) mainitsi, että POTKA todettiin luontevaksi tahoksi kehittämään järjestöjen yhteistyötä Hilan ja Palkon kanssa. Sekä Hilan että Palkon sihteeristöllä on vuodesta 2015 lähtien ollut säännöllisiä tapaamisia POTKA-verkoston tai verkoston edustajan kanssa, ja yhteistyötä kuvailtiin toimivaksi. Tämä yhteistyö ei kuitenkaan ole koskenut yksittäisiä arviointoja, vaan se on keskittynyt toimintamallien luomiseen tai organisaatioiden välisen vuoropuhelun kehittämiseen.

Lausuntomallit otettiin käyttöön vuonna 2016 ja niistä jaettiin tietoa potilasjärjestöjen ja viranomaisten yhteisissä tilaisuuksissa. Hilalla potilasjärjestöjen kuuleminen tapahtuu kirjallisten, sähköpostin liitteenä lähetettävien lausuntojen muodossa. Palkolla pääasiallisena väylänä on verkkopohjainen Ota kantaa -palvelu. Palko on järjestänyt myös tapaamisia potilasjärjestöjen kanssa suosituksen valmistelun eri vaiheissa. Käytännössä resursseja tapaamisten järjestämiseen on kuitenkin ollut niukasti, hyöty lääkeaiheisten suositusluonnosten osalta on Palkon näkökulmasta ollut vähäistä ja tapaamisia on vuosien aikana ollut vain muutamia.

Selkeiden lausuntokäytänteiden luominen ja käsiteltävänä olevista arvioinneista tiedottaminen on lisännyt haastateltavien mukaan lausuntoprosessin läpinäkyvyyttä.

### **6.2.3 Lausuntojen käsittely Hilassa ja Palkossa**

Haastateltavat viranomaiset kuvasivat lausuntojen käsittelyprosessia Hilassa ja Palkossa (kuva 7). Hilan sihteeristö vastaanottaa potilasjärjestöjen sähköpostilla lähettämät lausunnot. Esittelijänä toimiva sihteeristön edustaja (farmaseutti tai proviisori) tekee niistä referaatin ja sisällyttää lausunnot lääkkeiden hintalautakunnalle esiteltävään korvattavuus- ja tukkuhintahakemuksen materiaalipakettiin. Lausunnot menevät tiedoksi myös hakemuksen tehneelle lääkeyritykselle, ja yrityksellä on mahdollisuus antaa lausuntoon vastine.

Palkon sihteeristö kokoaa suosituksiin annetut Ota kantaa -lausunnot ja tekee niistä yhteenvedon. Lausunnot käsitellään Palkon lääkejaostossa ja ne esitellään neuvostolle osana suositusluonnokseen liittyvää materiaalia (kuva 7.)



**Kuva 7.** Lausuntojen valmisteluun ja käsittelyyn osallistuvat tahot ja heidän roolinsa

## 6.2.4 Lausuntojen valmistelu järjestöissä (osatyö II)

Lausuntojen valmistelun käytännöt vaihtelivat runsaasti eri järjestöissä. Monessa järjestössä lausuntoja valmistelivat työntekijät. Muutamassa järjestössä lausuntojen valmisteluun oli perustettu työryhmä, jossa oli mukana jäseniä, luottamushenkilöitä, työntekijöitä ja mahdollisesti järjestön asiantuntijalääkäri. Osa järjestöistä toimii ilman palkattuja työntekijöitä, ja niissä hallitus valmisteli lausunnot (kuva 7).

Lausuntoja varten moni järjestö keräsi potilaskokemuksia jäsenistöltään esimerkiksi sähköpostitse tai sosiaalisen median välityksellä joko lausuntoa valmistellessa tai valmistelijan, yleensä järjestön työntekijän, antaessa lausunto-oluonnoksen jäsenistölle tai potilasverkostolle kommentoitavaksi ja täydennettäväksi. Osa järjestöistä oli asettanut selkeitä tavoitteita esimerkiksi tietyn valmisteen korvattavuuden saamiseksi, ja tavoitteen ympärille oli asetettu lausuntoja valmisteleva työryhmä.

Järjestöjen painotukset lausuntojen sisällöstä vaihtelivat: osa järjestöistä painotti perustavansa lausunnot tutkittuun tietoon ja esimerkiksi Käypä hoito –suositukseen, osa puolestaan jäsenistön kokemuksiin (kuva 7). Painotukset ja keskeiset sisällöt riippuivat osittain järjestön toimintakentästä ja siitä, edustiko järjestö isoja kansansairauksia vai pienempiä harvinaissairauksia. Harvinaissairauksien kohdalla suoraa kokemustietoa ei välttämättä ole saatavilla, ja silloin järjestö on voinut saada tietoa kansainvälisen, sairauskohtaisen katojärjestön kautta tai esimerkiksi CADTHin verkkosivuillaan julkaisemista potilasjärjestöjen lausunnoista.

## 6.2.5 Potilasjärjestöjen kokemat haasteet lausuntojen valmistelussa (osatyö II)

Kaikki haastatellut järjestöt kuvasivat jonkinlaisia haasteita lausuntojen valmistelussa. Potilasjärjestöjen kuvaamat yleisimmät lausuntoihin liittyvät haasteet on esitetty taulukossa 7. Haasteet liittyivät useimmiten siihen, että järjestöllä tai jäsenistöllä ei ollut suoria kokemuksia arvioitavana olevasta lääkehoidosta. Valtaosa potilasjärjestöjen lausunnoista käsittelee äskettäin myyntiluvan saaneita uusia vaikuttavia aineita, jolloin kotimaisia käyttäjäkokemuksia on hyvin vaikea saada. Ilman suoria potilaskokemuksia järjestön on vaikea tuoda potilasnäkökulmaa uuden hoidon mahdollisiin hyötyihin ja haittoihin. Näissä tilanteissa on kuitenkin mahdollista peilata kliinisten tutkimusten tuloksia ja niissä havaittuja hyötyjä tai haittoja nykykäytännön mukaisiin hoitoihin. Tilanteissa, joissa Hilan arvioimalle valmisteelle haetaan korvattavuuden laajennusta tai kyseessä on uusintahakemus, potilaskokemuksia on helpompi löytää.

Myös ajankäyttö ja aikataulut tuottivat haasteita usealle järjestölle. Potilasjärjestöjen edustajat kuvasivat, että heidän työkenttensä on laaja, ja lausuntojen valmistelu on vain yksi osa työtä. Järjestöissä arvioidaan sitä, mikä toiminnan eri muodoista hyödyttää jäsenistöä parhaiten, ja tämän perusteella ajan käyttöä täytyy priorisoida. Lausuntoajat ovat yleensä 3–4 viikkoa, ja lausunnon antamista helpottaa, jos asiaan on valmistautunut jo etukäteen, ja esimerkiksi kerännyt kokemuksia jäsenistöltä jo ennakkoon. Tämä vaatii kuitenkin perehtyneisyyttä asiaan ja jatkuvaa seurantaa esimerkiksi uusien lääkkeiden myyntilupatilanteesta. Ajan irrottaminen lausuntojen valmisteluun kuvattiin kuitenkin haastavaksi.

Ajan puutteen lisäksi haastateltavat mainitsivat henkilöstöressurssien puutteen. Palkatun henkilöstön vähäisen määrän lisäksi haasteita tuo luottamushenkilöiden vaihtuvuus, minkä vuoksi ei välttämättä löydy pitkäjänteisesti asiaan paneutunutta henkilöä. Kaksi haastateltua järjestöä kertoi, ettei heillä ole terveydenhuollon ammattihenkilöitä työntekijöinä eikä hallituksen jäseninä. Osittain tämän vuoksi he kokivat epävarmuutta lausuntojen antamisessa. Tiedon ja osaamisen puute oli yksi merkittävin haaste, joka koski sekä osaamisen puutetta lääkkeistä että epävarmuutta siitä, mitä lausunnoilta odotetaan. Useampi haastateltava viittasi siihen, että hänellä tai järjestöllä ei ole lääketieteellistä tai farmaseuttista osaamista tai tutkimustietoa arvioitavista hoidoista. Erään järjestön edustaja totesi, että järjestön työntekijän täytyy tuntea sairaus ja sairauden luonnollinen kulku erittäin hyvin, jotta hän pystyy kuvaamaan hoidon vaikutuksia potilaiden arkeen sairauden eri vaiheissa. Myös arviointi- ja korvattavuusprosesseihin liittyi epätietoisuutta. Muutamalla järjestöllä osaamisen puute ei ollut ongelmana. Heillä oli työntekijöiden joukossa terveydenhuollon ammattihenkilö tai itse hankittua osaamista järjestön

edustamalle potilasryhmälle tärkeistä lääkkeistä sekä lääkkeiden arviointi- ja korvattavuusjärjestelmästä.

Useampi haastateltava mainitsi, että Hilan kuukausittain julkaisemaa listaa saapuneista hinta- ja korvattavuushakemuksista on hankala tulkita. Listalla ei ole esimerkiksi mainittu haettavaa käyttöaihetta, minkä vuoksi listan läpi käyminen lääkeaineiden nimien perusteella on aikaa vievää. Potilasjärjestö joutuu myyntilupatietojen perusteella arvailemaan haettavan käyttöaiheen tai sen, koskeeko hakemus esimerkiksi erityiskorvattavuutta vai käyttöaiheen laajentamista.

Haastatteluissa tuli esille, että moni järjestö kokee viranomaistahot etäisinä ja persoonattomina. Erityisesti Palkon toimintaa, toimintaperiaatteita ja aihevalintaa kokonaisuudessaan oli useamman haastatellun mukaan vaikea hahmottaa. Tämä koski pääasiassa järjestöjä, joiden edustamille potilasryhmille ajankohtaisia lääkkeitä ei ollut vielä käsitelty Palkossa. Myös Hilan toiminta koettiin etäiseksi.

Jäsenistön odotukset järjestön työntekijöille tulivat esille muutamassa haastattelussa. Järjestöt kokoavat potilaiden äänen ja toimivat välittäjinä viranomaisten suuntaan. Jäsenten odotukset järjestölle ja sen henkilöstölle voivat olla joskus epärealistisia ja aiheuttaa turhautumista puolin ja toisin.

**Taulukko 7.** Potilasjärjestöjen ja viranomaisten kokemat lausuntoihin liittyvät haasteet

<b>Potilasjärjestöjen kokemat haasteet lausuntojen valmistelussa</b>	<b>Viranomaisten kokemat potilasjärjestö-lausuntoihin liittyvät haasteet</b>
Potilaskokemusten puute: ei tiedossa lääkettä käyttäviä potilaita ja/tai haasteita tiedon keräämisessä.	Lausunnot eivät vastaa käsiteltävään asiaan, tai menevät ohi siitä, mikä on viranomaisen toimivalta.
Resurssien puute potilasjärjestössä: ajan ja henkilöstön puute.	Resurssien puute, työntekijöiden vähäinen määrä suhteessa työmäärään.
Tiedon tai osaamisen puute lääkkeisiin tai terveydenhuollon menetelmien arviointiin ja viranomaisen toimintaan liittyen.	Yhteiskunnan resurssien käyttö suhteessa terveyshyötyyn – potilasjärjestöt ajavat oman sairausryhmänsä etua, kokonaiskuvan puute.
Viranomaistoiminta koetaan etäiseksi.	Potilasjärjestöjen mahdolliset sidonnaisuudet.
Odotukset jäsenistöltä.	Potilaskokemukset, joista yksittäinen potilas on tunnistettavissa.

## 6.2.6 Haasteet viranomaisten näkökulmasta (osatyö II)

Yksi seitsemästä haastatelluista viranomaisista ei tunnistanut mitään ongelmia nykytilanteessa. Muut sen sijaan kuvasivat erilaisia haasteita, jotka liittyivät erityisesti resursseihin sekä siihen, että lausunnot eivät vastaa siihen, mikä on viranomaisen toimivalta ja sitä ohjaava lainsäädäntö (taulukko 7). Potilasjärjestöjen tavoin myös viranomaiset kokivat henkilöstöresurssit riittämättömiksi. Moni haastateltava kuvasi, että organisaation tehtäväkenttä on laaja, ja työmäärään nähden henkilöitä on liian vähän. Viestintäresursseja ei käytännössä ole.

Viranomaiset toivat esille oman organisaationsa toimivallan rajat ja lainsäädännön reunaehdot. He kokivat haasteelliseksi sen, että potilasjärjestöjen lausunnoissa esitetyt asiat tai toiveet menevät usein näiden reunaehtojen ulkopuolelle. Potilasjärjestöjen ja viranomaisten koettiin välillä puhuvan eri kieltä, minkä vuoksi lausunnot eivät välttämättä koske käsiteltävää asiaa. Hilan osalta yhtenä syynä tähän on tunnistettu potilasjärjestöjenkin esille tuoma puutteellinen tieto lääkeyrityksen toimittaman hinta- ja korvattavuushakemuksen yksityiskohdista. Potilasjärjestöt eivät esimerkiksi tiedä, mitä laajennushakemus koskee - käyttöaiheen laajennusta vai korvausluokan muutosta, ja sitä, onko korvattavuutta haettu tai rajoitettu tietylle potilasryhmälle joko hakemuksessa tai hakemuksen käsittelyn aikana. Tämän vuoksi lausunnot eivät aina vastaa sitä keskustelua, mitä Hila käy lääkeyrityksen kanssa. Yhtenä ratkaisuehdotuksena eräs haastateltava ehdotti yhteistä keskustelua potilasjärjestöjen, Hilan ja lääkeyritysten kanssa ymmärryksen lisäämiseksi ja avoimuuden edistämiseksi. Tämä ehdotus tuli esille myös potilasjärjestöjen haastatteluissa. Ongelmana on kuitenkin se, että lääkeyritysten toimittamat hakemukset eivät ole julkisia.

Viranomaisten näkökulmasta potilasjärjestöjen lausunnoissa esille nostama, uusien hoitojen tuoman toivon merkitys ei auta korvattavuuspäätöksen tai suosituksen valmistelussa. Yksi haastateltava esimerkiksi kyseenalaist sen, kannattaako toiveikkuuden ylläpidosta maksaa satoja tuhansia euroja, jos näyttö on heikkoa. Vastaavasti ihmis- ja perusoikeuksien esille tuominen, niin tärkeitä kuin ne ovatkin, nähtiin arvioinnin kannalta tarpeettomaksi, kun viranomainen pyrkii arvioimaan terveyshyötyjä suhteessa kustannuksiin.

Muutama viranomainen nosti haastattelussa esille priorisoinnin ja siihen liittyvät ongelmat. Suomessa ei ole selkeitä priorisointikriteereitä eikä yhtenäisesti määriteltyä kynnysarvoa laatupainotetulle elinvuodelle. Suosituksia ja päätöksiä valmistellessa käytetään tämän vuoksi tilannekohtaista harkintaa. Toisaalta yksi haastateltavista totesi, että tilannekohtainen harkinta on myös perusteltua. Haastateltavat nostivat esille epäsuhdan ja resurssien jaon eri erikoisalojen, terveydenhuollon sektoreiden ja menetelmien välillä. Aiheeseen liittyi pohdinta siitä, miten huolehditaan siitä, että eriarvoisuus terveydenhuol-

tojärjestelmässä ei kasva. Tähän liittyen muutama viranomainen toi esille sen, että jokainen potilasjärjestö ajaa ymmärrettävästi oman sairausryhmänsä hoitoon käytettävien lääkkeiden käyttöönottoa tai korvattavuutta, ja esitti samalla toiveen siitä, että eri sairausryhmiä edustavat potilasjärjestöt keskustelisivat keskenään siitä, miten voisivat yhdessä edustaa laajempaa potilasyhteisöä.

Moni viranomainen pohti haastattelussa lääkeyritysten mahdollista roolia potilasjärjestöjen antamien lausuntojen taustalla. Osa koki, että lausunnoissa on nähtävissä se, että järjestö on tehnyt yhteistyötä myyntiluvan haltijan kanssa. Hilan potilasjärjestöille antamassa ohjeessa pyydetään ilmoittamaan lausuntoa tai asiaa koskevat sidonnaisuudet, mutta Palkon Ota kantaa -lomakkeella tätä ei ole erikseen pyydetty.

Potilasjärjestöjen lausunnoissa on yleensä toiveena valmisteen korvattavuus tai myönteinen suositus palveluvalikoimaan kuulumisesta. Useampi viranomainen esitti toiveen, että lausunnoissa tuotaisiin myös ”raikkaita ajatuksia” ja negatiivisia kokemuksia lääkevalmisteista tilanteissa, joissa valmistee ei toimi, tai jos annostelu on hankalaa, tai jos on muita seikkoja, joiden vuoksi lääkettä ei ole perusteltua ottaa käyttöön.

Viranomaiset kokivat yksityiskohtaiset potilaskokemukset haasteellisiksi, erityisesti jos potilas oli kuvauksen perusteella tunnistettavissa. Hila lähettää saapuneet lausunnot tiedoksi hakemuksen tehneelle lääkeyritykselle, joka voi antaa vastineen lausuntoon. Potilaiden yksityisyydensuojan säilyttämiseksi viranomaiset toivoivat, että lausunnoissa kuvataan potilaiden kokemuksia vain yleisellä tasolla.

## **6.3 Tiedon saanti ja tiedon tarpeet (osatyöt II ja IV)**

### **6.3.1 Potilasjärjestöjen tiedon saanti arvioitavana olevista lääkehoidoista sekä Hilan ja Palkon toiminnasta (haastattelututkimus, osatyö II)**

Yksi potilasjärjestöille haastatteluissa esitetyistä kysymyksistä koski sitä, mistä lähteistä he saavat tietoa arvioitavana olevista lääkehoidoista (taulukko 6, liite 4: haastattelurunko). Suurin osa haastateltavista kertoi saavansa tiedon Hilan ja Palkon sähköposteista tai näiden verkkosivuilta. Muutama järjestön edustaja kertoi saavansa tiedon järjestönsä asiantuntijalääkäriltä tai verkostojen kautta lääkeyritykseltä, tai seuraamalla Euroopan lääkeviraston myyntilupaa koskevia suosituksia. Lisäksi yksi haastateltava kertoi seuraavansa yritysten pörssitiedotteita. Näiden tietojen perusteella järjestöt osasivat odottaa valmiin tulon Hilan tai Palkon käsittelyyn.

Hilan ja Palkon viranomaistiedotus arvioitavana olevista lääkkeistä nähtiin riittävänä, ja haastateltavat arvostivat Hilan kuukausittain lähettämää sähköpostia käsiteltävänä olevista lääkevalmisteista sekä Palkon uutiskirjettä ja tiedotteita suositusten käsittelyn aikatauluista. Tiedotus koettiin kuitenkin yksisuuntaiseksi, ja potilasjärjestöt kokivat tarvitsevansa lisää tietoa siitä, mitä viranomaiset potilasjärjestölausunnoilta odottavat. Järjestöjen edustajat pohtivat haastatteluissa sitä, minkälainen lausuntojen sisällön tulisi olla ja mitä tietoa viranomaiset saavat muista lähteistä. Epävarmuutta oli myös siitä, voiko lausuntoja tehdä ilman tieteellisiä taustatietoja, riittääkö potilaiden arjen kuvaus lausunnon sisällöksi, ja voiko lausunnoissa tuoda esille potilastapauksia tai viitata lääkäreiden näkemyksiin.

Hilan ohjetta potilasjärjestöjen lääkevalmisteesta antamiin lausuntoihin kiiteltiin. Ohjeen lisäksi kaivattiin kuitenkin palautetta lausuntojen toivotuista painotuksista, niiden käsittelystä sekä hyödyntämisestä. Osa potilasjärjestöistä koki tarvitsevansa lisää tietoa sekä lääkevalmisteista että Hilan ja Palkon toiminnasta ja laajemmin lääkkeiden arviointi- ja korvattavuusprosesseista. Haastateltavat potilasjärjestöjen edustajat ehdottivat vuoropuhelua viranomaisten kanssa esimerkiksi koulutuksen tai webinaarien muodossa. Vuoropuhelun toivottiin auttavan järjestöjä hahmottamaan paremmin Hilan ja Palkon toimintaa sekä sitä, mitä tarpeita Hilalla tai Palkolla on lausunnoille, ja mitä he erityisesti toivovat potilasjärjestöiltä. Yhtenä tiedon jakamisen kanavana ehdotettiin lisäksi viranomaisen toiminnasta kertovia kirjoituksia potilasjärjestöjen lehdissä. Potilasjärjestöt näkivät arvokkaaksi ja tarpeelliseksi myös kokemusten vaihdon ja tiedon jakamisen järjestöjen välillä.

### **6.3.2 Kansalaisten tiedon saanti (kyselytutkimus, osatyö IV)**

Kantar TNS Gallup Forumin vastaajakannasta valittiin tähän kyselyyn kiintiöpoiminnalla 503 panelistia huomioiden vastaajien ikä, sukupuoli ja asuinpaikka. Kiintiöön sopivia henkilöitä kutsuttiin mukaan niin kauan, että kyseisestä ryhmästä oli saatu riittävänä pidetty määrä vastauksia. Vastaajien määrä vaihteli tavoitelluista kiintiöistä muutamilla vastaajilla. Vastaajien taustatiedot sekä toteutuneet että tavoitellut kiintiöinnit on esitetty taulukossa 8.

**Taulukko 8.** Vastaajien taustatiedot (n=503)

Vastaajien taustatiedot	Toteutunut (n)	Toteutunut %	Tavoiteltu kiintiö (n)
<b>Sukupuoli</b>			
Nainen	266	53 %	260
Mies	237	47 %	240
<b>Ikäryhmä (vuotta) tavoiteltujen kiintiöiden mukaisesti<sup>1</sup></b>			
16-24	67	13 %	300
25-34	86	17 %	
35-49	156	31 %	
50-60	127	25 %	200
Yli 60	67	13 %	
<b>Maantieteellinen alue</b>			
Helsinki-Uusimaa	160	32 %	160
Etelä-Suomi	111	22 %	110
Länsi-Suomi	132	26 %	130
Pohjois- ja Itä-Suomi	100	20 %	100
<b>Koulutus<sup>2</sup></b>			
Ammatillinen perustutkinto, ammattikoulu	112	22	
Ylioppilas	55	11	
Opistoasteen ammatillinen tutkinto	90	18	
Ylempi opisto-, AMK- tai alempi korkeakoulu	106	21	
Yliopistotutkinto tai ylempi	75	15	

<sup>1</sup> Osatyön IV julkaisussa ikäryhmiä tarkasteltiin ryhmissä 16-24, 25-34, 35-44, 45-54 ja 54-65, jotta ryhmittely olisi sama kuin aiemmin toteutetussa eurooppalaisessa kyselyssä (Parsons ym., 2015).

<sup>2</sup> 13 % osallistujista ei vastannut koulutusta koskevaan taustakysymykseen

Lääkekehityksen ja terveydenhuollon menetelmien arvioinnin eri osa-alueista tutuimmat teemat kyselyyn vastanneille kansalaisille olivat lääketurvallisuus (hyvät tai erittäin hyvät tiedot 13 %:lla vastaajista) sekä lääkkeiden kehitys (11 %). Terveydenhuollon menetelmien arvioinnista, kustannusvaikutavuudesta ja lääkkeiden sääntelystä koki tietonsa hyväksi tai erittäin hyväksi ainoastaan 8 % vastaajista.

Vastaajista 47 % oli kiinnostunut tai erittäin kiinnostunut oppimaan lisää ennakoivasta ja yksilöllisestä lääketieteestä. Vähiten kiinnostusta herätti lääkkeiden sääntely (30 %). Kliiniseen lääketutkimukseen osallistuneilla oli paremmat tiedot, ja he olivat kiinnostuneempia oppimaan lisää useista lääketutkimuksen ja lääkekehityksen osa-alueista sekä terveydenhuollon menetelmien arvioinnista kuin muut vastaajat ( $p < 0,05$ ; logistinen regressio). Sukupuolten ja ikäryhmien välillä ei ollut merkitseviä eroja itse koetussa tietämyksessä, mutta naiset olivat kiinnostuneempia oppimaan lisää muun muassa lääketurvallisuudesta, ennakoivasta terveydenhuollosta ja terveydenhuollon menetelmien arvioinnista kuin miehet ( $p < 0,05$ ; logistinen regressio).

Kyselytutkimuksessa esille tulleet kansalaisten tiedonlähteet olivat samankaltaisia kuin potilasjärjestöjen tiedonlähteet arvioitavana olevista lääkehoidoista (osatyö II). Osatyössä IV suurin osa vastaajista (75 %) raportoi käyttävänsä tietolähteinä internetsivustoja. Kyselytutkimuksessa painottui kuitenkin terveydenhuollon ammattilaisten rooli, todennäköisesti sen vuoksi, että kysely kattoi myös kliiniset tutkimukset. Kyselytutkimuksen vastaajista 67 % haluaisi saada tietoa lääkkeiden kehityksestä lääkäriltä tai muulta terveydenhuollon ammattilaiselta, 43 % viranomaisilta ja 36 % tiedotusvälineistä. Lääkeyrityksiltä halusi saada tietoa 19 % vastaajista. Kyselyssä oli mahdollista valita vastaukseen useampi tiedon lähde.

## **6.4 Potilasjärjestöjen edustajien ja viranomaisten kokemuksia osallisuuden toteutumisesta ja lausuntojen merkityksestä (osatyö III)**

### **6.4.1 Potilasjärjestöjen edustajien kokemukset osallisuuden toteutumisesta**

Moni potilasjärjestön edustaja totesi haastatteluissa (taulukko 6), että Hilan ja Palkon luomat mahdollisuudet ja toimintamallit lausuntojen antamiseen toimivat sinänsä hyvin. Osa haastatelluista potilasjärjestöjen edustajista oli ollut toiminnassa mukana jo pitkään, ja he näkivät vuonna 2016 luodut lausuntorakenteet huomattavana parannuksena aiempiin, vaihteleviin käytäntöihin. Nykyinen malli koettiin tasapainoiseksi ja läpinäkyvämmäksi kuin aiemmin.

Useampi haastateltava kuitenkin koki, että osallisuuden toteutuminen oli näennäistä, ja mallit on luotu, jotta potilasjärjestöt voidaan pitää tyytyväisenä. Näistä epäilyksistä huolimatta moni potilasjärjestön edustaja totesi, että viranomaiset tekevät parhaansa heille osoitettujen rajallisten resurssien ja toimivaltuuksien puitteissa. Toimintamallien kehittämistä ja kehittymisestä huolimatta moni haastateltava toi esille, että potilasjärjestöjen edustajat eivät

tiedä, miten viranomaiset hyödyntävät lausuntoja ja onko niillä merkitystä tai vaikutusta arviointi- ja päätöksentekoprosessissa. Järjestöjen edustajat toivoivat ja halusivat uskoa, että lausunnoilla on merkitystä ja vaikutusta, mutta kokivat asiasta suurta epävarmuutta, sillä lausuntojen sisällöstä ei tule heille mitään palautetta. Lausuntojen antamista pidettiin yhdensuuntaisena prosessina.

Potilasjärjestöt tarkistavat kokouspäätökset Hilan verkkosivuilta ja seuraavat Palkon uutiskirjettä, jossa tiedotetaan valmistuneista suosituksista, ja pohtivat päätöksiä suhteessa omiin lausuntoihinsa. Palkon osalta muutama potilasjärjestön edustaja mainitsi, että lopulliset suositukset ovat olleet vähemmän rajoittavia kuin suositusluonnokset, ja sen perusteella lausunnoilla on saattanut olla vaikutusta. Useat potilasjärjestöjen edustajat kuitenkin totesivat, että ymmärtävät lausuntojen olevan vain pieni osa suurempaa kokonaisuutta, jossa esimerkiksi terveystaloudelliset näkökulmat ovat korostuneita. Haastateltavat toivoivat joka tapauksessa palautetta lausunnoista ja niiden merkityksestä, jotta he voisivat välittää viestiä eteenpäin lausuntojen valmisteluun osallistuneille ja omia kokemuksiaan jakaneille järjestönsä jäsenille. Potilasjärjestöjen edustajat kokivat toimivansa välittäjinä jäsenistöstä viranomaisten suuntaan ja päinvastoin. Haastateltavat toivat esille, että lausuntojen valmistelussa kohderyhmän tai jäsenistön osallisuus voi toteutua eri tavoilla ja eri tasoisesti. Tämä riippui esimerkiksi siitä, kuinka paljon lausunnon kohteena olevasta lääkkeestä oli käyttäjäkokenuksia tai kuinka aktiivisesti jäsenistö halusi itse osallistua lausuntojen valmisteluun.

