

12.1.2018

Otakantaa.fi

Kysely: Kommentoi Palveluvalikoimaneuvoston suositusluonnosta Nusinerseeni SMA-taudin hoidossa

Kohta 18. Yhteenveto

Invalidiliitto katsoo, että nusinerseenihoidon eli harvinaislääkkeen korkea hinta ei voi olla pelkästään ainoa kriteeri sille, ettei nusinerseenihoito kuulu suomalaiseen terveydenhuollon palvelujärjestelmään. Tietyin edellytyksin nusinerseenilääke on mahdollista korvata SMA-taudin hoidossa vammaiselle lapselle ja mahdollisesti myös aikuiselle, jos lääkkeen hyöty on osoitettavissa yksilöllisissä tilanteissa.

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston (jälj. PALKO) suositusluonnoksen mukaan lääketieteellinen peruste olisi korvata nusinerseenihoito lapselle, mutta vastaan asettuvat yhteiskunnalliset ja ennen kaikkea taloudelliset tekijät. Oikeudellisesti on esitettävissä useita perusteita tämän harvinaislääkkeen korvattavuudelle. YK:n vammaisten henkilöiden oikeuksia koskeva yleissopimus tuli virallisesti voimaan ja Suomea oikeudellisesti velvoittavaksi 10.6.2016. Suositusluonnoksessa ei mainita YK:n vammaissopimusta lainkaan, mikä on erittäin merkittävä puute. YK:n vammaissopimuksen tarkoituksena on varmistaa kaikille kuuluvat ihmisoikeudet myös vammaisille henkilöille, jotta he voivat nauttia niistä täysimääräisesti (art. 1). Vammaisiin henkilöihin kuuluvat ne, joilla on sellainen mm. pitkäaikainen ruumiillinen vamma, joka vuorovaikutuksessa erilaisten esteiden kanssa voi estää heidän täysimääräisen ja tehokkaan osallistumisensa yhteiskuntaan yhdenvertaisesti muiden kanssa. SMA-tauti on harvinaissairaus, johon ei ole todettu parantavaa hoitoa, joten sitä sairastava henkilö kuuluu eittämättä YK:n vammaissopimuksen soveltamisalaan. Yleissopimuksen läpileikkaavana periaatteena on artiklan 3 mukaan muun ohessa a) henkilön synnynnäisen arvon kunnioittaminen ja b) syrjimättömyys sekä h) vammaisten lasten kehittyvien kykyjen kunnioittaminen ja, että heillä on oikeus säilyttää identiteettinsä. Koska nusinerseenihoitoa annetaan pienille lapsille, niin tässä tulee ottaa huomioon YK:n vammaissopimuksen artikla 7 (Vammaiset lapset), jonka mukaan 2. kaikissa vammaisia lapsia koskevissa toimissa on otettava huomioon ensisijaisesti vammaisen lapsen etu. Vammaisia lapsia koskeva artikla on ns. läpileikkaava artikla ja sitä sovelletaan suoraan myös terveydenhuollon oikeusturvakysymyksissä. Lisäksi yleissopimuksen artikla 10 mukaan vammaisilla henkilöillä on oikeus elämään. Mikäli esimerkiksi vammaiselle lapselle ei nusinerseenihoitoa aloiteta Suomessa, asettaa se haasteen soveltaa YK:n vammaissopimuksen määräyksiä vammaisen SMA –tautia sairastavan lapsen oikeudesta elämään. Esimerkiksi PALKO:n suositusluonnoksesta kohdassa 2. taulukossa 1. käy ilmi, että erityisesti SMA I ennusteena on mahdollinen kuolema 2 ikävuoteen mennessä.

