

## INVALIDILIITTO RY:n LAUSUNTO

### Palkon suositusluonnos Zolgensma -lääkkeestä SMA- taudin hoidossa

Viite: STM051:00/2020 VN/28713/2020

Linkki kyselyyn: <https://www.otakantaa.fi/fi/hankkeet/62/osallistuminen/1159/kysely/>

Vastaajan nimi: Henrik Gustafsson

Vastaajan organisaatio: Invalidiliitto ry

Onko kysymyksessä organisaation virallinen kannanotto? Kyllä

Vastaajan tausta: Potilaita tai asiakkaita edustava järjestö

#### Kommentoi kappaletta 1. Suosituksen kohde, rajaukset ja tietopohja (sivu 1)

Invalidiliitto katsoo, että Palkon suositus Zolgensma - lääkehoidosta SMA-taudin (spinaalinen lihasatrofia) hoitoon on pelkästään nyt kommenteilla olevaa harvinaislääkettä laajempi kysymys. Tämä käy ilmi monilta osin myös tästä Palkon suosituksesta, jossa on esitetty arvioita aiemmasta SMA -taudin hoitoon tietyin edellytyksin hyväksytystä nusinerseeni - lääkkeestä ja risdiplam -lääkkeestä. Siten Invalidiliiton lausunto koskee yleisemmin harvinaislääkehoitoa SMA-taudin hoidossa.

Invalidiliitto katsoo, että Zolgensma lääkehoito SMA -taudin hoidossa on kannatettava ja perusteltu. Palkon suosituksen rajausta vain SMA 1 -tyyppiin ja SMN2 -geenin 3 kopiota on liian suppea eikä ole yhdenvertainen ratkaisu SMA -tautiryhmä sisällä. SMA 2 ja SMA 3 - tautiryhmän jättäminen Zolgensma -lääkehoidon ulkopuolelle perustellaan vain riittämättömällä tietopohjalla. Palkon vuonna 2017 linjaamaa nusinerseenilääkehoitoa on ollut mahdollista antaa tietyin edellytyksin SMA 1 - 2 tautiryhmään kuuluville. Vaikka Zolgensma - lääkehoidon antaminen poikkeaa nusinerseenilääkehoidosta, niin molempien lääkehoitojen tarkoituksena on ehkäistä ja hidastaa etenevään lihassairauteen liittyvää potilaan toimintakyvyn alenemista päivittäisissä toiminnoissa.

#### Kommentoi kappaletta 2. Terveysongelma (sivu 1)

Terveysongelmana spinaalinen lihasatrofia eli SMA -tauti on harvinaissairaus, joka on tyypiltään etenevä. Ennen harvinaislääkkeiden kehittämistä (mm. nusinerseeni, Zolgensma) tähän tautiin liittyvä hoito oli vain hyvin pieneltä osin vaikuttavaa ja pääosin ylläpitävää. Invalidiliiton mielestä Palkon suositusluonnoksesta puuttuu keskeinen oikeudellinen sääntely, vaikka jopa SMA -tautiryhmän sisällä tehdään vammaisten ihmisten perusoikeuksiin selkeitä rajauksia lääketieteellisen hoidon saatavuudessa. Suomen perustuslain 22 §:n mukaan julkisen vallan on turvattava perus- ja ihmisoikeuksien toteutuminen. Edelleen perustuslain 19 §:n 1 momentin mukaan (oikeus sosiaaliturvaan) ”jokaisella, joka ei kykene hankkimaan ihmisarvoisen elämän edellyttämää turvaa, on oikeus välttämättömään huolenpitoon.” SMA -taudin eteneminen johtaa jossakin elämän vaiheessa potilaan

28.9.2021

toimintakyvyn alenemiseen siten, että voidaan puhua vaikeasti vammaisesta ihmisestä, jolloin oikeus välttämättömään huolenpitoon sote -palveluiden avulla syntyy.