Epävarmuuteen siitä, miten viranomaiset käsittelevät lausuntoja, yhdistyi kokemus avoimuuden ja läpinäkyvyyden puutteesta. Hilan ja Palkon asian tuntija- tai päätöksentekoelimissä ei ole potilasjärjestöjen tai kansalaisyhteiskunnan edustajia, minkä koettiin heikentävän toiminnan läpinäkyvyyttä. Lausuntojen hyödyntämiseen liittyvien epävarmuustekijöiden sekä palautteen ja läpinäkyvyyden puutteen vuoksi useat potilasjärjestöjen edustajat pitivät osallisuuden kokemusta yleisesti ottaen heikkona.

#### **6.4.2 Lausuntojen rooli ja merkitys viranomaisten päätöksenteossa**

Viranomaiset kertoivat haastatteluissa arvostavansa potilasjärjestöjen lausuntoja. He totesivat kuitenkin, että lausunnot täydentävät muuta arvioinnissa ja päätöksenteossa käytettävää materiaalia, ja että päätöksenteko perustuu kokonaisarviointiin ja lainsäädäntöön. Erityisesti Hilan tapauksessa arviointi ja päätöksenteko pohjautuvat sairausvakuutuslakiin. Lausunnot voivat auttaa ymmärtämään sairastuneiden kokonaistilannetta, täydentää muuta arvioinnissa hyödynnettävää materiaalia ja tukea viranomaisen päätöksentekoa.

Haastateltavat eivät kuitenkaan muistaneet tilannetta, jossa potilasjärjestöjen lausunto olisi muuttanut lopputulosta tai päätöstä Hilassa tai Palkossa. Uusien lääkehoitojen kohdalla sairausvakuutuslaissa mainittu vaatimus peruskorvattavuudelle, vähäistä suurempi hoidollinen arvo, ei yleensä ole kynnyskysymys. Tämä vuoksi Hilan arvioinnissa painavat kohtuullinen tukkuhinta ja kustannukset suhteessa terveyshyötyyn. Palkon kohdalla korostuvat tutkimusnäyttö ja sen riittävyys.

Viranomaiset arvostivat erityisesti lausuntoja, jotka kohdistuivat uusiin lääkevalmisteisiin ja/tai harvinaissairauksien hoitoihin, joiden kohdalla tutkimusnäyttö on vielä vähäistä (taulukko 9). Lausunnot auttavat parhaimmillaan ymmärtämään hoidon kokonaisuutta, sairastuneen arkea ja mahdollisia puutteita nykyisissä hoitokäytännöissä sekä uuden hoidon hyötyjä tai haittoja suhteessa aiempiin hoitovaihtoehtoihin. Viranomaiset toivoivat, että järjestöt toisivat lausunnossa esille tasapainoisesti potilaan arkea ja myös negatiivisia asioita ja mahdollisia näkökulmia, minkä vuoksi tiettyä valmistetta ei olisi syytä ottaa käyttöön. Erilaisten haittojen arvottaminen potilasnäkökulmasta ja potilaan arjen, toimintakyvyn ja elämänlaadun kannalta nähtiin tärkeänä. Palkon kohdalla yksi haastateltava totesi, että potilasjärjestöjen lausunnot voivat tuoda tärkeitä näkökulmia siihen, ovatko esimerkiksi terveydenhuollossa käytettävät mittarit olennaisia potilaiden ja heidän perheidensä arjen sujuvuuden kannalta. Palkon suositusluonnosten osalta toivottiin kommentteja suosituksen kielestä ja ymmärrettävyydestä, mitä haastateltava piti tärkeänä suosituksen implementoinnin kannalta. Suosituksia toivottiin kommentoitavan suosituksen rakenteen mukaisesti osio kerrallaan. Hilan kohdalla potilasjärjestöjen toivottiin seuraavan Hilan ohjetta, jossa Hila on esittänyt raamit potilasjärjestöjen lausunnoille.

Useampi viranomaisen edustaja totesi haastattelussa, että lausunnot Hilan vastaanottamiin uusintahakemuksiin eivät ole yleensä tarpeellisia (taulukko 9). Siinä vaiheessa lääkevalmisteen hoidollisen arvon arviointi on jo käyty läpi, ja kysymys on lähinnä hinnasta. Usein valmiste säilyy markkinoilla, tai jos on esimerkiksi painetta hinnan laskemiseen patentin umpeutumisen takia, potilasjärjestön lausunto ei siinä tilanteessa välttämättä auta. Viranomaisten näkökulmasta lisäarvoa arviointiin ei tuo kliinisten tutkimusten tuloksien toistaminen lausunnossa, toive korvattavuudesta tai myönteisestä suosituksesta tai perusoikeuksien korostaminen.

**Taulukko 9.** Viranomaisten edustajien (n=7) haastatteluissa (n=7) esille tuomia näkemyksiä potilasjärjestöjen lausuntojen hyödyllisyydestä lääkkeiden arvioinnissa.

<b>Lausunnot, joista on hyötyä arvioinnissa</b>	<p>Lausunnot, joissa tulee esille ja potilaan arjen kokemukset hoidoista sekä hoidon kokonaisuus.</p> <p>Lausunnot harvinaissairauksien hoitoihin tai uusiin lääkehoitoihin, joiden kohdalla tutkimusnäyttö heikkoa.</p> <p>Lausunnot, joissa on arvioitu ja arvotettu hoidoista aiheutuvia haittoja.</p> <p>Lausunnot, joissa on käsitelty mittareiden käyttöä ja niiden soveltuvuutta lääkehoitojen arvioinnissa tai tutkimuksissa</p>
<b>Lausunnot, joista ei ole merkittävää hyötyä arvioinnissa</b>	<p>Lausunnot uusintahakemuksiin.</p> <p>Lausunnot, joiden sisältönä on ainoastaan toive korvattavuudesta tai valmisteiden käyttöönnotosta.</p> <p>Lausunnot, joiden pääasiallisena sisältönä on kliinisten tutkimusten tulosten tai hoitosuositusten toistaminen.</p> <p>Lausunnot, joissa ei ole laajempaa potilasnäkökulmaa.</p>

## 6.5 Kehittämisehdotuksia

Tämä luku sisältää haastatteluaineistoon perustuvia, osatöissä I-IV julkaisemattomia tuloksia. Potilasjärjestöjen edustajilla oli runsaasti ehdotuksia siitä, miten potilasjärjestöjen osallisuutta Hilan ja Palkon toiminnassa voisi kehittää. Kehittämisehdotuksissa korostuivat palautteen antaminen lausunnoista, vuoropuhelun lisääminen viranomaisten ja potilasjärjestöjen välillä, mahdollisuus tuoda tarpeen mukaan näkökulmia arviointiin myös suullisesti, läpinäkyvyyden lisääminen päätöksenteossa ja päätösten perustelu sekä priorisointi- ja arviointikriteereiden sanallistaminen. Useammassa haastattelussa tuli esille, että potilasjärjestöt ymmärtävät priorisoinnin tarpeen ja tiedostavat sen, että terveydenhuollossa tehdään jatkuvasti priorisointia, mutta kriteerit ovat epäselviä eikä niitä ole käsitelty avoimesti. Osittain tämän takia potilasjärjestöjen työntekijöiden on vaikea avata asiaa jäsenistöilleen, jotka odottavat uusia hoitoja suomalaisten potilaiden käyttöön. Potilasjärjestöjen edustajat kaipaivat keskustelua arvoista. Moni potilasjärjestön edustaja koki Hilan kuu-kausittain julkaiseman listan saapuneista hinta- ja korvattavuushakemuksista vaikeasti luettavaksi. Useampi potilasjärjestön edustaja ehdotti, että listan voisi ryhmitellä esimerkiksi käyttöaiheittain tai lääkeaineryhmittäin, jolloin siitä olisi helpompi löytää omalle järjestölle ajankohtaiset hakemukset. Kehit-

tämisehdotuksena mainittiin potilasjärjestön edustajan ottaminen palveluvalikoimaneuvoston tai jaoston jäseneksi tai asiantuntijaksi, mikä auttaisi varmistamaan potilasnäkökulman huomioimisen osana arviointia. Muutama haastateltava ehdotti potilasjärjestöjen edustajaksi sosiaali- ja terveysjärjestöjen kattojärjestö SOSTEn edustajaa, joka voisi koota näkökulmia laajemmalla järjestöjen joukolta. Kehittämissuhteuksena esitettiin lisäksi lausuntomallien yhtenäistämistä ja Hilan ja Palkon yhdistämistä yhdeksi organisaatioksi, jolloin ”kokonaisuus olisi saman katon alla”. Hyvänä esimerkkinä potilasjärjestöjen osallisuuden toteutumisesta pidettiin Duodecimin Potilaat mukaan –hanketta, jossa on luotu toimintamallit potilasjärjestöjen ja Käypä hoito -työryhmien yhteistyölle. (Sipilä, ym., 2022; Suomalainen lääkärisseura Duodecim, 2023; Tran Minh, julkaisematon tulos 2024.)

Viranomaisilta tuli kehittämissuhteuksia vähemmän kuin potilasjärjestöjen edustajilta. Viranomaiset näkivät toimintamallit pääosin hyvin toimivina, mutta totesivat että mikäli resursseja olisi enemmän, he voisivat panostaa enemmän viestintään ja vuoropuheluun järjestöjen kanssa sekä järjestää potilas- tai potilasjärjestötapaamisia. Muutama viranomainen mainitsi priorisointikriteerien puutteen, ja tarpeen kehittää erityisesti Palkon ”arviointikehikkoa” (Tran Minh, julkaisematon tulos 2024.)

## 7 POHDINTA

### 7.1 Päälöydökset

Ensimmäinen haastateltavani esitti haastattelun aikana kysymyksen ”Lukeeko niitä [lausuntoja] kukaan?”. Tutkimukseni perusteella viranomaiset lukevat potilasjärjestöjen lausunnot huolella. Lausunnot ovat osa laajaa materiaalikokonaisuutta, jonka pohjalta tehdään päätös valmisteen korvattavuudesta tai suosituksen johtopäätöksistä. Lausuntojen vaikutus päätöksenteossa on kuitenkin tutkimukseni perusteella melko vähäinen.

Lausuntojen antamiseen sekä niiden hyödyntämiseen viranomaisen päätöksenteossa liittyy haasteita. Potilasjärjestöt tarvitsevat lisää tietoa erityisesti siitä, mitä viranomaiset odottavat lausunnoilta. Tietoa tarvitaan myös terveydenhuollon menetelmien arvioinnista ja korvattavuuteen sekä suosituksiin liittyvistä prosesseista ja niitä ohjaavasta lainsäädännöstä. Haasteita aiheuttaa tiedon epäsymmetria potilasjärjestöjen ja viranomaisen välillä sekä viranomaisten ja potilasjärjestöjen erilaiset odotukset lausuntoihin ja niiden hyödyntämiseen liittyen. Potilasjärjestöjen näkökulmasta ongelmallista on se, että ne eivät saa viranomaisilta suoraa palautetta antamistaan lausunnoista. Osallisuuden kokemus oli melko heikkoa. Kokemukseen vaikuttivat erityisesti palautteen puuttuminen sekä korvattavuuteen ja suositusten valmisteluun liittyvän päätöksenteon läpinäkyttömyys. Sekä potilasjärjestöjen edustajat että viranomaiset toivoivat vuoropuhelun lisäämistä, mikä voi auttaa vahvistamaan potilasjärjestöjen osallisuutta, lausuntojen hyödynnettävyyttä ja rajallisten resurssien kohdentamista viranomaisten ja potilasjärjestöjen työtä hyödyttävällä tavalla. Nämä ajatukset ovat linjassa uuden julkisen hallinnan periaatteiden kanssa, jonka mukaan kansalaiset ja kansalaisyhteiskunta nähdään aktiivisina toimijoina, ja demokratia toteutuu äänestysmahdollisuuksien lisäksi yhteistyössä ja vuoropuhelussa (Osborne, 2010; Hakari, 2013, s. 38; Isola ym., 2017).

## 7.2 Lausuntojen määrä ja haasteet niiden valmistelussa

Hilan vastaanottamien potilasjärjestölausuntojen määrä vakiintui vuosien 2017–2023 aikana pariin kymmeneen lausuntoon vuodessa. Määrä on melko vähäinen suhteessa Hilalle saapuneiden hinta- ja korvattavuushakemusten lukumäärään, vaikka ottaisi huomioon ainoastaan uusia vaikuttavia lääkkeitä koskevat hakemukset ja korvattavuuden laajennukset. Palkon vastaanottamien Ota kantaa -kommenttien määrässä oli suosituskohtaista vaihtelua, mutta vaihtelu tasaantui vuosina 2021–2023. Lausuntojen määriä on vaikea verrata kansainvälisesti, sillä arviointi- ja päätöksentekokäytännöt, potilasjärjestöjen osallistumisen mahdollisuudet sekä väestöpohja vaihtelevat maittain. Vertailevaa tutkimustietoa lausuntomääristä on hyvin rajallisesti, ja lausuntojen määriä ovat raportoineet lähinnä Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH) ja Scottish Medicines Consortium (SMC) (CADTH, 2013; Berglas ym., 2016; Hamilton ym., 2016; Mercer ym., 2020).

Vuosien 2020–2021 aikana CADTH käsitteli 80 lääkkeiden korvattavuusarviointia, ja vastaanotti niihin 73 potilasjärjestölausuntoa. Aiemmassa tarkastelussa CADTH:n syöpälääkkeisiin keskittyvä Pan-Canadian Oncology Drug Review (pCODR) oli vastaanottanut vuosien 2010 ja 2019 välillä potilasnäkökulmia 160 arviointiin 165:stä (Mercer ym., 2020). Lausuntojen kattavuus on huomattavasti korkeampi kuin Suomessa, mutta Kanadassa toimintamallit ovat olleet pidempään käytössä ja potilasjärjestöille on luotu hyvin selkeät ohjeet ja mallipohjat lausunnoille. Lausuntojen lisäksi potilasedustajia on ääni-valtaisina jäseninä pCODR Expert Review Committeeessä ja Health Technology Expert Review Panelissa. (CADTH, 2021, 2022.)

Skotlannissa SMC arvioi lääkkeitä lääkeyritysten hakemuksiin perustuen. Ensimmäisten toimintavuosien aikana lausuntoja potilasjärjestöiltä tuli niukasti (Weeks ym., 2017). Vuonna 2014 SMC alkoi potilasjärjestöiltä saamansa palautteen perusteella kehittää osallisuustoimintaansa, yksinkertaisti lausunnon mallipohjaa ja alkoi järjestää säännöllisiä koulutuksia potilasjärjestöille lausuntojen antamisesta. (Weeks ym., 2017.) Tammikuun 2013 ja toukokuun 2016 välillä julkaistuista 168 arviointiraportista 123:een oli tullut potilasjärjestölausunto (Hamilton ym., 2016). Potilasjärjestölausunnot kohdistuivat muita useammin harvinaislääkkeisiin ja syövän hoidossa käytettäviin lääkkeisiin. Potilasjärjestölausuntojen määrä oli suurempi tarkastelujakson loppupuolella, vuosien 2015 ja 2016 aikana. (Hamilton ym., 2016.) Tulokset ovat hyvin samansuuntaisia kuin väitöskirjatutkimuksessani. Hilan ja Palkon vastaanottamista lausunnoista merkittävä osa koski syöpälääkkeiden ja immuunivasteenmuuntajien ryhmään kuuluvia valmisteita sekä diabeteslääkkeitä, ja erityisesti Palkon kohdalla korostuivat lausunnot harvinaissairauden lääkesuosituksiin. Potilasjärjestölausuntojen kohteena olevat valmisteet hei-

jastelevat lääkehoitojen kehitystä ja uusien myyntilupien jakautumista lääkeaineryhmittäin (European Medicines Agency, 2021). Uusissa myyntiluvissa painottuvat onkologiaan, hematologiaan, immunologiaan, endokrinologiaan ja neurologiaan liittyvät valmisteet sekä harvinaislääkkeet.

Potilasjärjestölausuntojen vähäisempään määrään Suomessa voivat vaikuttaa muun muassa lyhyempi historia osallistumisen mahdollisuuksista ja tiedonpuute lääkehoitojen arvioinnista, potilasjärjestöjen käytettävissä olevat resurssit sekä järjestötoiminnan painotukset ja vaihtoehtokustannukset (European Patients Forum, 2013; Mercer ym., 2020). Yksi suurimmista haasteista tutkimukseen osallistuneille potilasjärjestöille oli vaikeus löytää potilaskokemuksia uusista, juuri myyntiluvan saaneista lääkkehoidoista. Vaikeus löytää sopivia potilaita edustamaan laajempaa potilasyhteisöä tunnistettiin myös vuonna 2014 Suomessa toteutetussa tutkimuksessa, jossa haastateltiin potilasjärjestöjen edustajia terveydenhuollon menetelmien arviointiin ja hoitosuosituksen laatimiseen liittyvästä osallisuudesta (Hämeen-Anttila ym., 2016). Potilasedustajat toivat esille myös kliinisten tutkimusten vähäisen määrän, mikä osaltaan vaikuttaa siihen, että kokemuksia uusista lääkkeistä ei ole. Kliiniset tutkimukset ovat tilastojen mukaan vähentyneet Suomessa viimeisen 10 vuoden aikana (Lääkealan tutkimus- ja kehittämiskeskus Fimea, 2023c). Näiden haasteiden vuoksi osa potilasjärjestöjen edustajista kertoi keräävänsä potilaskokemuksia kansainvälisistä yhteistyöverkostoistaan ja hyödyntävän muun muassa CADTHin sivuilla julkaistujen lausuntojen sisältöjä.

Toinen merkittävä haaste järjestöille oli se, että ne joutuvat valmistelemaan Hilalle suunnatut lausunnot rajallisen tiedon perusteella. Potilasjärjestöille lähetetty ja Hilan verkkosivuilla julkaistu lista edellisen kuukauden aikana Hilalle saapuneista hinta- ja korvattavuushakemuksista ei sisällä tietoa haettavasta käyttöaiheesta tai esimerkiksi siitä, koskeeko laajennushakemusta käyttöaihetta vai erityiskorvattavuuden laajentamista. Tämä ongelma on tunnistettu myös viranomaisten taholta, mutta siihen on vaikea löytää ratkaisua - lääkeyrityksen toimittaman hinta- tai korvattavuushakemuksen sisältö tai Hilan ja yrityksen välinen keskustelu eivät ole julkista tietoa. Tiedon epäsymmetria hinta- ja korvattavuushakemuksen sisällöstä aiheuttaa potilasjärjestöille epävarmuutta ja lisätyötä, ja tuottaa viranomaisille lausuntoja, jotka eivät välttämättä auta päätöksenteossa. Samankaltaisia haasteita on tunnistettu myös Kanadassa ja Ruotsissa (Werkö & Andersson, 2017; Boothe, 2019). Ruotsissa tämä on yksi syy siihen, että potilasjärjestöt eivät säännönmukaisesti anna lausuntoja yksittäisiin hinta- ja korvattavuushakemuksiin (Werkö & Andersson, 2017). Palkon kohdalla samaa ongelmaa ei ole, sillä Palkon verkkosivuillaan julkaisemassa suositusluonnoksessa määritellään tarkasti suosituksen aihe ja rajaukset. Palkon toiminnassa myös lähtökohdat ovat erilaiset, sillä Palkon suositusluonnos perustuu julkiseen Fimean arviointiraporttiin.

Palkon osalta potilasjärjestöjen epävarmuudet liittyivät pääasiassa Palkon toimintakenttään, joka oli monelle potilasjärjestön edustajalle epäselvä. Palko on kuvannut toimintaansa käsikirjassaan, jossa on myös kappale siitä, mitä Ota kantaa -lausunnoilta odotetaan (Terveystieteiden tutkimuskeskus, 2024a). Linkki ohjeeseen on lisätty suositusluonnosten johdantoon tässä tutkimuksessa toteutettujen haastattelujen jälkeen.

Palkon vastaanottamissa lausunnoissa lukumäärä huomioiden korostuivat yksittäisten kansalaisten antamat lausunnot, ja erityisesti lausunnot spinaalisen lihasatrofian hoitoon käytettävien lääkehoitojen suosituksista. Nusinerseenihoidosta ja sen hinnasta käytiin vilkasta lääkehoitojen priorisointiin liittyvää julkista keskustelua vuosina 2017–2019 (Ahjopalo, 2017; Repo, 2019). Tämä on voinut osittain vaikuttaa kansalaisten aktiivisuuteen antaa lausuntoja Ota kantaa -palvelussa. Samoihin aikoihin, vuonna 2018, spinaalista lihasatrofiaa sairastaville ja heidän läheisilleen perustettiin oma yhdistys SMA Finland ry, jonka tavoitteena oli saada nusinerseenihoito kaikkien sitä haluavien ulottuville (SMA Finland ry, 2024).

Potilasjärjestöt kaipasivat lisää tietoa viranomaisprosesseista ja erityisesti siitä, mitä viranomaiset odottavat lausunnoilta. Tutkimuksessa tuli esille se ristiriita, että potilasjärjestöt kommentoivat ja heitä pyydetään lausunnoissa kommentoimaan yksittäistä lääkehoitoa tai suositusluonnosta, kun taas viranomaiset tarkastelevat asiaa usein laajemmasta resurssien allokoinnin näkökulmasta. Tätä ristiriitaa ei kuitenkaan huomioida tai pyydetä huomioimaan potilasjärjestöille suunnatuissa ohjeissa.

Osa viranomaisten pyytämistä tiedoista on myös sellaisia, joihin potilasjärjestöillä ei välttämättä ole vastauksia. Esimerkiksi Hilan ohjeessa potilasjärjestöille pyydetään kuvaamaan arvio potilaiden ja lääkevalmistetta todennäköisesti käytettävien potilaiden määrästä Suomessa sekä yleisimmin käytetystä vuorokausiannoksesta ja hoidon kestosta (Lääkkeiden hintalautakunta, 2020a). Potilasjärjestöjen kanssa käydyissä keskusteluissa tuli esille, että osalla järjestöistä ei ole työntekijöinä tai luottamushenkilöinä terveydenhuollon ammattilaisia, ja lausuntojen antaminen koettiin tämän vuoksi haastavana. Lisäksi potilasjärjestöjen jäsenistön määrä, jäsenkunta ja toimintakenttä vaihtelevat suuresti (Toiviainen, 2007). Jäsenistön perusteella ei siten voi tehdä arviota potilaiden kokonaismäärästä. Potilasjärjestöt kokivat viranomaistoiminnan etäiseksi. Kyselytutkimuksen (osatyö IV) perusteella terveydenhuollon menetelmien arviointi ja kustannusvaikuttavuus ovat erityisen tuntemattomia teemoja kansalaisille, ja tulokset Keski-Euroopassa toteutetussa tutkimuksessa olivat samansuuntaisia (Parsons ym., 2015).

### 7.3 Viranomaisten kokemat haasteet ja lausuntojen merkitys päätöksenteossa

Resurssien puute viranomaisorganisaatioissa on tunnistettu kansainvälisesti potilasjärjestöjen osallistumista rajoittavaksi tekijäksi (European Patients Forum, 2013; O’rourke ym., 2020; Dimitrova ym., 2022). Suomessa arviointi- ja päätöksentekoprosessien monikanavaisuuden vuoksi henkilöstöresurssit ovat hajaantuneet eri yksiköihin (Kaila & Lohiniva-Kerkelä 2020; Ollila ym., 2022; Rajaniemi, 2023; Saarni, 2023). Sosiaali- ja terveysministeriön johtamassa lääkeasioiden uudistuksessa ja Lääkkeet ja apteekkitalous -hankkeessa yhtenä tavoitteena on arviointitoiminnan periaatteiden yhtenäistäminen sairaala- ja avohoidon lääkkeiden välillä ja yhteistyön lisääminen toimijoiden kesken (Sosiaali- ja terveysministeriö, 2019, 2023b; Rajaniemi, 2023, Sosiaali- ja terveysministeriö, 2024). Toiminnan yhtenäistäminen sekä yksinkertaistaminen ja osaamisen keskittäminen auttaisivat suuntaamaan rajalliset henkilöstöresurssit järkevämmiin (Rajaniemi, 2023). Arviointitoiminnan yhtenäistäminen on luonteva mahdollisuus kehittää myös potilasjärjestöjen ja potilaiden osallistumismahdollisuuksia.

Yksi suurimpia viranomaisten kokemia haasteita oli se, että lausunnot eivät vastaa käsiteltävään asiaan, tai ne menevät ohi siitä, mikä on viranomaisen toimivalta. Tämä johtuu osittain Hilalle toimitettavien hakemusten luottamuksellisuudesta, jota käsiteltiin potilasjärjestöjen kokemien haasteiden yhteydessä edellisessä luvussa. Potilasjärjestöjen edustajien haastatteluissa tuli esille, että osalla järjestöistä on epätietoisuutta siitä, mitkä ovat esimerkiksi Euroopan lääkeviraston ja kansallisten HTA-viranomaisten tehtävät, ja mikä on hoitosuosituksen ja Palkon suositusten ero. Tiedon puute sekä potilasjärjestöjen ja viranomaisten erilaiset odotukset osallisuudelle ja sen toteutumismuodoille on tunnistettu haasteeksi myös kansainvälisissä tutkimuksissa (Hoch ym., 2014; Rozmovits ym., 2018).

Kuten kansainvälisissä tutkimuksissakin on tullut esille, myös suomalaiset viranomaiset arvostivat lausuntoja, jotka tuovat konkreettista, mahdollisimman objektiivista näkökulmaa potilaan ja läheisen arkeen ja hoidon kokonaisuuteen sisältäen tietoa, jota ei ole saatavilla kliinisten tutkimusten raporteista tai muilta asiantuntijoilta (Rozmovits ym., 2018). Suomalaiset viranomaiset vierastivat toivon merkityksen korostamista lausunnoissa, sillä se ei tuo lisätietoa varsinaiseen arviointiin ja päätöksentekoon. Tunteisiin vetoavia lausuntoja ei nähty hyödyllisinä myöskään kanadalaisen tutkimuksen perusteella, jossa arviointitoimikunnan jäsenet kokivat, että tällaisten lausuntojen yhteydessä on vaikea erottaa neutraalia tiedon välittämistä potilaskokemuksista ja järjestön vaikuttamistyöstä (Rozmovits ym., 2018). Suomessa potilasjärjestölausuntojen valmistelu on järjestöjen toiminnan kuvauksen perusteella

monessa järjestössä osa edunvalvontaa ja vaikuttamistoimintaa, ja tavoitteena on yleensä korvattavuuden tai käyttöönoton edistäminen (esimerkiksi Andersson, 2024; Diabetesliitto, 2024; IBD ja muut suolistosairaudet, 2024).

Järjestöjen ja viranomaisten tavoitteet lausuntotoiminnalle voivat siis erota toisistaan. Tutkimuskirjallisuudessa on myös pohdittu sitä, mikä on eri osapuolten näkökulmasta merkityksellistä tietoa tai näyttöä, ja mitä asioita terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa sekä terveydenhuollon palveluvalikoimaa koskevassa päätöksenteossa olisi ylipäätään syytä huomioida (Lomas ym., 2005; Saarni, 2010; Rozmovits ym., 2018). Koska terveydenhuollon resurssit ohjaavat päätökset tehdään aina ympäröivän yhteiskunnan kontekstissa, tieteellisen tiedon, taloudellisia vaikutuksia koskevan tiedon ja eri sidosryhmien näkemyksiä esille tuovan kokemusperäisen tiedon yhteensovittaminen nähdään välttämättömäksi (Lomas ym., 2005). Päätöksenteko edellyttää avointa, eri näkökulmat huomioivaa keskustelua siitä, mitä näyttöä kussakin tilanteessa painotetaan ja miten näyttöä tulkitaan (Lomas ym., 2005; Arthur ym., 2023). Yhteisen keskustelun lisäksi on kehitettävä menetelmiä siihen, miten lääkehoitojen laajempia yhteiskunnallisia vaikutuksia ja ulkoisvaikutuksia, esimerkiksi sosiaalipalveluiden kustannuksia, vaikutuksia työllisyyteen, sosiaalisiin suhteisiin tai omaishoitajien hyvinvointiin, tulisi huomioida osana arviointia (Mankinen ym. 2019; Laine ym., 2020).