Kohta 7. Terveysongelman ja intervention käytön yleisyys

Fimean arviointiraportin mukaan SMA –taudin ilmaantuvuus Suomessa on hyvin marginaalista (arvio 3-10 uutta tapausta vuosittain). Edelleen raportissa todetaan noin puolen hyötyvän nusinerseeni –hoidosta ja muilla lääkitys lopetettaisiin ensimmäisen hoitovuoden jälkeen. Uuden ja kalliin lääkkeen käyttö tulisi olemaan kuitenkin hyvin rajoitettua ja sen käyttö tulee kohdistaa potilasryhmiin, joissa lääkkeen vaikuttavuus on osoitettu. Hoidon hyötyjen ja perusteiden arviointi edellyttäisi jatkuvaa hoidon seurantaa, mikä mahdollistaisi tiukan valvonnan. Kalliina pidetty hinta on myös riippuvainen lääkkeenvalmistajan ja

12.1.2018

sairaanhoidopiirin käymistä neuvotteluista. Ruotsissa väliaikaisen suosituksen mukaan nusinerseenihoitoa voidaan kuitenkin harkita poikkeustilanteissa tarkasti määritellyille potilaille. Tanskassa nusinerseenihoitoa ei suositella standardihoidoksi lääkkeen hinnan vuoksi, mutta joillakin harvoilla potilailla sitä on kokeiltu sovitulla kriteereillä.

Kohta 12. Eettinen pohdinta

Invalidiliiton mielestä PALKO:n kuvaus oikeudenmukaisuudesta osuu oikeaan, kun todetaan yhtäläisen tarvelähtökohdan määrittävän yhtäläistä palvelun käyttöä ja tästä aiheutuvan seurauksen, että hoitoon käytettävien kustannusten luonnollisena pidetty vaihtelu eri potilasryhmien välillä on suotavaa. Suositusluonnoksessa todetaan, että SMA –tautia sairastavien potilaiden pieni määrä ja siksi lääkkeen budjettivaikutukset koko maan tasolla eivät ole kohtuuttoman suuria. PALKO:n suositusluonnoksen perustelut siitä, ettei tätä seikkaa voida pitää oikeudenmukaisena perusteluna potilaskohtaisen suurten kustannusten hyväksymiselle eikä edes taudin harvinaisuus oikeuta kalliisiin hoitokustannuksiin, ontuvat erittäin pahasti.

YK:n vammaissopimuksen artikla 5 kohdan 4. nojalla erityistoimia, jotka ovat tarpeen vammaisten henkilöiden tosiasiallisen yhdenvertaisuuden saavuttamiseksi ei tarkoita yleissopimuksen kieltämää syrjintää. Perustuslain 6 §:n mukaan ketään ei saa ilman hyväksyttävää perustetta asettaa eri asemaan muun muassa vamman takia. Tämä yhdenvertaisuuslauseke perustuslaissa pitää sisällään sen oikeudellisen tulkinnan, että esimerkiksi harvinaista SMA –tautia sairastavat vammaiset lapset voidaan asettaa tosiasiallisen toimenpiteen eli yhteiskunnan korvaaman harvinaislääkkeen (nusinerseenihoidon) avulla silloin, kun se on todettu vaikuttavan, tosiasiallisesti yhdenvertaiseen asemaan muiden lasten kanssa. Vaikka tämä harvinaislääke ei paranna, niin sen on todettu ehkäisevän kuoleman ja vammautumisen riskiä sekä edistävän siten vammaisen lapsen elämän laatua ja sitä kautta osallisuutta yhteiskunnassa haavoittuvassa asemassa olevien vaikeasti vammaisten lasten kohdalla (positiivinen erityiskohtelu juurikin haavoittuvan aseman takia). YK:n vammaissopimuksen artiklan 25 (Terveys) mukana vammaisilla henkilöillä on oikeus parhaaseen mahdolliseen terveyden tasoon ilman syrjintää vammaisuuden perusteella. Lisäksi artiklan 25 b) alakohdan nojalla sopimuspuolen tulee järjestää ne terveydenhuollon palvelut, joita vammaiset henkilöt tarvitsevat erityisesti vammaisuutensa vuoksi, mukaan lukien varhainen tunnistaminen ja *puuttuminen tarvittaessa* sekä palvelut, joilla *pyritään minimoimaan uusia vammoja, myös mm. lasten keskuudessa*. Nusinerseenihoidon käytölle on todettu löytyvän lääketieteellisiä perusteluita mm. pienentävän kuoleman riskiä.