YK:n vammaisten henkilöiden oikeuksia koskevassa yleissopimus on Suomessa ratifioitu 10.6.2016 ja lakitasoisena maassamme voimassa. Yleissopimuksen artiklassa 1 (Tarkoitus) on vammaisuutta koskeva kuvaus: ”vammaisiin henkilöihin kuuluvat ne, joilla on sellainen pitkäaikainen ruumiillinen, henkinen, älyllinen tai aisteihin liittyvä vamma, joka vuorovaikutuksessa erilaisten esteiden kanssa voi estää heidän täysimääräisen ja tehokkaan osallistumisensa yhteiskuntaan yhdenvertaisesti muiden kanssa.” Vaikka lähtökohtaisesti vammaisuus ja sairaus eroavat toisistaan mm. siten, ettei jälkimmäinen yleensä jätä toimintakyvyn rajoitetta, niin erityisesti pitkäaikaissairaus voi vammauttaa. SMA -tauti pitkäaikaissairautena ja voimakkaasti ajan myötä potilaan toimintakykyyn vaikuttavana merkitsee YK:n vammaissopimuksessa tarkoitettua vammaisuutta.

YK:n vammaissopimuksen 25 artiklan (Terveys) mukaan ”sopimuspuolet tunnustavat, että vammaisilla henkilöillä on oikeus parhaaseen mahdolliseen terveyden tasoon ilman syrjintää vammaisuuden perusteella. Sopimuspuolet erityisesti (b-alakohta) järjestävät ne terveydenhuoltopalvelut, joita vammaiset henkilöt tarvitsevat erityisesti vammaisuutensa vuoksi, mukaan lukien varhainen tunnistaminen ja puuttuminen tarvittaessa, sekä palvelut, joilla pyritään minimoimaan ja estämään uusia vammoja, myös lasten ja vanhusten keskuudessa.” Invalidiliiton mielestä Palkon suositusluonnoksessa kuvatus Zolgensma -lääkehoidon antamisen linjauksissa on otettava huomioon niin kansallinen kuin kansainvälinen oikeudellinen sääntely. Siten SMA -tautiryhmän 1-3 sisällä yksilöllisesti nousee esiin tilanteita, jolloin Zolgensma -harvinaislääkehoidon antaminen on perusteltua oikeudellisesti.

Yhdenvertaisuuslain 1 §:n mukaan julkisen vallan on edistettävä yhdenvertaisuutta. Edelleen saman lain 8 §:n nojalla ketään ei saa syrjiä mm. vammaisuuden tai terveydentilan perusteella. Yhdenvertaisuuslain 13 § kieltää välillisen syrjinnän, jos näennäisesti yhdenvertainen sääntö, peruste tai käytäntö saattaa jonkun muita epäedullisempaan asemaan henkilöön liittyvän syyn perusteella, paitsi jos säännöllä, perusteella tai käytännöllä on hyväksyttävä tavoite ja tavoitteen saavuttamiseksi käytetyt keinot ovat asianmukaisia ja tarpeellisia. Invalidiliitto katsoo, että Palkon suositusluonnos Zolgensma -lääkehoidon kohdentamisesta pitäisi arvioida vielä yhdenvertaisuuslain näkökulmasta, koska siinä ei ole tarkemmin perusteltu SMA 1:n tautiryhmään kuuluvien erilaista kohtelua suhteessa SMA 2 ja SMA 3 –tautiryhmien asemaan.

YK:n vammaissopimuksen artiklan 31 (Tilastot ja tiedonkeruu) nojalla sopimuspuolen tulee sitoutua kokoamaan asianmukaista tietoa, muun muassa tilasto- ja tutkimustietoa, jonka pohjalta ne voivat muodostaa ja toteuttaa menettelytapoja tämän yleissopimuksen soveltamiseksi. Kerätyt tiedot tulee eritellä, mitä ei Palkon suositusluonnoksessa ole SMA 1 -, SMA 2 - ja SMA 3 –tautiryhmien osalta vielä tehty.

### **Kommentoi kappaletta 7. Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat (sivu 8)**

Invalidiliitto katsoo, että Eettisissä ja järjestämiseen liittyvissä näkökohdissa on syytä arvioida myös oikeudellista kehikkoa harvinaislääkehoidon järjestämisen toteuttamiseksi. YK:n vammaissopimuksen paradigma on muuttunut eikä vammaisen henkilö ole enää hoidon

28.9.2021

kohde vaan subjekti, jolle kuuluvat kaikki ihmisoikeudet. Lääketieteellisestä mallista siirtyminen ihmisoikeusmalliin ei kuitenkaan näy Palkon suositusluonnoksessa, vaan terminologiaan ja asian oikeudellisiin suhteisiin on syytä kiinnittää huomiota suosituksen jatkotyöstössä.