Moni väitöskirjatutkimuksessa haastateltu viranomaisasiantuntija esitti haastattelussa huolensa potilasjärjestöjen sidonnaisuuksista. Tämä huoli on tullut esille myös kansainvälisissä yhteyksissä (McCoy ym., 2017; Hashem ym., 2018; Gagnon ym., 2021; Dimitrova ym., 2022). Haastattelussa muutama potilasjärjestö nosti esille yritys yhteistyön haasteet erityisesti ennen järjestelmällisten lausuntomahdollisuuksien luomista, mutta painotti samalla, että järjestöt perustavat työnsä ja lausuntonsa jäsenistön ja laajemmin potilaiden kokemuksiin ja tarpeisiin. Toisin kuin monessa muussa maassa, Suomessa potilasjärjestöjen toiminta ei ole yleensä riippuvaista lääkeyritysten tuesta, sillä valtaosa vakiintuneista järjestöistä saa vuosittain rahoitusta toimintaansa sosiaali- ja terveysministeriön alaisuudessa toimivalta Sosiaali- ja terveysjärjestöjen avustuskeskukselta STEAlta (Sosiaali- ja terveysjärjestöjen avustuskeskus, 2024; Laki sosiaali- ja terveysalan yhdistysten ja säätiöiden rahoituksesta 3.3.2023/284). STEA:n kautta myönnettävä rahoitus on kuitenkin lähivuosina vähenemässä (Valtioneuvosto, 2023, 2024).

Kansainvälisessä kirjallisuudessa viranomaiset ovat kuvanneet yhdeksi merkittäväksi haasteeksi potilaiden ja terveydenhuollon ammattilaisten osallisuutta tukevien, mahdollisimman tarkoituksenmukaisten toimintamallien kehittämisen (O’rourke ym., 2020). Tässä tutkimuksessa haastatellut viranomaiset kokivat Hilan ja Palkon kehittämät lausuntomallit pääosin toimiviksi.

## 7.4 Osallisuuden toteutuminen

### 7.4.1 Osallisuuden toteutuminen Arnsteinin asteikolla tarkasteltuna

Lausuntojen hyödyntämiseen liittyvän epävarmuuden ja palautteen puuttumisen vuoksi moni haastatteluihin osallistunut potilasjärjestöedustaja koki osallisuuden näennäisenä. Epävarmuus ja epäselvyys siitä, miten potilasjärjestölausuntoja hyödynnetään viranomaisten päätöksenteossa ja mikä niiden vaikutus lopulta on, on tullut esille myös aiemmissa tutkimuksissa (Mitton ym., 2009; Scott & Wale, 2017; Boothe, 2019; Livingstone ym., 2021). Sherry Arnsteinin asteikolla kuulemisen (consultation) sijoittuu tokenismin eli näennäisen osallistamisen kategoriaan (Arnstein 1969). Arnstein toteaa, että kansalaisten mielipiteen kuuleminen voi olla perusteltu askel aitoon osallistumiseen. Irrallisena se on kuitenkin riittämätön keino, sillä kuulemisessa ei ole mitään varmuutta siitä, miten kansalaisten näkökulmat otetaan lopulta päätöksenteossa huomioon (Arnstein 1969). Tässä tutkimuksessa havaitut potilasjärjestöjen huolet lausuntojen merkityksestä ja niiden hyödyntämisestä ovat hyvin samansuuntaisia Arnsteinin ajatusten kanssa. Terveiden ja hyvinvoinnin laitoksen (2023b, s.28) mukaan osallisuuden ja osallisuutta lisäävien toimien onnistumisen tärkein mittari on se, kokevatko ihmiset olevansa osallisia ja voivansa vaikuttaa asioihin. Myös tällä mittarilla potilasjärjestöjen osallisuuden toteutumisessa oli järjestöjen edustajien kokemusten mukaan puutteita.

Arnsteinin teoriaa on kritisoitu siitä, että se kuvaa lähinnä vallan jakautumista päätöksenteossa, eikä ota huomioon itse osallistumisen prosessia tai erilaisia osallistumisen malleja ja representaatioita (Tritter & McCallum, 2006). On myös esitetty, että Arnsteinin asteikon korkein taso, kansalaisten valta tai kontrolli (kuva 2, s. 33), voi johtaa siihen, että palvelut täyttävät jonkun ryhmän tarpeet paremmin kuin muiden (Tritter & McCallum, 2006; Sandman ym., 2020). Tämä askelma ja asetelma ei kuitenkaan ole realistinen eikä toteudu käytännössä missään julkisen terveydenhuollon toiminnassa.

Suomessa potilasjärjestöjen rooli lääkkeiden arviointiin liittyvässä päätöksenteossa sijoittuu Tritterin kollektiivisen ja reaktiivisen epäsuoran osallistumisen kategoriaan, jossa tarkoitus on tuottaa sisältöä terveydenhuollon kehittämiseen ja/tai päätöksentekoon (Tritter, 2009). Kuten aiemmissa tutkimuksissa ja kansainvälisten kokemusten perusteella on havaittu, myös Suomessa potilasjärjestöjen osallistuminen toteutuu pääosin kirjallisessa muodossa ja siinä arvioinnin vaiheessa, jossa sosiaalisia ja eettisiä näkökulmia pohditaan suhteessa tutkimus- ja kustannusvaikuttavuustietoon (European Patients Forum, 2013; Scott & Wale, 2017; Arthur ym. 2023). Mahdollisuutta suoraan osallistumiseen tai osittain delegoituun valtaan, jossa potilasjärjes-

töjen edustajilla olisi mahdollisuus olla mukana varsinaisessa päätöksenteossa, ei Hilan tai Palkon toiminnassa ole. Palko on järjestänyt potilas- ja potilasjärjestötapaamisia esimerkiksi osana Skitsofreniaryhmän psykooseja sairastavien kognitiivinen kuntoutus ja Huumeriippuvuuksien hoidon ja kuntoutuksen psykososiaaliset menetelmät -suositusten valmistelua (Sosiaali- ja terveystieteiden tutkimuskeskus, 2020, 2023e), mutta lääkehoitojen yhteydessä näitä ei ole viime vuosina järjestetty.

Ruotsissa potilas- tai kuluttajajärjestöillä on edustus Hilaa vastaavan TLV:n lääkelautakunnassa ja hammashoidon tuista päättävässä lautakunnassa, joissa ne ovat mukana täysivaltaisina jäseninä. Lautakunnissa mukana olevat järjestöjen edustajat eivät lautakunnassa edusta ainoastaan omaa sairausryhmäänsä, vaan laajemmin potilasyhteisöä. (Werkö & Andersson, 2017.) Joissain muissa maissa, kuten Saksassa, potilasedustajat ovat mukana päätöksentekolimissä, mutta ilman äänestysoikeutta (Haefner & Danner, 2017; The Global Alliance for Patient Access (GAPPA), 2020). Potilasjärjestöjen edustus Hilassa ja Palkossa esimerkiksi TLV:n mallin mukaisesti oli yksi potilasjärjestöjen esittämä kehittämiskohde. Potilaiden ja kansalaisten vahvempaan osallistumiseen kannustetaan myös tuoreissa kotimaisissa terveydenhuollon sisältöohjaukseen ja priorisointiin liittyvissä selvityksissä (Torkki ym., 2022; Rajaniemi, 2023; Saarni, 2023). Tarve tuli esille myös Hämeen-Anttilan ym. (2016) julkaisemassa tutkimuksessa, jossa haastateltiin potilasjärjestöjen edustajia heidän osallistumisestaan terveydenhuollon menetelmien arviointiin ja hoitosuosittelun valmisteluun.

Suora osallistuminen lisää kansainvälisten tutkimusten mukaan arvioinnin ja päätöksenteon läpinäkyvyyttä ja legitimitettä, ja voi myös auttaa vähentämään pelkoa tokenismista (Scott & Wale, 2017; Boothe, 2019; Wale & Sullivan, 2020). Esimerkiksi Kanadassa arviointikomitean jäsenenä toimiva maallikkoedustaja kokoaa potilasjärjestöjen antamat lausunnot, tekee niistä yhteenvedon, esittää sen komitean muille jäsenille sekä osallistuu asiaa koskevaan pohdintaan ja päätöksentekoon (Scott & Wale, 2017; Wale & Sullivan, 2020). Komiteoissa mukana olleet, suoraan päätöksentekoon osallistuneet potilas- tai maallikkoedustajat osasivat lausuntoja antaneita potilasjärjestöjen edustajia paremmin kertoa, mikä lausuntojen vaikutus on ollut, ja minkälaisia muutoksia niiden perusteella on mahdollisesti tehty (Wale & Sullivan, 2020). On kuitenkin esitetty, että potilasedustajien mukaan ottamisessa riskinä on, että yksittäinen edustaja saattaa painottaa näkemyksissään tietyn potilasryhmän etua muiden kustannuksella, ja että haavoittuvimmassa asemassa olevien potilaiden tilannetta ei huomioida (Sandman ym., 2020). Riski mahdollisiin puolueellisiin tai vinoutuneisiin näkökantoihin pätee kuitenkin kaikkiin arviointiin ja päätöksentekoon osallistuviin asiantuntijoihin.

Potilasedustajan sijaan Sandman ym. (2020) ehdottavat asiantuntijapotilasta (consultant), joka lääketieteellisten asiantuntijoiden tavoin voi tuoda lisäymmärrystä asian käsittelyyn omasta näkökulmastaan, haastaa muiden asiantuntijoiden näkemyksiä ja koota tai tulkita potilasnäyttöä muille työryhmien edustajille. Skotlannissa lääkkeiden arviointityöryhmä on kokenut erityisen hyödylliseksi potilaiden ja terveydenhuollon ammattilaisten keskustelun arvioitavasta menetelmästä, jossa molemmat osapuolet tuovat esille omia kokemuksiaan ja reflektivat niitä (Wale & Sullivan, 2020).

Luottamusta ja läpinäkyvyyttä voi pysyvän potilasedustuksen ohella tai sen sijaan vahvistaa avaamalla asian käsittelyä ja päätöksentekijöiden käymää keskustelua tarkemmin kansalaisille (Sandman ym., 2020). Tämä voi toteutua avaamalla asiaa kirjallisesti tai mahdollistamalla kokousten ja keskustelun seuraaminen esimerkiksi verkkolähetyksenä. NICE ja SMC järjestävät toimikuntiansa kokoukset Zoom-tapaamisina, joihin kansalaisten on mahdollista osallistua ja näin seurata arvioitavana olevan menetelmän esittelyä. Päätöstä koskeva osa kokouksesta on kuitenkin suljettu yleisöltä. (Wale & Sullivan 2020; NICE 2024b.) Läpinäkyvyyden lisääminen voisi lisätä potilasjärjestöjen näkökulmasta toimintaympäristön hallittavuutta ja ymmärrettävyyttä, jotka puolestaan voivat vahvistaa kokemusta osallisuudesta (Isola ym., 2017; Leemann ym., 2022; Terveyden ja hyvinvoinnin laitos, 2023b).

Suoran osallistumisen lisäksi palautteen antaminen lausunnoista voi lisätä luottamusta viranomaistoimintaan sekä parantaa lausuntojen laatua ja vaikuttavuutta. Wale ja Sullivan (2020) toteavat omassa tutkimuksessaan, että palautteen puute on yksi rajoittava tekijä osallisuuden kehittymiselle. Palautteen puuttuessa potilasjärjestöillä ei ole selkeätä käsitystä siitä, minkälaiset lausunnot tukevat mahdollisimman hyvin päätöksentekoa, ja toisaalta järjestöt eivät voi ilman palautetta raportoida lausuntojen vaikutuksista jäsenistölleen, paitsi lopulliseen päätökseen peilaten. Palautteen merkitystä korostetaan myös HTAi- järjestön laatustandardeissa (HTAi, 2014). Palko on järjestänyt webinaareja lausuntopalautteen perusteella kuvantamistutkimuksen kriteereiden yhteydessä. Webinaareissa Palkon sihteeristö, jaoston jäsenet ja asiantuntijat ovat esitelleet valmistuneita kriteereitä, kuvanneet kriteerien säännösperstusta sekä kertoneet vastauksia lausuntopalautteeseen. (Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, 2022, 2023c.) Lääkehoitosuositusten yhteydessä vastaavia webinaareja ei ole kuitenkaan järjestetty.

Tässä tutkimuksessa käsitellään potilasjärjestöjen osallisuutta potilasjärjestöjen työntekijöiden tai hallitusten jäsenten haastatteluihin ja kokemuksiin perustuen. Järjestöjen toimintamallit jäsenistön tai laajemmin sairastuneiden ja läheisten äänen kokoamisessa sekä lausuntojen kirjoittamisessa vaihtelivat, ja tämän johdosta lausuntojen edustavuudessa ja jäsenistön kokemuksissa osallisuuden toteutumisesta voi olla eroja. Polku sairastuneen kokemuksista

potilasjärjestölausuntojen kautta Hilan ja Palkon päätöksentekoon on monivaiheinen (kuva 7). Potilasjärjestöjen edustajat korostivat, että palaute lausunnoista on tärkeää, jotta he voivat välittää tietoa lausuntojen merkityksestä ja viranomaisen toiminnasta kokemustietoa jakaneelle jäsenistölleen.

#### **7.4.2 Tavoitteiden merkitys osallisuuden toteutumisessa**

Monessa kansainvälisessä tutkimuksessa ja ohjeistuksessa korostetaan selkeiden, osallisuutta tukevien tavoitteiden merkitystä terveydenhuollon menetelmien arviointia ja hoitojen käyttöönottoa koskevassa päätöksenteossa (Abelson ym., 2007; Gauvin ym., 2010; INAHTA, 2021; Wale ym., 2021; OECD, 2022; Sipilä ym., 2022; Arthur ym., 2023). Vastaavasti ohjeistuksen ja selkeiden toimintatapojen puute on tunnustettu yhdeksi osallisuuden kehittämisen esteeksi (Gagnon ym., 2021). Suomessa Hila ja Palko ovat luoneet ohjeet lausuntojen antamiseen. Palko mainitsee ohjeissa suositusluonnosta kommentoivalle lisäksi kommentoinnin tarkoitukset (Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, 2024a). Kommentoinnin tarkoituksena on Palkon mukaan (2024a) edesauttaa, että kaikki suosituksen kannalta tarpeellinen materiaali on ollut Palkon käytettävissä; suositus perustuu oikeisiin ja riittäviin tietoihin; asiaan liittyvät erilaiset näkökulmat on riittävästi huomioitu; suositus on kieli-asultaan ymmärrettävä; suositus on käytännössä toimeenpantavissa Suomen terveydenhuollossa ja suosituksella voidaan saavuttaa tavoitellut vaikutukset ja vaikutuksia voidaan seurata. Tämän tutkimuksen haastatteluissa viranomaiset totesivatkin, että kommentoinnin tarkoituksena ei ole kysyä mielipidettä suosituksesta, vaan ennen kaikkea varmistaa edellä mainittujen tavoitteiden toteutuminen. Potilasjärjestöjen edustajille Palkon toiminta oli epäselvää, ja on mahdollista, että tieto kommentoinnin tarkoituksista ei ole saavuttanut potilasjärjestöjä, tai potilasjärjestöjen tavoitteet kommentoinnille ovat erilaiset kuin viranomaisen määrittämät tavoitteet. Linkki Palkon ohjeeseen on nykyisin mukana Ota kantaa –palveluun listattujen suositusluonnosten johdantoteksteissä, mutta ohje on lisätty vasta haastattelujen toteuttamisen jälkeen.

Kansainvälisten kokemusten ja tutkimusten perusteella olisi perusteltua luoda selkeämmät tavoitteet potilasjärjestöjen osallistumiselle tai ainakin keskustella tavoitteista tarkemmin yhdessä potilasjärjestöjen kanssa, jotta yhteinen ymmärrys lausuntojen tarkoituksesta, tavoitteista ja merkityksestä vahvistuisi. Tämä lisäisi toimintaympäristön ymmärrettävyyttä ja hallittavuutta, mikä voi vahvistaa osallisuuden kokemusta (Isola ym., 2017; Leemann ym., 2022). Määriteltyjen tavoitteiden lisäksi onnistuneen osallistumisprosessin yhtenä edellytyksenä on pidetty sitä, että osallistujille on kerrottu selkeästi siitä, mihin on mahdollista vaikuttaa ja mihin ei (Jousilahti ym. 2022; OECD,

2022). Tämä ei välttämättä ole potilasjärjestöjen edustajille selvää Hilan ja Palkon nykyisten ohjeiden perusteella.

Haastattelujen perusteella vaikuttaa siltä, että organisaatioiden tasolla järjestöt, erityisesti SOSTEn koordinoima potilasjärjestöjen verkosto POTKA ja viranomaiset ovat tehneet säännöllistä yhteistyötä. Tämän organisaatioiden välisen yhteistyön voi katsoa kuuluvan Arnsteihin asteikon sovitteluun ja jopa kumppanuuteen (Arnstein, 1969, kuva 2). Käytännön työssä haasteena on kuitenkin resurssien puute viranomaisorganisaatioissa, mikä on tunnistettu myös kansainvälisissä tutkimuksissa (Gauvin ym., 2010; O’rourke ym., 2020; Arthur ym., 2023). Myös potilasjärjestöjen resurssit ovat niukat, tehtäväkenttä laaja ja järjestöjen avustuksiin on suunniteltu merkittäviä leikkauksia vuodesta 2025 alkaen (Valtioneuvosto, 2023, 2024). Niin ikään valtionhallinnon tehtäviä ja toimintamenoja vähennetään tulevana vuosina (Valtioneuvosto, 2024). Resurssien vähetessä on mahdollista, että toimintoja joudutaan priorisoimaan ja järjestöjen ja viranomaisyhteistyön sekä osallisuuden toimintamallien kehittämiseen on jatkossa yhä vähemmän mahdollisuuksia.

## 7.5 Potilasjärjestölausuntojen merkitys

Tässä tutkimuksessa viranomaiset kuvasivat, että lausunnot lisäävät ymmärrystä arvioitavana olevasta hoidosta ja potilaan hoidon kontekstista, mutta niiden vaikutus päätöksentekoon on melko vähäinen. Kansainväliset tutkimukset tukevat tätä tulosta (Wale & Sullivan, 2020; Livingstone ym., 2021). Lausunnonlla voi kuitenkin olla vaikutusta päätöksenteon prosessiin, vaikka se ei muuttaisi lopullista päätöstä tai suositusta (Livingstone ym., 2021).

Viranomaiset arvostivat eniten lausuntoja, jotka lisäävät heidän ymmärrystään harvinaisista sairauksista sekä hoidoista, joihin liittyen tieteellinen näyttö on vielä vähäistä. Potilasjärjestöjen lausunnot auttavat ymmärtämään hoidon kokonaisuutta, sairauden ja sen hoitojen vaikutusta potilaan sekä läheisten arkeen ja tuovat tukea johtopäätöksiin. Nämä tutkimustulokset ovat linjassa aiempien, Iso-Britanniassa ja Kanadassa tehtyjen tutkimusten kanssa. (Scott & Wale, 2017; Annemans ym., 2017b; Rozmovits ym., 2018; Livingstone ym., 2021; Nicod ym., 2023). Resurssien käytön kannalta on kuitenkin tärkeä huomioda, että osa lausunnoista ei tuo viranomaiselle juurikaan lisäarvoa. Näihin lukeutuivat tässä tutkimuksessa lausunnot, joissa pääasiallisena sisältönä oli tutkimustulosten referointi, toive korvattavuudesta tai käyttöönnotosta, tai viittaukset perusoikeuksiin.

## 7.6 Hilan ja Palkon toiminta HTAi-järjestön laatustandardien valossa

Tutkimuksen perusteella voi todeta, että tiedotus lausuntojen ja arviointien aikatauluista toteutuu Hilan ja Palkon kohdalla kohtalaisen hyvin (taulukko 9). Molemmilla organisaatioilla on selkeät määräajat lausunnoille, ja lausuntoaajat ovat noin kuukauden mittaisia. Palko ilmoittaa lisäksi tulevista arvioinneista ennakkoon, ja vuodesta 2022 potilasjärjestöjen on ollut mahdollista tuoda näkemyksiä arviointeihin jo suositusten valmisteluvaiheessa. Potilasjärjestöt voivat Palkon tiedotuksen perusteella arvioida varsinaisen suositusluonnoksen julkaisuajankohdan ja valmistautua lausunnon antamiseen jo etukäteen. Hilan osalta potilasjärjestöt seuraavat Hilan kokouspäätöksiä, mutta haasteena on, että potilasjärjestön on vaikea tietää, missä Hilan kokouksessa tiettyä asiaa käsitellään. Erityisesti, jos hinta- ja korvattavuushakemus etenee ehdollisen korvattavuuden sopimusneuvotteluihin, aikataulua on vaikea ennakoida.

Yksi HTAi-järjestön standardeista oli potilasnäkökulman ja sen vaikutuksen dokumentointi jokaisen arvioinnin ja päätöksenteon yhteydessä (HTAi, 2014). Hilan ja Palkon osalta voi todeta, että Hilassa päätöksenteon perusteet eivät ole julkisia, ja Palkossa dokumentointi ei ole ollut johdonmukaista (taulukko 9). Vuonna 2024 julkaistujen suositusten yhteydessä Palkon tekemät lausuntoyhteenvedot ovat olleet aiempaa strukturoidumpia ja sisältäneet myös maininnan siitä, mitä muutoksia valmiiseen suositukseen on lausuntojen perusteella tehty (Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, 2024e). On perusteltua yhdenmukaistaa lausuntoyhteenvedoja ja kansainväliset ohjeistukset huomioiden eritellä tarkemmin lausuntojen merkitys sekä mahdollisuuksien mukaan antaa henkilökohtaista palautetta lausunnon antaneille järjestöille.

Yhteenvetona voi todeta, että HTAi-järjestön laatustandardit tiedotuksen osalta toteutuvat melko hyvin, mutta lausuntojen dokumentoinnin, raportoinnin ja palautteen antamisen osalta Hilan toiminta on puutteellista ja Palkon toiminnassa on myös kehitettävää (taulukko 9).

**Taulukko 10.** Hilan ja Palkon toiminta HTAi-järjestön laatustandardien mukaisesti arvioituna.

<b>HTAi järjestön laatustandardi yksittäisille arvioinneille</b>	<b>Hilan ja Palkon toiminta</b>
<b>Arviointeihin liittyvä viestintä on proaktiivista, jotta viestinnän avulla voidaan tehokkaasti tavoittaa, tiedottaa ja mahdollistaa monenlaisten potilaiden osallistuminen.</b>	<p>Hila lähettää kuukausittaisen listan saapuneista hakemuksista sähköpostilistalle ilmoittautuneille järjestöille ja julkaisee listan verkkosivuillaan. Ei ota proaktiivisesti yhteyttä eri sairausryhmiä edustaviin järjestöihin potilasnäkökulmien saamiseksi.</p> <p>Palko viestii tulevista ja kommentoitavana olevista suositusluonnoksista verkkosivuillaan, uutiskirjeessä ja X:ssä (ent. Twitter). On välillä ollut proaktiivisesti yhteyksissä potilasjärjestöihin tiettyihin suositusvalmisteluihin liittyen.</p>
<b>Jokaisella arvioinnilla ja sen vaiheilla on selkeät aikataulut ja määräajat.</b>	<p>Tieto siitä, mihin lausunnoilla voi vaikuttaa ja mihin ei, ei käy selkeästi ilmi ohjeista.</p> <p>Toteutuu sekä Hilan että Palkon kohdalla.</p>
<b>Jokaisella yksittäisellä arvioinnilla on nimetty työntekijä, jonka tehtävänä on tukea potilaiden osallistumista arviointiin.</b>	<p>Yhteyshenkilö ja lisätietojen antaja on mainittu sekä Hilan potilasjärjestöille lähettämässä sähköpostissa että Palkon tiedotteissa, mutta tukea potilaiden osallistumiselle ei ole erikseen mainittu.</p>
<b>Arvioinnin yhteydessä dokumentoidaan potilaiden antamat näkökulmat ja kerrotaan, miten ne ovat vaikuttaneet johtopäätöksiin ja varsinaiseen päätöksentekoon.</b>	<p>Hila ei avaa kokouspäätöstensä perusteluja, ainoastaan kokouspäätökset ovat julkisia ja ne ovat katsottavissa Hilan kotisivuilla kokouksen jälkeen.</p> <p>Palko on syksystä 2021 alkaen julkaissut yhteenvedon saapuneista Ota kantaa -kommenteista. Yhteenvedot eivät ole olleet ole yhdenmukaisia, vaan niiden muoto on vaihdellut suosituksesta toiseen. Vuonna 2024 julkaistut lausuntoyhteenvedot ovat olleet aiempaa strukturoidumpia, ja niissä on kuvattu, mitä lisäyksiä tai muutoksia suosituksiin on Ota kantaa -kommenttien perusteella tehty.</p>
<b>Arviointiin osallistuneille tai siihen materiaalia tuottaneille potilasjärjestöille annetaan palautetta siitä, mikä on arvioinnin kannalta ollut hyödyllisintä, ja tuetaan järjestöjen osallistumista jatkossa.</b>	<p>Potilasjärjestöt eivät saa lausuntokohtaista palautetta kummastakaan organisaatiosta. Yksittäiset järjestöjen edustajat ovat pyytäneet henkilökohtaisesti palautetta lausunnoista ja niiden merkityksestä.</p> <p>Keskustelua ja yleistä palautetta lausunnoista on saatu SOSTEn POTKA-verkoston, Hilan sekä Palkon yhteistapaamisissa.</p>

## 7.7 Arviointitoiminnan tulevaisuus ja mahdollisuudet osallisuuden kehittämiseksi

Lääkkeiden arviointitoimintaan on tulossa lähivuosina muutoksia. EU:n HTA-asetus astuu voimaan tammikuussa 2025, ja se asettaa uusia vaatimuksia myös suomalaisille lääkealan viranomaisille ja arviointitoiminnalle (Asetus (EU) 2021/2282). Tämä koskee erityisesti Hilaa, jonka toiminta on tarkkaan määritelty sairausvakuutuslaissa (Rajaniemi, 2023). Yksi STM:n johtaman lääkeasioiden uudistuksen ja siihen liittyvän, vuosina 2024-2026 toteutettavan Lääkkeet ja apteekkitalous -hankkeen tavoitteista on avo- ja sairaalalääkkeiden arviointitoiminnan yhtenäistäminen, mikä on myös nostettu esille Petteri Orpon hallitusohjelmassa (Valtioneuvosto, 2023; Sosiaali- ja terveystieteiden ministeriö, 2023b, 2024). Lääkeasioiden uudistukseen ja terveydenhuollon sisältöohjaukseen liittyvissä selvityksissä on ehdotettu arviointitoiminnan keskittämistä kansalliselle tasolle, minkä avulla voidaan välttää turhaa hallinnollista työtä sekä nopeuttaa ja tehostaa arviointiprosessia (Ruskoaho, 2018; Rajaniemi, 2023; Saarni, 2023). Rajaniemi (2023) tuo selvityksessä esille myös tavoitteet huolehtia lääkkeen käyttäjän osallisuudesta ja tehdä arvioinnista mahdollisimman läpinäkyvää ja avointa. Potilaiden ja kansalaisten roolia ja osallisuutta painottavat selvityksissään myös Saarni (2023) ja Torkki ym. (2022). Potilaiden ja kansalaisten näkökulmien huomioiminen voi lisätä läpinäkyvyyden lisäksi päätösten hyväksyttävyyttä (Torkki ym., 2022; Saarni, 2023).

Arviointitoiminnan kehittämisessä olisi luontevaa yhdenmukaistaa ja uudistaa Hilan ja Palkon potilasjärjestölausuntojen toimintamallit ja kehittää muita osallisuutta tukevia käytäntöjä. Uudistus antaisi myös mahdollisuuden kehittää menetelmiä yhteiskunnallisen vaikuttavuuden systemaattisempaan tarkasteluun osana lääkkeiden arviointia (Laine ym., 2020).