Kohta 15. Johtopäätökset

PALKO:n suositusluonnoksessa viitataan perustuslakiin, mutta ei kuitenkaan tarkemmin perustella, miten sitä on sovellettu asiakirjassa. Nusinerseenihoidon korvattavuus vammaisten lasten SMA- taudin hoidossa lääketieteellisin perustein on tehty selväksi asiakirjassa. Invalidiliiton näkemyksen mukaan tämän lisäksi astuvat kuvaan mukaan perustuslain mukaiset oikeudelliset perusteet. PALKO:n suositusluonnos kuvaa harvinaislääkehoidon korvattavuutta kontekstissa, joka liittyy pikemminkin perustuslain 19 §:n 3 momenttiin, jotta kaikille ihmisille turvataan riittävät terveyspalvelut. Invalidiliitto haluaa tässä yhteydessä nostaa keskusteluun perustuslain 19 §:n 1 momentin perusteella määräytyvän ihmisarvoisen elämän edellyttämän turvan ja oikeuden välttämättömään huolenpitoon, niille jotka eivät sitä kykene muuten hankkimaan terveyspalvelujen avulla. Tämän lainkohdan sovellettavuus ei siten koske perustellusti kaikkia ihmisiä, vaan erityisesti haavoittuvassa asemassa olevia yksittäisiä vaikeasti vammaisia ihmisiä ja heidän yksilöllisiä tarpeitaan saada harvinaislääkehoitoa lääketieteellisesti hyväksytyllä tavalla. Julkisen vallan on perustuslain 22 §:n mukaan turvattava perus- ja ihmisoikeuksien toteutuminen. Tämä on tietyissä tilanteissa katsottu jopa valtion velvollisuudeksi ja erilainen kohtelu johtuen erilaisista olosuhteista on joskus jopa pakollista tosiasiallisen yhdenvertaisuuden saavuttamiseksi yhteiskunnassa. Siten tämän voidaan perustellusti edellyttää tarkoittavan käytännössä perustuslain 6 §:n yhdenvertaisuuslausekkeen toimeenpanoa hyväksymällä nusinerseenihoidon korvattavuus esimerkiksi

12.1.2018

tietyin edellytyksin vaikeasti sairaille lapsille tai tietyissä tilanteissa poikkeuksellisesti aikuisille, joilla etenevä lihassairaudesta (SMA) ennuste johtaa kuolemaan tai pahempaan vammautumiseen. YK:n vammaissopimuksen artiklan 10 vammaisen oikeus elämään liittyy perustellusti tähän kontekstiin ja tämä ihmisoikeus helposti menetetään, jos vaikuttavaksi todettua lääkettä ei oteta lainkaan käyttöön pelkän korkean kustannuksen vuoksi. Kyse on positiivisesta erityiskohtelusta järjestämällä nusinerseenihoitoa, jonka avulla vammaiset henkilöt voidaan asettaa yhdenvertaiseen asemaan muiden henkilöiden kanssa terveystalvelujen käytössä. Kaikki ihmiset eivät nusinerseenihoitoa halua, tarvitse eivätkä saa, vaan kyse on erittäin rajatusta joukosta ihmisiä ja esimerkiksi lasten kohdalla lapsilainsäädännössä lapsen edun ensisijaisuus menee helposti kaiken muun edelle. Harvinaislääkehoidon aloittaminen kuitenkin edellyttää lääkärin ja potilaan välistä yhteisymmärrystä ja suostumusta henkilön itsensä tai hänen huoltajiensa kanssa. Yhdysvaltalaisen yhteiskuntateoreetikon **John Rawlsin** sanoin: ”Kylmä keskiarvo ei luo oikeudenmukaisuutta”!

Helsingissä 12. päivänä tammikuuta 2018

INVALIDILIITTO RY

Petri Pohjonen
Toimitusjohtaja

Laura Andersson
Yhteiskuntasuhdejohtaja

Lisätietoja antaa: Henrik Gustafsson, lakimies, henrik.gustafsson@invalidiliitto.fi, puh 044 765 0693