Invalidiliiton mielestä esimerkinomaisesti seuraava lause on eriteltävissä paljon yksilöidymmin ilman, että kaikki toiminta kuvataan potilaan kokonaisvaltaisena hoitona. ”Molempiin hoitoihin (Zolgensma ja nusinerseeni; lausunnonantajan lisäys) liittyy yksilön tarpeiden mukainen muu hoito (terapiat, apuvälineet, kodin muutostyöt, ortopediset leikkaukset, hengityksen tukihoido, ravitsemusneuvonta ja – tuki).” Terapiat ja apuvälineet liittyvät sosiaaliturva- ja terveydenhuoltojärjestelmässä lääkinnälliseen kuntoutukseen (mm. Kela ja sairaanhoitopiirien alueelliset apuvälinekeskukset). Kodin muutostyöt ovat kunnan ja jatkossa hyvinvointialueiden vammaisille ihmisille järjestämiä vammaispalvelulain mukaisia erityispalveluita. Ravitsemusneuvonta ja tukikin voivat olla muuta kuin pelkäksi hoidoksi katsottavaa toimintaa eli PEG -ruokintaa.

### **Kommentoi kappaletta 8. Johtopäätökset (sivu 10)**

Invalidiliiton mielestä vammaisvaikutusten arviointi (VAVA) tulee tehdä Palkon suosituksessa. Vammaisvaikutusten arvioinnilla tarkoitetaan sitä, että arvioidaan halutun lääketieteellisen hoidon vaikutuksia tietyn ihmisryhmän eli vammaisten ihmisten hyvinvointiin ja elämän laatuun sekä toimintakykyyn laajasti. Palkon suositusluonnoksessa tehdyt arviot ovat hyvin pistemäisiä ja keskittyvät vain joihinkin ihmisen toimintakyvyn osa-alueisiin. Muutenkin Johtopäätökset -osiossa kuvataan pelkästään lääketieteellistä vaikuttavuutta ja kustannusvaikutuksia.

Invalidiliiton mielestä Zolgensma -harvinaislääkehoidon pitkäaikaisvaikutusten arvioinnissa pikkulapsen pään kannattelu ja istumiskyky tai muut karkeamotoriset taidot eivät ole riittäviä seikkoja toimintakyvyn arvioinnin tueksi Palkon suosituksessa. Invalidiliitto katsoo, että yksilöllisen tarpeen perusteella myös pikkulasta vanhemmalla lapsella, nuorella ja aikuisella SMA -tautiin sairastuneella on oikeus sanottuun harvinaislääkkeeseen. Siten arvioitavia seikkoja pitää Palkon suosituksessa laajentaa koskemaan, mitä vaikutuksia harvinaislääkkeellä on SMA -tautia sairastavan itsenäiseen kävelykykyyn tai ruokailuun, kuten haarukan tai lasin pitämiseen kädessä sekä itsenäiseen kääntymiseen yöllä vuoteessa. SMA -tautia sairastavan itsenäisen kirjoituskyvyn merkittävä heikentyminen taudin etenemisen vaiheessa vaikuttaa puolestaan opiskelijoilla opiskeluun ja esimerkiksi asiantuntijan ammatissa työskentelyyn. Harvinaislääkehoito edistää siten SMA -tautia sairastavan opiskelua ja työelämässä pysymistä. Invalidiliiton mielestä harvinaislääkkeen hinta nousee esiin hyötyjä enemmän, jolloin pitäisi kiinnittää huomiota, mikä vaikutus harvinaislääkkeellä on kaikkien SMA -tautia sairastavan toimintakyvyn parantumisena ja ylläpitämisenä sekä haittojen ehkäisemisessä. Harvinaislääkkeen vaikutuksia pitää arvioida suhteessa ihmisen itsenäiseen suoriutumiseen myös arkipäivän toiminnoissa.