## 7.8 Tutkimuksen luotettavuuden tarkastelu

Väitöskirjani koostuu eri menetelmillä toteutetuista osatöistä. Ensimmäisen osatyön aineisto perustuu viranomaisten tutkijan tietopyyntöihin toimittamiin vastauksiin, toinen ja kolmas artikkeli puolistukturoituihin yksilö- ja parihaastatteluihin ja kolmas internetpaneelin kautta toteutettuun kansalaisille suunnattuun kyselytutkimukseen. Käsittelen väitöskirjan tulosten luotettavuutta tämän vuoksi tarkastelemalla osatöitä erikseen. Osatöissä II ja III aineisto ja menetelmät olivat samoja, joten käsittelen niitä yhtenä kokonaisuutena.

Osatyössä I aineistona käytettiin viranomaisten tuottamia materiaaleja (tietoja saapuneiden lausuntojen määristä). Mahdollisia virhelähteitä ovat tietojen arkistointiin tai luokitteluun liittyvät puutteet lausuntoja vastaanottavissa

organisaatioissa sekä virheet aineiston käsittelyssä ja tulkinnassa (ks. alaviite sivulla 60). Näiden riskien vähentämiseksi Hilalla ja Palkolla oli mahdollisuus tarkistaa käsikirjoituksen (osatyö I) sisältö ennen sen julkaisua. Tämän perusteella tarkennettiin Palkolle saapuneiden lausuntojen kokonaismäärä, Hilan osalta tehtiin korjaus vuosilukuun ja tarkennettiin tietoa siitä, että yhtä hakemusta/lääkevalmistetta kohden Hila on voinut vastaanottaa yhden tai useamman lausunnon ja/tai yksi lausunto on voinut koskea useampaa hakemusta/lääkevalmistetta.

Potilasjärjestöjen ja viranomaisten kokemuksia käsittelevässä haastattelututkimuksessa (osatyöt II ja III) luotettavuutta voidaan arvioida tarkastelemalla laadullisessa tutkimuksessa yleisesti käytettyjä luotettavuuden kriteereitä: uskottavuutta, vahvistettavuutta, siirrettävyyttä ja reflektiivisyyttä (Mays & Pope, 2000; Malterud, 2001a; Kylmä ym., 2003; Kylmä & Juvakka, 2014, s. 127–129). Uskottavuudella tarkoitetaan sitä, että aineistosta tehdyt tulkinnat vastaavat haastatteluihin osallistuneiden käsityksiä tutkimuskohteesta (Kylmä & Juvakka, 2014, s. 128; Hämeen-Anttila & Katajavuori, 2021b, s. 164–166). Tutkimuksen uskottavuutta vahvistaa se, että olen työni kautta perehtynyt syvällisesti tutkittavaan aiheeseen ja käsitellyt teemoja lähes päivittäin arkityössäni. Oma taustani terveydenhuollon ammattihenkilönä, potilasjärjestössä työntekijänä ja luottamushenkilönä sekä mahdolliset aiemmat kontaktit haastateltaviin ovat voineet vaikuttaa tutkimuksen luotettavuuteen eri tavoin. Luotettavuutta voi lisätä kansainväliseen kirjallisuuteen ja verrokkimaiden kokemuksiin ja käytäntöihin perehtyminen sekä käymäni keskustelu ja tulosten reflektointi ohjaajien kanssa, joilla on erilainen ammatillinen ja akateeminen tausta. Asiantuntijuus aihepiiristä voi lisätä analyysin ja tehtyjen päätelmien uskottavuutta (ns. pitkittynyt tutustuminen aiheeseen) ja toisaalta se voi myös lisätä potilasjärjestötaustaisten haastateltavien luottamusta tutkijaan ja tutkimukseen. (Amin ym., 2020; Hämeen-Anttila & Katajavuori, 2021b, s. 166).

Pohdinta liittyy uskottavuuden lisäksi reflektiivisyyteen (syn. refleksiivisyys), eli siihen miten tietoinen olen omista lähtökohdistani tutkijana (Mays & Pope, 2000; Kylmä ym., 2003; Amin ym., 2020). Lähtökohdat vaikuttivat omalta osaltani tutkimusaiheen valintaan, mutta aineiston analysoinnissa pyrin tarkastelemaan aineistoa mahdollisimman objektiivisesti ja tuomaan esille poikkeavia havaintoja, jotka eivät tunnu sopivan jo löydettyihin tai haastattelurungon ohjaamiin teemoihin (Amin ym., 2020; Hämeen-Anttila & Katajavuori, 2021b, s. 164–167). Laadullisen tutkimuksen perusoletuksiin kuuluu kuitenkin se, että todellisuuksia on monia, ja tutkimusaineistoa tarkastellaan aina jostain viitekehuksesta tai asemasta käsin (Popay ym., 1998; Kylmä ym., 2003). Erilaiset tulkinnat tutkimuksen kohteesta eivät siis merkitse välttämättä tutkimuksen luotettavuusongelmaa, vaan lisäävät ymmärrystä tutki-

muskohteesta (Malterud, 2001a; Kylmä ym., 2003). Artikkeleihin sisällytetyt sitaattit haastatteluista mahdollistavat lukijalle omien tulkintojen tekemisen ja vahvistavat tutkimuksen luotettavuutta.

Suomalaisessa tutkimuskirjallisuudessa vahvistettavuutta ja riippuvuutta on käytetty synonyymeinä englanninkieliselle termille *dependability*. Termi kuvaa sitä, että tutkimusprosessi tulee kuvata niin, että toinen tutkija voi seurata tutkimuksen etenemistä, ja tutkimustulokset ovat pysyviä ja toistettavia, mikäli tutkimus toteutetaan uudestaan. (Kylmä ym., 2003; Hämeen-Anttila & Katajavuori, 2021b, s. 165–166.) Olen pyrkinyt tähän kuvaamalla kyselylomakkeen laatimista, haastateltavien valintaa ja analyysin etenemistä ja haastateltavien valintaa mahdollisimman tarkasti. Siirrettävyys laadullisessa tutkimuksessa viittaa siihen, ovatko tutkimuksen tulokset siirrettävissä vastaaviin tilanteisiin riippuen siitä, miten samankaltaisia tutkimusympäristö ja sovellusympäristö ovat (Malterud, 2001a; Graneheim & Lundman, 2004; Tuomi & Sarajarvi, 2018, s. 162). Tämän väitöskirjatyön tulokset ovat olleet samansuuntaisia kuin osallisuutta muissa terveydenhuollon konteksteissa tai lausuntoprosesseissa selvittävässä tutkimuksissa. Haasteet osallisuuden toteutumisessa ja kuulluksi tulemisessa sekä mahdolliset ratkaisut ovat mitä todennäköisimmin yhteneväisiä myös muissa kansalaisyhteiskunnan ja viranomais-toiminnan rajapinnoissa. Tässä tutkimuksessa osallisuus oli edustuksellista, ja keskittyi potilasjärjestöjen työntekijöiden tai luottamushenkilöiden kokemukseen. Lausuntojen valmistelun ja kokemustiedon keräämisen toimintamallit järjestöissä vaihtelivat, ja järjestöjen jäsenistön kokemukset osallistumisesta ja osallisuuden toteutumisesta voivat olla erilaiset.

Osatyö IV perustui internetpaneelin avulla toteutettuun strukturoituun kyselyyn, jonka mittareina käytettiin aikaisemmin englannin kielellä toteutetun kyselyn englannista suomeksi käännettyjä (Parsons ym., 2015). Kysely oli aiemmin toteutettu kuudessa Euroopan maassa osana Needs Assessment work package of the European Patients' Academy on Therapeutic Innovation (EUPATI) -ohjelmaa (Parsons ym., 2015). Lomake käännettiin ammattimaisen kääntäjän toimesta ja takaisinkäännettiin, mutta on mahdollista, että käännöksestä tai termien määrittelyssä on ollut puutteita. Validiteetin parantamiseksi kyselylomake esiteltiin neljällä potilasjärjestön kautta rekrytoidulla henkilöllä. Tutkimuksen tulokset perustuvat kansalaisten itse raportoimiin tietoihin. Tulosten luotettavuuteen voi vaikuttaa se, miten vastaajat ovat ymmärtäneet kyselyn ja kuinka huolellisesti he ovat niihin vastanneet.

Tutkimuksessa käytetyssä kiintiöpoimintaan perustuvassa otantamenetelmässä ei voida arvioida vastausprosenttia, koska vastaajia kutsutaan kyselyyn ennalta asetettujen kiintiöiden ohjaamana. Tällä otantamenetelmällä on kuitenkin mahdollista saada edustava aineisto ennakkoon määriteltyjen taustamuuttujien suhteen. Tutkimuksen kiintiöt asetettiin ikää, koulutusta ja

maantieteellistä aluetta koskevien kansallisten väestölaskentatietojen perusteella, jotta otos olisi demografisesti edustava. Kantar TNS Gallup Forumin osallistujat ovat kuitenkin valikoitunut joukko, sillä he ovat vapaaehtoisesti rekisteröityneet internetpaneelin vastaajiksi eivätkä välttämättä edusta koko väestöä. Edustavuuteen vaikuttaa myös se, että paneeliin kuuluvat ovat kaikki internetin käyttäjiä, jolloin perusjoukosta jää suoraan pois se osa väestöstä, joka ei aktiivisesti käytä internetiä ja verkkopalveluita. Tutkimuksen yleistettävyyttä puoltaa kuitenkin se, että tulokset olivat hyvin samansuuntaisia kuin muissa Euroopan maissa saadut tulokset, joskin suomalaiset vastaajat arvioivat omat tietonsa kriittisemmin kaikilla lääkekehityksen ja terveydenhuollon menetelmien osa-alueilla kuin verrokkimaiden vastaajat (Parsons ym., 2015). Kysely toteutettiin ennen koronapandemiaa tammikuussa 2019. Kansalaisten tiedot lääkkeiden kehityksestä, sääntelystä ja terveydenhuollon menetelmien arvioinnista ovat voineet pandemian seurauksena lisääntyä koronarokotteiden vauhdikkaan kehityksen, ripeästi saatujen myyntilupien vuoksi ja aihepiiriin liittyvän julkisen keskustelun takia. Tämä saattaa vaikuttaa tulosten yleistettävyyteen.

Tutkimuksen luotettavuutta kokonaisuudessaan vahvistaa eri menetelmien käyttö eli metodologinen triangulaatio, jossa tutkimusaineiston hankinnassa käytetään useita tiedonhankintamenetelmiä. Triangulaatio voi laajentaa ja syventää tutkimuskohteesta saatavaa tietoa sekä lisätä tulosten luotettavuutta. (Patton, 1999; Hämeen-Anttila & Katajavuori, 2021c, s. 174-177.)

## 7.9 Tutkimuksen eettisyyden tarkastelu

Väitöskirjani aiheena on potilasjärjestöjen osallisuus uusien lääkehoitojen arviointi- ja korvattavuusprosesseissa. Tutkimus on ei-kajoavaa terveystieteellistä tutkimusta, joka sijoittuu terveystieteiden ja sosiaalifarmasian tutkimuskenttään. Tutkimus on käytännöllistä ja yhteiskunnallisiin kysymyksiin vastauksia etsivää, ja keskittyy terveydenhuollon kehittämiseen. Tutkimus kohdistuu täysi-ikäisiin henkilöihin, siinä ei puututa osallistujien fyysiseen koskemattomuuteen eikä poiketa tietoisesta suostumuksesta periaatteista. Tutkimuksessa on noudatettu Tutkimuseettisen neuvottelukunnan ohjeita (Tutkimuseettinen neuvottelukunta TENK, 2019, 2023).

Eettinen pohdinta liittyy jo aiheen valintaan: mitä yhteiskunnallista merkitystä aiheellani on, ja onko sen tutkiminen eettisesti perusteltua (Kylmä ym., 2003; Haaparanta & Niiniluoto, 2016; Hämeen-Anttila, 2021, s. 29). Aihe, osallisuus, on hyvin ajankohtainen, ja osallisuuden edistäminen terveydenhuollossa on mainittu useissa kansallisissa tavoitteissa, ohjelmissa ja raporteissa (Sosiaali- ja terveysministeriö, 2022, 2023d; Terveyden ja hyvinvoinnin laitos,

2023; Rajaniemi, 2023). Tutkimusaihe on perusteltua myös terveystieteiden linjausten näkökulmasta (Kylmä & Juvakka, 2014, s. 44). Osallisuuden toteuttaminen lääkehoitojen arviointi- ja korvattavuusprosesseissa on Suomessa vielä alkutekijöissään, eikä aiheesta ole tehty juurikaan tutkimusta.

Terveydenhuollon ja sairaanhoidon asiakas- ja potilaslähtöisyyden kehittämiseen ja kehittämiseen liittyy jo aiheena eettisiä ongelmia – auttaako asiakkaiden, potilaiden tai potilasjärjestöjen osallisuus kehittämään terveydenhuoltoa ja sairaanhoitoa paremmaksi ja tuoko se hyvää yhteiskunnalle, vai liittyykö vaatimus osallisuudesta kuluttajayhteiskunnan ja medikalisaation vahvistumiseen (Toiviainen, 2007). Aihetta ei kuitenkaan voi sivuuttaa, sillä kansalaisten osallisuus on olennainen osa demokraattista yhteiskuntaa, ja siitä on tullut erottamaton osa terveystieteiden kehittämistä.

Ensimmäinen, dokumentteihin perustuva analyysi oli eettisesti helpommin käsiteltävä, sillä se sisälsi ainoastaan viranomaisten tuottamia, julkisuuslain perusteella julkisesti saatavilla olevia tietoja lausuntojen määrästä sekä muuta viranomaislähteistä avoimesti saatavilla olevaa tietoa. Eettinen pohdinta liittyykin tutkimuksessani pääasiassa osatöihin II ja III, jossa haastateltavina oli potilasjärjestöjen edustajia ja viranomaisia. Tein tutkimuksessani sen rajauksen, että en haastattele potilaita, vaan potilasjärjestöjen työntekijöitä tai hallituksen jäseniä ja viranomaisia. Potilaat olisivat voineet tuoda arvokasta näkökulmaa aiheeseen, mutta olisi ollut hyvin mahdollista, että haastatteluissa olisi tullut esille terveyteen liittyviä henkilötietoja, jotka eivät kuitenkaan olisi varsinaisten tutkimuskysymysten kannalta relevantteja. Terveyteen liittyvät tiedot olisivat olleet mukana äänitallenteissa ja litteroidussa tekstissä, tai vaihtoehtoisesti ne tulisi litteroinnissa poistaa, mikä olisi lisännyt työmäärää merkittävästi. Päätökseen vaikutti lisäksi se, että potilasjärjestöjen edustajat edustavat laajempaa potilasyhteisöä, jolloin heidän haastattelujensa kautta on mahdollista saada monipuolisempaa näkökulmaa esiin yksittäisten potilaiden kokemusten ja ajatusten sijaan.

Tutkimukseen osallistuminen oli vapaaehtoista ja perustui haastateltavan antamaan tietoon perustuvaan suostumukseen (Yleinen tietosuojasetus (GDPR) artikla 7; TENK 2019, 2023). Ennen haastatteluun osallistumista lähitin haastateltaville sähköpostitse tiedotteen tutkimuksesta, haastattelurungon ja tieteellisen tutkimuksen tietosuojailmoituksen. Haastateltavat allekirjoittivat suostumuksen haastattelututkimukseen osallistumisesta ja henkilötietojen käytöstä. Haastattelun alussa kerroin osallistujille suullisesti tutkimuksen tavoitteista ja taustasta sekä kävimme läpi tiedotteen sekä tietosuojailmoituksen sisällöt. Muistutin haastateltavia osallistumisen vapaaehtoisuudesta ja luottamuksellisuudesta. Haastatteluissa ei käsitelty terveystietoja tai muita tietosuojasetuksen 9 artiklan mukaisia erityisiä henkilötietoryhmiä (arkaluonteisia henkilötietoja).

Tärkeä eettinen kysymys on se, miten suojella haastateltavien yksityisyyttä (Kylmä & Juvakka, 2014, s. 152). Jotta vastauksia voi analysoida ja jotta ne voi asettaa oikeaan kontekstiin, artikkeleissa on tuotava esille haastateltavan taustaorganisaatio jakaen ne ainakin kahteen kategoriaan: potilasjärjestö ja viranomaistaho. Muita tietoja haastateltavista ei ole tutkimuksessa tai siihen liittyvissä artikkeleissa mainittu. Anonymiteetin varmistamiseksi litteroidusta aineistosta on poistettu nimi- ja tunnistetiedot, esimerkiksi haastateltavan organisaatio. Haastatteluaineisto on tallennettu ja säilytetty tutkimuksen tietosuojailmoituksessa kuvatulla tavalla.

Osatyössä IV vastaajat olivat vapaaehtoisesti suostuneet internetpaneelin jäseniksi ja olivat valmiita vastaamaan anonymisti kyselyihin. Kantar TNS:n toimittamassa aineistossa ei ollut tietoa, joka olisi mahdollista yhdistää yksittäiseen henkilöön.

Tutkimus ei vaatinut eettistä ennakoarviointia eikä tutkimuslupia, sillä tutkimukseen ei sisällynyt tutkimuseettisen neuvottelukunnan määrittelemiä ennakoarviointia edellyttäviä tutkimusasetelmia (TENK, 2019). Aineiston käsittelyssä noudatettiin tutkimushetkellä voimassa olleita tietosuojasäädöksiä sekä hyviä tieteellisen tutkimuksen käytänteitä läpi väitöskirjaprosessin (Yleinen tietosuojasäädös (GDPR) artikla 7; TENK 2019, 2023).

## 7.10 Tutkimuksen vahvuudet ja heikkoudet

Tutkimuksen vahvuutena on aiheen ajankohtaisuus kansallisessa terveys- ja lääkepolitiikassa sekä tutkimuksen pohjautuminen käytännön työssä havaittuihin tiedon tarpeisiin. Potilasjärjestöt ovat olleet mukana osatöiden II-IV suunnittelussa tutkimuksen alkuvaiheista lähtien. Tutkimuksen tulosten avulla sekä potilasjärjestöt että viranomaiset voivat kehittää omaa toimintaansa siten, että osallisuuden kokemus vahvistuu ja lausunnoista saatava hyöty on mahdollisimman suuri. Tulokset tukevat kansallisen terveyspolitiikan tavoitteita lääkkeen käyttäjien osallisuuden vahvistamisesta. Tutkimuksen vahvuutena on myös monimenetelmällisyys, jonka vuoksi aihetta on käsitelty monesta eri näkökulmasta. Osatyön IV vahvuutena oli kyselytutkimukseen vastanneiden demografinen kattavuus.

Haastateltavien henkilöiden lukumäärä oli osatöissä II ja III melko pieni (n=21), mutta määrä on teemahaastatteluille melko tyypillinen (Hämeen-Anttila & Katajavuori, 2021a, s. 118). Haastateltavien lukumäärään vaikutti se, että tutkimuksen kohteena olevia ja aiheen parissa toimivia viranomais- ja potilasjärjestötahoja on Suomessa rajallisesti. Henkilöstöressurssien puute tunnistettiin haasteeksi sekä potilasjärjestöissä että viranomaistoiminnassa, ja tämä heijastui myös haastateltavien lukumäärään. Haastateltaviksi pyrittiin

kutsumaan laajasti potilasjärjestöjä ja erityisesti niitä, joilla oli ollut mahdollisuus antaa lausuntoja Hilalle tai Palkolle arvoitavana olevista lääkkehoidoista. On kuitenkin todennäköistä, että tutkimuksesta on jäänyt pois järjestöjä, jotka ovat antaneet lausuntoja. Sekä potilasjärjestöjen että viranomaisten haastatteluisissa oli havaittavissa saturaatiota, ja tietyt teemat toistuivat haastatteluisissa. Laadullisena tutkimuksena osatöiden II ja III pääasiallisena tavoitteena ei ole pyrkiä yleistämään tuloksia, vaan kuvata ilmiötä monipuolisesti, sekä tuoda esille erilaisia kokemuksia, merkityksiä, näkökulmia ja subjektiivisia todellisuuksia (Kylmä ym., 2003; Kylmä & Juvakka, 2014, s. 28–31; Tuomi & Sarajärvi, 2018, s. 98). Tulosten tulkinnassa tulee myös huomioida, että haastattavat olivat järjestöjen työntekijöitä tai hallituksen jäseniä, eivät yksittäisiä potilaita tai läheisiä.

Tuloksia tulkittaessa on myös huomioitava haastattelujen ajankohta. Haastattelut toteutettiin vuonna 2021, ja sekä potilasjärjestöjen että Hilan ja Palkon toiminnassa on voinut tapahtua sen jälkeen muutoksia. Esimerkiksi Palko on haastattelujen jälkeen tarkentanut ohjeistuksiaan suositusluonnoksien kommentoinnista ja julkaissut lausuntoyhteenvetoja aiempaa yhtenäisemmässä muodossa.

Koronapandemia on voinut vaikuttaa kansalaisten tietoon lääkkeistä tai lääkkeiden arvioinnista, mikä voi vaikuttaa vuonna 2019 toteutetun kyselytutkimuksen (osatyö IV) tulosten yleistettävyyteen. Kyselytutkimuksen englanninkielisen lomakkeen käänöksessä tai termien riittävän kattavassa määrittelyssä on voinut olla puutteita.

## 8 JOHTOPÄÄTÖKSET

### 8.1 Johtopäätökset

- Potilasjärjestöjen osallistumisen mahdollisuudet Hilan ja Palkon toiminnassa ovat kehittyneet viimeisen 10 vuoden aikana. Potilasjärjestöjen ja viranomaisten yhteistyön tuloksena on luotu vuonna 2016 käyttöön otetut toimintamallit lausuntojen antamiseksi. Lausuntojen kautta potilasjärjestöt voivat tuoda sairastuneiden sekä läheisten näkökulmia lääkehoitojen arviointiin ja päätöksentekoon.
- Potilasjärjestöjen edustajat kokivat toimintamallit lausuntojen antamiseksi sinänsä toimiviksi, mutta kokemus osallisuuden toteutumisesta oli heikkoa. Haastatteluissa korostui epätietoisuus siitä, miten lausuntoja hyödynnetään päätöksenteossa. Tämä johtui lausuntoja koskevan palautteen puuttumisesta ja päätöksenteon läpinäkymättömyydestä. Järjestöjen sekä viranomaisten yhteistyö organisaatioiden välillä on kuitenkin ollut pitkäjänteistä ja säännöllistä, ja sen voi nähdä aidoksi kumppanuudeksi. Tämä ei kuitenkaan tutkimuksen perusteella välity varsinaiseen arviointitoimintaan tai korvattavuutta ja suositusta koskevaan päätöksentekoon.
- HTAi-järjestön laatustandardien mukaisesti arvioituna Hilan ja Palkon toiminta on tiedotuksen ja potilasjärjestölausunnoille asetettujen aikataulujen osalta standardien mukaista. Potilasnäkökulman ja sen merkityksen dokumentoinnissa, raportoinnissa ja palautteen antamisessa on kuitenkin puutteita. Toiminnan kehittämistä tarvitaan, jotta osallisuus toteutuisi kansainvälisten suositusten mukaisesti. Kansalaisille ja potilasjärjestöjen edustajille suunnattua tietoa terveydenhuollon menetelmien arvioinnista ja arviointeja toteuttavien viranomaisen toiminnasta tarvitaan lisää.
- Resurssien puute koettiin yhdeksi merkittäväksi esteeksi toiminnan kehittämiseksi sekä potilasjärjestöissä että viranomaisorganisaatioissa. Potilasjärjestöillä oli lisäksi vaikeuksia löytää potilasnäkökulmia uusista hoidoista, joita ei ole Suomessa vielä käytössä. Tämän vuoksi lausuntoja on usein vaikea perustaa suorille potilaskokemuksille.

- Yksi merkittävä haaste potilasjärjestöjen näkökulmasta on se, että hinta- ja korvattavuushakemusten yksityiskohdat eivät ole julkisia. Tämän vuoksi potilasjärjestöjen on vaikea kohdentaa Hilalle suunnatut lausunnot käsiteltävään asiaan.
- Viranomaiset näkivät lausuntojen merkityksen suurimpana silloin, kun tutkimusnäyttö arvioitavana olevasta valmisteesta on vähäistä. Ristiriitaisesti juuri näissä tilanteissa, joissa potilasnäkökulma olisi tarpeellisinta, potilaskokemuksen löytäminen on haastavaa.
- Viranomaiset arvostivat lausuntoja, jotka lisäävät ymmärrystä potilaan arjesta sairauden ja hoitojen kanssa, tuovat esille hoidon kokonaisuutta ja potilaan mahdollisesti kokemia haasteita nykyisen hoitokäytännön mukaisista hoidoista. Viranomaisten toiveena oli saada tasapainoista ja avointa palautetta myös niissä tilanteissa, joissa jotain hoitoa ei tulisi ottaa käyttöön.
- Lausuntojen merkitys viranomaisen päätöksenteossa oli tutkimuksen perusteella melko vähäinen. Viranomaisen päätöksenteko perustuu kokonaisarvioon, jossa potilasjärjestölausunnot täydentävät muuta arvioinnissa hyödynnettävää materiaalia.

## 8.2 Suosituksia ja jatkotutkimusaiheita

Tutkimukseni ja kirjallisuuden perusteella esitän seuraavia suosituksia ja jatkotutkimusaiheita:

- Lääkehoitojen arviointitoiminnan kansallisessa kehittämisessä on tarpeen edistää arvioinnin läpinäkyvyyttä ja avoimuutta sekä kehittää potilaiden ja potilasjärjestöjen osallistumisen toimintamalleja.
- Osallisuutta tukevia toimintamalleja on tärkeä arvioida säännöllisesti ja kehittää arvioinnin perusteella kaikkien osapuolten näkökulmasta toimivalla tavalla. Viranomaisten olisi hyvä viestinnässä tuoda selkeästi esille se, mihin lausunnoilla ja muilla osallistumisen toimintamalleilla voi vaikuttaa ja mihin ei.
- Toimintamallien kehittämisen yhteydessä kannattaa keskustella esimerkiksi siitä, minkälaista tietoa potilasjärjestöillä on, mitä tietoa ne voivat arviointeihin tuottaa, mikä merkitys tällä tiedolla on osana arviointia, ja miten tämä huomioidaan potilasjärjestöille suunnatussa ohjeistuksessa.

- Tässä tutkimuksessa keskityttiin lausuntojen määrään sekä potilasjärjestöjen ja viranomaisten kokemuksiin lausuntojen antamisesta, osallisuudesta ja lausuntojen hyödyntämisestä. Yksi jatkotutkimusaihe on tutkia tarkemmin varsinaisten lausuntojen sisältöä ja painotuksia. Tätä tietoa voisi hyödyntää esimerkiksi potilasjärjestöille suunnatun ohjeistuksen kehittämisessä.
- Avohoidon- ja sairaalalääkkeiden arviointitoimintaa ohjaavan lainsäädännön erot vaikuttavat niin arviointitoimintaan, siinä käytettyihin kriteereihin kuin potilasjärjestöjen osallistumisen mahdollisuuksiin ja lausuntojen toivottuihin painotuksiin. Lääkeasioiden uudistuksessa ja arviointitoiminnan kehittämisessä on hyvä huomioida avohoidon- ja sairaalalääkkeiden arviointitoiminnan lisäksi lausuntomallien ja osallistumismahdollisuuksien yhtenäistäminen.
- Harvinaisten sairauksien uusista lääkeshoidoista ei useinkaan ole kotimaisia käyttökokemuksia. Näissä tapauksissa voisi pohtia, olisiko viranomaisen mahdollista hyödyntää laajemmin muiden maiden arviointiprosesseissa kerättyjä ja dokumentoituja potilaskokemuksia. Laadullista aineistoa potilaiden ja läheisten kokemuksista voisi strukturoidun elämänlaatutiedon lisäksi kerätä nykyistä enemmän myös kliinisissä tutkimuksissa. Tämä voisi auttaa ymmärtämään syvällisemmin potilaiden ja läheisten kokemuksia uudesta hoidosta ja sen vaikutuksista elämänlaatuun, arkeen ja toimintakykyyn. Tieto olisi silloin käytettävissä sekä potilasjärjestöjen että viranomaisten työssä arviointitoiminnan tukena.
- Kansainväliset ohjeistukset ja haastatteluaineisto puoltavat potilasnäkökulman vahvempaa integrointia arviointiprosesseihin sekä mahdollisuutta osallistua asian käsittelyyn ja/tai päätöksentekoon asiantuntijaryhmän, lautakunnan tai neuvoston jäsenenä (suora osallistuminen). Arviointimenetelmiä on kehitettävä siten, että tutkimusnäytön ja kustannusvaikuttavuustiedon ohella voidaan kattavasti huomioida potilasnäkökulma ja laajemat yhteiskunnalliset vaikutukset.
- Sairausvakuutuslakia ja terveydenhuoltolakia uudistettaessa olisi syytä pohtia, voisiko lääkkeiden hintalautakunnan ja terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston kokoonpanoon lisätä kansalaisyhteiskunnan tai potilaiden edustajia lääketieteen, hoitotieteen, farmakologian, terveystaloustieteen, oikeustieteen ja sosiaaliturvajärjestelmän asiantuntijoiden lisäksi.

