

21.10.2020

TERVEYDENHUOLLON PALVELUVALIKOIMANEUVOSTON KOKOUS NRO 2 /2020 TOIMIKAUSI 2020-2023

Aika 25.9.2020 klo 12.00-16.00

Paikka Sosiaali- ja terveysministeriö, Meritullinkatu 8, Nh Meritullisali / Skype

Osallistujat x Sirkku Pikkujämsä, puheenjohtaja

Jäsenet

x Annakaisa Iivari, varapj (e)
(avoin)
x Janne Leinonen, varapj. (e)
- Kaisa Riala
x Päivi Koivuranta (e)
x Vesa Kiviniemi (e), ei k. 4
x Marja Pöllänen (e), ei k. 9
x Juha Auvinen (e)
x Miia Turpeinen (e)
x Teppo Heikkilä
x Heikki Lukkarinen (e)
x Juhani Sand (e)
x Katri Vehviläinen-Julkunen (e)
- Mirva Lohiniva-Kerkelä
x Ismo Linnosmaa (e)

Varajäsenet

- Jaska Siikavirta
x Minna-Liisa Luoma
- Kirsi Vainiemi
x Jussi Holmalahti (e)
x Tuula Kock (e)
x Kari Punnonen
- Minna Kaila
- Riitta Aejmelaesus
- Juha Korpelainen
x Anu Maksimow (e)
- Sirkku Jyrkkiö
- Sari Mäkinen
x Teuvo Antikainen (e)
x Juha Alanko (e)
x Marina Kinnunen (e)

Pysyvä sihteeristö

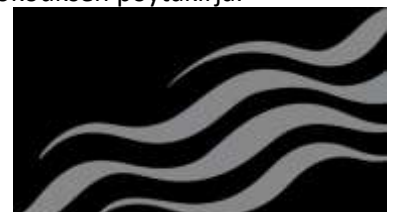
x Ilona Autti-Rämö, pääsihteeri
x Sari Koskinen, erityisasiantuntija
x Reima Palonen, erityisasiantuntija
x Sinikka Sihvo, erityisasiantuntija
x Leena Alanne, assistentti

Asiantuntijat

1. Avaus, kokouksen osallistujat, päätösvaltaisuus ja edellisen kokouksen pöytäkirja (14.8.2020), liite 1

Todettiin, että STM on myöntänyt lääkintöneuvos Sirkku Pikkujämsälle eron Palkon jäsenyydestä THL:n edustajana ja nimennyt hänet Palkon puheenjohtajaksi Päivi Sillanaukeen virkavapaan ajaksi 1.9.2020-31.5.2021.

Päätös: Puheenjohtaja avasi kokouksen klo 12.00. Todettiin kokouksen osallistujat ja päätösvaltaisuus. Merkittiin tiedoksi edellisen kokouksen pöytäkirja.



Hyväksyttävät suositukset

2. Vastasyntyneiden vaikean immuunivajeen (SCID) seulonta, liitteet 2a-d, *Ilona Autti-Rämö*

Palkon 11.6.2020 kokouksessa hyväksymä suositusluonnos ja sen valmistelumuistio ovat olleet otakantaa.fi palvelussa. SCID-jaosto on käsitellyt annetut 8 kommenttia ja tehnyt niiden edellyttämät perustellut muutokset, jotka esiteltiin neuvostolle.

Päätös: Hyväksyttiin suositus, valmistelumuistio sekä suosituksen tiivistelmä.

3. Epäterveellisen ravitsemuksen ja vähäisen liikunnan aiheuttaman sairastumisriskin pienentäminen elintapaohjauksella ja omahoidon tuella, liitteet: 3a-c, *Sari Koskinen*

Suositusluonnos oli kommentoitavana otakantaa.fi –palvelussa 25.8.20 saakka. Siihen antoi palautetta 35 vastaajaa. Elo-jaosto kävi kokouksessaan 7.9.20 läpi saadun palautteen ja teki niiden pohjalta suositusluonnokseen joi-takin muutoksia.

Päätös: Hyväksyttiin suositus, valmistelumuistio täydennettynä hyväksymi-seen osallistuneilla Palkon jäsenillä sekä tiivistelmä.

Otakantaa-komentointiin hyväksyttävät suositusluonnokset

4. Brolusitsumabi kostean silmänpohjan ikärappeuman hoidossa, liite 4, *Sinikka Sihvo*

Käsiteltiin lääkejaoston valmistelemaa suositusluonnosta. Koska valmisteella on myyntiluvan myöntämisen jälkeen raportoitu vakavia haittatapahtumia, päädyttiin esittämään poissulkevaa suositusta.

Päätös: Hyväksyttiin suositusluonnos vietäväksi otakantaa.fi-palveluun.

Muut päätettävät asiat

5. Suosituskokonaisuuden rakenne, liitteet 5a-c, *Reima Palonen*

Puheenjohtajien jaosto on yhdessä sihteeristön kanssa valmistellut suosituk-sen, valmistelumuistio ja tiivistelmän mallipohjat, joissa on huomioitu kesä-kuussa hyväksytyyn käsikirjan sisältö. Kuvaamalla aiempaa tarkemmin eri doku-menttien sisällöt ja tekniset yksityiskohdat yhdenmukaistetaan suosituksia ja



tehostetaan toimintaa. Mallipohjien sisältöä voidaan käyttökokemuksen perusteella muuttaa vapaammin. Lääkesuosituksia varten tehdään oma pohjansa, koska niistä ei laadita valmistelumuistiota.

Päätös: Hyväksyttiin mallipohjat käytettäväksi tämän päivän jälkeen aloitettavissa suosituksissa. Pohjissa olevia sanamuotoja ja elementtejä voidaan kuitenkin ottaa mukaan myös jo työn alla oleviin suosituksiin.

6. Huume- ja lääkeriippuvuudet, liite 6, *Ilona Autti-Rämö*

Miepä-jaosto kokoontui uudessa kokonpanossa 8.9.2020 ja tarkensi suosituksen tarvetta, tavoitetta sekä kirjallisuuskatsauksen päivitystarvetta. Huume- ja lääkeriippuvuuden hoito toteutuu Suomessa eri alueilla hyvin eri tavoin. Järjestäjillä ei ole kovin hyvää tietoa siitä, mitä eri palvelut sisältävät. Suositus kohdennetaan huume- ja lääkeriippuvuuden hoitomenetelmiin huomioiden eri hoitoportaiden tarpeet ja hoidon jatkuvuus. Kirjallisuuskatsaus on osin vanhentunut ja se ehdotettiin päivitettäväksi samoilla PICO määrittelyillä kuin alkuperäinen rajaten se huume- ja lääkeriippuvuuden hoitoon.

Päätös: Päätettiin, että hankitaan kirjallisuuskatsauksen päivitys samalla PICO-asetelmalla kuin aiempi katsaus teetettiin.

7. Atetsolitsumabi yhdessä platinapohjaisen hoidon kanssa ensi linjan hoidossa uroteelisyövässä, *Reima Palonen*

Lääkejaosto ei käsitellyt asiaa 21.9, koska lääkeyritykselle tulee ensin antaa mahdollisuus antaa vastine.

Päätös: Siirrettiin käsiteltäväksi seuraavassa kokouksessa.

8. Huonon unihygienian aiheuttaman sairastumisriskin pienentäminen elintapaohjauksella ja omahoidon tuella, *Sinikka Sihvo*

Elo-jaosto todennut, ettei systemaattisen kirjallisuuskatsauksen antama tietopohja ole riittävä suositusvalmistelun jatkamiseksi. Jos suosituksen laatimista jatketaan, tarvitaan ongelman uudelleenmäärittely ja uusi kirjallisuushaku. Lisäksi Palkon suositus tulisi hyvin lähelle Käypä hoidon Unettomuus- suositusta, joka on päivitetty kesäkuussa 2020.

Päätös: Hyväksyttiin, että sihteeristö selvittää syksyn aikana suosituksen jatkovalmistelun edellytyksiä.



9. Palkon asiantuntijat, liite 9, *Ilona Autti-Rämö*

Palveluvalikoimaneuvostolla on terveydenhuoltolain mukaan asiantuntijoiden verkosto. Asiantuntija voi tarpeen mukaan osallistua neuvoston ja jaostojen kokouksiin ja toimia myös yhteishenkilönä muihin palveluvalikoimaan vaikuttaviin toimijoihin. Asiantuntijalla ei ole kokouksissa päätösvaltaa, mutta hän voi kommentoida oman asiantuntemuksensa pohjalta suositukseen vaikuttavia tekijöitä.

Päätös: Valittiin liitteen 9 mukaiset henkilöt Palkon asiantuntijoiksi 30.6.2023 päättyvän toimikauden loppuun.

10. Jaostojen täydentäminen, *Sari Koskinen*

Palko hyväksyi kokouksessaan 14.8.20 mm. Miepä-, Tules- ja Elo-jaostojen perustamisen ja kokoonpanon. Samalla sovittiin, että jaostojen kokoonpanoa voidaan seuraavassa kokouksessa täydentää Palkon jäsenillä tai varajäsenillä.

Professori Ismo Linnosmaa Itä-Suomen yliopistosta on Palkon jäsen ja hän vahvistaa Miepä-jaoston terveystaloustieteellistä osaamista.

Asiantuntijalääkäri Tuula Kock Kuntaliitosta on Palkon varajäsen. Hän on yleislääketieteen erikoislääkäri ja hänellä on monipuolista osaamista sekä kokemusta Elossa valmisteilla olevista aiheista.

Tules-jaostoon ei vielä edellisessä kokouksessa valittu STM:n edustajaa. Lääkintöneuvos Sirkku Pikkujämsä vastaa jatkossa mm. erikoissairaanhoidon ja terveydenhuollon keskittämiseen liittyvistä asioista.

Muutettu päätösehdotus:

- a) Valitaan Tuula Kock Elo-jaoston jäseneksi 30.6.2023 saakka.
- b) Valitaan Ismo Linnosmaa sekä Minna-Liisa Luoma Miepä-jaoston jäseniksi 30.6.2023 saakka.
- c) Valitaan Sirkku Pikkujämsä tuki- ja liikuntaelinten sairauksien jaoston jäseneksi 30.6.2023 saakka.

Päätös: Hyväksyttiin em. henkilöt jaostojen jäseniksi 30.6.2023 saakka.

11. Lausunto remdesiviiri-lääkkeen käytöstä COVID-19-taudin hoidossa, *Reima Palonen*

STM on pyytänyt palveluvalikoimaneuvostolta lausuntoa remdesiviiri-lääkkeen käytöstä COVID-19-taudin hoidossa. Fimea on laatinut lääkkeestä [arviointikoosteen](#).



Lausunto koskee säännöstelyn edellytyksiä tilanteessa, jossa lääkettä ei riitä kaikille potilaille, jotka lääketieteellisesti arvioiden tarvitsisivat sitä. Todettiin erikseen, että lausunnolla ei voida määrittellä palveluvalikoimaa, vaan se on suositusta heikompi ohjausvaikutukseltaan.

Keskusteltiin lausunnon antamisen oikeudellisesta perustasta ja tämän hetkestä näytön asteesta, joka on epävarma. Tällä hetkellä remdesiviiriä annetaan Suomessa potilaille vain lääketutkimuksessa. Jos näytön aste tutkimustulosten valmistuessa vahvistuu ja remdesiviirin voidaan osoittaa olevan vaikuttavaa, on todennäköistä, että tarvitaan säännöstelyn periaatteita lääkkeen rajallisen saatavuuden vuoksi. Keskusteltiin näistä periaatteista.

Todettiin mm., että lausunnossa tulee tuoda ilmi tämän hetkisen näytön epävarmuus ja pohdittiin, onko ylipäänsä mahdollista antaa lausuntoa. Todennäköisesti epidemia kuitenkin kiihtyy loppuvuoden aikana ja lääkkeen säännöstelyn tarve voi tulla ajankohtaiseksi.

Päätös: Lausuntoa muokataan Palkon antaman ohjeistuksen mukaiseksi sihteeristön toimesta ja Palko hyväksyy sen sähköpostikokouksella.

Keskusteltavat asiat, tiedoksi

12. Tilannekatsaus, *Reima Palonen*

Suun terveydenhuollon jaosto kokoontui 28.8.2020 viimeistelemään PICO-asetelmaa kirjallisuuskatsauksen hankintaa varten. Toimeksiantotarjouksia voidaan ryhtyä lähettämään puitesopimusmenettelyssä valituille toimijoille, kun menettelyn tekniset yksityiskohdat saadaan viimeistelyä sihteeristössä.

Päätös: Merkittiin tiedoksi.