28.9.2021

## **Kommentoi kappaletta 9. Yhteenveto suosituksesta (sivu 11)**

Invalidiliitto katsoo, että Palkon suositusluonnoksessa Zolgensma -lääkehoidossa SMA – tautia sairastaville on kyse terveydenhuoltoon katsottavan hoidon priorisoinnista, koska suosituksessa esitetään tiukkaa rajausta lääkehoidon saamiselle. Kun otetaan huomioon nusinerseeni -lääkehoito, jota voidaan antaa myös SMA 2 –tautiryhmiin kuuluville ja lisäksi risdiplam –hoito, niin herää kysymys, miksi valtaosa SMA –tautia sairastavista ei saa tarpeenmukaista lääkehoitoa etenevän lihassairauden estämiseksi tai ainakin hidastamiseksi ihmisarvoisen elämän saavuttamisessa? Invalidiliitto katsoo, että ylipäätään harvinaisen etenevän lihassairauden eli SMA –tautiin sairastuneille tulisi positiivisena erityiskohteluna sallia yksilöllisen tarpeen mukainen lääkehoito. Hoidon priorisointikeskustelu ei saa johtaa kohtuuttomiin tilanteisiin minkään potilasryhmän kohdalla eikä kylmä keskiarvo luo oikeudenmukaisuutta. Muodollisesta yhdenvertaisuudesta pitäisi siirtyä tosiasialliseen yhdenvertaisuuteen silloin, kun on esitettävissä asianmukaisia oikeudellisia perusteita. Perustuslain 6 §:n 2 momentin mukaan ketään ei saa ilman hyväksyttävää perustetta asettaa eri asemaan muun ohessa iän, terveydentilan, vammaisuuden tai muun henkilöön liittyvän syyn perusteella. Perustuslain esityöt sallivat siten erilaisen kohtelun hyväksyttävästä syystä. Tällä tarkoitetaan toimenpiteitä erityisen haavoittuvassa asemassa olevien ryhmien kuten vaikeasti vammaisten ihmisten aseman saattamiseksi tosiasiallisesti yhdenvertaiseen asemaan muiden kanssa.

Edelleen positiivisesta erityiskohtelusta säädetään yhdenvertaisuuslain 9 §:ssä, jonka nojalla sellainen oikeasuhtainen erilainen kohtelu, jonka tarkoituksena on tosiasiallisen yhdenvertaisuuden edistäminen taikka syrjinnästä johtuvien haittojen ehkäiseminen tai poistaminen, ei ole syrjintää. YK:n vammaissopimuksen artiklan 5 (Tasa-arvo ja yhdenvertaisuus) 4. alakohdan mukaan erityistoimia, jotka ovat tarpeen vammaisten henkilöiden tosiasiallisen yhdenvertaisuuden jouduttamiseksi tai saavuttamiseksi, ei katsota tämän yleissopimuksen tarkoittamaksi syrjinnäksi.

Invalidiliiton esittämällä perus- ja ihmisoikeuksiin liittyvillä perusteilla mm. yhdenvertaisuus ja sosiaaliturvaan sisältyvä välttämätön huolenpito, olisi perusteltua arvioida vielä esitetyn lääkkeen korvattavuuden hyötysuhdetta myös muiden SMA -tautiryhmien ja aikuisten osalta.

### **Yleisarvosanasi suosituksesta**

Asteikolla 1-5: Kuinka hyödyllisenä pidät ehdotettua suositusta? 1=matalin arvosana, 5=korkein arvosana **3**

### **Perustele antamasi arvosana**

Koska Palkon suositusluonnos jättää yksilöllisesti perustellun ja tarpeen mukaisen lääkehoidon soveltamisen ulkopuolelle osan SMA -tautiin sairastuneista, niin korkeampaa arvosanaa ei voida antaa tässä vaiheessa.

Helsingissä 28.9.2021



LAUSUNTO

5 (5)

28.9.2021

INVALIDILIITTO RY

Janne Juvakka  
toimitusjohtaja

Laura Andersson  
yhteiskuntasuhdejohtaja

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