- Suoran osallistumisen mahdollistaminen potilaiden, potilasjärjestöjen tai kansalaisyhteiskunnan edustajille edistäisi arviointitoiminnan ja päätöksenteon läpinäkyvyyttä. Osallisuuden kokemusta ja läpinäkyvyyttä voi vahvistaa myös dokumentoimalla tarkemmin arviointiin ja päätöksentekoon liittyvää pohdintaa, avaamalla kokouksia yleisölle sekä antamalla lausunnonantajille palautetta lausunnoista ja niiden merkityksestä.
- Mikäli potilaiden ja kansalaisten osallistuminen nähdään tärkeänä arviointitoiminnan osana, se edellyttää resursseja sekä viranomaisorganisaatioissa että potilasjärjestöissä.
- Potilasjärjestöille lausuntojen antaminen on usein osa järjestön edunvalvontatyötä. Viranomaiset puolestaan kaipaavat lausunnoilta tasapainoista, objektiivista tietoa, joka tuo lisäarvoa tai -näyttöä arviointitoimintaan. Tämä ristiriita on tullut esille kansainvälisessä kirjallisuudessa sekä tässä tutkimuksessa. Olisi tärkeä tutkia tarkemmin sekä järjestöjen että viranomaisten tavoitteita osallistumista tukeville toimintamalleille ja osallisuuden toteutumiseksi, sekä sitä, miten näitä tavoitteita voisi sovittaa yhteen parhaalla mahdollisella tavalla.

## LÄHTEET

- Abelson, J., Giacomini, M., Lehoux, P., & Gauvin, F. P. (2007). Bringing "the public" into health technology assessment and coverage policy decisions: From principles to practice. *Health Policy*, 82(1), 37–50. <https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2006.07.009>
- Abelson, J., Wagner, F., DeJean, D., Boesveld, S., Gauvin, F. P., Bean, S., Axler, R., Petersen, S., Baidooobonso, S., Pron, G., Giacomini, M., & Lavis, J. (2016). Public and Patient involvement in health technology assessment A framework for action. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 32(4), 256–264. <https://doi.org/10.1017/S0266462316000362>
- Ahjopalo, J. (2017) Vaikeaa lihassairautta potevan 11-vuotiaan pojan äiti pettyi – yhteiskunta ei aio kustantaa kallista uutuuslääkettä. Yle uutiset 20.12.2017. Saataavilla verkossa: [www.yle.fi/uutiset/3-9986125](http://www.yle.fi/uutiset/3-9986125)
- Allen, N., Liberti, L., Walker, S. R., & Salek, S. (2017a). A Comparison of Reimbursement Recommendations by European HTA Agencies: Is There Opportunity for Further Alignment? *Frontiers in Pharmacology* | [www.frontiersin.org](http://www.frontiersin.org), 1, 384. <https://doi.org/10.3389/fphar.2017.00384>
- Allen N., Walker S.R., Liberti L. & Salek S. (2017b). Health Technology Assessment (HTA) Case Studies: Factors Influencing Divergent HTA Reimbursement Recommendations in Australia, Canada, England, and Scotland. *Value Health*. 2017 Mar;20(3):320-328. doi: 10.1016/j.jval.2016.10.014
- Amin, M. E. K., Nørgaard, L. S., Cavaco, A. M., Witry, M. J., Hillman, L., Cernasev, A., & Desselle, S. P. (2020). Establishing trustworthiness and authenticity in qualitative pharmacy research. Teoksessa *Research in Social and Administrative Pharmacy* (Vsk. 16, Numero 10, ss. 1472–1482). Elsevier Inc. <https://doi.org/10.1016/j.sapharm.2020.02.005>
- Andersson, E. (2024). Vaikuttava vuosi 2023: vaikuttamistyö ja lääkelausunnot. Blogikirjoitus. <https://www.syopapotilaat.fi/ajankohtaista/blogit/vaikuttava-vuosi-2023-vaikuttamistyö-ja-laakelausunnot/>. Viitattu 18.5.2024.
- Annemans, L., Aymé, S., Le Cam, Y., Facey, K., Gunther, P., Nicod, E., Reni, M., Roux, J. L., Schlander, M., Taylor, D., Tomino, C., Torrent-Farnell, J., Upadhyaya, S., Hutchings, A., & Le Dez, L. (2017a). Recommendations from the European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases (ORPH-VAL). Teoksessa *Orphanet Journal of Rare Diseases* (Vsk. 12, Numero 1). BioMed Central Ltd. <https://doi.org/10.1186/s13023-017-0601-9>
- Anttiroiko, A.-V. (2003). Kansalaisten osallistuminen, osallisuus ja vaikuttaminen tietoyhteiskunnassa. Teoksessa: Bäcklund, P. (toim.) *Tietoyhteiskunnan osallistuva kansalainen: Tapaus Nettimaunula*. (Tutkimuksia; Nro 5). Helsingin kaupungin tietokeskus. (s. 11–32).

- Antonovsky, Aaron (1987) *Unraveling the Mystery of Health. How People Manage Stress and Stay Well*. San Fransisco: Jossey Bass Publisher.
- Armstrong, D. (2014). Actors, patients and agency: A recent history. *Sociology of Health and Illness*, 36(2), 163–174. <https://doi.org/10.1111/1467-9566.12100>
- Arnstein, S. R. (1969). A Ladder of Citizen Participation. *Journal of the American Institute of Planners*, 35(4), 216–224. <https://doi.org/10.1080/01944366908977225>
- Arthur, M., Saha, R., & Kapilashrami, A. (2023). Community participation and stakeholder engagement in determining health service coverage: A systematic review and framework synthesis to assess effectiveness. Teoksessa *Journal of Global Health* (Vsk. 13). University of Edinburgh. <https://doi.org/10.7189/JOGH.13.04034>
- Asetus 360/2011. Sosiaali- ja terveystieteiden ministeriön asetus lääkkeiden hintalautakunnalle tehtävästä hakemuksesta ja hintailmoituksesta annetun sosiaali- ja terveystieteiden ministeriön asetuksen liitteen muuttamisesta. Ohje terveystaloudellisen selvityksen laatimiseksi. <https://finlex.fi/fi/laki/alkup/2011/20110360>
- Asetus (EY) N:o 141/2000. Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus harvinaislääkkeistä. <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/FI/TXT/PDF/?uri=CELEX:32000R0141>
- Asetus (EY) N:o 726/2004. Euroopan parlamentin ja Euroopan neuvoston asetus ihmisille ja eläimille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista yhteisön lupa- ja valvontamenettelyistä ja Euroopan lääkeviraston perustamisesta. <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/FI/ALL/?uri=CELEX:32004R0726>
- Asetus (EY) N:o 507/2006. Komission asetus (EY) N:o 507/2006, annettu 29 päivänä maaliskuuta 2006, Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksen (EY) N:o 726/2004 soveltamisalaan kuuluvista ihmisille tarkoitettujen lääkkeiden ehdollisista myyntiluvista. <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/FI/ALL/?uri=celex:32006R0507>
- Asetus (EU) 2021/2282. Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus terveysteknologian arvioinnista ja direktiivin 2011/24/EU muuttamisesta. <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/FI/ALL/?uri=CELEX:32021R2282>
- Berglas, S., Jutai, L., Mackean, G., & Weeks, L. (2016). Patients' perspectives can be integrated in health technology assessments: An exploratory analysis of CADTH common drug review. *Research Involvement and Engagement*, 2(1). <https://doi.org/10.1186/s40900-016-0036-9>
- Boothe, K. (2019). "Getting to the table": Changing ideas about public and patient involvement in Canadian drug assessment. *Journal of Health Politics, Policy and Law*, 44(4), 631–663. <https://doi.org/10.1215/03616878-7530825>
- CADTH (Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health). (2021). Guidance for Providing Patient Input. Saatavilla verkossa: [https://www.cadth.ca/sites/default/files/Drug\\_Review\\_Process/patient\\_input\\_guidance.pdf](https://www.cadth.ca/sites/default/files/Drug_Review_Process/patient_input_guidance.pdf). Viitattu 18.5.2024.

- CADTH (Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health). (2013). CADTH Patient Input Process Review Findings and Recommendations. Prepared for CADTH by SECOR September 2012. [https://www.cadth.ca/sites/default/files/pdf/2012\\_SECOR\\_Patient-Input-Review\\_e.pdf](https://www.cadth.ca/sites/default/files/pdf/2012_SECOR_Patient-Input-Review_e.pdf). Viitattu 18.5.2024.
- Cambridge Dictionary. (2024). Tokenism. Verkkosivu. <https://dictionary.cambridge.org/dictionary/english/tokenism>. Viitattu 18.5.2024.
- Carr, A. J., & Higginson, I. J. (2001). Measuring quality of life: Are quality of life measures patient centred? *BMJ* 2001;322:, 322, 1357–1360.
- Clark, S., & Weale, A. (2012). Social values in health priority setting: A conceptual framework. Teoksessa *Journal of Health, Organisation and Management* (Vsk. 26, Numero 3, ss. 293–316). Emerald Publishing. <https://doi.org/10.1108/14777261211238954>
- Clausen, C., & Yoshinaka, Y. (2004). Social shaping of technology in TA and HTA. *Poiesis & Praxis*, 2(2–3), 221–246. <https://doi.org/10.1007/s10202-003-0046-1>
- Council of Europe. (2019). Code of good practice for civil participation in decision-making process Revised. Saatavilla verkossa: <https://rm.coe.int/code-of-good-practice-civil-participation-revised-301019-en/168098boe2>. Viitattu 18.5.2024.
- Declaration of Alma-Ata (1978). World Health Organization. Saatavilla verkossa: <https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/347879/WHO-EURO-1978-3938-43697-61471-eng.pdf?sequence=1>. Viitattu 10.5.2024.
- Diabetesliitto. (2024). Lausunnot ja kannanotot. Verkkosivu. [https://www.diabetes.fi/yhteiso/vaikuttaminen/lausunnot\\_ja\\_kannanotot#ebda7182](https://www.diabetes.fi/yhteiso/vaikuttaminen/lausunnot_ja_kannanotot#ebda7182). Viitattu 18.5.2024.
- Dimitrova, M., Jakab, I., Mitkova, Z., Kamusheva, M., Tachkov, K., Nemeth, B., Zemplenyi, A., Dawoud, D., Delnoij, D. M. J., Houýez, F., & Kalo, Z. (2022). Potential Barriers of Patient Involvement in Health Technology Assessment in Central and Eastern European Countries. *Frontiers in Public Health*, 2022 Jul 28;10:922708. <https://doi.org/10.3389/fpubh.2022.922708>
- DRA Consulting. (2017). Opas lääkkeiden Myyntilupavaatimuksista. Tuotekehitysnäkökulma Suomessa ja EU:ssa. Tekesin katsaus 327/2016. Tekes, Helsinki.
- Ekhholm, V. (2022). Uusi sairaalalääke keille ja millä hinnalla? *Sic! 3/2022. Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea*. <https://urn.fi/URN:NBN:fi-fe2022092059679>
- EUnetHTA. (2021). A Future Model Of HTA Cooperation Final White Paper. Saatavilla verkossa: <https://www.eunetha.eu/wp-content/uploads/2021/09/FMC-HTA-WHITE-PAPER-FOR-PUBLICATION.pdf>. Viitattu 11.5.2024.
- EUnetHTA. (2023a). D7.2 – Guidance on Patient and Healthcare Professional Involvement. <https://www.eunetha.eu/wp-content/uploads/2023/04/EUnetHTA-21-D7.2-Guidance-for-involvement-of-patient-and-clinical-expert-in-JSC-and-JCA-v1.0.pdf>

- EUnetHTA. (2023b). The EUnetHTA 21 Consortium will cease operations on 16 September 2023. Tiedote verkkosivulla. <https://www.eunetha.eu/the-eunetha-21-consortium-will-cess-operations-on-16-september-2023-2/>. Viitattu 11.5.2024.
- EUPATI. (2024). History. Verkkosivu. <https://eupati.eu/about-us/history/> Viitattu 11.5.2024.
- Euroopan komissio. (2019). Volume 2A Procedures for marketing authorisation. Chapter 1 Marketing Authorisation. Saatavilla verkossa: [https://health.ec.europa.eu/system/files/2019-07/vol2a\\_chap1\\_en\\_0.pdf](https://health.ec.europa.eu/system/files/2019-07/vol2a_chap1_en_0.pdf). Viitattu 19.5.2024.
- European Medicines Agency. (2014). Revised framework for interaction between the European Medicines Agency and patients and consumers and their organisations. EMA/637573/2014 Adopted. 16 October 2014. Saatavilla verkossa: [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Other/2009/12/WC500018013.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2009/12/WC500018013.pdf)
- European Medicines Agency. (2016). Launch of PRIME - Paving the way for promising medicines for patients. Tiedote verkkosivulla. <https://www.ema.europa.eu/en/news/launch-prime-paving-way-promising-medicines-patients>. Viitattu 20.3.2024.
- European Medicines Agency. (2020). From laboratory to patient: the journey of a medicine assessed by EMA. Saatavilla verkossa: [https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/laboratory-patient-journey-centrally-authorized-medicine\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/laboratory-patient-journey-centrally-authorized-medicine_en.pdf)
- European Medicines Agency. (2022). Engagement framework: European Medicines Agency and patients, consumers and their organisations. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/engagement-framework-european-medicines-agency-and-patients-consumers-and-their-organisations\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/engagement-framework-european-medicines-agency-and-patients-consumers-and-their-organisations_en.pdf)
- European Medicines Agency. (2023). Tietoa EMasta. Saatavilla verkossa: [https://www.ema.europa.eu/fi/documents/other/about-us-european-medicines-agency-ema\\_fi.pdf](https://www.ema.europa.eu/fi/documents/other/about-us-european-medicines-agency-ema_fi.pdf)
- European Medicines Agency. (2024). Eligible patients and consumers organisations. Verkkosivu. <https://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/patients-consumers/eligible-patients-consumers-organisations>. Viitattu 12.5.2024.
- European Patients Forum. (2013). Patient Involvement in Health Technology Assessment in Europe. Saatavilla verkossa: [www.eu-patient.eu/globalassets/projects/hta/hta-epf-final-report2013.pdf](http://www.eu-patient.eu/globalassets/projects/hta/hta-epf-final-report2013.pdf)
- Facey, K., & Single, A.N.V. (2017). Teoksessa Facey K.M., Hansen HP & Single A.N.V. (toim). *Patient Involvement in HTA*. Singapore: Springer; 2017. [https://doi.org/https://doi.org/10.1007/978-981-10-4068-9\\_28](https://doi.org/https://doi.org/10.1007/978-981-10-4068-9_28)
- FinCCHTA. (2024). Julkaisut. Sairaalatason nopeat arvioinnit 2023 alkaen. Verkkosivu. <https://oys.fi/fincchta/katsauksia-ja-suosituksia/>. Viitattu 12.5.2024.

- Gagnon, M. P., Tantchou Dipankui, M., Poder, T. G., Payne-Gagnon, J., Mbemba, G., & Beretta, V. (2021). Patient and public involvement in health technology assessment: update of a systematic review of international experiences. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 37(1). <https://doi.org/10.1017/S0266462321000064>
- Garsen, M., Steenhof, M., & Zwiers, A. (2021). A Decade of Marketing Authorization Applications of Anticancer Drugs in the European Union: An Analysis of Procedural Timelines. *Therapeutic Innovation and Regulatory Science*, 55(4), 633–642. <https://doi.org/10.1007/s43441-021-00260-5>
- Gauvin, F. P., Abelson, J., Giacomini, M., Eyles, J., & Lavis, J. N. (2010). "It all depends": Conceptualizing public involvement in the context of health technology assessment agencies. *Social Science and Medicine*, 70(10), 1518–1526. <https://doi.org/10.1016/j.socscimed.2010.01.036>
- Graffigna G, Barello S. (2018). Spotlight on the Patient Health Engagement model (PHE model): a psychosocial theory to understand people's meaningful engagement in their own health care. *Patient Prefer Adherence*. 2018 Jul 19;12:1261-1271. doi: 10.2147/PPA.S145646
- Graneheim, U. H., & Lundman, B. (2004). Qualitative content analysis in nursing research: Concepts, procedures and measures to achieve trustworthiness. *Nurse Education Today*, 24(2), 105–112. <https://doi.org/10.1016/j.nedt.2003.10.001>
- Grunwald, A. (2004). The normative basis of (health) technology assessment and the role of ethical expertise. *Poiesis & Praxis*, 2(2–3), 175–193. <https://doi.org/10.1007/s10202-003-0050-5>
- Hansen, HP. & Street, J. (2017). Reflections on Terms, Goals and Organisation. Teoksessa: Facey K.M., Hansen HP & Single A.N.V.. (toim). *Patient Involvement in HTA*. Singapore: Springer; 2017. [https://doi.org/https://doi.org/10.1007/978-981-10-4068-9\\_28](https://doi.org/https://doi.org/10.1007/978-981-10-4068-9_28)
- Haaparanta, L., & Niiniluoto, I. (2016). Johdatus tieteelliseen ajatteluun. Gaudeamus.
- Haefner, S., & Danner, M. (2017). Patient involvement in German HTA and policy-making institutions: incorporating patients' individual and collective experiences. Teoksessa Facey K.M., Hansen HP & Single A.N.V., (toim). *Patient Involvement in HTA*. Singapore: Springer; 2017. [https://doi.org/https://doi.org/10.1007/978-981-10-4068-9\\_28](https://doi.org/https://doi.org/10.1007/978-981-10-4068-9_28)
- Hakari, K. (2013). Uusi julkinen hallinta – kuntien hallinnonuudistusten kolmas aalto? Tutkimus Tampereen toimintamallista. Akateeminen väitöskirja. Suomen Yliopistopaino Oy – Juvenes Print Tampere. <https://urn.fi/URN:ISBN:978-951-44-9263-1>
- Hashem, F., Calnan, M. W., & Brown, P. R. (2018). Decision making in NICE single technological appraisals: How does NICE incorporate patient perspectives? *Health Expectations*, 21(1), 128–137. <https://doi.org/10.1111/hex.12594>

- Healthcare Improvement Scotland. (2022). Scottish Medicines Consortium A Guide for Patient Group Partners. Saatavilla verkossa: <https://scottishmedicines.org.uk/media/6784/smc-guide-revised-march-2022-0-4.pdf>
- Healthcare Improvement Scotland. (2023). A Guide to Scottish Medicines Consortium. Saatavilla verkossa: <https://scottishmedicines.org.uk/media/7605/20231818-a-guide-to-the-scottish-medicines-consortium.pdf>
- Hirsjärvi, S., & Hurme, H. (2000). Tutkimushaastattelun Teemahaastattelun teoria ja käytäntö. Gaudeamus Oy.
- Hoch, J. S., Brown, M. B., McMahon, C., Nanson, J., Nanson, J., & Rozmovits, L. (2014). Meaningful patient representation informing Canada's cancer drug funding decisions: views of patient representatives on the Pan-Canadian Oncology Drug Review. *Current Oncology*, 21(5), 263–266. <https://doi.org/10.3747/co.21.2128>
- Holtorf, A. P., & Bertelsen, N. (2023). Patient involvement in HTA in Europe Recommendations from a 360° perspective view of current patient involvement practices. Saatavilla verkossa: <https://htai.org/wp-content/uploads/2023/10/360-HTAi-PCIG-Research-in-Patient-Involvement-Practices-in-HTA-in-Europe-Oct-2023-1.pdf>
- Horelli, L., & Kukkonen, H. (2002). Osallistuminen, ympäristö, vuoropuhelu. Teoksessa: P. Bäcklund, J. Häkli, & H. Schulman (toim.) *Osalliset ja osajat. Kansalaiset kaupungin suunnittelussa*. Gaudeamus. (s. 243–259).
- HTA Glossary. (2024). Saatavilla verkossa: <https://htaglossary.net/HomePage>. Viitattu 9.10.2024.
- HTAi. (2014). Values and quality standards for patient involvement in HTA. HTAi Interest Sub-Group for Patient/Citizen Involvement in HTA. Saatavilla verkossa: <https://htai.org/wp-content/uploads/2018/02/PCISG-Info-ValuesandStandards-30-Jun14.pdf>
- Hunter, A., Facey, K., Thomas, V., Haerry, D., Warner, K., Klingmann, I., May, M., & See, W. (2018). EUPATI guidance for patient involvement in medicines research and development: Health technology assessment. *Frontiers in Medicine*, 2018 Sep 6;5:231. <https://doi.org/10.3389/fmed.2018.00231>
- Hwang T.J., Ross J.S., Vokinger K.N. & Kesselheim A.S. (2020). Association between FDA and EMA expedited approval programs and therapeutic value of new medicines: retrospective cohort study. *BMJ*. 2020 Oct 7;371:m3434. doi: 10.1136/bmj.m3434.
- Hämeen-Anttila K, Komulainen J, Enlund H, Mäkelä M, Mäkinen E, Rannanheimo P, Sipilä R. (2016). Incorporating patient perspectives in health technology assessments and clinical practice guidelines. *Res Social Adm Pharm*. 2016 Nov-Dec;12(6):903-913. doi: 10.1016/j.sapharm.2015.12.005
- Hämeen-Anttila, K., Närhi, U. & Tahvanainen, H. (toim.). (2018). Rationaalisen lääkehoidon toimeenpano-ohjelma. Loppuraportti. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 15/2018. Saatavilla verkossa: <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-3915-8>

- Hämeen-Anttila, K. (2021). 4. Tutkimusetiikka yhteiskunnallisessa lääketutkimuksessa. Teoksessa: Hämeen-Anttila, K. & Katajavuori, N. (toim.). *Yhteiskunnallinen lääketutkimus – ideasta näyttöön* (s. 29). Helsingin yliopisto. <https://doi.org/10.31885/9789515150417>
- Hämeen-Anttila, K. & Katajavuori, N. (2021a). 13. Haastattelututkimus. Teoksessa: Hämeen-Anttila, K. & Katajavuori, N. (toim.). *Yhteiskunnallinen lääketutkimus – ideasta näyttöön* (s. 117-132). Helsingin yliopisto. <https://doi.org/10.31885/9789515150417>
- Hämeen-Anttila, K. & Katajavuori, N. (2021b). 17. Laadullisen tutkimuksen luotettavuus. Teoksessa: Hämeen-Anttila, K. & Katajavuori, N. (toim.). *Yhteiskunnallinen lääketutkimus – ideasta näyttöön* (s. 164-173). Helsingin yliopisto. <https://doi.org/10.31885/9789515150417>
- Hämeen-Anttila, K. & Katajavuori, N. (2021c). 18. Triangulaatio – Erilaisten tutkimuksellisten lähestymistapojen yhdistäminen. Teoksessa: Hämeen-Anttila, K. & Katajavuori, N. (toim.). *Yhteiskunnallinen lääketutkimus – ideasta näyttöön* (s. 174-179). Helsingin yliopisto. <https://doi.org/10.31885/9789515150417>
- IBD ja muut suolistosairaudet ry. (2024). Lausunnot lääkkeiden hintalautakunnalle. Verkkosivu. Viitattu 18.5.2024. <https://ibd.fi/edunvalvonta/lausunnot-ja-kannanotot/lausunnot-laakkeiden-hintalautakunnalle/>
- INAHTA. (2021). INAHTA Position Statement Patient Involvement. Verkkosivu. <https://www.inahta.org/position-statements/>. Viitattu 11.5.2024.
- Innokylä. (2024). Potilas- ja kansanterveysjärjestöjen verkosto POTKA. Verkkosivu. <https://innokyla.fi/fi/kokonaisuus/potilas-ja-kansanterveysjarjestojen-verkosto-potka>. Viitattu 18.5.2024.
- Isola, A.-M., Kaartinen, H., Leemann, L., Lääperi, R., Schneider, T., Valtari, S., & Keto-Tokoi, A. (2017). Mitä osallisuus on? Osallisuuden viitekehystä rakentamassa. Työpäpaperi 33/2017. Terveiden ja hyvinvoinnin laitos. Saatavilla verkossa: <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-302-917-0>
- Jones, M., & Pietilä, I. (2018). “The citizen is stepping into a new role”—Policy interpretations of patient and public involvement in Finland. *Health and Social Care in the Community*, 26(2), e304–e311. <https://doi.org/10.1111/hsc.12520>
- Jones, M., & Pietilä, I. (2019). Potilas keskiössä? Tapaustutkimus osallistavien tilojen luomisesta. *Yhteiskuntapolitiikka* 84 (2019):5-6, s. 583-591. <https://urn.fi/URN:NBN:fi-fe2019112744446>
- Jones, M., & Pietilä, I. (2020). Alignments and differentiations: People with illness experiences seeking legitimate positions as health service developers and producers. *Health*. 2020;24(3):223-240. <https://doi.org/10.1177/1363459318800154>
- Jousilahti, J., Korhonen, S. & Frilander, O. Asukkaiden osallistuminen hyvinvointialueilla – hyvät periaatteet ja menetelmät. Demos Helsinki 9.2.2022. Saatavilla verkossa: [https://www.sitra.fi/app/uploads/2022/05/esitys\\_osallistumisen-hyvät-periaatteet-ja-menetelmat.pdf](https://www.sitra.fi/app/uploads/2022/05/esitys_osallistumisen-hyvät-periaatteet-ja-menetelmat.pdf). Viitattu 22.9.2024.

- Kaila, M., & Lohiniva-Kerkelä, M. (2020). Kansallinen terveydenhuollon palveluvalikoima. Määrittämisen periaatteet, rakenne ja kehittämismahdollisuudet. Saatavilla verkossa: <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-7188-2>
- Kansaneläkelaitos. (2024a). Uudet lääkkeet nostavat lääkekorvausten kustannuksia, tutkija peräänkuuluttaa näyttöä hoidon tehosta. Tiedote. Julkaistu 4.4.2024. <https://www.kela.fi/ajankohtaista/6189758/uudet-laakkeet-nostavat-laakekorvausten-kustannuksia-tutkija-peraankuuluttaa-nayttoa-hoidon-tehosta>. Viitattu 11.8.2024.
- Kansaneläkelaitos. (2024b). Lääkekorvaukset. Verkkosivu. <https://www.kela.fi/laakkeet>. Viitattu 12.5.2024.
- Karppinen, K. (2019). Onko asiakas korvannut potilaan terveydenhuollossa. *Kielikello. Kotimaisten kielten keskus*, 3/2019. [www.kielikello.fi/-/onko-asiakas-korvannut-potilaan-terveydenhuollossa](http://www.kielikello.fi/-/onko-asiakas-korvannut-potilaan-terveydenhuollossa)
- Kiviniemi, V., & Rannanheimo, P. (2020). Lääkehoitojen kustannusvaikuttavuuden arviointi: perusteista käytäntöön. *Lääketieteellinen aikakauskirja Duodecim*, 136, 184–191.
- Kleme, J., Pohjanoksa-Mäntylä, M., Airaksinen, M., Enlund, H., Kastarinen, H., Peura, P. & Hämeen-Anttila, K. Patient perspective in health technology assessment of pharmaceuticals in Finland. *Int J Technol Assess Health Care*. 2014 Jul;30(3):306-11. doi: 10.1017/S0266462314000282.
- Kreis, J. & Schmidt, H. (2013). Public engagement in health technology assessment and coverage decisions: A study of experiences in France, Germany, and the United Kingdom. *Journal of Health Politics, Policy and Law*, 38(1), 89–122. <https://doi.org/10.1215/03616878-1898812>
- Kristensen, F.B. for the EUnetHTA partners. (2008a). Transnational collaboration on health technology assessment – a political priority in Europe. Teoksessa: Velasco, M., Finn, G., Kristensen, B., Nielsen, C. P., & Busse, R. (toim.) *Health Technology Assessment and Health Policy-Making in Europe: Current status, challenges and potential* (s. 5-17). The European Observatory on Health Systems and Policies. Saatavilla verkossa: <https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/107911/9789289042932-eng.pdf>
- Kristensen, F. B., Nielsen, C. P., Chase, D., Lampe, K., Lee-Robin, S. H., & Mäkelä, M. (2008b). What is health technology assessment? Teoksessa: Velasco Garrido, Kristensen F.B, C. Palmhøj Nielsen, & R. Busse (toim.) *Health Technology Assessment in Health Policy Making in Europe: Current status, challenges and potential* (s. 31-52). World Health Organization. Saatavilla verkossa: <https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/107911/9789289042932-eng.pdf>
- Kurko, T., Koskinen, H., & Sarnola, K. (2022). Uusien syöpälääkkeiden kliiniseen näyttöön liittyä epävarmuutta. *Suomen Lääkärilehti* 2022; 32: 1272-1274
- Kylmä, J., & Juvakka, T. (2014). Laadullinen terveystutkimus. Edita, Porvoo.
- Kylmä, J., Vehviläinen-Julkunen, K., & Lähdevirta, J. (2003). Laadullinen terveystutkimus - mitä, miten ja miksi? *Lääketieteellinen aikakauskirja Duodecim*, 119(7), 609–615.