13. Huonon suuhygienian aiheuttaman sairastumisriskin pienentäminen elintapaohjauksella ja omahoidon tuella, *Sari Koskinen*

Jaosto kävi läpi kokouksessaan 7.9.20 suosituksen valmistelun tilanteen ja jatkaa valmistelua seuraavassa kokouksessaan lokakuussa.

Päätös: Merkittiin tiedoksi.

14. Tilannekatsaus suosituksesta lanneselän luudutuskirurgia ja sen jälkeinen kuntoutus, *Reima Palonen*

Jaosto kokoontui 11.9.2020 käsittelemään lähes valmista kirjallisuuskatsausta. Suositusluonnos pyritään saamaan hyväksyttäväksi 4.11. kokoukseen lähetettäväksi otakantaa.fi-komentointiin.

Päätös: Merkittiin tiedoksi.



15. Selvityshenkilöiden raportti palveluvalikoiman muodostumisen periaatteista, *Ilona Autti-Rämö*

Selvityshenkilöt professori Minna Kaila ja apulaisprofessori Mirva Lohiniva-Kerkelä ovat kartoittaneet palveluvalikoiman muodostumista ohjaavia tekijöitä sekä eri tahojen antamien suositusten keskinäistä roolia. Raportissa esitetyissä toimenpide-ehdotuksissa korostuu tarve palveluvalikoimaan kuulumisen periaatteiden ja prosessien selkeyttämisen sekä niitä koskevan lainsäädännön muutostarve. Esitettiin raportin keskeinen sisältö ja ehdotukset.

Päätös: Keskustellaan tarkemmin raportin sisällöstä Palkon seuraavassa kokouksessa, kun selvityshenkilöt ovat läsnä.

Muut asiat

16. Ilmoitusasiat, *Ilona Autti-Rämö*

- Sidosryhmäyhteistyö
 - 17.9 Lääkäriliiton järjestämä tilaisuus lääkkeiden hallitusta käytöstä
 - Kansallinen lääkkeiden hankintaneuvottelu käynnistyy
 - Suunnitteilla tiede- ja terveystoimittajille kohdennettu tilaisuus HILAn kanssa
- Puitesopimus systemaattisten kirjallisuuskatsausten hankkimiseksi, *Sari Koskinen*
- Muistutus sidonnaisuuskyselyyn vastaamisesta
- Pidetään seminaari tulevista aihevalinnoista ja Palkon 2021 toimintasuunnitelmasta 4.11, ennen Palkon kokousta
- Syksyn kokoukset:
 - 4.11.2020
 - 16.12.2020



17. Kokouksen päätös

Puheenjohtaja Sirkku Pikkujämsä

Pääsihteeri Ilona Autti-Rämö

Erityisasiantuntija Sari Koskinen

Erityisasiantuntija Reima Palonen

Erityisasiantuntija Sinikka Sihvo

LIITTEET

Liite 1 Palkon kokouksen pöytäkirja 14.8.2020
Liite 2a Yhteenveto SCID Ota kantaa kommenteista
Liite 2b Suositus SCID-seulonta
Liite 2c Valmistelumuistio SCID-seulonta
Liite 2d Tiivistelmä SCID-seulonta
Liite 3a Elintapaohjaus /Ravitsemus ja liikunta -suositus
Liite 3b Elintapaohjaus /Ravitsemus ja liikunta -valmistelumuistio
Liite 3c Elintapaohjaus /Ravitsemus ja liikunta -suosituksen tiivistelmä
Liite 4 Brolusitsumabi suositusluonnos
Liite 5a-c Suosituksen, valmistelumuistion ja tiivistelmän mallipohjat
Liite 6 Kirjallisuushaun päivitys
Liite 9 Palkon asiantuntijoiksi ehdotettujen esittely

JAKELU

Neuvoston varsinaiset jäsenet ja varajäsenet
Asiantuntijat
Sihteeristö



25.8.2020

**TERVEYDENHUOLLON PALVELUVALIKOIMANEUVOSTON KOKOUS NRO 1/2020
TOIMIKAUSI 2020-2023**

Aika 14.8.2020 klo 12.10-16.00
Paikka Valtiovarainministeriö, Nh Paja, Mariankatu 9 /Skype
Osallistujat x Päivi Sillanaukee, puheenjohtaja

Jäsenet

- Annakaisa Iivari, varapj
x Sirkku Pikkujämsä, varapj
x Janne Leinonen, varapj., k. 1-14
- Kaisa Riala
x Päivi Koivuranta, etä
x Vesa Kiviniemi, etä
x Marja Pöllänen
x Juha Auvinen, etä
x Miia Turpeinen, etä
- Teppo Heikkilä
x Heikki Lukkarinen
x Juhani Sand, etä, k. 1-2
- Katri Vehviläinen-Julkunen
x Mirva Lohiniva-Kerkelä, etä
x Ismo Linnosmaa

Varajäsenet

- Jaska Siikavirta
x Minna-Liisa Luoma
x Kirsi Vainiemi
x Jussi Holmalahti
- Tuula Kock
x Kari Punnonen, etä
x Minna Kaila, etä
x Riitta Aejmelaeus, k.1-3
- Juha Korpelainen
x Anu Maksimow, etä
x Sirkku Jyrkkiö, etä
- Sari Mäkinen
x Teuvo Antikainen, k.1-14
x Juha Alanko
x Marina Kinnunen, etä

Pysyvä sihteeristö

x Ilona Autti-Rämö, pääsihteeri
x Sari Koskinen, erityisasiantuntija
x Reima Palonen, erityisasiantuntija
x Sinikka Sihvo, erityisasiantuntija
x Leena Alanne, assistentti

1. Avaus, kokouksen osallistujat, päätösvaltaisuus ja edellisen kokouksen pöytäkirja (11.6.2020), *Liite 1*

Puheenjohtaja avasi kokouksen klo 12.10.

Jäsenten esittely ja edellisen kokouksen pöytäkirja tiedoksi.

Päätös: Todettiin kokouksen osallistujat ja päätösvaltaisuus.



2. Palkon toiminnan esittely, *Ilona Autti-Rämö/ Reima Palonen, Liite 2*

Esiteltiin Palkon perustamisen taustat ja tehtävät sekä palveluvalikoiman määrittelyn periaatteet. Palkon roolin selkeyttäminen ja arviointiprosessien kehittäminen jatkuvat. Todettiin, että Palkon uusi käsikirja julkaistaan muutaman viikon sisällä palveluvalikoimaneuvoston kotisivuilla.

Esiteltiin Palkon aiempien toimikausien toimintaa ja todettiin Palkon toiminnan laajentuneen huomattavasti Palkon perustamisesta vuodesta 2014. Esitettiin tunnistetut lähitulevaisuuden haasteet.

3. Työn alla olevat suositukset

- SCID-seulonta
- Huume-, lääke- ja peliriippuvuuksien hoito ja kuntoutus
- Elintapamuutosta tukevat tekijät elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmissä huonon suuhygienian ja huonon unihygienian aiheuttaman sairastumisriskin pienentämiseksi
- Lanneselän luudutuskirurgia ja sen jälkeinen kuntoutus
- Pitkälle vaurioituneiden hampaiden korjaamisesta suun ulkopuolella valmistetuilla paikoilla/täytteillä ja kruunuilla
- Zynteglo β -thalassemian hoidossa
- Brolusitsumabi silmänpohjan kostean ikärappeuman hoidossa

Seulonta-jaosto: SCID

4. Seulontajaosto: SCID:n perustaminen, *Ilona Autti-Rämö, Liite 4*

SCID-seulontaa koskeva suositus on otakantaa.fi palvelussa kommentoitavana 21.8 asti. Perustetaan jaosto suositusvalmistelun viimeistelyä varten. Ehdotetaan, että jaosto jatkaa aikaisemmassa kokoonpanossa.

Päätös: Hyväksytään jaoston perustaminen ja kokoonpano

Mielenterveys- ja päihdepalvelujen jaosto

5. Mielenterveys- ja päihdepalvelujen jaosto (Miepä-jaosto) perustaminen, *Sari Koskinen, Liite 5*

Edellisen toimikauden Miepä-jaosto valmisteli riippuvuuksien hoidon ja kuntoutuksen suosituskokonaisuutta. Kokonaisuudesta julkaistiin alkoholiriippuvuutta koskeva suositus kesäkuussa. Jaosto aloitti myös huume-, lääke- ja peliriippuvuuksien hoito ja kuntoutus -suositusten valmistelun. Kognitiivinen adaptaatio asumisen tukea tarvitsevan skitsofreniapotilaan kuntoutuksena –suosituksen valmistelu aloitettiin teettämällä systemaattinen kirjallisuuskatsaus.



Ehdotetaan Miepä-jaoston perustamista ja sille liitteestä 5 ilmenevää kokoonpanoa.

Päätös: Hyväksyttiin jaoston perustaminen ja kokoonpano ja sovittiin, että jaostoa täydennetään tarvittaessa seuraavassa kokouksessa.

Elintapa ja omahoito –jaosto

6. Elintapa ja omahoito –jaoston (Elo-jaoston) perustaminen, *Sari Koskinen, Liite 6*

Edellisen toimikauden Elo-jaosto valmisteli elintapamuutosta tukevat tekijät elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmissä - suosituskokonaisuutta. Kokonaisuudesta julkaistiin tupakoinnin lopettamisen tukemista koskeva suositus kesäkuussa. Epäterveellistä ravitsemusta ja vähäistä liikkumista koskeva suositus on otakantaa.fi palvelussa kommentoitavana 23.8 asti. Jaosto aloitti myös suositusvalmistelut aiheista: elintapamuutosta tukevat tekijät elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmissä huonon suuhygienian ja huonon uni-hygienian aiheuttaman sairastumisriskin pienentämiseksi. Kummankin suosituksen valmistelumuistiota on työstetty sihteeristössä ja jaostossa jo melko pitkälle.

Ehdotetaan Elo-jaoston perustamista ja sille liitteestä 6 ilmenevää kokoonpanoa.

Päätös: Hyväksyttiin jaoston perustaminen ja kokoonpano täydennettynä Teuvo Antikaisen jäsenyydellä.

Tuki- ja liikuntaelinten sairauksien jaosto

7. Tuki- ja liikuntaelinten sairauksien jaoston (Tules-jaosto) perustaminen, *Reima Palonen, Liite 7*

Palko on valmistellut selkäsairauksia koskevaa suosituskokonaisuutta, josta lannelselän luudutuskirurgiaa ja sen jälkeistä kuntoutusta koskeva suositus on neljäs ja viimeinen. Sitä koskeva kirjallisuuskatsaus valmistuu loppukesästä.

Ehdotetaan tuki- ja liikuntaelinten sairauksien jaoston perustamista ja sille liitteestä 7 ilmenevää kokoonpanoa.

Päätös: Hyväksyttiin jaoston perustaminen ja kokoonpano.

Suun terveydenhuolto

8. Suun terveydenhuollon jaoston (Sute-jaosto) perustaminen, *Sari Koskinen, Liite 8*

Palkon edellisellä toimikaudella perustettiin Sute-jaosto valmistelemaan suositusta Pitkälle vaurioituneiden hampaiden korjaamisesta suun ulkopuolella valmistetuilla paikoilla/täytteillä ja kruunuilla. Jaosto on kokoontunut kaksi kertaa



Ehdotetaan Sute-jaoston perustamista ja, että jaosto jatkaa muutoin aikaisemmassa kokoonpanossa paitsi, että sille valitaan uusi puheenjohtaja liitteen 8 mukaisesti.

Päätös: Hyväksytään jaoston perustaminen ja kokoonpano.

Lääkejaosto

9. Lääkejaoston perustaminen, *Sinikka Sihvo, Liite 9*

Palko, Fimea ja FinCCHTA ovat luoneet toimintamallin, jossa Fimea tekee arvon ja Palko suosituksen sellaisista sairaalalääkkeistä, joissa kansallinen päätös uuden lääkkeen käyttöönotosta tai jo käytössä olevan lääkkeen uudesta indikaatiosta arvioidaan kansallisesti tärkeäksi erityisesti epävarman näytön tai korkeiden kustannusten vuoksi. Tavoitteena on, että vähitellen kaikkien uusien merkittävien sairaalalääkkeiden käyttöönotto arvioitaisiin yhtenäisen prosessin ja kriteerien mukaisesti. Ehdotetaan Lääkejaoston perustamista ja liitteen 9 mukaisen henkilöiden nimeämistä siihen.

Päätös: Hyväksyttiin jaoston perustaminen ja kokoonpano.

