

9.8.2019

Sosiaali- ja terveysministeriö  
Terveystieteiden tutkimuskeskus  
annettu 9.8.2019 Otakantaa.fi verkkokyselyyn vastaukset

**Asia: Terveystieteiden tutkimuskeskuksen (Palkon) suositusluonnos  
Nusinerseenin jatkohoidon kriteereistä (STM038:00/2017)**

**Viite: Invalidiliiton lausunto 8.8.2019**

**2. Suosituksen kohderyhmä**

Suosituksen kohderyhmä nusinerseenihoidolle SMA –taudin hoidon aloittaminen näyttää painottuvan vain lapsipotilaisiin varsin tiukkojen kriteerien mukaisesti. Invalidiliitto huomauttaa, että SMA –tauti on etenevä lihassairaus ja sitä sairastavat ovat vaikeavammaisia henkilöitä, joilla on runsaasti toimintarajoitteita ja palvelutarpeita. Heidän sidonnaisuutensa käyttää –palveluja on huomattavasti jopa muita vammaisia henkilöitä suurempi. Määrältään runsas henkilökohtainen apu ja liikkumisen tukena käytettävä sähköpyörätuoli kuuluvat lähes poikkeuksetta arkeen. Näiden seikkojen vuoksi nusinerseenihoidon aloittaminen pitää laajentaa koskemaan myös aikuisia henkilöitä, jotta esimerkiksi itsenäinen suoriutuminen ruokailussa tai peseytymisessä (ml. hampaiden pesu) tai itsenäinen pään hallinnan paraneminen sekä itsenäinen asentojen vaihtaminen yöllä nukkumisessa (vähentää yöheräilyä ja lisää vireystilaa) tulevat mahdolliseksi. Tämä edistää vaikeasti vammaisten henkilöiden itsenäisyyttä ja itsemääräämisoikeutta YK:n vammaissopimuksessa tarkoitetulla tavalla. Nusinerseenihoito vaikeasti vammaiselle aikuiselle SMA –tautiin sairastavalle on perustuslain 6 §:ssä ja yhdenvertaisuuslain 9 §:ssä tarkoitettu positiivinen erityiskohtelu, jonka avulla mahdollistetaan tosiasiallisesti yhdenvertainen oikeus elämiseen arkitoimissa muiden tavoin.

9.8.2019

### 3. Arvioitava menetelmä

Kriteerit on laadittu pääasiassa asiantuntijoiden toimesta, joten on perusteltua esittää asiassa myös vammaisjärjestön, Invalidiliiton näkemyksiä asiaan.

### 6. Hoitovasteen arviointi

Suositusluonnoksessa todetaan, että hoitovasteen arviointi mahdollistaa yhdenvertaiset ja objektiiviset hoitopäätökset. Invalidiliitto ei jaa tätä näkemystä. Keskeisenä nusinerseenihoidon jatkuvuuden edellytyksenä mainitaan osoituksena pidettävä vaikuttavuus ensimmäisen hoitovuoden jälkeen, joka on nähtävissä itsenäisen toimintakyvyn lisääntymisen ja avuntarpeen vähentämisen hoitovaste. Invalidiliitto pitää tätä edellytystä hyvin ongelmallisena.

Ensinnäkin suositusluonnoksessa myönnetään avoimesti ongelma SMA2 –taudin osalta, jossa esim. lasten ja nuorten yksilölliset erot motorisessa suoriutumisessa ovat hyvin suuret ja vanhemmilla potilailla tauti voi näyttäytyä stabiilina lyhyellä seurantavälillä vaikkakin se etenisi. Siksi tuo vuoden määräaika näyttäytyy kohtuuttoman lyhyeltä aikaväliltä tarkastelulle. Tässä on liian monta muuttajaa luotettavaan arviointiin. Nusinerseenin tehoon vaikuttaa niin taudin tyyppi kuin, missä iässä se on annettu ensimmäisen kerran ja yksilölliset tekijät.