- Laine, J. (2014). Kustannusvaikuttavuus ei yksin riitä priorisoinnin perustaksi. *Lääketieteellinen aikakauskirja Duodecim*, 130, 2094–2098. <https://www.duodecimlehti.fi/xmedia/duo/duo11908.pdf>
- Laine, J. (2021). Kustannusvaikuttavuus, arvoperusteinen terveydenhuolto ja arvon arviointi. *Dosis*, 37(4), 430–443.
- Laine, J., Ojala, A., & Turunen, J. (2020). Lääkehoitojen yhteiskunnallisten hyötyjen arvioinnista. *Yhteiskuntapolitiikka*, 85(3), 310–315. <https://urn.fi/URN:NBN:fi-fe2020061042653>
- Laki potilaan asemasta ja oikeuksista 17.8.1992/785. <https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/1992/19920785>
- Laki sosiaali- ja terveystalouden yhdistysten ja säätiöiden rahoituksesta 3.3.2023/284. <https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/2023/20230284>
- Leemann, L., Kuusio, H. & Hämäläinen, R.-M. (2015). Sosiaalinen osallisuus. Sosiaalisen osallisuuden edistämisen koordinaatiohanke (Sokra). Terveyden ja hyvinvoinnin laitos. Saatavilla verkossa: [www.thl.fi/sokra](http://www.thl.fi/sokra).
- Leemann, L., & Hämäläinen, R.-M. (2016). Asiakasosallisuus, sosiaalinen osallisuus ja matalan kynnyksen palvelut Pohdintaa käsitteiden sisällöstä. *Yhteiskuntapolitiikka*, 81(5). <https://urn.fi/URN:NBN:fi-fe2016102725606>
- Leemann, L., Nousiainen, M., Keto-Tokoi, A. & Isola, A.-M. (2022). 5. Osallisuuden kokemus aikuisväestössä. Teoksessa: *Suomalaisten hyvinvointi 2022*. Terveyden ja hyvinvoinnin laitos. Saatavilla verkossa: <https://urn.fi/URN:ISBN:978-952-343-996-2>.
- Leigh N.B., Nirmalakumar S., Ezeife D.A., Gyawali B. (2021). An Arm and a Leg: The Rising Cost of Cancer Drugs and Impact on Access. *Am Soc Clin Oncol Educ Book*. 2021 Mar;41:1-12. doi: 10.1200/EDBK\_100028
- Livingstone, H., Verdiel, V., Crosbie, H., Upadhyaya, S., Harris, K., & Thomas, L. (2021). Evaluation of the impact of patient input in health technology assessments at NICE. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 2021 Jan 29;37:e33. <https://doi.org/10.1017/S0266462320002214>
- Lomas, J., Culyer, A. J., McCutcheon, C., McAuley, L., & Law, S. (2005). Conceptualizing and combining evidence for health system guidance. Ottawa, Canadian Health Services Research Foundation. Saatavilla verkossa: [https://savoir-sante.ca/en/content\\_page/item/222-conceptualizing-and-combining-evidence-for-health-system-guidance](https://savoir-sante.ca/en/content_page/item/222-conceptualizing-and-combining-evidence-for-health-system-guidance). Viitattu 18.5.2024.
- Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus. (2018). Uusien sairaalalääkkeiden nopea arviointi. Saatavilla verkossa: [https://fimea.fi/documents/147152901/159465575/170821\\_Sairaalal%C3%A4%C3%A4kkeiden\\_arviointi\\_prosessi.pdf/f914f379-cd89-4d4d-52e9-7d17f428ce6b/170821\\_Sairaalal%C3%A4%C3%A4kkeiden\\_arviointi\\_prosessi.pdf?t=1709107979243](https://fimea.fi/documents/147152901/159465575/170821_Sairaalal%C3%A4%C3%A4kkeiden_arviointi_prosessi.pdf/f914f379-cd89-4d4d-52e9-7d17f428ce6b/170821_Sairaalal%C3%A4%C3%A4kkeiden_arviointi_prosessi.pdf?t=1709107979243). Viitattu 18.5.2024.
- Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea. (2023a). Fimea pilotoi hakemusmenettelyä sairaalalääkkeiden arviointitoiminnassa 3.1.2023. Uutinen verkkosivulla. <https://fimea.fi/-/fimea-pilotoi-hakemusmenettelya-sairaalalaakkeiden-arviointitoiminnassa>. Viitattu 22.9.2024.

- Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea. (2023b). Harvinaislääkkeet. Verkkosivu. <https://www.fimea.fi/myyntiluvat/myyntilupahakemus/harvinaislaakkeet>
- Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea. (2023c). Kliinisten lääketutkimusten tilasto 2022. Saatavilla verkossa: <https://fimea.fi/documents/147152901/159470017/Kliinisten+tutkimusten+tilasto+2022.pdf/743b26b2-71af-a730-3917-83caa830164e/Kliinisten+tutkimusten+tilasto+2022.pdf?t=1703668322514>. Viitattu 12.5.2024.
- Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea. (2024). Lääkehaku. Verkkosivu. [https://fimea.fi/laakehaut\\_ ja \\_luettelot/laakehaku](https://fimea.fi/laakehaut_ ja _luettelot/laakehaku)
- Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea ja Kansaneläkelaitos. (2022). Suomen lääketilasto 2021. Saatavilla verkossa: <https://urn.fi/URN:NBN:fi-fe2022121672023>. Viitattu 23.3.2024.
- Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea ja Kansaneläkelaitos. (2024). Suomen lääketilasto 2022. Saatavilla verkossa: <https://urn.fi/URN:NBN:fi-fe202403019536>. Viitattu 18.5.2024.
- Lääkelaki 10.4.1987/395. <https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/1987/19870395>
- Lääkkeiden hintalautakunta. (2016). Lääkkeiden hintalautakunta tiivistää yhteistyötään potilasjärjestöjen kanssa. Tiedote verkkosivulla. <https://www.hila.fi/laakkeiden-hintalautakunta-tiivistaa-yhteistyotaan-potilasjarjestojen-kanssa/>. Viitattu 12.5.2024.
- Lääkkeiden hintalautakunta. (2020a). Ohje potilasjärjestöjen lääkevalmisteesta antamiin lausuntoihin. Saatavilla verkossa: <https://www.hila.fi/content/uploads/2021/07/Ohje-potilasjarjestoille.pdf>
- Lääkkeiden hintalautakunta. (2020b). Potilasjärjestöjen kuuleminen. Verkkosivu. <https://www.hila.fi/hakeminen-ja-ilmoitukset/potilasjarjestojen-kuuleminen/>.
- Lääkkeiden hintalautakunta. (2023a). Hakemusohje terveystaloudellinen selvitys 1.12.2023. Saatavilla verkossa: [https://www.hila.fi/content/uploads/2023/12/hakemusohje\\_TTS\\_2023\\_011223.pdf](https://www.hila.fi/content/uploads/2023/12/hakemusohje_TTS_2023_011223.pdf) Viitattu 12.5.2024.
- Lääkkeiden hintalautakunta. (2023b). Myyntiluvallinen lääkevalmiste - Uusi lääkevalmiste. Verkkosivu. <https://www.hila.fi/hakeminen-ja-ilmoitukset/korvattavuuden-ja-tukkuhinnan-hakeminen-ohjeet-uusi/myyntiluvalliset-uusi-laakevalmiste/> Viitattu 12.5.2024.
- Lääkkeiden hintalautakunta. (2024). Toiminta ja organisaatio. Verkkosivu. <https://www.hila.fi/toiminta-ja-organisaatio/> Viitattu 12.5.2024.
- Lääkkeiden hintalautakunta. (2024b). Tilastot. Verkkosivu. <https://www.hila.fi/toiminta-ja-organisaatio/tilastot/>. Viitattu 12.5.2024.
- Lääkkeiden hintalautakunta. (2024c). Korvattavuuden ja kohtuullisen tukkuhinnan hakeminen (uusi). Verkkosivu. <https://www.hila.fi/hakeminen-ja-ilmoitukset/korvattavuuden-ja-tukkuhinnan-hakeminen-ohjeet-uusi/>

- Lääkkeiden hintalautakunta (2024d). Ehdollinen korvattavuus. Luettelo lääkevalmisteista, joille on vahvistettu ehdollinen korvattavuus. Excel-lomake verkkosivulla. <https://www.hila.fi/luettelot/ehdollinen-korvattavuus/>. Viitattu 28.3.2024.
- Malterud, K. (2001a). Qualitative research: Standards, challenges, and guidelines. *Lancet*. 2001 Aug 11;358(9280):483-8. Elsevier B.V. [https://doi.org/10.1016/S0140-6736\(01\)05627-6](https://doi.org/10.1016/S0140-6736(01)05627-6)
- Malterud, K. (2001b). The art and science of clinical knowledge: Evidence beyond measures and numbers. *Lancet*. 2001 Aug 4;358(9279):397-400. Elsevier B.V. [https://doi.org/10.1016/S0140-6736\(01\)05548-9](https://doi.org/10.1016/S0140-6736(01)05548-9)
- Mankinen, P., Soini, E., Linna, M., Turunen, J., Martikainen, J. & Laine, J. 2019. Näkökulma vaikuttaa terveysteknologioiden taloudellisen arvioinnin tuloksiin - esimerkkinä iäkkäiden pneumokokkirokottaminen. *Dosis: farmaseuttinen aikakauskirja*, 35(2), pp. 118-135. [https://dosis.fi/wp-content/uploads/2019/06/Dosis\\_2-2019\\_Mankinen.pdf](https://dosis.fi/wp-content/uploads/2019/06/Dosis_2-2019_Mankinen.pdf)
- Mardetko, N., Nabergoj Makovec, U., Locatelli, I., Janez, A., & Kos, M. (2021). Uptake of new antidiabetic medicines in 11 European countries. *BMC Endocrine Disorders*, 2021 Jun 25;21(1):127. <https://doi.org/10.1186/s12902-021-00798-3>
- Martikainen, J., & Pelkonen, L. (2020). Lääkkeiden ehdollinen korvattavuus ja järkevä lääkehoito. *Läketieteellinen aikakauskirja Duodecim*, 136, 200–2005.
- Marzban S, Najafi M, Agolli A, Ashrafi E. (2022). Impact of Patient Engagement on Healthcare Quality: A Scoping Review. *J Patient Exp*. 2022 Sep 16;9:23743735221125439. doi: 10.1177/23743735221125439.
- Maunu, A., & Kiilakoski, T. (2018). Ohjausta osallisuuteen? Sosiaalinen ja poliittinen osallisuus ammattiin opiskelevien nuorten arjessa. *Aikuiskasvatus*, 38(2), 112–129. <https://doi.org/10.33336/aik.88333>
- Mays, N., & Pope, C. (2000). Qualitative research in health care Assessing quality in qualitative research. *BMJ*. 2000 Jan 1;320(7226):50-2. <https://doi.org/10.1136/bmj.320.7226.50>
- McCoy, M. S., Carniol, M., Chockley, K., Urwin, J. W., Emanuel, E. J., & Schmidt, H. (2017). Conflicts of Interest for Patient-Advocacy Organizations. *N Engl J Med*. 2017 Mar 2;376(9):880-885. doi: 10.1056/NEJMSr1610625.
- McCoy, M. S., Warsh, J., Rand, L., Parker, M., & Sheehan, M. (2019). Patient and public involvement: Two sides of the same coin or different coins altogether? *Bioethics*. 2019 Jul;33(6):708-715. <https://doi.org/10.1111/bioe.12584>
- Mills, M. (2023). HTA Barriers for Conditional Approval Drugs. *PharmacoEconomics*, 41(5), 529–545. <https://doi.org/10.1007/s40273-023-01248-9>
- Mills, M., & Kanavos, P. (2022). How do HTA agencies perceive conditional approval of medicines? Evidence from England, Scotland, France and Canada. *Health Policy*. 2022 Nov;126(11):1130-1143. <https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2022.08.005>
- Mitton, C., Smith, N., Peacock, S., Evoy, B., & Abelson, J. (2009). Public participation in health care priority setting: A scoping review. *Health Policy*. 2009 Aug;91(3):219-28. <https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2009.01.005>

- NICE (National Institute for Health and Care Excellence). (2018). Public Involvement Programme Annual Report 2017-2018. <https://indepth.nice.org.uk/PIP-annual-review/index.html>
- NICE (National Institute for Health and Care Excellence). (2013). Patient and public involvement policy. Saatavilla verkossa: <https://www.nice.org.uk/media/default/About/NICE-Communities/Public-involvement/Patient-and-public-involvement-policy/Patient-and-public-involvement-policy-November-2013.pdf>
- NICE (National Institute for Health and Care Excellence). (2024a). <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance>. Verkkosivu. Viitattu 12.8.2024
- NICE (National Institute for Health and Care Excellence). (2024b). Meetings in Public. Verkkosivu. Viitattu 18.5.2024. <https://www.nice.org.uk/get-involved/meetings-in-public#advisory-committee>
- Nicod, E., Annemans, L., Bucsics, A., Lee, A., Upadhyaya, S., & Facey, K. (2019). HTA programme response to the challenges of dealing with orphan medicinal products: Process evaluation in selected European countries. *Health Policy*, 123(2), 140–151. <https://doi.org/10.1016/J.HEALTHPOL.2017.03.009>
- Nicod, E., Lloyd, A. J., Morel, T., Merzaglia, M., Upadhyaya, S., Whittal, A., Facey, K., & Drummond, M. (2023). Improving Interpretation of Evidence Relating to Quality of Life in Health Technology Assessments of Rare Disease Treatments. *Patient*, 16(1), 7–17. <https://doi.org/10.1007/s40271-022-00598-4>
- Nivala, E. (2021) Osallisuuden moninaisuus. Kansalaisyhteiskunta. Tietopankki. Julkaistu 14.04.2021. Verkkosivu. <https://kansalaisyhteiskunta.fi/tietopankki/osallisuuden-moninaisuus/>. Viitattu 2.5.2024.
- Nolte, E., Merkur, S. & Anell, A. (2020) Achieving Person-Centred Health Systems: Evidence, Strategies and Challenges. European Observatory on Health Systems and Policies, 2020. Cambridge University Press. <https://doi.org/10.1017/9781108855464>
- Norburn, L., & Thomas, L. (2020). Expertise, experience, and excellence. Twenty years of patient involvement in health technology assessment at NICE: An evolving story. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 2020 Nov 10;37:e15. <https://doi.org/10.1017/S0266462320000860>
- Ocloo, J., & Matthews, R. (2016). From tokenism to empowerment: Progressing patient and public involvement in healthcare improvement. *BMJ Quality and Safety*, 25(8), 626–632. <https://doi.org/10.1136/bmjqs-2015-004839>
- Ocloo, J., Garfield, S., Franklin, B.D. & Dawson, S. Exploring the theory, barriers and enablers for patient and public involvement across health, social care and patient safety: a systematic review of reviews. *Health Res Policy Sys* 19, 8 (2021). <https://doi.org/10.1186/s12961-020-00644-3>
- OECD (2020). Innovative Citizen Participation and New Democratic Institutions: Catching the Deliberative Wave, OECD Publishing, Paris, <https://doi.org/10.1787/339306da-en>.

- OECD (2022), OECD Guidelines for Citizen Participation Processes, OECD Public Governance Reviews, OECD Publishing, Paris, <https://doi.org/10.1787/f765caf6-en>.
- Ollila, E., Kataja, V. & Sailas, L. (2022). A David and Goliath set-up: a qualitative study of the challenges of ensuring the introduction of cost-effective new cancer medicines in Finland. *J of Pharm Policy and Pract*, 15, 52 (2022). <https://doi.org/10.1186/s40545-022-00449-5>
- O'Rourke, B., Oortwijn, W., & Schuller, T. (2020). The new definition of health technology assessment: A milestone in international collaboration. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 36(3), 187–190. <https://doi.org/10.1017/S0266462320000215>
- O'Rourke, B., Werkö, S. S., Merlin, T., Huang, L. Y., & Schuller, T. (2020). The "Top 10" Challenges for Health Technology Assessment: INAHTA Viewpoint. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 2020;36(1):1-4. Cambridge University Press. <https://doi.org/10.1017/S0266462319000825>
- Osborne, S. P. (2006). The new public governance? *Public Management Review* 8(3), 377–387. Taylor and Francis Ltd. <https://doi.org/10.1080/14719030600853022>
- Palmhøj Nielsen, C., Sarriá Santamera, A., & Vondeling, H. (2008). Policy processes and health technology assessment. Teoksessa: Velasco Garrido, M., Finn, G., Kristensen, B., Nielsen, C. P., & Busse, R. (toim.) *Health Technology Assessment in Health Policy Making in Europe: Current status, challenges and potential* (s. 19-30). The European Observatory on Health Systems and Policies. Saatavilla verkossa: <https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/107911/9789289042932-eng.pdf>
- Palonen, M., & Kylmä, J. (2022). Avoin haastattelu ja teemahaastattelu aineistonkeruumenetelminä laadullisessa hoitotieteellisessä tutkimuksessa. *Hoitotiede*, 34(4), 281–294.
- Parsons, S., Starling, B., Mullan-Jensen, C., Tham, S. G., Warner, K., & Wever, K. (2015). What the public knows and wants to know about medicines research and development: A survey of the general public in six European countries. *BMJ Open*, 5(4). <https://doi.org/10.1136/bmjopen-2014-006420>
- Patrick, D. L., & Deyo, R. A. (1989). Generic and Disease-Specific Measures in Assessing Health Status and Quality of Life. *Med Care* 1989 Mar;27(3 Suppl):S217-32. <https://doi.org/10.1097/00005650-198903001-00018>.
- Patton M.Q. Enhancing the quality and credibility of qualitative analysis. *Health Serv Res*. 1999 Dec;34(5 Pt 2):1189-208. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/10591279/>
- Pelkonen, L., Rannanheimo, P., Anttila, V.-J., Komulainen, J., Koskinen, H., Leipälä, J., Mäntyranta, T., Närhi, U., Oravilahti, T., Puumalainen, T., Tamminen, N., Tahvanainen, H., & Turpeinen, M. (2017). Miten lääkkeiden hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi tulisi järjestää Suomen sosiaali- ja terveydenhuollossa. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2017:31. Saatavilla verkossa: <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-3881-3>

- Piškur, B., Daniëls, R., Jongmans, M.J., Ketelaar, M., Smeets, R., Norton, M. & Beurskens, A. (2014). Participation and social participation: are they distinct concepts? *Clinical Rehabilitation*. 2014;28(3):211-220. <https://doi.org/10.1177/0269215513499029>.
- Popay, J., Rogers, A., & Williams, G. (1998). Rationale and standards for the systematic review of qualitative literature in health services research. Teoksessa *Qualitative Health Research* 1998 May;8(3):341-51. SAGE Publications Inc. <https://doi.org/10.1177/104973239800800305>
- Quick, K.S. & Bryson, J.M. (2016). Chapter 12: Public participation. Teoksessa: *Handbook on Theories of Governance*. Ansell, C. & Torfing, J. (toim.). Elgar Online. Collection: Social and Political Science 2016. <https://doi.org/10.4337/9781782548508>
- Raivio, H. & Karjalainen, J. Osallisuus ei ole keino tai väline, palvelut ovat! Teoksessa: *Osallisuus - oikeutta vai pakkoa?* Era, T. (toim.). Jyväskylän ammattikorkeakoulu 2013. <https://urn.fi/URN:ISBN:978-951-830-280-6>
- Rajaniemi, S. (2023). Lääkehoidon ohjauksen kehittäminen. Selvityshenkilön raportti. Saatavilla verkossa: [https://stm.fi/documents/1271139/2013549/Selvitys+SR+15.1.23\\_final.pdf/000f9c8b-159b-5c32-5874-4c204a9c610f/Selvitys+SR+15.1.23\\_final.pdf?t=1675761745353](https://stm.fi/documents/1271139/2013549/Selvitys+SR+15.1.23_final.pdf/000f9c8b-159b-5c32-5874-4c204a9c610f/Selvitys+SR+15.1.23_final.pdf?t=1675761745353)
- Repo, P. (2019). Kallis lääke auttoi perinnöllistä sairautta sairastavaa Lucas Räisästä, ja nyt lääkitys saa jatkoa. Uutinen. Helsingin sanomat 20.9.2019. Saatavilla verkossa: [www.hs.fi/kotimaa/art-2000006245715.html](http://www.hs.fi/kotimaa/art-2000006245715.html)
- Rome B.N., Egilman A.C. & Kesselheim A.S. (2022). Trends in Prescription Drug Launch Prices, 2008-2021. *JAMA*. 2022;327(21):2145-2147. <https://doi.org/10.1001/jama.2022.5542>
- Rozmovits, L., Mai, H., Chambers, A., & Chan, K. (2018). What does meaningful look like? A qualitative study of patient engagement at the Pan-Canadian oncology drug review: Perspectives of reviewers and payers. *Journal of Health Services Research and Policy*, 23(2), 72-79. <https://doi.org/10.1177/1355819617750686>
- Rukmana, D. (2014). Quota Sampling. Teoksessa: Michalos, A.C. (toim.) *Encyclopedia of Quality of Life and Well-Being Research*. Springer, Dordrecht. <https://doi.org/10.1007/978-94-007-0753-5>.
- Ruskoaho, H. (2018). Lääkekorvausjärjestelmän kehittäminen: Selvityshenkilön loppuraportti. Saatavilla verkossa: <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-3933-2>
- Räsänen, P., Hytönen, M., Pakarinen, S., & Blom, M. (2021). Lääkärilehti - Menetelmäarvioinnista tukea päätöksentekoon. *Lääkärilehti* 45/2021 vsk 76, 2660-2662. <https://www.laakarilehti.fi/tyossa/menetelmaarvioinnista-tukea-paatoksentekeon?public=9a9d6b8a6f22f067ba4531b96d35b52b>
- Saarni, S. (2010). Vaikuttavuuden huomiointi terveydenhuollon päätöksenteossa Eettinen analyysi. Tutkimus / Terveyden ja hyvinvoinnin laitos (THL). Saatavilla verkossa: <https://urn.fi/URN:NBN:fi-fe201205085494>
- Saarni, S. (2023). Terveydenhuollon sisältöohjauksen kehittäminen hyvinvointialuerakenteessa. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2023:19. Saatavilla verkossa: <https://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-8425-7>

- Saikku, P. (2018). Aktiivisen osallisuuden politiikat. Esitys 18.2.2018. Saatavilla verkossa: <https://www.slideshare.net/THLfi/aktiivisen-osallisuuden-politiikat-peppi-saikku>
- Sairausvakuutuslaki 1224/2004. Saatavilla verkossa: <https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/2004/20041224>
- Salminen, J., Lehtonen, P., Rikala, S., Kuusisto, A.-K., Luoma-Halkola, H., Puumala, E., Sointu, L., Wallin, A., & Häikiö, L. (2021). Osallisuuden kehät: Näkökulmia hyvinvoinnin muotoutumiseen. *Focus Localis*, 49(3), 80-98. <https://journal.fi/focuslocalis/issue/view/7929/1264>
- Sandman, L., & Heintz, E. (2014). Assessment vs. appraisal of ethical aspects of health technology assessment: can the distinction be upheld? *GMS Health Technol Assess.* 2014 Nov 26;10:Doc05. <https://doi.org/10.3205/hta000121>
- Sandman, L., Hofmann, B., & Bogner, G. (2020). Rethinking patient involvement in healthcare priority setting. *Bioethics*, 34(4), 403-411. <https://doi.org/10.1111/bioe.12730>
- Scott, A. M., & Wale, J. L. (2017). Patient advocate perspectives on involvement in HTA: An international snapshot. *Research Involvement and Engagement* 2017 Jan 10;3:2. <https://doi.org/10.1186/s40900-016-0052-9>
- Single, A.N.V., Macpherson, K., Fearn, N., Dickson, J. & Facey, K.M.. (2017). Scotland. Teoksessa: Facey K.M., Hansen H.P. & Single A.N.V.. (toim.) *Patient Involvement in Health Technology Assessment*. Singapore: Springer; 2017. [https://doi.org/https://doi.org/10.1007/978-981-10-4068-9\\_28](https://doi.org/https://doi.org/10.1007/978-981-10-4068-9_28)
- Sipilä, R., Hämeen-Anttila, K., & Komulainen, J. (2022). Potilaiden osallisuuden hyödyt ja edellytykset hoitosuosituksen laatimisessa. *Lääkärilehti*, 77(e31676). [www.laakarilehti.fi/e31676](http://www.laakarilehti.fi/e31676)
- SMA Finland ry. (2024). Yhdistys. Verkkosivu. <https://smafinland.fi/yhdistys/>. Viitattu 10.8.2024.
- Sosiaali- ja terveysjärjestöjen avustuskeskus. (2024). Sosiaali- ja terveysjärjestöjen avustuskeskus (STEA). Verkkosivu. <https://www.stea.fi/>. Viitattu 22.9.2024.
- Sosiaali- ja terveysministeriö. (2011). Sosiaalisesti kestävä Suomi 2020 Sosiaali- ja terveyspolitiikan strategia. Saatavilla verkossa: <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-3106-0>
- Sosiaali- ja terveysministeriö. (2011). Lääkepolitiikka 2020 Kohti tehokasta, turvallista, tarkoituksenmukaista ja taloudellista lääkkeiden käyttöä Sosiaali- ja terveysministeriön julkaisuja 2011:2. Saatavilla verkossa: <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-3101-5>
- Sosiaali- ja terveysministeriö. (2013). Lääkekorvausjärjestelmän kehittäminen. Lääkekorvausjärjestelmän kehittämistyöryhmän loppuraportti. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2012:33. Saatavilla verkossa: <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-3272-2>

- Sosiaali- ja terveysministeriö. (2019). Näkökulmia lääkehoitoon ja lääkkeiden jakeluun liittyvistä muutostarpeista. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2019:5. Saatavilla verkossa: <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-4027-7>
- Sosiaali- ja terveysministeriö. (2020). Valmistelumuistioluonnos palveluvalikoimaneuvoston suositukseen Huumeriippuvuuksien hoidon ja kuntoutuksen psykososiaaliset menetelmät. Saatavilla verkossa: [https://palveluvalikoima.fi/documents/1237350/92890859/Valmistelumuistio\\_huumeriippuvuuksien+hoidon+ja+kuntoutuksen+psykososiaaliset+menetelm%C3%A4t.pdf/](https://palveluvalikoima.fi/documents/1237350/92890859/Valmistelumuistio_huumeriippuvuuksien+hoidon+ja+kuntoutuksen+psykososiaaliset+menetelm%C3%A4t.pdf/)
- Sosiaali- ja terveysministeriö. (2022). Asiakas- ja potilasturvallisuusstrategia ja toimeenpanosuunnitelma 2022-2026. Sosiaali- ja terveysministeriön julkaisuja 2022:2. Saatavilla verkossa: <https://julkaisut.valtioneuvosto.fi/handle/10024/163858>
- Sosiaali- ja terveysministeriö. (2023a). Lääkehoidon arvoketju. Verkkosivu. <https://stm.fi/laakehoidon-arvoketju> Viitattu 15.5.2024.
- Sosiaali- ja terveysministeriö. (2023b). Lääkehoidon ohjaus ja rahoitus Kehittämisen suuntaviivat. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2023:15. Saatavilla verkossa: <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-8361-8>
- Sosiaali- ja terveysministeriö. (2023c). Sairaalälääkkeiden arviointitoiminnan kehittäminen: Työryhmän raportti. Sosiaali- ja terveysministeriön raportteja ja muistioita 2023:15 Liite 2. Saatavilla verkossa: [https://julkaisut.valtioneuvosto.fi/bitstream/handle/10024/164814/STM\\_2023\\_15\\_rap\\_LIITE%202.pdf?sequence=3&isAllowed=y](https://julkaisut.valtioneuvosto.fi/bitstream/handle/10024/164814/STM_2023_15_rap_LIITE%202.pdf?sequence=3&isAllowed=y)
- Sosiaali- ja terveysministeriö. (2023d). Suomen kansallinen hyvinvointitalouden toimintaohjelma 2023-2025. Sosiaali- ja terveysministeriön julkaisuja 2023:12. Saatavilla verkossa: <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-00-6875-2>
- Sosiaali- ja terveysministeriö. (2023e). Valmistelumuistio palveluvalikoimaneuvoston suositukseen Skitsofreniaryhmän psykooseja sairastavien kognitiivinen kuntoutus. Saatavilla verkossa: [https://palveluvalikoima.fi/documents/1237350/165787433/Valmistelumuistio\\_kognitiiviset\\_menetelm%C3%A4t.pdf/](https://palveluvalikoima.fi/documents/1237350/165787433/Valmistelumuistio_kognitiiviset_menetelm%C3%A4t.pdf/)
- Sosiaali- ja terveysministeriö. (2024). Apteekkitaloutta ja apteekkisääntelyä sekä lääkkeiden arviointitoimintaa uudistetaan – STM asetti työryhmät. Tiedote 23.5.2024. Saatavilla verkossa: <https://stm.fi/-/apteekkitaloutta-ja-apteekkisaantelya-seka-laakkeiden-arviointitoimintaa-uudistetaan-stm-asetti-tyoryhmat>. Viitattu 22.9.2024.
- Stevens, A., & Milne, R. (2004). Health technology assessment in England and Wales. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 20(1):11-24. <https://doi.org/10.1017/S0266462304000741>
- Street, J., Stafinski, T., Lopes, E., & Menon, D. (2020). Defining the role of the public in Health Technology Assessment (HTA) and HTA-informed decision-making processes. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 36(2), 87–95. <https://doi.org/10.1017/S0266462320000094>
- Suomalainen lääkäriseura Duodecim. (2017). HTA-opas. Versio 1.1. Saatavilla verkossa: <https://www.kaypahoito.fi/kaypa-hoito/menetelmat/hta-opas>. Viitattu 18.5.2024.