10. Semiplimabi edenneen ihon okasolusyövän hoidossa - päivitystarve, *Sinikka Sihvo, Liitteet 10a-b*

Palko antoi joulukuussa 2019 suosituksen, jonka mukaan semiplimabi-lääke (Libtayo) ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan paikallisesti edenneen tai etäpesäkkeisen ihon okasolusyövän hoidossa. Myyntiluvan haltija Sanofi pyysi uudelleenkäsittelyä lisäseurantatietoon vedoten.

Keskustelussa todettiin, että näyttö vaikuttavuudesta on edelleen epäluotettavaa. Tutkimusasetelman heikkoudet, erityisesti vertailuryhmän puute, eivät ole poistuneet seurantatiedon myötä. Tarvitaan luotettavaa tutkimustietoa kunnollisella tutkimusasetelmalla.

Päätös: Ei aloiteta semiplimabi-suosituksen päivittämistä. Asiaan voidaan palata uudestaan, kun lääkkeen vaikuttavuudesta ja kustannusvaikuttavuudesta on luotettavaa tutkimustietoa.

11. Atetsolitsumabi uroteelisyövän ensilinjan hoidossa– päivitystarve, *Reima Palonen*

Palko antoi joulukuussa 2018 suosituksen atetsolitsumabin käytöstä virtsarakkosalisyövän hoidossa. Suositus oli ensilinjan hoidon osalta kielteinen. Palkolta on tiedusteltu mahdollisuutta suosituksen päivittämiseen uusien tutkimustulosten vuoksi.



Aiempi suositus koski potilaita, jotka eivät soveltuneet platinapohjaiseen hoitoon, mutta uudet tulokset koskevat atetsolitsumabi ja platinapohjaisen kemoterapian yhdistelmähoitoa. Tämä yhdistelmä ei ole atetsolitsumabin myyntiluvan mukainen käyttöindikaatio (off-label-käyttö).

Fimea on ilmoittanut, ettei sillä ole mahdollisuuksia arvioida lääkkeiden off-label-käyttöä, eikä ylipäänsä mahdollisuuksia tehdä päivitysarviointeja kaikista aiemmin arvioituista lääkkeistä.

Keskusteltiin myös siitä, miten voidaan turvata lääketieteellisen arviointitiedon saaminen Palkon käyttöön eri tilanteissa.

Päätös: Asian jatkovalmistelu siirrettiin lääkejaostolle.

Puheenjohtajien jaosto

12. Puheenjohtajien jaosto, *Reima Palonen*

Edellisellä toimikaudella perustettiin puheenjohtajien jaosto, jonka tehtäväksi asetettiin:

- yhdenmukaistaa ja kehittää jaostojen toimintatapoja ja ratkaisukäytäntöjä
- valmistella sihteeristön kanssa prosessien ja palveluvalikoiman määrittelyn perusteiden täydennyksiä ja muutoksia
- toimia sihteeristön ja jaostojen välisenä linkkinä
- toimia eri jaostojen välisenä linkkinä
- edistää Palkon suositusten tunnettuutta ja vaikuttavuutta
- Palkon toiminnan yleinen kehittäminen.

Esitetään, että päätetään perustaa myös täksi toimikaudeksi puheenjohtajien jaosto, johon kuuluvat jäseninä automaattisesti kaikkien jaostojen puheenjohtajat. Ehdotetaan, että jaoston tehtävät olisivat samat ja että Mirva Lohiniva-Kerkeä jatkaisi jaoston puheenjohtajana.

Päätös: Hyväksytään jaoston perustaminen ja kokoonpano

13. Odotukset palveluvalikoimaneuvoston toiminnasta, *Ilona Autti-Rämö*

Käytiin yleiskeskustelua aiheesta.

Muut asiat

14. Sidonnaisuudet ja esteellisyys, *Reima Palonen, Liite 14*

Käytiin läpi sidonnaisuuden ja esteellisyyden keskeiset asiat.



15. Muut asiat, *Ilona Autti-Rämö*

- Tulevat kokoukset
 - 25.9.
 - 4.11. (varaus Hanasaari)
 - 16.12.
- Palkon asiantuntijajäsenet ja heidän roolinsa
 - esiteltiin asiantuntijoiden rooli Palkon toiminnassa
 - syyskuun kokouksessa esitetään ehdotukset asiantuntijoista
- Sisäiset seminaarit
 - kerrottiin neuvottelukunnan tarpeisiin vastaavien sisäisten seminaarien järjestämisen mahdollisuudesta
- Mahdollinen tapaaminen edellisen Palkon kanssa
 - alustavasti syksyille suunniteltu tapaaminen siirtyy jälleen Covid-19 viruksen johdosta.

16. Kokouksen päätös

Puheenjohtaja päätti kokouksen klo 16.00.

Puheenjohtaja Päivi Sillanaukee

Pääsihteeri Ilona Autti-Rämö

Erityisasiantuntija Sari Koskinen

Erityisasiantuntija Reima Palonen

Erityisasiantuntija Sinikka Sihvo



LIITTEET

- Liite 1. Palkon kokouksen pöytäkirja
- Liite 2. Palkon toiminnan esittely
- Liite 4. SCID jaoston perustamismuistio
- Liite 5. Mielensterveys- ja päihdepalvelujen jaoston perustamismuistio
- Liite 6. Elintapa ja omahoito –jaoston perustamismuistio
- Liite 7. Tuki- ja liikuntaelinten sairauksien jaoston perustamismuistio
- Liite 8. Suun terveydenhuollon jaoston perustamismuistio
- Liite 9. Lääkejaoston perustamismuistio
- Liite 10a. Sanofi oy:n uudelleen käsittelypyyntö
- Liite 10b. Palkon perustelut semiplimabin päivittämistarpeesta
- Liite 14. Sidonnaisuudet ja esteellisyys

JAKELU

Neuvoston varsinaiset jäsenet ja varajäsenet
Asiantuntijat
Sihteeristö



Vaikuta terveydenhuollon palveluvalikoimaan - kommentoi suositusluonnoksia

Julkaistu: 14.6.2016 klo 15.07

Aloittaja: Reima Palonen (@ReimaPalonen)

Yhteenveto:

Lisätiedot:

PALKO toimii sosiaali- ja terveysministeriön yhteydessä ja sen tehtävänä on antaa suosituksia terveydenhuollon menetelmien kuulumisesta julkisesti rahoitettuihin terveydenhuollon palveluihin. Lisätietoja terveydenhuollon palveluvalikoimasta voit lukea PALKOn kotisivuilta

www.palveluvalikoima.fi

Kyselyt

Vaikean sekamuotoisen immuunivajeen (SCID) seulonta vastasyntyneiden kantapäöverinäytteestä

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto (PALKO) on kokouksessaan 11.6.2020 hyväksynyt alustavasti suositusluonnoksen ”Vaikean sekamuotoisen immuunivajeen (SCID) seulonta vastasyntyneiden kantapäöverinäytteestä”. Ennen suosituksen lopullista hyväksymistä PALKO antaa asiasta kiinnostuneille mahdollisuuden kommentoida luonnosta. Suositusluonnoksen ja taustamuistion löydät väliotsikon Liitteet alta. Ennen vastaamista tutustu sekä suositusluonnokseen että valmistelumuistioon.

SCID on vakavin lapsuusiällä todettu synnynnäinen immuunivaje. SCID:n esiintyvyydeksi Suomessa on arvioitu noin 1:58 000 vastasyntyntä kohden. Tauti johtaa vakavaan infektioalttiuteen, jossa virusten, bakteerien ja alkueläinten aiheuttamat vaikeat tulehdukset aiheuttavat pysyviä elinvaurioita etenkin keuhkoissa. Hoitamattomana SCID johtaa lapsen kuolemaan imeväisiässä tai varhaislapsuudessa. Terveeltä luovuttajalta saatu kantasolusiirto on tehokas ja parantava hoito, ellei lapselle ole kehittynyt merkittäviä infektio-ongelmia ennen hoitotoimenpidettä. Seulonta mahdollistaa taudin varhaisemman diagnoosin ja ennustetta parantavan hoidon antamisen ennen vakavia oireita.

Suositusluonnoksen ja sen taustatiedot sisältävän valmistelumuistion löydät avaamalla kohdan Näytä lisätiedot.

Komentointiaika päättyy 21.8.2020

Vastaaajan taustatiedot

- Yleislääketieteen erikoislääkäri
- Jenny Karjalainen lastenlääkäri, vs yl
- Kim Vettenranta, prof., ylilääkäri, Suomen lastenhematologian ja -onkologian yhdistyksen pj
- Merja Helminen Tays Lasten infektiotautien erikoislääkäri: immuunipuutospotilaita hoitava asiantuntija
- Ville Peltola, professori, Suomen Lastenlääkäriyhdistyksen infektiotautien alajaoksen puheenjohtaja
- Tiina Reijonen, LT, lastentautien ja lastenallergologian erikoislääkäri, ylilääkäri, PKKS, lastenkeskus, Joensuu Suomen lastenlääkäriyhdistyksen hallituksen lausuntovastaava
- Riikka Kurkijärvi, vt. Ylilääkäri, Tyks Saske Britt-Marie Loo, Sairaalakemisti, Tyks Saske Kari Pulkki, Ylilääkäri, Professori, HUS Diagnostiikkakeskus ja HY Harri Niinikoski, Ylilääkäri, Professori, Tyks Lasten ja nuorten klinikka ja TY Leena Kainulainen, Ylilääkäri, Tyks Lasten ja nuorten klinikka Johanna Lempainen, Erikoislääkäri, Tyks Lasten ja nuorten klinikka Liisa Saarikoski, Erikoislääkäri, Tyks Lasten ja nuorten klinikka Sinikka Karppinen, Erikoislääkäri, Tyks Lasten ja nuorten klinikka
- Jarmo Salo, lastentautien erikoislääkäri, LT Vs. vastuualueen johtaja, Lapset ja Nuoret, OYS

Vastaajan organisaatio

- Kuopion kaupunki
- Kainuun sosiaali- ja terveydenhuoltoon kuntayhtymä, Kainuun keskussairaala, lastentaudit.
- HY, HYKS
- pshp
- Tuurn yliopisto ja Turun yliopistollinen keskussairaala
- Suomen lastenlääkäriyhdistys
- Tyks Saske Tyks Lasten ja nuorten klinikka, TY HUS Diagnostiikkakeskus, HY
- Pohjois-Pohjanmaan sairaanhoitopiiri

Vastaajan tausta

- Potilas tai asiakas taikka heidän omaisensa 0/8
- Potilaita tai asiakkaita edustava järjestö 0/8
- Terveyspalvelujen tuottaja 2/8
- Lääkevalmistaja, maahantuoja tai markkinoija 0/8
- Sosiaali- ja terveysalan hallinto 0/8
- Sosiaali- ja terveysalan työntekijä 3/8
- Terveystieteiden alan edunvalvontajärjestö 0/8
- Terveystieteiden alan tieteellinen järjestö 2/8
- Viranomais 1/8
- Poliittinen päättäjät 0/8
- Muu 0/8

Kommentoi kappaletta 1. Perusteet suosituksen laatimiseen

- Miksi tautia on tarve seuloa? Mikä on seulonnan merkitys?
- Perusteet ovat hyvät, seula on oikeutettu.

- SHLOY:n näkökulmasta kunnossa
- Palkon tehtäväksi on annettu arvioida SCID seulonnan ottamista osaksi suomalaista vastasyntyneiden seulontaa. Valmistelumuistiossa on arvioitu SCID seulontamenetelmä sekä nykyisen seulontajärjestelmän toimivuus. Palko toteaaakin lausunnossa että he ovat ottaneet tehtävän vastaan jotta he pystyvät arvioimaan nykyisen ohjelman laadukasta toteutumista ja myös että uusien tautien lisäämisen kriteerit selkiytetään. Tällaisenaan suositusluonnos on sekava. Tämä käy ehkä parhaiten ilmi kpl 4, jossa siirrytään nopeasti nykyisen seulontajärjestelmän ongelmista kantasolusiirtoon. Suosittelen luonnoksen jakamista 2 osaan selkeästi: 1. nykyisen seulontajärjestelmän toimivuus ja 2. scid seulonnan soveltuvuus suomalaisten vastasyntyneiden seulontaan.
- Perusteet ovat selvät.
- Selkeä ja hyvin perusteltu teksti.
- Olemme kirjanneet kommenttimme erilliseen tiedostoon, jonka liittäminen tänne ei ollut mahdollista. Tiedosto on toimitettu Ilona-Autti Rämölle sähköpostitse. Kommentteja on myös soveltuvin osin liitetty tähän nettilomakkeeseen.