Toiseksi avun tarpeen vähentymistä suositusluonnos edellyttää, mutta suositusluonnos keskittyy pelkästään itsenäisen toimintakyvyn kuvailuun eli motoriikkaan. Invalidiliitto katsoo, että avun tarpeen vähentymistä ei pidä käyttää kriteerinä, koska suositusluonnoksesta ei edes selviä, miten avun tarpeen pitäisi vähentyä ja mitä toimintoja tämä koskee. Huolimatta nusinerseenilääkkeen aloittamisesta SMA –lapsi/nuori tai aikuinen voivat tarvita arjessaan henkilökohtaista apua tai apuvälineitä hyvinkin yksilöllisesti. Esimerkiksi terveilläkin pikkulapsilla on lisäksi aina avun tarvetta erilaisissa asioissa eli heitä pitää nostaa tai kantaa vaikkapa silloin, kun he väsyvät. Siksi on hyvin haastavaa arvioida edes avun tarpeen vähentymistä noinkin lyhyessä ajassa lapsella. Lapsethan kehittyvät yksilöllisesti, niin liikkumisessa kuin puhumisessa. Vanhemmuuteen liittyy aina lapsen ohjaus ja valvonta. Suosituksesta ei selviä, miten eriteltäisiin henkilön normaaliin ikäkauteen liittyvä kehitys ja SMA-taudin nusinerseenihoidon lääkevasteen antaman avuntarpeen väheneminen erilaisissa arkitoimissa. Aikuisiksi kasvaneilla, mutta lapsena alun perin nusinerseenihoidon saaneilla SMA –potilailla jo ikääntyminen tuo uusia toimintarajoitteita ja mahdollisia sairauksia. Niissä tapauksissa avun tarpeen vähentymistä juuri nusinerseenistä johtuen on huomattavan haastavaa arvioida.

9.8.2019

*Invalidiliitto yhtyy SMA Finland ry:n näkemykseen siitä, että perusteltavissa oleva nusinerseenihoidon jatkamiskriteerinä on se, että hoitoa jatketaan ellei nähdä selvää pitkäaikaista heikkenemistä useammalla mittauskerralla todettuna.* Nusinerseenilääke hidastaa tai estää SMA -taudin etenemistä, mutta se ei kuitenkaan paranna potilasta. Kyse on etenevästä lihassairaudesta ja vaikeasti vammaisista ihmisistä tässä nusinerseenihoitoa saavassa potilasryhmässä.

## 9. Yhteenveto suosituksesta

Suositusluonnoksesta käy ilmi, että nusinerseenin jatkohoidon kriteeristöä on työstetty Palkon, lääkejaoston sekä kliinisten asiantuntijoiden kanssa aktiivisessa vuorovaikutuksessa. Sitten viittauksenomaisesti mainitaan, että myös SMA –lasten vanhempien näkökulma on huomioitu. Invalidiliitto huomauttaa, että YK:n vammaissopimuksen artiklan 4.3 mukaan vammaisia henkilöitä koskevassa päätöksenteossa ja lainsäädännön valmistelussa sekä toimeenpanossa tulee neuvotella tiiviisti vammaisten henkilöiden kanssa ja aktiivisesti osallistaa heidät, mukaan lukien vammaiset lapset. Suositusluonnoksen kuvauksen perusteella vain asiantuntijat on osallistettu tiiviisti ja pidetty yksi keskustelutilaisuus vammaisten lasten vanhemmille. Tällainen menettely ei täytä YK:n vammaissopimuksen vaatimuksia.

## Yleisarvio suosituksesta

### Täysin hyödytön 1 ... Erittäin hyödyllinen 5

#### Täysin hyödytön 1

**Perustelut:** Suositus ei perustu aitoon yhdenvertaisuuteen. Myös aikuisilla SMA –potilailla tulee olla oikeus nusinerseenihoitoon ja kriteerit hoidon saatavuudelle ovat liian tiukat johtuen aikamääreistä ja epäselvästä kuvauksesta.

#### Onko suositusluonnos ymmärrettävä?

Suositus ei ole ymmärrettävä, koska nusinerseenilääkkeen hoitovasteen kriteeriä eli avuntarpeen vähentymistä ei kuvata lainkaan, missä toimissa ja miten avuntarpeen pitäisi vähentyä potilaalla.

9.8.2019

INVALIDILIITTO RY

Helsingissä 9. elokuuta 2019

Petri Pohjonen  
pääjohtaja

Laura Andersson  
yhteiskuntasuhdejohtaja

Lisätietoja: Henrik Gustafsson, lakimies, [henrik.gustafsson@invalidiliitto.fi](mailto:henrik.gustafsson@invalidiliitto.fi)