- Suomalainen lääkäriseura Duodecim, Käypä hoito. (2023). Potilaiden osallisuus Käypä hoito -suositusten laatimisessa. Päivitetty 20.10.2023. <https://www.kaypahoito.fi/potilaat-mukaan>. Viitattu 18.5.2024.
- Suomen perustuslaki 11.6.199/731. Saatavilla verkossa: <https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/1999/19990731>
- Terveyden ja hyvinvoinnin laitos. (2023a). Terveydenhuollon menot ja rahoitus 2020. Tilastoraportti 18/2023. Saatavilla verkossa: <https://urn.fi/URN:NBN:fi-fe2023050841652>. Viitattu 18.5.2024.
- Terveyden ja hyvinvoinnin laitos. (2023b). Osallisuuden edistäjän opas. Saatavilla verkossa: <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-408-088-0>. Viitattu 2.5.2024.
- Terveyden ja hyvinvoinnin laitos. (2024). Asiakasosallisuus palvelujärjestelmässä. Verkkosivu. <https://thl.fi/aiheet/sote-palvelujen-johtaminen/asiakas-palveluissa/asiakasosallisuus-palvelujarjestelmassa>. Viitattu 18.5.2024.
- Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto. (2022). Valmistelumuistio palveluvalikoimaneuvoston kriteereille: Bitewing-röntgentutkimus oireettomalle henkilölle kariesin varhaiseksi toteamiseksi STM051:00/2020. Saatavilla verkossa: <https://palveluvalikoima.fi/documents/1237350/140331338/Valmistelumuistio+Bitewing.pdf/98992572-93a5-818e-1453-2d86c5bec2b0/Valmistelumuistio+Bitewing.pdf?t=1671532285683>. Viitattu 18.5.2024.
- Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto. (2023a). Palveluvalikoimaneuvoston suositus Difelikefaliini krooniseen munuaissairauteen liittyvän kutinan hoidossa hemodialyysissä olevilla potilailla. Hyväksytty Palkon kokouksessa 19.12.2023. STM023:00/2023 VN/34801/2022. Suosituksen materiaalit saatavilla verkossa: <https://palveluvalikoima.fi/difelikefaliini-kroonisen-munuaissairauteen-liittyvan-kutinan-hoidossa>. Viitattu 19.5.2024.
- Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto. (2023b). Palveluvalikoimaneuvoston suositus Polatutsumabi-vedotiininyhdistelmähoito diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa. Hyväksytty Palkon kokouksessa 4.5.2023. STM051:00/2020VN/26391/2022. Suosituksen materiaalit saatavilla verkossa: <https://palveluvalikoima.fi/polatutsumabi-vedotiini-b-solulymfooma>. Viitattu 19.5.2024.
- Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto. (2023c). Palkon webinaari 15.9.2023 Oireettoman henkilön panoraamaröntgentutkimukseen pääsyn kriteereistä tulehduspesäkkeen varhaiseksi toteamiseksi tekonivelpotilaalla. Tiedote verkkosivulla. <https://palveluvalikoima.fi/-/palkon-webinaari-15.9.2023-oireettoman-henkilon-panoraamarontgentutkimukseen-paasyn-kriteereista-tulehduspesakkeen-varhaiseksi-toteamiseksi-tekonivelpotilaalla->. Viitattu 18.5.2024.
- Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto. (2024a). Ohje suositusluonnoksia-kommentoivalle. Verkkosivu. <https://palveluvalikoima.fi/ohje-suositusluonnoksia-kommentoivalle>. Viitattu 18.5.2024.
- Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto. (2024b). Palkon käsittelyprosessit. Verkkosivu. <https://palveluvalikoima.fi/suosittelun-kasittelyprosessi> Viitattu 18.5.2024.

- Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto. (2024c). Vaikuta terveydenhuollon palveluvalikoimaan - kommentoi suosituluonnoksia. Verkkosivu. <https://www.otakantaa.fi/fi/hankkeet/62/> Viitattu 18.5.2024.
- Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto. (2024d). Käsittelyprosessien toimijoiden roolit. Verkkosivu. <https://palveluvalikoima.fi/kasittelyprosessien-toimijoiden-rooli>. Viitattu 2.5.2024.
- Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto. (2024e). Valmiit suositukset. Verkkosivu. <https://palveluvalikoima.fi/valmiit-suositukset>. Viitattu 22.9.2024.
- Terveydenhuoltolaki. Saatavilla verkossa: <https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/2010/20101326>
- Theis, J. (2010). Children as active citizens: an agenda for children's civil rights and civil engagement. Teoksessa: Percy-Smith, B. & Thomas, N. (toim.) *A Handbook of Children and Young People's Participation*. London: Routledge, 343–355.
- Tietoarkisto. (2024). Kantar Forum Kanava -tutkimusjärjestelmä. Verkkosivu. <https://www.fsd.tuni.fi/fi/aineistot/taustatietoa/gkanavayl/>. Viitattu 11.5.2024.
- The Global Alliance for Patient Access (GAFPA). (2020). Patient Engagement in Health Technology Assessment Practices and Principles for Europe & the United States. Saatavilla verkossa: [https://gafpa.org/wp-content/uploads/2021/05/GAFPA\\_Patient-Engagement-in-Health-Technology-Assessment\\_Dec-2020.pdf](https://gafpa.org/wp-content/uploads/2021/05/GAFPA_Patient-Engagement-in-Health-Technology-Assessment_Dec-2020.pdf). Viitattu 11.5.2024.
- TLV (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket). (2015). Årsredovisning 2015. Saatavilla verkossa: [https://www.tlv.se/download/18.2dace12316ab77b9f6931460/1558003247560/arsredovisning\\_tlv\\_2015.pdf](https://www.tlv.se/download/18.2dace12316ab77b9f6931460/1558003247560/arsredovisning_tlv_2015.pdf). Viitattu 19.5.2024.
- TLV (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket). (2020). Policy patientmedverkan på TLV. 2024-01-18. Dnr: 03778/2023. Saatavilla verkossa: [https://www.tlv.se/download/18.4df398f41705a23476643cd4/1709104894201/policy\\_patientmedverkan.pdf](https://www.tlv.se/download/18.4df398f41705a23476643cd4/1709104894201/policy_patientmedverkan.pdf). Viitattu 11.5.2024.
- TLV (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket). (2023a). Metodstöd med syfte att bidra vid analys och planering av samverkan. Saatavilla verkossa: [https://www.tlv.se/download/18.4df398f41705a23476643cd3/1709104916645/metodstod\\_patientmedverkan.pdf](https://www.tlv.se/download/18.4df398f41705a23476643cd3/1709104916645/metodstod_patientmedverkan.pdf). Viitattu 11.5.2024.
- TLV (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket). (2023b). Årsredovisning 2022 Tandvårds-och läkemedelsförmånsverket. Saatavilla verkossa: [https://www.tlv.se/download/18.1ddddeb291864a62e81bcdcb1/1677221954062/arsredovisning\\_tlv\\_2022.pdf](https://www.tlv.se/download/18.1ddddeb291864a62e81bcdcb1/1677221954062/arsredovisning_tlv_2022.pdf). Viitattu 11.5.2024.
- Toikko, T., & Rantanen, T. (2009). Tutkimuksellinen kehittämistoiminta: näkökulmia kehittämisprosessiin, osallistumiseen ja tiedontuotantoon. Tampere University Press.
- Toiviainen, H. (2007). Konsumerismi, potilaiden ja kuluttajien aktiivinen toiminta sekä erityisesti lääkäreiden kokemukset ja näkemykset potilaista kuluttajina. Stakes. Saatavilla verkossa: <https://helda.helsinki.fi/server/api/core/bitstreams/eedac574-3eb6-49b2-8c6b-eb5ce3b47c90/content>

- Torkki, P., Patja, K., Ignatius, E., Kousa, I., Vanhala, A., Gehrmann, K., Tikkinen, K. A. O., Ojanen, T., Tapanainen, P., Pantzar, M., Ranta, J., & Leskelä, R.-L. (2022). Terveydenhuollon palveluvalikoiman priorisointi. Valtioneuvoston selvitys- ja tutkimustoiminnan julkaisusarja 2022:53. Saatavilla verkossa: <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-383-397-5>
- Tritter, J. Q. (2009). Revolution or evolution: The challenges of conceptualizing patient and public involvement in a consumerist world. *Health Expectations* 2009 Sep;12(3):275-87. <https://doi.org/10.1111/j.1369-7625.2009.00564.x>
- Tritter, J. Q., & McCallum, A. (2006). The snakes and ladders of user involvement: Moving beyond Arnstein. *Health Policy*, 76(2), 156–168. <https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2005.05.008>
- Tuomi, J., & Sarajarvi, A. (2018). Laadullinen tutkimus ja sisällönanalyysi. Kustannusosakeyhtiö Tammi. Helsinki.
- Tutkimuseettinen neuvottelukunta TENK. (2019). Ihmiseen kohdistuvan tutkimuksen eettiset periaatteet ja ihmistieteiden eettinen ennakkoarviointi Suomessa. Saatavilla verkossa: [https://www.tenk.fi/sites/tenk.fi/files/Ihmistieteiden\\_eettisen\\_ennakkoarvioinnin\\_ohje\\_2019.pdf](https://www.tenk.fi/sites/tenk.fi/files/Ihmistieteiden_eettisen_ennakkoarvioinnin_ohje_2019.pdf)
- Tutkimuseettinen neuvottelukunta TENK. (2023). Hyvä tieteellinen käytäntö ja sen loukkausepäilyjen käsitteleminen Suomessa Tutkimuseettisen neuvottelukunnan HTK-ohje 2023. Tutkimuseettisen neuvottelukunnan julkaisuja 2/2023. Helsinki. [https://tenk.fi/sites/default/files/2023-03/HTK-ohje\\_2023.pdf](https://tenk.fi/sites/default/files/2023-03/HTK-ohje_2023.pdf)
- United Nations Department of Economic and Social Affairs. (2016). Chapter 1. Identifying social inclusion and exclusion. Teoksessa: *Report on the World Social Situation 2016 Leaving no one Behind: The Imperative of Inclusive Development*. s. 17-31. Saatavilla verkossa: <https://www.un.org/esa/socdev/rwss/2016/full-report.pdf>
- Valtioneuvosto. (2023). Vahva ja välittävä Suomi: Pääministeri Petteri Orpon hallituksen ohjelma 20.6.2023. Valtioneuvoston julkaisuja 2023:58. <https://julkaisut.valtioneuvosto.fi/handle/10024/165042>
- Valtioneuvosto. (2024). Julkista taloutta vahvistavat uudet sopeutustoimet - Pääministeri Orpon hallituksen kehysriihi 15.-16.4. Saatavilla verkossa: [https://valtioneuvosto.fi/documents/10616/199806183/Hallituksen%20p%C3%A4%C3%A4t%C3%B6kset%20uusista%20menosopeutuksista%2016.4.2024%20\(korjattu%2017.4.\)/645e2425-1523-3e86-d2c2-17301e1662f7/Hallituksen%20p%C3%A4%C3%A4t%C3%B6kset%20uusista%20menosopeutuksista%2016.4.2024%20\(korjattu%2017.4.\).pdf?t=1713362187432](https://valtioneuvosto.fi/documents/10616/199806183/Hallituksen%20p%C3%A4%C3%A4t%C3%B6kset%20uusista%20menosopeutuksista%2016.4.2024%20(korjattu%2017.4.)/645e2425-1523-3e86-d2c2-17301e1662f7/Hallituksen%20p%C3%A4%C3%A4t%C3%B6kset%20uusista%20menosopeutuksista%2016.4.2024%20(korjattu%2017.4.).pdf?t=1713362187432). Viitattu 2.5.2024.
- Velasco, M., Finn, G., Kristensen, B., Nielsen, C. P., & Busse, R. (2008). Health Technology Assessment and Health Policy-Making in Europe Current status, challenges and potential. World Health Organization 2008, on behalf of the European Observatory on Health Systems and Policies. <https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/107911/9789289042932-eng.pdf>
- Wait, S., & Nolte, E. (2006). Public involvement policies in health: exploring their conceptual basis. *Health Economics, Policy and Law*, Volume 1, Issue 2, April 2006, pp. 149 - 162. <https://doi.org/10.1017/S174413310500112X>

- Wale J., Scott A.M., Hofmann B., Garner S., Low E., & Sansom L. (2017). Why patients should be involved in health technology assessment. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2017;33(1):1-4. doi:10.1017/S0266462317000241
- Wale, J. L., & Sullivan, M. (2020). Exploration of the visibility of patient input in final recommendation documentation for three health technology assessment bodies. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 2020 Jun;36(3):197-203. <https://doi.org/10.1017/S0266462320000240>
- Wale, J. L., Thomas, S., Hamerlijnck, D., & Hollander, R. (2021). Patients and public are important stakeholders in health technology assessment but the level of involvement is low – a call to action. *Research Involvement and Engagement*, 7(1), 1–11. <https://doi.org/10.1186/s40900-020-00248-9>
- Walley, T. (2007). Health technology assessment in England: assessment and appraisal. *Med J Aust* 2007; 187 (5): 283-285. <https://doi.org/10.5694/j.1326-5377.2007.tb01244.x>
- Wallin Sirkku. (2019). Puoli vuosisataa osallisuuden portailla. *Yhdyskuntasuunnittelu*, 57(3). <https://doi.org/10.33357/ys.86018>
- Weeks, L., MacPhail, E., Berglas, S., Mujoomdar, M. (2017). Canada. Teoksessa: Facey K.M., Hansen H.P., Single A.N.V., (toim.) *Patient Involvement in Health Technology Assessment*. Singapore: Springer; 2017. [https://doi.org/https://doi.org/10.1007/978-981-10-4068-9\\_28](https://doi.org/https://doi.org/10.1007/978-981-10-4068-9_28)
- Werkö, S., & Andersson, C. (2017). Sweden. Teoksessa: Facey K.M., Hansen H.P. & Single A.N.V. (toim.) *Patient Involvement in Health Technology Assessment*. Singapore: Springer; 2017. [https://doi.org/https://doi.org/10.1007/978-981-10-4068-9\\_28](https://doi.org/https://doi.org/10.1007/978-981-10-4068-9_28)
- White, S. C. (1996). Depoliticising Development: The Uses and Abuses of Participation. *Development in Practice*, 6(1), 6–15. <http://www.jstor.org/stable/4029350>
- Whitty, J. A. (2013). An international survey of the public engagement practices of health technology assessment organizations. *Value in Health*, 16(1), 155–163. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2012.09.011>
- Wilking, N., Bucsics, A., Kandolf Sekulovic, L., Kobelt, G., Laslop, A., Makaroff, L., Roediger, A., & Zielinski, C. (2019). Achieving equal and timely access to innovative anticancer drugs in the European Union (EU): Summary of a multidisciplinary CECOG-driven roundtable discussion with a focus on Eastern and South-Eastern EU countries. *ESMO Open* 2019 Nov 13;4(6):e000550. <https://doi.org/10.1136/esmoopen-2019-000550>
- Wilsdon, T., Sablek, A., Adeyemo, T., Kirabali, T., & Associates, C. R. (2023). Adoption of precision health and precision medicine approaches in addressing population health needs in Europe Final Report. Prepared For: The European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA). Saatavilla verkossa: <https://www.efpia.eu/media/zv5ppxry/adoption-of-precision-health-and-precision-medicine-approaches-in-addressing-population-health-needs-in-europe.pdf>

WHO Collaborating Centre for Drug Statistics Methodology. (2024). ATC/DDD Index 2024. Saatavilla verkossa: [https://atcddd.fhi.no/atc\\_ddd\\_index/](https://atcddd.fhi.no/atc_ddd_index/). Viitattu 19.5.2024

World Health Organisation. (2024). Health technology assessment. Verkkosivu. <https://www.who.int/health-topics/health-technology-assessment>. Viitattu 11.5.2024.

Yleinen tietosuoja-asetus (GDPR). Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EU) 2016/679. Saatavilla verkossa: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/FI/TXT/HTML/?uri=CELEX:32016R0679>

## LIITTEET

### Liite 1. Kooste Hilan vastauksista tietopyyntöihin (osatyö I)

Hilan vastaanottamat potilasjärjestölausunnot 2017-2023. Vuosien 2022-2023 aineisto perustuu tammikuussa 2024 tehtyyn tietopyyntöön (Tran Minh, julkaisematon tulos 2024).

Lausunnon saapumisvuosi	Diarinumero	Valmisteen nimi	Lisätieto
2023	883/2023	Aquipta	
2023	00091/2023-21	Brukinsa	
2023	00689/2023-17	Brukinsa	
2023	00631/2023-22	Camzyos	
2023	00429/2023-13	Elfabrio	
2023	01552/2022-20	Fintepla	
2023	00353/2023-9	Forsteo	
2023	00194/2023-21	Hemlibra	Laajennushakemus
2023	00571/2023-9	Humira	
2023	00122/2023-27	Imbruvica	Laajennushakemus
2023	00134/2023-14	Kerendia	Laajennushakemus
2023	00591/2023-19	Lumykras	
2023	00617/2023-16	Mounjaro	
2023	01663/2022-9	Myfortic	Uusintahakemus
2023	00723/2023-12	OmvoH	
2023	901/2023	Remsima	
2023	00821/2023	RISEDRONAT SANDOZ	Uusintahakemus
2023	01558/2022-20	Rozlytrek	
2023	00328/2023-23	Sotukty	
2023	00304/2023-22	Venclyxto	
2023	01550/2022-19	Vydura	
2023	00588/2023-8	Yuflyma	
2022	01198/2021-16	Braftovi	Laajennushakemus
2022	01198/2021-20	Braftovi	Laajennushakemus
2022	00776/2022-12	BUDENOFALK	Uusintahakemus
2022	00777/2022-12	BUDENOFALK	Uusintahakemus
2022	00745/2022-10	Cortimentin	Uusintahakemus
2022	00772/2022-15	CRYSVITA	Laajennushakemus
2022	00556/2022-14	Evenity	
2022	01243/2022-22	Evrysdi	
2022	01243/2022-24	Evrysdi	
2022	00072/2022-11	Hukyndra & Hyrimoz	
2022	00084/2022-8	Hukyndra & Hyrimoz	
2022	01134/2022-10	Imraldi	Laajennushakemus

Lausunnon saapumisvuosi	Diaarinumero	Valmisteen nimi	Lisätieto
2022	00110/2022-16	Lumykras	
2022	00658/2021-34	Orladeyo	
2022	00634/2021-26	Revestive	
2022	01182/2022-14	Rinvoq	Laajennushakemus
2022	00529/2022-19	Tepmetko	
2022	01282/2022-19	Teysuno	Laajennushakemus
2022	00561/2022-16	Vyepti	
2022	00604/2022-13	Xospata	
2021	01180/2020	Rozlytrek	
2021	01149/2020	DARZALEX	
2021	00165/2021	PROLIA	Uusintahakemus
2021	00187/2021	ACLASTA	Uusintahakemus
2021	00190/2021	FORSTEO	Uusintahakemus
2021	00182/2021	SANDIMMUN NEORAL	Uusintahakemus
2021	00339/2021	Translarna	
2021	00249/2021	ADVAGRAF	Uusintahakemus
2021	00251/2021	PROGRAF	Uusintahakemus
2021	00491/2021	Evrysdi	
2021	00339/2021	Translarna	
2021	00560/2021	HUMIRA (Abacus Medicine)	Laajennushakemus
2021	00594/2021	RETSEVMO	
2021	00629/2021	ASACOL	
2021	00682/2021	Kaftrio	Laajennushakemus
2021	00683/2021	Kalydeco	Laajennushakemus
2021	00686/2021	TAGRISSO	Laajennushakemus
2021	00652/2021	VENCLYXTO	Laajennushakemus
2021	00594/2020	LYNPARZA	Laajennushakemus
2021	00775/2021	PROLIA	Uusintahakemus
2021	00655/2021	OFEV	Laajennushakemus
2021	00877/2021	Bimzelx	
2020	01027/2020	Ongentys	
2020	01034/2020	HEMLIBRA	
2020	01016/2020	Kaftrio	
2020	00885/2020	VICTOZA	Uusintahakemus
2020	00886/2020	OZEMPIC	Uusintahakemus
2020	00894/2020	LYXUMIA	Uusintahakemus
2020	00851/2020	BYETTA	Uusintahakemus
2020	00852/2020	BYDUREON	Uusintahakemus
2020	00883/2020	TRULICITY	Uusintahakemus
2020	00715/2020	OFEV	

<b>Lausunnon saapumisvuosi</b>	<b>Diaarinumero</b>	<b>Valmisteen nimi</b>	<b>Lisätieto</b>
2020	00884/2020	THYROXIN	Uusintahakemus
2020	00474/2020	TAKHZYRO	
2020	01121/2019	Crysvita	
2020	00593/2020	Entyvio	
2020	00576/2020	Besremi	
2020	00581/2020	ALUNBRIG	
2020	00472/2020	WAKIX	
2020	00558/2020	Targaxan	
2020	00372/2020	Fotivda	
2020	00377/2020	Kalydeco	
2020	00378/2020	Symkevi	
2020	00431/2020	Orkambi	
2020	00126/2020	Lecigon	
2020	00127/2020	Ongentys	
2020	00211/2020	OZEMPIC	
2020	00275/2020	Evenity	
2020	00181/2020	ROACTEMRA	
2020	00106/2020	TOUJEO SOLOSTAR	
2020	00074/2020	PREVYMIS	
2020	00099/2020	EMGALITY	
2020	01441/2019	SAXENDA	
2019	01074/2019	FOSRENOL	Uusintahakemus
2019	01018/2019	MEDITHYROX	
2019	01072/2019	MEDITHYROX	Uusintahakemus
2019	00845/2019	OZEMPIC	
2019	00784/2019	TAGRISSO	
2019	00793/2019	LYNPARZA	
2019	00768/2019	WAKIX	
2019	00661/2019	Ajovy	
2019	00702/2019	ZEJULA	
2019	00692/2019	Medithyrox	
2019	00491/2019	MEKINIST	
2019	00492/2019	TAFINLAR	
2019	00549/2019	LONSURF	
2019	00402/2019	Advagraf, Uusintahakemus	Uusintahakemus
2019	00426/2019	Translarna	
2019	00443/2019	Symkevi	
2019	00444/2019	Kalydeco	
2019	00585/2019	Orkambi	
2019	00379/2019	SANDIMMUN NEORAL	Uusintahakemus

<b>Lausunnon saapumisvuosi</b>	<b>Diaarinumero</b>	<b>Valmisteen nimi</b>	<b>Lisätieto</b>
2019	00324/2019	Hypurin Porcine Neutral	Erytyslupavalmiste
2019	00315/2019	Hypurin Porcine Isophane	Erytyslupavalmiste
2019	00286/2019	Hypurin Porcine Isophane	Erytyslupavalmiste
2019	01109/2018	MAVENCLAD	Uusintahakemus
2019	01220/2018	MAVENCLAD	
2019	01235/2018	Alunbrig	
2019	01239/2018	Mektovi	
2019	01240/2018	Braftovi	
2018	00774/2018	PHYSIONEAL 35 GLUCOSE	Uusintahakemus
2018	00775/2018	PHYSIONEAL 35 GLUCOSE CLEAR-FLEX	Uusintahakemus
2018	00776/2018	EXTRANEAL	Uusintahakemus
2018	00796/2018	Cabometyx	
2018	00708/2018	AIMOVIG	
2018	00621/2018	FORSTEO	Uusintahakemus
2018	00704/2018	Prolia	Uusintahakemus
2018	00705/2018	Prolia	
2018	00494/2018	TAGRISO	
2018	00921/2017	Xadago	
2018	00211/2018	Ninlaro	
2018	00108/2018	Xalkori	
2018	00162/2018	BUDENOFALK	Uusintahakemus
2018	00193/2018	Imurel	Uusintahakemus
2018	01182/2017	Imnovid	
2018	01238/2017	RAXONE	
2018	01229/2017	MYFORTIC	Uusintahakemus
2017	01007/2017	Tresiba	
2017	00971/2017	Medithyrox	
2017	00972/2017	Medithyrox	
2017	01016/2017	Elvanse Adult	
2017	00852/2017	Mexiletine Hydrochloride Teva	Erytyslupavalmiste
2017	00847/2017	Mexiletine Hydrochloride Teva	Erytyslupavalmiste
2017	00806/2017	Sandimmun Neoral	Uusintahakemus
2017	00806/2017	Sandimmun Neoral	Uusintahakemus
2017	00806/2017	Sandimmun Neoral	Uusintahakemus
2017	00715/2017	Sandimmun	Uusintahakemus
2017	00768/2017	Ongentys	Erytyslupavalmiste
2017	00716/2017	Toujeo	Uusintahakemus

## Liite 2. Kooste Palkon vastauksista tietopyyntöihin (osatyö I)

Palkon toteuttamat suositukset ja Ota kantaa -kommenttien lukumäärät potilasjärjestöiltä tai yksittäisiltä kansalaisilta 2015-2023. Vuosien 2022-2023 aineisto perustuu tammikuussa 2024 tehtyyn tietopyyntöön (Tran Minh, julkaisematon tulos, 2024).