Kommentoi kappaletta 2. Suosituksen kohderyhmä

- Ok
- Kun seulotaan tautia elämänkaaren alkupäässä, tuotetaan paljon terveyshyötyä, kun vaikeilta seuraamuksilta vältytään taudin jäädessä kiinni ajoissa.
- SHLOY:n näkökulmasta kunnossa
- Ei kommentoitavaa: asiallinen
- Kohderyhmä on selkeä (SCID-lapset)
- Suosituksen kohderyhmä ja seulottava taudin luonne, ennuste sekä mahdollisuus tehokkaaseen, parantavaan hoitoon, ovat erinomaisesti kuvattu.
- Olemme kirjanneet kommenttimme erilliseen tiedostoon, jonka liittäminen tänne ei ollut mahdollista. Tiedosto on toimitettu Ilona-Autti Rämölle sähköpostitse. Kommentteja on myös soveltuvin osin liitetty tähän nettilomakkeeseen.

Kommentoi kappaletta 3. Arvioitava menetelmä

- Onko tämän taudin seulontatarve todellinen ja etenkin huomioisin neuvonnassa sen, että aiheutamme 580000 syntyvän lapsen vanhemmalle ahdistusta siitä, että heidän lapsellaan saattaa olla tämä hyvin vakava sairaus, joka kuitenkin on erittäin harvinainen.
- Riittävän luotettava.
- SHLOY:n näkökulmasta kunnossa
- ei kommentoitavaa
- Menetelmä on toimiva.
- Arvioitava menetelmä on hyvin kuvattu. Valmistelumuistiossa on yhteensä 14 Who:n ja Tanskan eettisen neuvoston arviointikriteerin toteutumista läpikäyty kohta kohdalta perusteellisesti ja myös haasteet huomioiden.
- Olemme kirjanneet kommenttimme erilliseen tiedostoon, jonka liittäminen tänne ei ollut mahdollista. Tiedosto on toimitettu Ilona-Autti Rämölle sähköpostitse. Kommentteja on myös soveltuvin osin liitetty tähän nettilomakkeeseen.

Kommentoi kappaletta 4. Vaikuttavuus ja turvallisuus sekä niihin liittyvät epävarmuustekijät

- Hyvin monimutkaisesti kirjoitettu
- SHLOY:n näkökulmasta kunnossa
- Kpl käsittelee nykyisen seulontajärjestelmän ongelmia. Palko on tehnyt kyselytutkimuksen seulontaa tekeville yksiköille ja löysin sieltä useita positiivisia asioita: tieto poikkeavasta tuloksesta oli keskitetty 1 lääkärille (paitsi 1 yksikkö), suullinen info, nopea tutkimusten toteuttaminen ja nopea taudin poissulku väärän positiivisen ollessa kyseessä. Tämä ei koske scid vaan nykyistä ohjelmaa. Tiedonkulku PTH oli vaihtelevaa. Kyselytutkimuksessa terveydenhoitajat kokivat avuttomuutta tietotulvan ja erilaisten toiveiden keskellä : varmasti tarvitaan tehostamista. Kun puhutaan vastasyntyneiden seulonnasta, niin emme toisaalta voi vaatia perinnöllisyyslääketieteen tasoista tiedonvälitystä. Itse en osaisi antaa infoa seulottavista sairauksista ja tarvitsen tueksi lyhyen infolehtisen jonka voi antaa perheelle. Palko nosti hyvin esille että seulonnan prosessin laatuseuranta ei toteudu systemaattisesti: tähän otitte hyvin kantaa kpl 8. Scid-seulonnan vaikuttavuus/turvallisuus ja epävarmuustekijät tulevat esille hieman huonosti ja sekavasti: suosittelen että jaatte suosituksen selvästi 2 osaan: nykyinen järjestelmäarvio ja scid seulonnan liittäminen seulontaan. Näin asia selkiytyy.
- Vaikuttavuudesta on vahva näyttö. Turvallisuuteen liittyvät näkökohdat on otettu huomioon.
- Tämäkin osio on selkeästi kirjoitettu. Osiossa perustellaan mm. miksi seulonta on vaikuttavaa.
- Olemme kirjanneet kommenttimme erilliseen tiedostoon, jonka liittäminen tänne ei ollut mahdollista. Tiedosto on toimitettu Ilona-Autti Rämölle sähköpostitse. Kommentteja on myös soveltuvien osien liitetty tähän nettilomakkeeseen. Kommentteja vastasyntyneiden aineenvaihduntasairauksien nykytilaa koskevasta selvityksestä ja siinä esitetyistä kehitysehdotuksista: Kehitysehdotus 1. Lainsäädäntö: • Mikäli vastasyntyneiden aineenvaihduntasairauksien seulontaohjelma päätetään lisätä seulonta-asetukseen, ei seulonnan käytännön toteutukseen liittyviä toimintatapoja ole mielestämme kannattavaa kirjata asetukseen kovin yksityiskohtaisella tasolla. Lainsäädännön muutosprosessien hitaus saattaisi tällöin turhaan hidastaa uusien tehokkaampien toimintatapojen käyttöönottoa. Kehitysehdotus 2: Kansallinen seulontaneuvosto • Toivomme myös, ettei päätöksentekoprosessista erityisesti käytännön tason asioiden osalta (esim. näytteenottoikä) tehtäisi niin kankeaa, että muutosprosessit venyisivät kovin pitkiksi. Kehitysehdotus 3. Asiantuntijaryhmä: • Ehdotuksen mukaan ”asiantuntijaryhmällä ei saisi olla sidoksia seulontapalvelut tuottavaan organisaatioon”. Tämä on ymmärrettävää, mikäli kansallinen seulontakeskus katsotaan ainoastaan seulontapalvelujen tuottajaksi, jolta kunnat ostavat seulonnan. Pyydämme kuitenkin huomioimaan, että käytännön kokemus vastasyntyneiden seulonnasta maassamme rajoittuu pitkälti seulontakeskuksen kanssa jonkinlaisissa sidoksissa oleviin asiantuntijoihin, ja pidämme tärkeänä sitä, että heitä kuullaan seulontaan liittyvistä asioista päätettäessä. (Tarvittaessa esim. naapurimaiden asiantuntijoita lienee mahdollista konsultoida, mikäli sidonnaisuus seulontakeskukseen katsotaan täysin

sopimattomaksi.) • Vastasyntyneiden seulontatoimintaa ohjaavan viranomaistahon puute on tiedostettu myös Saskessa. Tämän vuoksi Saske on perustanut valtakunnallisen ohjausryhmän, joka kokoontui ensimmäisen kerran 17.3.2020. Sasken johtajan on ollut määrä toimia ryhmän puheenjohtajana ja jäsenistöön on suunniteltu kuuluvan 1-2 edustajaa kustakin yliopistosairaalaista sekä muita seulonnan asiantuntijoita. Ohjausryhmän on ollut tarkoitus kokoontua vähintään kaksi kertaa vuodessa ja sen tehtäväksi on ajateltu kansallisen seulontakeskuksen toiminnan ohjaaminen, seulontaan liittyvien eettisten asioiden pohtiminen ja seulonnan viestinnästä, suostumuskäytännöistä yms. asioista päättäminen.

Yliopistosairaalat ovat nimenneet edustajikseen Kari Kauniston (OYS), Päivi Keskinen (Tays), Risto Lapaton (Hyks), Antti Saaren (KYS) ja Harri Niinikosken (Tyks). Kehitysehdotus 4: Seulontaohjelman arviointi • Seulontaohjelman systemaattinen arviointi on mielestämme myös tarpeen. Kehitysehdotus 6: Suostumus: • Sähköinen neuvolakortti lienee tällä hetkellä käytetyin ja mielekkäin paikka seulontasuostumuksen kirjaamiseen. Vanhempien allekirjoituksen pyytämistä veritäplänäytekorttiin emme pidä hyvänä ratkaisuna. Käytännön toteutus saattaisi tuottaa hankaluuksia, emmekä oikein pidä tätä tarpeellisenakaan. Mikäli tällä on ajettu takaa kirjallisen suostumuksen säilyttämistä, tämä ei toteutuisi ainakaan nykyisessä toimintamallissa. (Näytekortista säilytetään vain pieni viivakoodein varustettu veritäplät sisältävä osio ja loppu osa kortista, jossa tuo vanhempien allekirjoitus siis olisi, hävitetään nykyisin jo tilan puutteen vuoksi. Näytetiedot ovat seulontakeskuksen varmistetuissa tietojärjestelmissä.) Allekirjoitus näytekorttiin olisi siis periaatteessa vain suostumuksen varmistamista. Onko tätä todella syytä pyytää ja kirjata kahteen otteeseen? • Näytteiden säilytyksen osalta pitäisimme parhaana ratkaisuna sitä, että kaikki näytteet voitaisiin säilyttää määräajan seulontakeskuksen yhteydessä olevassa näytearkistossa. Kansallisesti voitaisiin niin halutessa sopia yksittäiset käyttötarkoitukset, joihin seulontanäytteitä olisi lupa hyödyntää seulonnan jälkeen (esim. synnynnäisen CMV-infektion diagnostiikka). Seulontanäytteiden mahdollinen käyttö tieteelliseen tutkimukseen vaatii oman tutkimuslupansa ja erillisen suostumuksen vanhemmilta kuten kehitysehdotuksessakin on mainittu. Näytteiden säilytystä ja mahdollista käyttöä tieteelliseen tutkimukseen pohdittaessa, on hyvä tiedostaa, että joissakin maissa näytteiden biopankittaminen ja mahdollisuus käyttää näitä muuhun kuin seulontatarkoitukseen on laskenut seulontaan osallistumista ainakin hetkellisesti. Tällä hetkellä näytteitä säilytetään Saskessa toistaiseksi, paitsi HUS alueen näytteet, jotka hävitetään heidän vaatimuksestaan 3 kk:n kuluttua. Mielestämme näytteiden hävitys 3 kk:n kuluttua ei ole järkevää jo seulontaan liittyvien mahdollisten myöhempien selvitystarpeiden vuoksi. Säilytyskäytännön pitäisi myös olla koko maan osalta yhtenäinen. Kehitysehdotus 7: Ohjeet ja tiedotteet ammattilaisille / väestölle: • Sasken internetsivuilla ylläpidetään joka tapauksessa sekä ammattilaisille että perheille suunnattua ohjeistusta ja informaatiota. Pidämme kuitenkin tarpeellisena sitä, että asianmukaista informaatiomateriaalia tuotetaan myös esim. THL:n internetsivuille. Kehitysehdotus 8. Kansallisen seulonnan laatumittaristo: • Ehdotettu laatumittaristo vaikuttaa pääosin hyvältä lähtökohdalta. Monilta osin ehdotetut tavoitetasot jo toteutuvatkin. Synnytyssairalakohtaisten kattavuus- tai muiden tietojen raportointi Saskeen tulevasta informaatiosta ei tällä hetkellä ole mahdollista ja tämä on osoittautunut hankalaksi järjestää. • Tällä hetkellä Saske seuraa

säännöllisesti laboratorion laatu järjestelmään liittyen oman toimintansa laatumittareina 1. seulonnan läpimenoaikaa (lapsen syntymästä vastauksen raportointiin kulunutta aikaa), 2. laboratorion läpimenoaikaa (näytteen saapumisesta vastauksen raportointiin kulunutta aikaa), 3. näytteiden laatua, 4. poikkeavien vastausten lukumäärää menetelmäkohtaisesti (recall rate) sekä 5. atk-häiriöiden aiheuttamia viiveitä. Lisäksi seurataan näytteenoton oikea-aikaisuutta sekä seulonnan kattavuutta koko maan tasolla. Kehitysehdotus 9. Tiedonkeruu: • Tiedonkeruun osalta pidämme erillistä vastasyntyneiden seulontarekisteriä erittäin tarpeellisena. Erityisesti synnytyssairaalakohtaisten tietojen ja tehtyjen jatkotutkimustulosten kokoaminen seulontakeskuksesta käsin on osoittautunut haastavaksi. Kehitysehdotus 10. Kattavuustieto ja tieto kieltäytymisestä • Unohdusten ja muiden inhimillisten virheiden todennäköisyys ehdotetun kaltaisessa toimintamallissa on varsin suuri, eikä se käytännön toteutuksen kannaltakaan ole yksinkertainen. Voisiko kieltäytymisen ja sen syyn kirjaaminen heti johonkin sähköiseen järjestelmään (esim. sähköiseen neuvolakorttiin) olla parempi ratkaisu? Kehitysehdotus 12. Keskokset: • Recall rate ja PPV-lukujen laskeminen erikseen täysiaikaisille ja keskosenä syntyneille on toki mahdollista. PPV-lukujen laskeminen ei tosin ole kovin informatiivista silloin, kun positiivisia tuloksia on vain muutama, kuten on asian laita usean yksittäisen sairauden kohdalla. • Keskokset ja tehohoito potilaat ovat seulonnassa ongelmaryhmä monessakin suhteessa: saadut veritulos, iv-nutritio, lääkehoidot ja elintoimintojen kypsyttömyys vaikuttavat seulontatuloksiin. Monissa maissa pieniltä keskoksilta otetaan rutiinista uusi seulontanäyte esim. kotiutumisvaiheessa tai tietyn raskausviikkorajan täytyttyä. Tämän tarpeellisuutta on pohdittu Saksessakin, mutta toistaiseksi on kontrolleja otettu vain tarpeen vaatiessa. Kehitysehdotus 13. Laboratoriomenetelmät: • Biokemiallisten second tier -analyysien käyttöönotto on ollut Saksessa pitkään suunnitteilla. Tämä mahdollistuu uusien massaspektrometrialaitteiden hankinnan jälkeen, mikä ajoittuu näillä näkymin alkuvuoteen 2021. Näiden avulla on mahdollista saada merkittävästi vähennettyä väärin positiivisten seulontatulosten määrää erityisesti suuriempien aiheuttajien osalta (CAH, IVA, PA/MMA). Maailmalla käytetään nykyisin myös geneettisiä second tier -testejä, mutta suostumus tällaisten käyttöön vaatii oman pohdintansa. Kehitysehdotus 14. Näytteenottoikä: • Vallitsevan pandemiatilanteen vuoksi seulontanäytteenotto on 7.4.2020 alkaen ollut sallittua jo 36 h ikäisenä, mikäli lapsi kotiutuu ennen 48 h ikää. Näytteenottoiän aikaistamista varhaisten kotiutumisten vuoksi on pohdittu jo pitkään. Ajatuksena on ollut, että näytteenotto 36 h iästä lähtien voidaan jättää pysyväksi ohjeeksi varhaisten kotiutujien osalta. Kehitysehdotus 15. Näytteiden kuljetus: • Seulontakeskuksella on tuskin mahdollista vaikuttaa tällaisessa määrin Postin jakeluun. Kuriiripalvelujen käyttö on aina mahdollista, mutta kallista. Toistaiseksi emme ole katsoneet tätä tarpeelliseksi. Pitkien juhlapyhien yhteydessä on joskus päädytty näytekuljetuksen osalta erityisratkaisuihin vastausviiveiden lyhentämiseksi. (Näytteitä on mm. lähetetty taksilla, jotta kaikki ennen pyhiä otetut näytteet on ehditty analysoida. Pitkien juhlapyhien yhteydessä olemme myös joskus poikkeuksellisesti työskennelleet viikonloppuna.) Muita huomioita: • Sivulla 30 todetaan: ”Saksen mukaan väärissä positiivisissa tuloksissa dominoivat VLCAD, GA1, CAH ja paras tarkkuus oli PKU:n, LCHAD:n ja MCAD:n kohdalla.” Kuten aiemmin todettu, suurin yksittäinen väärin positiivisten aiheuttaja on ehdottomasti CAH, ja

aineenvaihduntasairauksien osalta valtaosa vääristä positiivisista on viime vuosina aiheutunut IVA ja PA/MMA taudeista. Näistä ensimmäinen johtuu suureksi osaksi äidin Selexid-lääkityksen häiriövaikutuksesta. Edellä mainittujen sairauksien osalta käyttöön suunnitellut second tier -testit vähentänevät väärin positiivisten osuutta merkittävästi. Muissa aineenvaihduntasairauksissa väärät positiiviset tulokset ovat viime vuosina olleet määrältään vähäisiä. Tarkkuus on edellä mainittujen lisäksi erittäin hyvä TYR-1 ja nykyisin myös ASA taudissa. • Sivulla 30 todetaan: "Saskessa second tier -menetelmää käytettiin TYR-1 epäilyissä (sukkinyyliasetonin määrittäminen)." Tyrosinemia tyyppi 1:n spesifinen merkkiaine sukkinyyliasetoni on sisällytetty Saskessa MSMS-menetelmän ensilinjan analyytteihin alkuajoista lähtien ja se määritetään siis kaikista seulontanäytteistä heti ensimmäisessä määrittäyksessä. Se on siis "first tier -menetelmä".

Kommentoi kappaletta 5. Eettiset näkökulmat

- Hyvin kirjoitettu
- On tärkeää, että kaikki vanhemmat (seulaan osallistumisesta päättävä) saavat yhdenmukaisen informaation. Nykyisessä Vasseu tutkimuksessa tulee vastaan välillä tilanne, että perhe ei ole ymmärtänyt, että seulan löytäessä taudin ajoissa, taudin pahentuminen tai lapselle tulevat seuraamukset voidaan jossain määrin estää/minimoida. Tarvitaan selkeä ja yhdenmukainen materiaali, jonka avulla seulasta informoidaan.
- SHLOY:n näkökulmasta kunnossa
- ei kommentoitavaa
- Seulonnan eettiset näkökulmat on arvioitu ja ne ovat hyväksyttävät.
- Kappaleessa mainitut haasteet mm alueellisten laatuerojen korjaustarpeista, tiedottamisesta, mahdollisten jatkotutkimusten aiheuttamista huolista ja väärin positiivisten osuudesta ovat hyvin pohdiskeltuja.
- Olemme kirjanneet kommenttimme erilliseen tiedostoon, jonka liittäminen tänne ei ollut mahdollista. Tiedosto on toimitettu Ilona-Autti Rämölle sähköpostitse. Kommentteja on myös soveltuvin osin liitetty tähän nettilomakkeeseen. Väärät positiiviset tulokset: suositusluonnos (Sivu 7, rivi 178) **Kaikkien seulottavien sairauksien kohdalla väärä positiivisia tuloksia ei suinkaan esiinny enempää kuin oikeita tapauksia, vaan joidenkin sairauksien kohdalla (esim. LCHAD ja Tyrosinemia tyyppi 1) valtaosa hälytyksistä on oikeita.** Esim. LCHAD:n kohdalla väärä positiivisia löydöksiä ei ole ollut lainkaan ja sukkinyyliasetonin esiintyminen näytteessä on jokseenkin varma tyyppin 1 tyrosinemian merkki. Suurin yksittäinen väärin positiivisten aiheuttaja on CAH. Aineenvaihduntasairauksien osalta valtaosa vääristä positiivisista on viime vuosina aiheutunut IVA ja PA/MMA taudeista. Näistä ensimmäinen johtuu suureksi osaksi äidin raskaudenaikaisen pivmesillinaami lääkityksen häiriövaikutuksesta (VTI:n hoito). Edellä mainitut kolme sairautta ovat ongelmatauteja väärin positiivisten suhteen muuallakin maailmassa ja juuri niitä tauteja, joihin tarkentavia second tier -analyysyjä käytetään. **Tällaisten second tier -analyysien käyttöönotto on Saskessakin suunnitteilla. Tämä ajoittuu näillä näkymin kevääseen 2021.** Muissa aineenvaihduntasairauksissa väärät positiiviset tulokset ovat viime vuosina olleet määrältään vähäisiä. Eettiset näkökulmat: suositusluonnos (sivu 7) ja valmistelumuiotio (sivut 25-26)

Suostumukseen perustuvassa seulonnassa asianmukainen neuvonta seulonnasta hyvine ja huonoine puolineen on toki ensiarvoisen tärkeää. Väärien positiivisten seulontatulosten mahdollisuudesta tulee myös olla tietoinen, emmekä halua vähätellä näiden aiheuttamaa huolta ja ahdistusta perheissä. Seulonnan tavoitteena tulee kuitenkin olla myös mahdollisimman suuri kattavuus, mitä myös suositusluonnoksessa korostetaan. Tässä mielessä on järkevää olla liiallisesti korostamatta väärien positiivisten tulosten mahdollisuutta, jos se on hyvin pieni. Tällä hetkellä aineenvaihduntasairauksien ja CAH:n seulonnassa mahdollisuus joutua uuteen näytteenottoon on alle 0,3 % (eli alle 1/300 lasta). Liiallinen pienen kontrollinäytteeseen joutumisen mahdollisuuden korostaminen vähentäisi varmasti seulontaan osallistumista. Muutenkin lääketieteelle on vierasta korostaa hyvin harvinaisten ja epätodennäköisten tapahtumien mahdollisuutta; kaikkiin laboratorinäytteisiin liittyy riski siihen, että näyte joudutaan ottamaan uudelleen ja esim. kaikkiin lääkehoitoihin sivuvaikutusten, esim. allergisten reaktioiden riski. Jos tämä riski on hyvin pieni, sen liiallinen esille tuominen johtaisi turhaan siihen, ettei potilas uskaltaisi tulla hänelle tarpeellisiin tutkimuksiin tai käyttää hänelle tarpeellista lääkettä. Synnyynnäisen hypotyreoosin napaveriseulonta Raportissa herättää huomiota myös synnyynnäisen hypotyreoosin napaveriseulonnan arvioinnin puuttuminen. Seulontaan osallistumiselle ei ole koskaan kysytty lupaa, ei suullisesti eikä kirjallisesti. Joskus sairauden löytyminen tulee perheille täytenä yllätyksenä. Perheet eivät aina ole edes tietoisia siitä, että tällainen näyte on otettu. Napaveriseulonnassa väärien positiivisten tulosten osuus on sairaalasta ja sen käyttämästä menetelmästä ja seulontarajasta riippuen n. 0,5-1 %. Suuri väärien positiivisten määrä johtuu pitkälti näytteenoton ajankohdasta syntymästressin vielä vaikuttaessa TSH-pitoisuuteen. Tätä väärien positiivisten määrää ei kuitenkaan ole kritisoitu liian suureksi, vaikka määrä on huomattavasti suurempi kuin muussa vastasyntyneiden aineenvaihduntasairauksien seulonnassa yhteensä. Hypotyreoosi on toki sairauksista yleisin, mutta PPV napaveriseulonnassa jää silti varsin matalaksi. VSSHP:n alueella se on n. 5-6 % (Linko-Parvinen et al 2018). Hypotyreoosin napaveriseulonnassa seulontarajat siis myös vaihtelevat sairaaloittain, osittain menetelmäeroista johtuen. Pieniä sairaalakohtaisia eroja on myös mm. positiivisten seulontalöydösten aiheuttamissa jatkotoimenpiteissä.

Kommentoi kappaletta 6. Johtopäätökset

- Ok
- Seula on hyvä ja esitetyin ehdoin hyväksyttävä.
- SHLOY:n näkökulmasta kunnossa
- ei kommentoitavaa
- Johtopäätökset ovat asialliset.
- Johtopäätöksissä on tiiviisti vedetty yhteen miksi kannattaa seuloa, arviointikriteerien täytyminen muilta osin paitsi, että SCID-seulonnan positiivinen ennustearvo on liian matala. Mm tiedottamisen, tiedotemateriaalin ja henkilökunnan koulutustarpeet on listattu. Myös BCG-rokotusten siirtämisen aiheuttamia haasteita ja kustannuksia on arvioitu.
- Olemme kirjanneet kommenttimme erilliseen tiedostoon, jonka liittäminen tänne ei ollut mahdollista. Tiedosto on toimitettu Ilona-Autti Rämölle sähköpostitse. Kommentteja on myös

soveltuvin osin liitetty tähän nettilomakkeeseen.