Lääkesuosituksen nimi	Lääkesuosituksen Otakantaa-kommenttien lukumäärä		
	Potilasjärjestö (n)	Potilas tai asiakas taikka heidän omaisensa (n) <sup>1</sup>	Yht. (n)
10.12.2015 Silmänpohjan kostean ikärappeuman hoito silmänsisäisellä bevasitsumabilla <sup>2</sup>	0	0	0
15.3.2018 Nusinerseeni SMA-taudin hoidossa	4	22	26
12.6.2018 Sebelipaasi alfa -lääke lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa	0	0	0
9.10.2018 Reslitsumabi, mepolitsumabi ja benralitsumabi -lääkkeet erittäin vaikean eosinofiilisen astman hoidossa	0	0	0
19.12.2018 Atetsolitsumabi-, nivolumabi- ja pembrolitsumabi -lääkkeet levinneen virtsarakkosyövän hoidossa	0	0	0
18.12.2018 Obinutsumabi-lääke follikulaarisen lymfooman ensilinjan hoidossa	0	0	0
5.2.2019 Pertutsumabi-lääke HER2-positiivisen rintasyövän liitännäishoitona	0	0	0
13.3.2019 Tisagenlekleuseeli (Kymriah®) B-solulinjan akuutin lymfoblastisen leukemian hoidossa	0	0	0
13.3.2019 Atetsolitsumabi, nivolumabi ja pembrolitsumabi ei-pienisoluisen keuhkosyövän hoidossa	1	2	3
12.6.2019 Durvalumabi ei-pienisoluisen keuhkosyövän hoidossa kemosädehoidon jälkeen	0	0	0
20.9.2019 Nusinerseeni-jatkohoidon kriteerit	3	8	11
20.9.2019 Daratumumabi yhdistelmänä (D-VMP) ja ylläpitohoitona äskettäin diagnosoidun multipplein myelooman hoidossa	0	0	0
26.11.2019 Nivolumabin ja ipilimumabin yhdistelmähoito edenneen kirkassoluisen munuaiskarsinooman ensilinjan hoidossa	1	0	1
13.12.2019 Semiplimabi (Libtayo) edenneen ihon okasolusyövän hoidossa	0	0	0
19.12.2019 Aksikabtageenisiloleuseeli (Yescarta) uusiutuneen tai hoitoresistentin diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman (DLBCL) tai primaarisen välikarsinan suurisoluisen B-solulymfooman (PMBCL) hoidossa	1	0	1

[1] Tässä tutkimuksessa ”yksittäiset kansalaiset”.

[2] Tämä suositus on jätetty pois aineiston analyysistä, jotta tarkasteltava jakso on sama kuin Hilan kohdalla (2017-2023)

Lääkesuosituksen nimi	Lääkesuosituksen Otakantaa-kommenttien lukumäärä		
	Potilasjärjestö (n)	Potilas tai asiakas taikka heidän omaisensa (n) <sup>1</sup>	Yht. (n)
19.12.2019 Tisagenlekleuseeli (Kymriah) diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa	1	0	1
19.3.2020 Atetsolitsumabi yhdessä nab-paklitakselin kanssa kolmoisnegatiivisen rintasyövän hoidossa	0	0	0
11.6.2020 Polatutsumabi-vedotiini yhdistelmänä bendamustiiniin ja rituksimabin kanssa diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa	0	0	0
24.3.2021 Luspatersepti myelodysplastiseen oireyhtymään liittyvän punasolusiiirroista riippuvaisen anemian hoidossa	1	0	1
24.3.2021 Luspatersepti punasolusiiirroista riippuvaisen anemian hoidossa beetatalassemiaa sairastavilla aikuisilla	0	0	0
5.5.2021 Zynteglo beetatalassemian hoidossa	0	0	0
5.5.2021 Belantamabi-mafodotiini uusiutuneen multipppelin myelooman hoidossa	0	0	0
5.5.2021 Ekulitsumabi neuromyelitis optica -kirjon häiriön (NMOSD) hoidossa	0	0	0
17.6.2021 Atetsolitsumabin, etoposidin ja karboplatiinin yhdistelmähoito levinneen pienisoluisen keuhkosityövän ensilinjan hoidossa	1	0	1
17.6.2021 Durvalumabin, etoposidin ja platina-yhdisteen yhdistelmähoito levinneen pienisoluisen keuhkosityövän ensilinjan hoidossa	1	0	1
1.9.2021 Avelumabi uroteelikarsinooman ensilinjan hoidossa	1	0	1
1.9.2021 Serliponaasi alfa neuronaaalisen seroidilipofuskinoosi tyyppi 2:n (CLN2) hoidossa	0	0	0
1.9.2021 Brolusitsumabi kostean silmänpohjan ikärappeuman hoidossa	0	0	0
27.10.2021 Onasemnogeeniabeparvovekki (Zolgensma) SMA-taudin hoidossa	2	0	2
23.11.2021 Trastutsumabi-deruksteakaani levinneen HER2-positiivisen rintasyövän hoidossa	0	1	1
15.12.2021 Breksukabtageeni autoleuseeli (Tecartus®) manttelisolulymfooman hoidossa	0	0	0
4.2.2022 Isatuksimabin, karfilsomibin ja deksametasonin yhdistelmähoito uusiutuneen multipppelin myelooman hoidossa	0	0	0
4.2.2022 Karfilsomibin, deksametasonin ja daratumumabin yhdistelmähoito uusiutuneen multip-pelin myelooman hoidossa	0	0	0

Lääkesuosituksen nimi	Lääkesuosituksen Otakantaa-kommenttien lukumäärä		
	Potilasjärjestö (n)	Potilas tai asiakas taikka heidän omaisensa (n) <sup>1</sup>	Yht. (n)
4.2.2022 Nusinerseni SMA-taudin hoidossa - päivitetty suositus	2	3	5
22.3.2022 Pembrolitsumabi yhdessä solunsalpaaja-hoidon kanssa ruokatorvisyövän tai ruokatorvimahalaukkurajan adenokarsinooman ensilinjan hoidossa	0	0	0
10.5.2022 Nivolumabi ruokatorvisyövän tai ruokatorvimahalaukkurajan syövän liitännäishoidossa	1	0	1
15.6.2022 Sasitutumabigovitekaani leikkaukseen soveltumattoman tai etäpesäkkeisen kolmois-negatiivisen rintasyövän hoidossa	0	0	0
27.10.2022 Amivantamabi-ei-pienisoluisen-keuhkosyövan-hoidossa	1	1	2
15.12.2022 Enfortumabi-vedotiini-edenneen-uroteelikarsinooman-hoidossa_	0	0	0
15.12.2022 Tebentafuspi silmän suonikalvoston melanooman hoidossa	0	0	0
2.2.2023 Siltakabtageeniautoleuseeli edenneen multippelin myelooman hoidossa	1	0	1
4.5.2023 Polatutumabi-vedotiinin yhdistelmähoito diffuusin suurisoluisen B-solulymfooman hoidossa	1	0	1
14.9.2023 Efgartigimodi alfa myasthenia graviksen hoidossa	1	1	2
19.12.2023 Lonkastuksimabi-tesiriini diffuusin suuri-soluisen B-solulymfooman ja korkean maligniteettiasteen B-solulymfooman hoidossa	0	0	0
19.12.2023 Difelikefaliini kroonisen munuaissairautteen liittyvän kutinan hoidossa	1	0	1
19.12.2023 Nivolumabin ja relatlimabin yhdistelmä edenneen ihomelanooman ensilinjan hoidossa	0	0	0

## Liite 3. Tiedote tutkimuksesta (osatyöt II ja III)



Tiedote tutkimuksesta  
17.5.2021

1 (2)

### TIEDOTE TUTKIMUKSESTA

**Tutkimuksen nimi:** Potilasjärjestöjen rooli Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston ja Lääkkeiden hintalautakunnan arviointi- ja korvattavuusprosesseissa

#### Tutkimuksen tarkoitus

Teitä pyydetään osallistumaan tutkimukseen, jonka tarkoituksena on selvittää potilasjärjestöjen osallisuutta ja roolia Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston (Palko) ja Lääkkeiden hintalautakunnan (Hila) toiminnassa liittyen uusien lääkehoitojen arviointi- ja korvattavuusprosesseihin.

Tutkimus liittyy kansalaisten ja potilasjärjestöjen osallisuutta käsittelevään väitöskirjaan, jota Mirjami Tran Minh tekee Helsingin yliopiston Väestön terveyden tohtoriohjelmassa.

Haastattelujen tavoitteena on tuottaa tietoa potilasjärjestöjen osallisuuden toteutumisesta, roolista sekä tiedon ja tuen tarpeista liittyen uusien lääkehoitojen arviointiin. Haastattelut tuottavat tietoa myös siitä, mitä kehittämismahdollisuuksia näissä prosesseissa on sekä järjestöjen että viranomaisten näkökulmista.

Tutkimuksessa haastatellaan potilasjärjestöjen edustajia ja viranomaisia.

#### Tutkimuksen kulku

Tohtorikoulutettava Mirjami Tran Minh on ottanut teihin yhteyttä joko henkilökohtaisesti tai edustamanne organisaation kautta. Tutkimukseen osallistuminen toteutetaan haastatteluna, jonka kesto on 45-60 minuuttia.

Haastattelu toteutetaan etäyhteyden välityksellä. Tran Minh lähettää teille tiedotteen, suostumuslomakkeen ja linkin haastatteluun etukäteen. Tutkimukseen osallistumisesta ei makseta palkkiota.

#### Tutkimukseen liittyvät hyödyt ja riskit

On mahdollista, ettei tähän tutkimukseen osallistumisesta ole teille hyötyä. Tutkimustulokset voivat auttaa ymmärtämään potilasjärjestöjen roolia, osallisuutta sekä tuen ja tiedon tarpeita heidän osallistuessaan Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston suositusluonnosten kommentointiin ja Lääkkeiden hintalautakunnalle toimitettavien potilasjärjestölausuntojen antamiseen. Tietoa tutkimuksen aiheista tarvitaan sekä viranomais- että potilasjärjestötoiminnan kehittämiseksi.

Tutkimukseen osallistuminen edellyttää teiltä halukkuutta osallistua haastatteluun. Voitte keskeyttää haastatteluun osallistumisen niin halutessanne.



#### **Luottamuksellisuus, tietojen käsittely ja säilyttäminen**

Tutkimuksessa henkilöllisyytenne sekä muut tunnistettavat tiedot ovat ainoastaan väitöskirja-tutkimuksen tekijän Mirjami Tran Minhin ja äänitiedostojen litteroijan tiedossa, ja he ovat salassapitovelvollisia. Kaikkia teistä kerättyä tietoa ja tutkimustuloksia käsitellään koodattuina siten, ettei yksittäisiä tietojanne pystytä tunnistamaan tutkimustuloksista. Tutkimusrekisteriin tallennetaan vain tutkimuksen kannalta välttämättömiä tietoja ja rekisteriä säilytetään Helsingin yliopiston tietoturvalisessa järjestelmässä niin kauan, kunnes tutkimus on päättynyt.

Litteroituja, koodattuja aineistoja voidaan luovuttaa myös muille tutkimusryhmän jäsenille. Siinäkin tapauksessa kaikkia osapuolia sitovat edellä mainitut salassapitovelvollisuudet.

#### **Vapaaehtoisuus**

Osallistuminen tähän tutkimukseen on täysin vapaaehtoista. Voitte kieltäytyä osallistumasta, keskeyttää osallistumisenne tai peruuttaa suostumuksenne syytä ilmoittamatta milloin tahansa.

#### **Tutkimustuloksista tiedottaminen**

Tämä haastattelu on osa Mirjami Tran Minhin väitöskirjatutkimusta. Kyseessä on tieteellinen tutkimus, jonka tutkimustulokset julkaistaan tieteellisenä artikkelina kansainvälisessä julkaisussa ja väitöskirjassa. Tulokset tullaan esittämään kaikille avoimessa väitöstilaisuudessa ja tuloksia jaetaan myös potilasjärjestöjen kautta.

#### **Tutkimuksen toteuttajat:**

Tutkimuksen yhteyshenkilönä ja haastattelijana toimii:

**Mirjami Tran Minh**  
Tohtorikoulutettava  
Väestön terveyden tohtoriohjelma  
Helsingin yliopisto  
Puh. 040 7040226  
Sähköposti: mirjami.tran@helsinki.fi

Väitöskirjan ohjaajina toimivat:

**Tuuli Lahti**  
Dosentti  
Lääketieteellinen tiedekunta  
Helsingin yliopisto  
tuuli.lahti@helsinki.fi

**Marja Airaksinen**  
Professori  
Farmasian tiedekunta  
Helsingin yliopisto  
marja.airaksinen@helsinki.fi

## Liite 4. Teemahaastattelun runko potilasjärjestöille (osatyöt II ja III)

### **Teema 1. Kokemukset: Lääkkeiden hintalautakunta Hila ja Terveystieteiden tutkimuskeskus Palko**

- Kuinka tuttua Lääkkeiden Hilan ja Palkon toiminta on teille?
- Onko järjestönne antanut potilasjärjestölausuntoja Hilalle tai kommentoineet Palkon suositusluonnoksia Ota kantaa -palvelussa?
- Minkälaisia kokemuksia teillä on ollut lausuntojen antamisesta ja / tai yhteistyöstä Hilan / Palkon kanssa?
- Kuka lausuntoja järjestössänne tekee, ja miten järjestönne jäsenet osallistuvat lausuntojen tekemiseen?

### **Teema 2. A Osallisuus: Hila**

- Miten potilasjärjestöjen osallisuus toteutuu lääkehoitojen korvattavuuteen (Hila) liittyvissä viranomaisprosesseissa?
- Näettekö, että antamanne lausunnot on huomioitu Hintalautakunnan päätöksenteossa?
- Mitä haasteita näette potilasjärjestöjen osallisuudessa Hilan toimintaan ja lääkehoitojen korvattavuuteen liittyen?
- Miten potilasjärjestöjen osallisuutta Hilan viranomaisprosesseissa tulisi kehittää teidän näkökulmastanne?
- Mihin suuntaan Hilan prosesseja voisi kehittää potilasjärjestön näkökulmasta?

### **Teema 2. A Osallisuus: Palko**

- Miten potilasjärjestöjen osallisuus toteutuu lääkehoitojen arviointiin (Palko) liittyvissä viranomaisprosesseissa (Ota kantaa)?
- Näettekö, että antamanne lausunnot on huomioitu lopullisessa Palkon suosituksessa?
- Missä vaiheessa Palkon suositusluonnoksen valmistelua potilasjärjestöjen ääni tulisi ihanteellisessa tapauksessa tulla kuulluksi?
- Mitä haasteita näette potilasjärjestöjen osallisuudessa Palkon toimintaan ja suositusluonnosten arviointiin liittyen?
- Miten potilasjärjestöjen osallisuutta Palkon viranomaisprosesseissa tulisi kehittää teidän näkökulmastanne?
- Mitä voisi tehdä, jotta järjestöjen osallisuus vahvistuisi Palkon toiminnassa?

### **Teema 3. Tiedonsaanti: Hila ja Palko**

- Minkälainen kokonaiskäsitelmä on siitä, miten hyvin lääkehoitoihin liittyvät viranomaisprosessit tunnetaan potilasjärjestöissä?
- Miltä toimijoilta saatte tietoa ajankohtaisista arvioitavana olevista lääkehoidoista?
- Onko viranomaisilta saatu ohjeistus ja tiedotus ollut ymmärrettävää, riittävää ja ajantasaista?
- Miten viranomaistiedotusta potilasjärjestöille voisi kehittää?
- Miten lausuntoja tai kannanottoja koskeva tieto palautuu potilasjärjestölle?

### **Teema 4. Tuen tarpeet ja koulutus: Hila ja Palko**

- Tarvitsetteko jotain tietoa, tukea tai koulutusta Hilalle annettaviin potilasjärjestölausuntoihin liittyen tai Palkon suositusluonnosten kommentointiin liittyen?
- Jos kyllä, minkälaista tietoa, tukea tai koulutusta koette tarvitsevanne?
- Minkä olisi potilasjärjestön näkökulmasta ihanteellinen osallisuuden ja yhteistyön toteutumistapa liittyen uusien lääkehoitojen arviointiin, käyttöönottoon ja korvattavuuteen?

## **Liite 5. Teemahaastattelun runko viranomaisille (osatyöt II ja III)**

### **Teema 1. Kokemukset potilasjärjestöjen osallistumisesta**

- Minkälaista yhteistyötä teillä on potilasjärjestöjen kanssa ollut?
- Minkälaisia kokemuksia teillä on potilasjärjestöjen osallistumisesta lausuntojen antamiseen?
- Mitä haasteita näette potilasjärjestöyhteistyössä Hilan / Palkon näkökulmasta?
- Mitä mahdollisuuksia näette potilasjärjestöyhteistyössä Hilan / Palkon näkökulmasta?
- 

### **Teema 2. Potilasjärjestöjen rooli**

- Minkälaisena näette potilasjärjestöjen ja potilasjärjestölausuntojen roolin Hilan / Palkon toiminnassa?
- Miten potilasjärjestölausunnot huomioidaan Hilan / Palkon päätöksenteossa?
- Ovatko lausunnot laadittu niin, että niistä on hyötyä Hilan / Palkon työssä? Miten niitä voisi sisällöllisesti kehittää?
- Miten näet potilasjärjestöjen roolin ja mahdollisen yhteistyön Hilan / Palkon kanssa tulevaisuudessa?
- Mikä olisi ihanteellinen potilasjärjestöjen osallisuuden toteutumistapa teidän näkökulmastanne?

### **Teema 3. Tiedotus ja koulutus**

- Miten tiedotus potilasjärjestöjen suuntaan tai niiden suunnasta toimii teidän näkökulmastanne? Miten sitä voisi kehittää?
- Oletteko havainneet, että potilasjärjestöt hyötyisivät koulutuksesta lausuntojen tekemiseen liittyen? Jos kyllä, minkälaisesta koulutuksesta?

## **Liite 6. Kysely kansalaisten lääkekehitykseen liittyvistä tiedontarpeista (osatyö IV)**

### **Kysely kansalaisten lääkekehitykseen liittyvistä tiedontarpeista (verkkopohjainen kysely)**

Lääkekehitys on pitkä, monimutkainen ja kallis prosessi, josta potilailla ja muilla sidosryhmillä ei välttämättä ole riittävästi tietoa. Siksi Eurooppalainen potilasakatemia (EUPATI) tuottaa potilaille ja muille sidosryhmille suunnattua tietoa lääkekehityksestä. Tavoitteena on kasvattaa lääkekehityksen tunnettuutta, välittää tietoa lääketutkimuksista sekä lisätä potilaiden osallistumis- ja vaikutusmahdollisuuksia lääkekehityksen eri vaiheissa.

Tämän kyselyn tavoitteena on selvittää kansalaisten kiinnostusta, tietämystä ja kokemuksia lääkekehityksestä sekä kartoittaa tiedontarpeita ja toiveita koskien eri tiedonsaantikanavien käyttöä. Tuloksista laaditaan raportti ja lisäksi tuloksia tullaan hyödyntämään lääkekehitykseen liittyvien materiaalien tuottamisessa potilaille ja muille sidosryhmille.

Tämän kyselyn on laatinut Manchesterin yliopiston ja European Genetic Alliances Networkin johtama yhteistyöryhmä osana Euroopan komission ja Innovative Medicines Initiativen rahoittamaa projektia ”European Patients’ Academy on Therapeutic Innovation (EUPATI)” (lisätietoja: [www.eupati.eu](http://www.eupati.eu)). Suomessa kyselyn toteuttaa Suomen Syöpäpotilaat ry:n tilauksesta Kantar TNS Oy.

Vastaukset ovat luottamuksellisia. Yksittäisiä vastauksia ei tulla esittämään eikä julkaisemaan. Kantar TNS Oy toimittaa vastaukset Suomen Syöpäpotilaat ry:lle nimettöminä. Nimettömien vastausten pohjalta kootut tulokset jaamme potilasryhmien kanssa ja esitämme yhteenvedot tuloksista konferensseissa, tieteellisissä julkaisuissa sekä lehtiartikkeleissa. Suomen Syöpäpotilaat ry huolehtii tietojen tallentamisesta tietosuojakäytäntöjen mukaisesti.

Siirtymällä seuraavalle sivulle osoitat, että olet lukenut, ymmärtänyt ja hyväksynyt yllä olevan kuvauksen kyselystä ja että haluat osallistua kyselyyn.

Siirry eteenpäin

En ole kiinnostunut osallistumaan (SULJE)

Kiitos, että osallistut kyselyyn. Aluksi haluaisimme kuulla kokemuksianne lääkekehityksestä.

1. Oletko koskaan aiemmin ollut tai oletko parhaillaan osallisena lääketieteellisessä tutkimuksessa?

*Lääketieteellisellä tutkimuksella tarkoitamme tutkimuksia, joissa selvitetään sairauksien syntymistä tai joissa kehitetään uusia hoitomuotoja ihmisille.*

Kyllä	
Ei	

2. Miten hyväksi arvioisit tietosi lääkkeiden kehittämisestä?

1	2	3	4	5
En ole kuullut asiasta				Tietoni ovat erittäin hyvät

3. Alla on kuvauksia lääkekehityksen eri osa-alueista. Pyydämme teitä lukemaan ne läpi ja arvioimaan tämänhetkisen osaamisenne tason.

	1	2	3	4	5
	En ole kuullut asiasta		Minulla on jonkin verran tietoa asiasta		Tietoni ovat erittäin hyvät
<b>Lääkekehitys</b> - Prosessi, jossa tutkijat lisäävät ymmärrystään sairaudesta selvittämällä sairauteen vaikuttavia geenejä ja proteiineja. Tämän jälkeen etsitään sopivaa yhdistettä, jolla voisi olla vaikutusta kyseisiin geeneihin tai proteiineihin. Tästä yhdisteestä saattaa tulla uusi lääke					
<b>Lääketurvallisuus</b> - Lääkkeiden aiheuttamien sivuvaikutusten havaitsemiseen, ymmärtämiseen ja ehkäisemiseen keskittyvä prosessi					
<b>Potilaiden rooli ja velvollisuudet lääkkeiden kehityksessä</b> - Tavat, joilla potilaat ja lääkeyritykset voisivat yhdessä edistää uusien lääkkeiden kehittämistä					
<b>Yksilöllistetty hoito</b> - Potilaan perimästä (geeneistä) saatavilla olevien tietojen käyttäminen sopivimman lääkehoidon valitsemisessa					

	1	2	3	4	5
	En ole kuullut asiasta		Minulla on jonkin verran tietoa asiasta		Tietoni ovat erittäin hyvät
<b>Ennakoiva terveydenhoito</b> - Potilaan perimästä (geeneistä) saatavilla olevien tietojen käyttäminen sairauksien arvioimiseen					
<b>Kliinisten lääketutkimusten suunnittelu ja tavoitteet</b> - Tutkimukset, joissa selvitetään miten uudet hoitomuodot, esim. lääkkeineet tai rokotteet, vaikuttavat ihmisiin					
<b>Terveydenhuollon menetelmien arviointi</b> - uusien menetelmien (kuten lääkkeiden) arviointi sen perusteella miten hyvin ne toimivat sairauksien ehkäisemisessä, diagnosoinnissa ja hoitamisessa					
<b>Lääkehoitojen kustannusvaikuttavuus</b> - Lääkkeiden kustannusten, riskien ja hyötyjen arvioiminen ja vertaaminen eri hoitovaihtoehtoihin, sekä resurssien kustannustehokkaan käytön määrittäminen					
<b>Uusien lääkkeiden kansallinen sääntely</b> - Uusien lääkkeiden tehoa, turvallisuutta ja samalla kansalaisten terveyttä turvaavat viranomaistahot ja lainsäädäntö.					

## 4. Mistä lääkekehityksen osa-alueista olisit kiinnostunut oppimaan lisää?

	En lainkaan kiinnostunut				Erittäin kiinnostunut
	1	2	3	4	5
<b>Lääkekehitys</b> - Prosessi, jossa tutkijat lisäävät ymmärrystään sairaudesta selvittämällä sairauteen vaikuttavia geenejä ja proteiineja. Tämän jälkeen etsitään sopivaa yhdistettä, jolla voisi olla vaikutusta kyseisiin geeneihin tai proteiineihin. Tästä yhdisteestä saattaa tulla uusi lääke.					
<b>Lääketurvallisuus</b> - Lääkkeiden aiheuttamien sivuvaikutusten havaitsemiseen, ymmärtämiseen ja ehkäisemiseen keskittyvä prosessi					
<b>Potilaiden rooli ja velvollisuudet lääkkeiden kehityksessä</b> - Tavat, joilla potilaat ja lääkeyritykset voisivat yhdessä edistää uusien lääkkeiden kehittämistä					
<b>Yksilöllistetty terveydenhoito</b> - Potilaan perimästä (geeneistä) saatavilla olevien tietojen käyttäminen sopivimman lääkehoidon valitsemisessa					
<b>Ennakoiva terveydenhoito</b> - Potilaan perimästä (geeneistä) saatavilla olevien tietojen käyttäminen sairauksien arvioimisessa.					
<b>Kliinisten lääketutkimusten suunnittelu ja tavoitteet</b> - Tutkimukset, joissa selvitetään miten uudet hoidot, esim. lääkkeet tai rokotteet, vaikuttavat ihmisiin.					
<b>Terveydenhuollon menetelmien arviointi</b> - Uusien menetelmien (kuten lääkkeiden) arviointi sen perusteella miten hyvin ne toimivat sairauksien ehkäisemisessä, diagnosoinnissa ja hoitamisessa.					
<b>Lääkehoitojen kustannusvaikutavuus</b> - Lääkkeiden kustannusten, riskien ja hyötyjen arviointi ja vertaaminen eri hoitovaihtoehtoihin, sekä resurssien kustannustehokkaan käytön määrittäminen.					
<b>Uusien lääkkeiden kansallinen säätely</b> - Uusien lääkkeiden tehoa, turvallisuutta ja samalla kansalaisten terveyttä turvaavat viranomaistahot ja lainsäädäntö.					

5. Mitä seuraavista tietolähteistä käytät saadaksesi tietoa lääketieteellisistä asioista?  
(Merkitse niin monta kuin haluat)

Internetsivustot	
Wiki-sivustot kuten Wikipedia	
Sosiaalinen media kuten Facebook, Twitter ym.	
YouTube	
Internetissä toimivat vertaistukiryhmät	
Verkkopohjaiset oppimateriaalit	
Oppimateriaalit	
Esitykset	
Esitteet	
Kirjat	
Aikakauslehtiartikkelit	
Sanomalehtiartikkelit	
Televisio-ohjelmat	
Radio-ohjelmat	
Videot tai elokuvat	
Sarjakuvat	
Julkiset luennot tai konferenssit	
Kurssit	
Lääkärit tai muut terveydenhuollon ammattilaiset	
Muu (mikä)	

## 6. Mistä seuraavista tietolähteistä olisit kiinnostunut saamaan tietoa lääkkeiden kehityksestä?

	En lainkaan kiinnostunut				Erittäin kiinnostunut
	1	2	3	4	5
Internetsivustot					
Wiki-sivustot kuten Wikipedia					
Sosiaalinen media kuten Facebook, Twitter ym.					
YouTube					
Internetissä toimivat vertaistukiryhmät					
Verkkopohjaiset oppimateriaalit					
Oppimateriaalit					
Esitykset					
Esitteet					
Kirjat					
Aikakauslehtiartikkelit					
Sanomalehtiartikkelit					
Televisio-ohjelmat					
Radio-ohjelmat					
Videot tai elokuvat					
Sarjakuvat					
Julkiset luennot tai konferenssit					
Kurssit					
Lääkärit tai muut terveydenhuollon ammattilaiset					
Muu (mikä)					

7. Keneltä seuraavista haluaisit saada tietoa lääkkeiden kehityksestä? (Merkitse niin monta kuin haluat)

Lääkäriltä, sairaanhoitajalta tai muulta terveydenhuollon ammattilaiselta	
Lääketutkimusta tukevilta järjestöltä	
Viranomaistahoilta	
Julkisen ja yksityisen sektorin yhteistyöhankkeelta	
Sukulaiselta, ystävältä tai kollegalta	
Tiedotusvälineistä	
Yliopistolta tai joltain muulta akateemiselta instituutiolta	
Lääkeyritykseltä	
Potilasjärjestöltä	
Voittoa tuottamattomalta järjestöltä	
Muu (mikä)	

8. Kuinka vanha olet?

18-24-vuotias	
25-34-vuotias	
35-44-vuotias	
45-54-vuotias	
55-64-vuotias	

9. Sukupuoli

Mies	
Nainen	