Kommentoi kappaletta 7. Yhteenvedo suosituksista

- ok
- SHLOY:n näkökulmasta kunnossa
- Yhteenvedo on asiallinen ja selkeä. MUTTA nyt pelkään että SCID seulonnan lisäys jää odottamaan sitä että nykyisen seulontajärjestelmän prosessi ja koulutusongelmat korjataan. Näin ei voi olla. Suomessa on nyt jo 2 aluetta: Hki ja Tku joissa seulonta tapahtuu ja muu Suomi. Ehdottamani muotoilu suosituksista: 1. SCID raja 18, 2. tbc-rokotus 2 vk iässä kun vastaus valmiina, ja 3. samanaikaisesti käynnistetään nykyisen seulontaprosessin laatuongelmien korjaus. Näin vältetään tilanne että SCID seulonta jää odottamaan kunnes laatuolosuhteet on korjattu.
- Yhteenvedossa katsotaan, että SCID-seulonta voidaan ottaa suomalaiseen vastasyntyneiden seulontaohjelmaan. Päätelmä on hyvätasoiseen arviointiin perustuva ja kannatettava. Yhteenvedossa on asiallisia huomioita seulontaprosessin laadun parantamisesta, tuberkuloosirokotusten toteutumisen turvaamisesta ja riittävän positiivisen ennustearvon takaamisesta sillä, että seulonnan raja-arvo on riittävän matala.
- Yhteenvedo on vähän julistusmainen. Mielestäni jokainen synnytyssairaala joutuu suunnittelemaan ja toimeenpanemaan oman alueensa henkilöstön koulutuksen ja seulonnan paikalliset prosessit myös BCG-rokotusten toteutuksen ja rokotuskattavuuden varmistamisen osalta, vaikkakin yo-sairaaloihin jää koordinaatiovastuu.
- Olemme kirjanneet kommenttimme erilliseen tiedostoon, jonka liittäminen tänne ei ollut mahdollista. Tiedosto on toimitettu Ilona-Autti Rämölle sähköpostitse. Kommentteja on myös soveltuvin osin liitetty tähän nettilomakkeeseen. Seulonnan päätösraja: yhteenvedo suosituksista, kohta 3 (sivu 1, rivi 20 sekä sivu 10, rivi 272) ja valmistelumuuistio (sivu 9, rivi 212 sekä sivu 28, rivi 735) Toivomme, että tämän kaltaiseen pysyvään suositukseen ei kirjattaisi mitään yksittäistä seulonnan raja-arvoa. Laboratoriotutkimusten viitearvot ja päätösrajat ovat menetelmä- ja laboratoriokohtaisia, erityisesti tämän kaltaisissa menetelmissä, joissa tulostasojia ei ole standardoitu. Menetelmien vaihtuminen johtaakin usein viitearvojen ja päätösrajojen muutoksiin. Menetelmiä kehitetään jatkuvasti ja esim. Saksassa nykyisin käytössä olevan TREC-menetelmän valmistajalta on vastikään tullut markkinoille uusi todennäköisesti parempi menetelmä. Käyttökokemukset tästä ovat vielä vähäisiä, mutta on hyvinkin mahdollista, että uusi menetelmä korvaa pian vanhan ja seulonnan päätösraja saattaa tällöin muuttua. Tämän vuoksi suositukseen olisi parempi kirjata ainoastaan esim. kohtuullisena pidetty positiivisten seulontatulosten määrä tai positiivinen ennustearvo, johon tulisi pyrkiä (tässä ilmeisesti 10 %). Seulontalaboratorio pyrkii parhaansa mukaan valitsemaan riittävän hyvän seulontamenetelmän ja määrittämään seulonnan päätösrajat ja tulkinta-algoritmit sellaisiksi, että tämä saavutettaisiin. Tällainen on normaalia laboratoriotuotantoa. Nykyisestä TREC-menetelmästä ja käytössä olevasta päätösrajasta: Voimme tarvittaessa laskea nykyisen TREC-päätösrajan 20 arvoon 18. Tämän seurauksena väärin positiivisten määrä saattaa laskea hieman, mutta mitään merkittävää muutosta se tuskin tuo. TREC-raja-arvoa ei tällä menetelmällä juuri tätä matalammaksi voi

asettaa, koska menetelmän analyttinen herkkyys ei ole riittävä. Uusi parempi menetelmä voi mahdollistaa rajan asettamisen matalammaksi. Tarkentavia second tier -menetelmiä ei SCID-seulonnassa tietääksemme ole käytössä. Tulkinta-algoritmia muuttamalla väärin positiivisten määrää on mahdollista jonkin verran laskea. Siis muuttamalla sitä miten tulos tulkitaan, jos ensimmäisen analyysin ja uusinta-analyysin rinnakkaismääritysten tulokset ovat ristiriidassa keskenään. Tällaisia näytteitä on jonkin verran, joten tämä vaikuttaa tuloksiin merkittävästi. Myös tulkinta-algoritmeissa on usein laboratorikohtaista vaihtelua. Muuttamalla tulkinta-algoritmia sellaiseksi, että tulos katsotaan poikkeavaksi, kun kaksi kolmesta TREC-määrittäjästä alittaa seulontarajan (20 tai 18, tässä ei havaittu eroa), olisivat tulokset tiivistetyksi tähän asti seulotuista näytteistä (n. 25 000) alla olevanlaisia: • Positiivisia näytteitä 12 kpl (0,048 %): täysiaikaisia 3 kpl (0,012 %), keskosia 9 kpl (0,036 %) • Täysiaikaiset (3 kpl): yhdellä todettu rustohiushypoplasia (RHH), yhdellä CATCH22 • Keskokset (9 kpl): 6:lla TREC-tulos kontrollissa normaali, 3:lle tehty jatkotutkimukset hyvin matalan TREC-tuloksen vuoksi, yhdellä näistä todettu rustohiushypoplasia • Keskosista rustohiushypoplasiaa sairastava lapsi on syntynyt rv:lla 36, muut seulontapositiiviset keskokset rv:lla 23-33 Tämän pienen aineiston perusteella ks. tulkinta-algoritmin käyttö johtaisi siis siihen, että Suomessa vuositasolla täysiaikaisista n. 2 tervettä ja 3-4 vaikeaa T-lymfopeniaa potevaa lasta joutuisi jatkotutkimuksiin, keskosista n. 11 joutuisi kontrolloitavaksi ja n. 5-6 jatkotutkimuksiin. Varsinaisiin jatkotutkimuksiin päätyisi siis yhteensä n. 11 lasta ja seulonnassa löytyisi n. 5-6 ainakin seuranta vaativaa vaikeaa T-lymfopeniaa (esim. RHH ja CATCH22). Pidetäänkö tämän kaltaista tulosta riittävänä?

Kommentoi kappaletta 8. Lisänäytön kerääminen ja suosituksen vaikutusten seuranta

- ok
- Seulon toimivuuden seuranta ja lisänäytön kerääminen on tärkeää. On tärkeää seurata myös, että seula toteutuu alueellisesti tasa-arvoisesti. On tärkeää, että seurataan myös perheen saaman informaation vaikutusta seulon kattavuuteen. On tärkeää seurata seulon vaikutusta BCG rokotuksen kattavuuteen.
- SHLOY:n näkökulmasta kunnossa
- Hyvä suositus!
- Seuranta on huomioitu.
- Lisänäytön systemaattinen kerääminen kohdista 2 ja 3 vaikuttaa haasteelliselta (siis miten se tehdään erilaisista, lähivuosina vaihtuvissa terveydenhuollon tietojärjestelmissä).
- Olemme kirjanneet kommenttimme erilliseen tiedostoon, jonka liittäminen tänne ei ollut mahdollista. Tiedosto on toimitettu Ilona-Autti Rämölle sähköpostitse. Kommentteja on myös soveltuvin osin liitetty tähän nettilomakkeeseen.

Kommentoi valmistelumuistiota. Onko siinä perusteltu riittävän hyvin suosituksen perusteet, erityisesti kappaleessa 6 (Seulontaohjelman arviointikriteerien täyttyminen)

- Kyllä

- SHLOY:n näkökulmasta kunnossa
- Mielestäni olisi kannattanut selkeästi käsitellä erikseen 1. nykyinen seulonta ja sen toimivuus
2. scid seulonta ja sen toimivuus.
- Perustelut ovat perusteelliset ja arviointikriteerit täyttyvät selvästi, kun muistiossa esiin nostetut asiat huomioidaan (mm. oikein asetettu seulonnan raja-arvo).
- Valmistelumuistio on ansiokas, varsinkin kappale 6
- Olemme kirjanneet kommenttimme erilliseen tiedostoon, jonka liittäminen tänne ei ollut mahdollista. Tiedosto on toimitettu Ilona-Autti Rämölle sähköpostitse. Kommentteja on myös soveltuvien osin liitetty tähän nettilomakkeeseen. Seulonnan päätösraja: yhteenveto suosituksesta, kohta 3 (sivu 1, rivi 20 sekä sivu 10, rivi 272) ja valmistelumuistio (sivu 9, rivi 212 sekä sivu 28, rivi 735) Toivomme, että tämän kaltaiseen pysyvään suositukseen ei kirjattaisi mitään yksittäistä seulonnan raja-arvoa. Laboratoriotutkimusten viitearvot ja päätösrajat ovat menetelmä- ja laboratorikohtaisia, erityisesti tämän kaltaisissa menetelmissä, joissa tulostasojia ei ole standardoitu. Menetelmien vaihtuminen johtaakin usein viitearvojen ja päätösrajojen muutoksiin. Menetelmiä kehitetään jatkuvasti ja esim. Saskessa nykyisin käytössä olevan TREC-menetelmän valmistajalta on vastikään tullut markkinoille uusi todennäköisesti parempi menetelmä. Käyttökokemukset tästä ovat vielä vähäisiä, mutta on hyvinkin mahdollista, että uusi menetelmä korvaa pian vanhan ja seulonnan päätösraja saattaa tällöin muuttua. Tämän vuoksi suositukseen olisi parempi kirjata ainoastaan esim. kohtuullisena pidetty positiivisten seulontatulosten määrä tai positiivinen ennustearvo, johon tulisi pyrkiä (tässä ilmeisesti 10 %). Seulontalaboratorio pyrkii parhaansa mukaan valitsemaan riittävän hyvän seulontamenetelmän ja määrittämään seulonnan päätösrajat ja tulkinta-algoritmit sellaisiksi, että tämä saavutettaisiin. Tällainen on normaalia laboratoriotointia. Nykyisestä TREC-menetelmästä ja käytössä olevasta päätösrajasta: Voimme tarvittaessa laskea nykyisen TREC-päätösrajan 20 arvoon 18. Tämän seurauksena väärin positiivisten määrä saattaa laskea hieman, mutta mitään merkittävää muutosta se tuskin tuo. TREC-raja-arvoa ei tällä menetelmällä juuri tätä matalammaksi voi asettaa, koska menetelmän analyttinen herkkyys ei ole riittävä. Uusi parempi menetelmä voi mahdollistaa rajan asettamisen matalammaksi. Tarkentavia second tier -menetelmiä ei SCID-seulonnassa tietääksemme ole käytössä. Tulkinta-algoritmia muuttamalla väärin positiivisten määrää on mahdollista jonkin verran laskea. Siis muuttamalla sitä miten tulos tulkitaan, jos ensimmäisen analyysin ja uusinta-analyysin rinnakkaismääritysten tulokset ovat ristiriidassa keskenään. Tällaisia näytteitä on jonkin verran, joten tämä vaikuttaa tuloksiin merkittävästi. Myös tulkinta-algoritmeissa on usein laboratorikohtaista vaihtelua. Muuttamalla tulkinta-algoritmia sellaiseksi, että tulos katsotaan poikkeavaksi, kun kaksi kolmesta TREC-määrittämisestä alittaa seulontarajan (20 tai 18, tässä ei havaittu eroa), olisivat tulokset tiivistetyksi tähän asti seulotuista näytteistä (n. 25 000) alla olevanlaisia:
 - Positiivisia näytteitä 12 kpl (0,048 %): täysiaikaisia 3 kpl (0,012 %), keskosia 9 kpl (0,036 %) •
 - Täysiaikaiset (3 kpl): yhdellä todettu rustohiushypoplasia (RHH), yhdellä CATCH22 •
 - Keskoset (9 kpl): 6:lla TREC-tulos kontrollissa normaali, 3:lle tehty jatkotutkimukset hyvin matalan TREC-tuloksen vuoksi, yhdellä näistä todettu rustohiushypoplasia •
 - Keskosista rustohiushypoplasiaa sairastava lapsi on syntynyt rv:lla 36, muut seulontapositiiviset

keskoset rv:lla 23-33 Tämän pienen aineiston perusteella ks. tulkinta-algoritmin käyttö johtaisi siis siihen, että Suomessa vuositason täysiaikaisista n. 2 tervettä ja 3-4 vaikeaa T-lymfopeniaa potevaa lasta joutuisi jatkotutkimuksiin, keskosista n. 11 joutuisi kontrolloitavaksi ja n. 5-6 jatkotutkimuksiin. Varsinaisiin jatkotutkimuksiin päätyisi siis yhteensä n. 11 lasta ja seulonnassa löytyisi n. 5-6 ainakin seurantaa vaativaa vaikeaa T-lymfopeniaa (esim. RHH ja CATCH22). Pidetäänkö tämän kaltaista tulosta riittävänä? Positiiviset ennustearvot: valmistelumuistio (sivu 29, rivit 756-766) Valmistelumuistiossa käytetään vertailuesimerkkinä Tanskan seulonnan PPV arvoa 62 %, joka on vuodelta 2018. Tanskan PPV arvot ovat hyviä ja erinomainen esimerkki siitä kuinka vuosien kehitystyö on tuottanut tulosta. Muistiossa referoidussa julkaisussa (Lund et al 2020) mainitaan PPV arvon olleen laajennetun seulonnan alkuaikoina vain 15 % ja koko seulonta-ajalta laskettuna 41 %. Julkaisusta käy myös ilmi suuri sairauskohtainen vaihtelu: esim. LCHAD:n ja MCAD:n kohdalla PPV on ollut erinomainen (90-100 %), PA/MMA tautien kohdalla se on edelleen vain 11 % ja MSUD:n kohdalla vain 5 %. IVA:n PPV on erittäin hyvä käytössä olevasta second tier -menetelmästä johtuen. On myös syytä huomioida, että mainitut Tanskan seulonnan PPV arvot eivät sisällä CAH:a, joka on erityisesti ilman nykyisiä second -tier menetelmiä varsin yleinen väärin positiivisten aiheuttaja. Esim. Ruotsissa CAH:n PPV on 26 vuoden seulonnan aikana ollut n. 15 % (Gidlöv et al 2014). Lisäksi MCAD:n runsas esiintyvyys ja hyvä PPV korostuu Tanskan seulonnan PPV arvoissa. Uusin tanskalaisten raportti vuodelta 2020 on jostain syystä julkaistu vain tanskalaisessa lääketieteellisessä julkaisusarjassa. Tanskalaiskirjoittajien aiemmasta artikkelista vuodelta 2012 (Lund et al 2012) havaitaan, että monien sairauksien kohdalla oikeiden positiivisten osuus on tuolloin ollut hyvinkin pieni, jopa <5 %. Osa sairauksista on sittemmin, siis 5-10 vuoden seulonnan jälkeen, poistettu seulottavien sairauksien listalta. On huomattava, että Tanskassa on jo 18 vuoden kokemus laajennetusta seulonnasta. Kokemuksen myötä seulottavien sairauksien listaa on Tanskassa vähitellen muokattu. Suomessa valtakunnallinen seulonta on käynnistynyt asteittain vasta n. 5 vuotta sitten ja koko maa on ollut mukana seulonnassa vasta kevästä 2018. Mikäli Suomessa ei seulota/olisi seulottu, ei vastaavaa kokemusta kertyisi eikä maassamme esiintyvien sairauksien esiintyvyydestä saataisi tietoa. Tanskaan verrattuna vastasyntyneiden seulonnan kehitystyö Suomessa on vasta alkumetreillä.

Asteikolla 1-5: Kuinka hyödyllisenä pidät ehdotettua suositusta?

- 1 0/8
- 2 0/8
- 3 1/8
- 4 1/8
- 5 4/8

Perustele antamasi arvosana

- Jokainen löydetty SCID on tärkeä ja kustannusetu on selvä. SCID on harvinainen, joten harvinaiset tapaukset löytääksemme on altistettava suuri määrä lapsia tutkimukselle, mikä lisää työtä ja mahdollisesti perheen huolta tietyissä tapauksissa.
- Kyseessä on harvinainen tautitila, johon on olemassa parantava hoito, jonka edellytyksenä

puolestaan on erittäin varhainen diagnoosi. Suositus vahvistaa seulonnan vakiintumista kansalliseen käyttöön.

- Olisin toivonut erillistä suositusta nykyisestä seulontajärjestelmästä ja scid seulonnasta: selkiyttäisi lausuntoa. Toivon että nostatte SCID seulonnan käynnistyksen kohdaksi 1 ja nykyisen ohjelman arvioinnin kohdaksi 3, jonka tila ei estä SCID seulonnan aloitusta!
- SCID-taudin merkitys on suuri yksilön kannalta ja huomattava myös yhteiskunnan kannalta, vaikka tauti onkin harvinainen. SCID voidaan hyvin havaita seulonnalla ja varhain havaittuna sen hoidossa päästään hyviin tuloksiin.
- Lääketieteellisesti kannatettava, selkeästi kirjoitettu ja perusteltu suositus. Kansallinen yhtenäisyys ja informaatio ovat jatkossa hyvät. On klinikoissa toteutettavissa kunhan yhteistyö mm keskussairaaloiden ja yliopistosairaaloiden ja neuvoloiden kesken sovitaan.
- Tärkeä ja erittäin hyvin ja huolellisesti perusteltu ja valmisteltu suositus.

Onko suositusluonnos mielestäsi ymmärrettävä? Ellei ole, kerro miten sitä voisi parantaa!

- On ymmärrettävä.
- ks yllä Tämän rakennetun formaatin käyttö lausunnon kommentoitiin on hankala: kokonaisuus hämärtyy
- Kyllä on.
- On selkeä ja ymmärrettävä.
- Kyllä

Hyväksytty Palveluvalikoimaneuvoston kokouksessa 25.9.2020

Palveluvalikoimaneuvoston suositus Vaikean sekamuotoisen immuunivajeen (SCID) seulonta vastasyntyneiden kantapäiverinäytteestä

Yhteenveto suosituksesta

Palko katsoo, että käynnissä olevaan vastasyntyneiltä otettavaan veritäplänäytteeseen perustuvaan seulontaohjelmaan voidaan lisätä uutena tautina SCID edellyttäen, että

1. Yliopistosairaalat vastaavat keskittämisasiasetuksen mukaisesti yhdessä siitä, että vastasyntyneiden veritäplänäytteeseen perustuvassa seulontaprosessissa todetut seulontaprosessin laatuongelmat sekä tiedonkeruun heikkoudet korjataan terveydenhuollon ammattilaisten toiminnan (koulutus, vanhemmille tiedottaminen ja tiedon välittäminen sekä kirjaaminen) osalta.
2. Tuberkuloosin riskiryhmän BCG-rokotusten siirto noin kahden viikon iässä erillisellä rokotekäynnillä toteutettavaksi voidaan kansallisesti varmistaa siten, että rokotuskattavuus ei heikkene. Tämä edellyttää yhtenäistä tiedonkulkua riskiryhmän tunnistamisesta rokotuksen toteutumisen varmistamiseen. THL antaa BCG-rokotuksen toteuttamisesta kansallisen ohjeen.
3. SCID-seulonnan kansallista seulontarajaa lasketaan niin, että seulontanäytteen positiivinen ennustearvo on parempi kuin 10%. Mahdollisuuksia edelleen vähentää jatkotutkimuksiin kutsuttavia tulee selvittää.

Lisäksi Palko kiinnittää huomioita selvitysraportissa todettuun ongelmaan, että nykyisin seulottavista taudeista 17/22 osalta ei ole tehty seulontakriteerien mukaista kansallista arviota ennen niiden lisäämistä seulontaohjelmaan. Nämä tulisi jatkossa arvioida.

Kansallisesta seulontojen ohjauksesta, laadunvalvonnasta ja raportoinnista sekä veritäplänäytteestä tällä hetkellä seulottavien tautien arviointitarpeesta ja uusien tautien lisäämisen edellytyksistä tehdään erillinen STM:n päätös.

Termit ja lyhenteet

BCG-rokote	Tuberkuloosirokote (bacillus Calmette-Guerin)
FinCCHTA	Kansallinen HTA-koordinaatioyksikkö
GVHD	Käänteishyljintä (graft vs. host disease)
HUS	Helsingin ja Uudenmaan sairaanhoitopiiri
SASKE	Synnynnäisten aineenvaihduntasairauksien seulontakeskus, sijaitsee TYKSin yhteydessä
SCID	Vaikea sekamuotoinen immuunivajavuus (severe combined immunodeficiency), alkaa vastasyntyneenä
TREC -määritys	T-solureseptorimääritys (T-cell receptor excision circle assay)
TYKS	Turun yliopistollinen keskussairaala
WHO	Maailman terveysjärjestö (World Health Organisation)

Sisällys

Termit ja lyhenteet	2
1. Perusteet suosituksen laatimiseen	4
2. Suosituksen kohderyhmä.....	4
3. Arvioitava menetelmä	4
4. Vaikuttavuus ja turvallisuus sekä niihin liittyvät epävarmuustekijät	5
5. Kustannukset	7
6. Eettiset näkökulmat	7
7. Johtopäätökset	9
8. Yhteenvedo suosituksesta	10
9. Lisänäytön kerääminen ja suosituksen vaikutusten seuranta	10

1. Perusteet suosituksen laatimiseen

Turun yliopistollisen keskussairaalan Lasten ja nuorten klinikka ja Helsingin ja Uudenmaan sairaanhoitopiirin Uusi lastensairaala ehdottivat FinCCHTAlle arvioitavaksi vaikean sekamuotoisen immuunivajeen (severe combined immunodeficiency eli SCID) seulonnan lisäämisen käynnissä olevaan vastasyntyneiden kantapääverinäytteestä tehtävään aineenvaihduntatautiin seulontaohjelmaan. FinCCHTA tarjosi aiheita Palkon tehtäväksi. Palko päätti 1.11.2018 kokouksessa ottaa aiheen käsitelläkseen, koska kyseessä on uuden taudin lisääminen jo käynnissä olevan seulontaohjelman tautipaneeliin ja haluttiin varmistaa, että seulontaohjelma toteutuu laadukkaasti ja uusien tautien lisäämisen periaatteet selkeytetään. Palko perusti ”Vaikean sekamuotoisen immuunivajeen (SCID) seulonta vastasyntyneiden kantapääverinäytteestä” suositustyötä varten erillisen jaoston. Palko päätti 5.2.2019, että SCID-seulonnan arvioinnissa käytetään WHO:n ja Tanskan eettisen neuvoston kriteereihin perustuvia STM:n seulontatyöryhmän hyväksymiä seulontakriteerejä¹. Suositus perustuu valmistelumuistiossa esitettyihin taustatietoihin.

2. Suosituksen kohderyhmä

Seulonalla pyritään löytämään ne vastasyntyneet, joilla on vakava sekamuotoinen immuunivaje eli SCID jo ennen taudin aiheuttamia kliinisiä oireita. SCID on vakavin lapsuusiällä todettu synnynnäinen immuunivaje. SCIDin esiintyvyydeksi Suomessa on arvioitu noin 1:58 000 vastasyntyntä kohden. Tauti johtaa vakavaan infektiolttiuteen, jossa virusten, bakteerien ja alkueläinten aiheuttamat vaikeat tulehdukset aiheuttavat pysyviä elinvaurioita etenkin keuhkoissa. Hoitamattomana SCID johtaa lapsen kuolemaan imeväisiässä tai varhaislapsuudessa. Terveeltä luovuttajalta saatu kantasolusiirto on tehokas ja parantava hoito, ellei lapselle ole kehittynyt merkittäviä infektiio-ongelmia ennen hoitotoimenpidettä.

3. Arvioitava menetelmä

Kyseessä on seulontaohjelma ja sen arviointi koostuu 14 erillisestä kohdasta. Seulonta alkaa siitä tiedottamisesta ja päättyy hoidon järjestämiseen. Kunkin kriteerin arviointi on kuvattu tarkemmin valmistelumuistion kappaleessa 6, sivut 26-40.

Seulontaan käytettävä verinäyte otetaan jo muussa seulontakäytössä olevasta veritiplänäytteestä, joka otetaan lähes kaikilta vastasyntyneiltä, kun he ovat vähintään 48 tunnin ikäisiä. Verinäytteestä määritetään

¹ Autti-Rämö I, Malila N, Mäkelä M, Leppo K. Lisääkö seulonta terveyttä? Suom Lääkäril 2006;61: 2997-3001.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

PCR-menetelmällä T-lymfosyyttien T-solureseptorin kypsymisessä vapautuvia DNA-kappaleita (T-cell receptor excision circles eli TREC). Niiden esiintyminen veressä on merkki T-solujen normaalista kypsymisestä ja SCID-potilailla TREC-kappaleiden määrä on hyvin pieni tai olematon.

Seulonnassa käytetty TREC-kappaleiden raja-arvo vaikuttaa merkittävästi lisätutkimuksiin ohjattavien lasten määrään. Keskeistä on tunnistaa kansallisesti oikea raja-arvo, jonka avulla on mahdollista tunnistaa vuosittain syntyvät 1-2 SCID potilasta siten, että niiden jatkotutkimuksiin ohjattavien lasten määrä, joilla ei ole SCIDiä, olisi mahdollisimman pieni. Riippuen TREC määrästä jatkotutkimukset voidaan joutua tekemään päivystyksenä, jolloin lapsi otetaan sairaalaan suojaeristykseen tai lapsi voidaan tutkia polikliinisesti seuraavana arkipäivänä ja hän voi odottaa vastauksia kotona.

Toiselta henkilöltä saatu (allogeeninen) kantasolusiirto on vaikean sekamuotoisen immuunivajeen parantava hoito. Siinä viollisia soluja tuottava luuydin vaihdetaan terveeltä henkilöltä saatuihin kantasoluihin, jotka rakentavat uuden immuunijärjestelmän. Kantasoluja voi luovuttaa kudostyypiltään sopiva sisarus, rekisteriluovuttaja tai terve vanhempi. Jos SCID-tauti varmistuu jatkotutkimuksissa, pyritään kantasolusiirto tekemään ennen 3 kk:n ikää ja lapsi on siihen asti sairaalassa suojaeristyksessä.

Kantasolusiirtoa ja sen jälkeistä hoitoa käsitellään tässä suosituksessa eri vaihtoehtoihin (seulonta vs. ei-seulonta) liittyvien ennusteiden ja hoitokustannusten osalta, hoidon toteutusta ei tarkemmin kuvata. Kantasolusiirrot on Suomessa keskitetty Helsingin Uuteen Lastensairaalaan ja niitä toteutetaan useissa eri sairauksissa. Imeväisen, oireettoman lapsen kantasolusiirrosta ei Suomessa ole vielä kokemusta, mutta toteutukseen liittyy vähemmän riskejä kuin oireisten lasten hoidossa.

4. Vaikuttavuus ja turvallisuus sekä niihin liittyvät epävarmuustekijät

SCID-seulonnan tavoitteena on varhainen diagnoosi ja parantavan hoidon eli allogeenisen kantasolusiirron toteutus jo ennen ensimmäisiä kliinisiä oireita. Seulontaohjelmissa on arvioitava koko seulontaprosessin laadukas toteutuminen, varhaisen tunnistamisen ja hoidon toteutuksen mahdollistama terveyshyöty sekä seulontaohjelman kustannusvaikuttavuus.

SCID-taudin seulonta perustuu sen lisäämiseen vuodesta 2015 käynnissä olevaan aineenvaihduntatautiin seulontaohjelmaan, jossa seulontanäyte otetaan vastasyntyneiden kantapäältä ja veritäplänäyte tutkitaan keskitetysti TYKSin yhteydessä toimivassa synnynnäisten aineenvaihduntasairauksien seulontakeskuksessa (SASKE). Tästä seulonnasta käytetään suosituksessa lyhennettä veritäpläseulonta. STM edellytti 7.4.2014 yliopistosairaaloille lähettämässään kirjeessä, että yliopistosairaalat vastaavat laajennetun seulonnan suunnittelusta, ohjauksesta ja laadusta. Keskittämisasietus (582/2017) velvoittaa viiden yliopistosairaalan huolehtivan aineenvaihduntatautiin seulonnasta vastasyntyneiltä, niiden suunnittelusta ja yhteen sovittamisesta alueellisesti käsittäen jatkotutkimukset ja seulontaprosessin laadunvarmistuksen. Seulontasetuksessa (339/2011) puolestaan annetaan yleiset seulontojen suunnittelun, tiedottamisen ja arvioinnin periaatteet sekä todetaan, että Terveystieteiden ja hyvinvoinnin laitos seuraa ja arvioi yhteistyössä muiden alan toimijoiden kanssa käynnissä olevia seulontaohjelmia ja niissä käytettäviä menetelmiä.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Veritäpläseulonnan kansallista toteutusta selvitetiin synnytys- ja lastensairaaloihin lähetetyn kyselyn avulla. Toteutuksessa esiintyi merkittäviä alueellisia eroja (katso valmistelumuistion kappaleet 3.1 ja 3.2, sivut 12-15). Koko seulontaprosessin laadun parantamiseksi tarvittavien toimenpiteiden tunnistamiseksi käynnistettiin erillinen selvitystyö² (katso valmistelumuistion kappale 4, sivut 24-25). Selvitysraportissa esitettyjen laadun varmistamiseksi tarvittavien toimenpiteiden toteutuminen on perusedellytys sille, että veritäpläseulontaan voidaan lisätä uusia tauteja.

SCID-seulonnan osalta seulontakriteerien toteutuminen on esitetty valmistelumuistiossa sivuilla 27-41. SCID-tauti on mahdollista seuloa vastasyntyneen veritäplästä ja taudin varmistavat jatkotutkimukset ovat saatavilla. Seulontakriteereitä tarkasteltaessa keskeinen ongelma liittyy nykyiseen seulontarajaan, jonka vuoksi seulontapositiivisten määrä on kohtuuttoman suuri. SCID taudin ennustetta parantava hoito on Suomessa saatavilla. Diagnoosin saanut lapsi jää sairaalaan suojaeritykseen, kunnes hoito on toteutettu.

Immuunijärjestelmän parantava hoito on toiselta henkilöltä saatu kantasolusiirto. Kantasolusiirteen tarttuminen ja pitkäaikainen toiminta edellyttävät usein siirteen saajan esihoitoa solunsalpaajilla, tähän hoitoon voi liittyä pitkäaikaiskomplikaatioita. Esihoito valitaan immuunivajeen geneettisen taustan, potilaan iän ja käytettävissä olevan luovuttajan mukaan. Esihoito on kevein alle 3 kk ikäisillä lapsilla, jotka eivät ole sairastaneet infektioita ja joilla on sisarusluovuttaja. Rekisteriluovuttajan identifioimiseen voi kulua aikaa 3-4 kk, sopiva sisarusluovuttaja tunnistetaan nopeammin, mutta sisarusluovuttaja löytyy vain neljäsosalle kantasolusiirron tarvitsevista lapsista.

Kantasolusiirron onnistumiseen ja lapsen selviytymisen mahdollisuuksiin vaikuttaa oleellisesti se, onko hän saanut infektioita ja saadaanko infektiot hoidettua. Jos vaikeaa immuunivajetta sairastava potilas saa kantasolusiirron alle 3 kk ikäisenä eikä hänellä ole ollut vakavia infektioita, onnistuu siirto 90 %:lla. Tietyt infektiot (erityisesti pneumocystis jirovecii, CMV tai RSV virukset) voivat vaurioittaa SCID-potilaan keuhkojen toimintaa peruuttamattomasti. Jos infektioita ei saada rauhoittumaan ennen kantasolusiirtoa, liittyy siirtoon lisääntynyt sairastavuus erityisesti keuhkojen, maksan ja munuaisten toiminnassa, lyhempi elinajanennuste ja suurempi kuolleisuus. Vaikean infektion riski kasvaa mitä myöhempään tauti todetaan.

Lapselle, jolla on SCID, ei voida antaa heikennettyjä, eläviä rokotteita, sillä ne voivat johtaa heillä vakavaan yleistautiin ja jopa kuolemaan. SCID-seulonta edellyttää tuberkuloosin riskiryhmässä olevien vastasyntyneiden (arviolta noin 10% vastasyntyneistä, riskiryhmien osuus vaihtelee sairaanhoitopiirien välillä) BCG-rokotuksen siirtämistä synnytysairaalaista noin kahden viikon iässä erillisellä rokotekäynnillä annettavaksi. Tällöin seulontavastaus on valmis ja SCID on poissuljettu (katso tarkemmin valmistelumuistion kappale 3.4, sivut 20-24). Imeväisen tuberkuloosi on erittäin vakava yleistauti. Sen hoito on kallista ja myös se voi johtaa lapsen kuolemaan. Tuberkuloosin esiintyvyys riskiryhmässä voi kasvaa, jos rokotekattavuus laskee. SCID-taudin lisääminen vastasyntyneiden veritäpläseulontaan edellyttää, että

² Matti Salo: Vastasyntyneiden aineenvaihduntasairauksienseulonnan nykytilanteen selvitys. SOSIAALI- JA TERVEYSMINISTERIÖN RAPORTTEJA JA MUISTIOITA 2020:18

riskiryhmän rokotekattavuus ei heikkene. THL määrittää tuberkuloosin riskiryhmään kuuluvat henkilöt ja ohjeistaa vastasyntyneiden BCG-rokotusten toteuttamisen.

5. Kustannukset

Kustannusvaikuttavuusanalyysissa SCID-seulonnan lisäämistä olemassa olevaan vastasyntyneiden aineenvaihduntatautiin seuloon verrattiin nykykäytäntöön, jossa järjestelmällistä seuloon ei järjestetä ja SCID tunnistetaan vasta taudin luonnollisen kulun myötä (katso valmistelumuistion kappale 3.3, sivut 15-20). Arviointi tehtiin terveydenhuoltojärjestelmän näkökulmasta, eikä siinä huomioitu muille kuin terveydenhuollolle koituvia kustannuksia. Arvion mukaan SCID-seuloon lisäisi terveydenhuollon kustannuksia, mutta sillä myös saavutettaisiin lisää elinvuosia aikaisemman diagnoosin ja hoitojen myötä. Nykytilanteeseen verrattuna SCID-seuloon aiheuttaisi arviolta 180 000 euron lisäkustannukset vuodessa. Varhaisemman diagnoosin ja SCID-potilaiden hoidon myötä saavutettaisiin samalla 12,2 lisäelinvuotta. Kustannusvaikuttavuussuhde olisi 14 286 euroa yhtä saavutettua lisäelinvuotta kohti. Seulonnan kustannusvaikuttavuuden kannalta keskeisiä epävarmuustekijöitä ovat SCIDin ilmaantuvuus Suomessa sekä SCIDin ja mahdollisten muiden seulonnessa havaittujen tautien (non-SCID) hoitokustannukset. Tapauksia on Suomessa toistaiseksi niin vähän, ettei rekisteriaineistoista saada luotettavia arvioita näistä, joten käytetyt tiedot perustuvat kansainväliseen kirjallisuuteen sekä asiantuntija-arvioihin. On kuitenkin huomioitava, että SCID-seulonnan kustannusvaikuttavuuden näkökulmasta merkittävin tekijä on seuloonkokeen hinta. Pilottivaiheen aikana SCIDin seulonnessa ei ole aiheutunut kunnille erillistä kustannusta.

6. Eettiset näkökulmat

SCID-seulonnessa keskeiset eettiset kysymykset liittyvät nykyisen seuloonprosessin alueellisten laatuerojen korjaamisen tarpeisiin, seulonnessa tiedottamiseen, tietoiseen ja tietoon perustuvaan päätökseen osallistua seuloon, mahdollisten jatkotutkimusten aiheuttamaan huoleen ja väärin positiivisten osuuteen, väärän negatiivisen mahdollisuuden sekä taudin harvinaisuuden ja vakavuuteen.

Harvinaisten tautien seulonnessa yleisenä ongelmana on se, että seulonnessa tiedottavat eivät juuri ole kyseisiä sairauksia nähneet, mikä vaikeuttaa seulonnan tavoitteista kertomista ja täten myös tietoon perustuvaa osallistumispäätöstä. SCID olisi yksi tauti lisää vastasyntyneiden veritählynäytteestä nyt seuloonkokeen 22 harvinaisen taudin ryhmään, lisäksi seuloonkokeen hypotyreoosia eli kilpirauhasen vajaatoimintaa napaverinäytteestä. Harvinaisten tautien kohdalla seulonnessa kertominen voi tiedostamattomasti olla myös ohjailevaa ja seulonnan hyötyjä korostavaa, jotta osallistumishalukkuus kasvaisi.

Väärän positiivisen mahdollisuudesta ja sen merkityksestä kerrotaan yleensäkin seuloonkokeiden kohdalla hyvin vähän. Terveystieteiden tutkimuksissa todettiin, että veritählyseulonnessa väärän positiivisen

STM051:00/2020
VN/21679/2020

mahdollisuutta ei juuri mainita, vaikka väriä positiivisia esiintyy enemmän kuin todellisia tautitapauksia. Tällä hetkellä veritäplänäytteestä tehdyissä seulontatutkimuksissa positiivisia näytteitä on vuosittain noin 130 mutta kaikista seulontapositiivista näytteistä vain 6,6% on todellisia tautitapauksia. SCID-seulonnassa nykyisen SASKE:n käyttämän raja-arvon mukaan näitä lisätutkimuksiin kutsuttavia vääräksi positiiviseksi osoittautuneita tulisi vuosittain lisää noin 45 lasta (näistä sairaalahoidossa olevia ennenaikaisena syntyneitä noin 15), jos syntyvyys olisi noin 50 000/vuosi.

Haasteellisimmissä tilanteissa lapsi voidaan joutua ottamaan sairaalaan suojaeristykseen, kunnes jatkotutkimukset ovat valmistuneet. Useimmiten vanhemmat voivat odottaa vastauksia lapsen kanssa kotona. Huoli vakavasta sairaudesta voi vaikuttaa pitkäkestoisesti vanhempien ja lapsen väliseen vuorovaikutukseen. On tunnistettu, että vakuutteluista huolimatta kaikki vanhemmat eivät pysty heti luottamaan siihen, että veritäplänäytteen jatkotutkimuksissa terveeksi todettu lapsi on varmasti terve. Tämä ilmiö on todennäköistä myös SCIDin kohdalla. Lapsen tarkkailu ja huoli pienistäkin oireista voi jatkua pitkään ja vaikuttaa niin vuorovaikutukseen kuin pystyvän vanhemmuuden kokemuksen kehittymiseen sekä lisätä terveydenhuollon käyntejä.

Seulonnassa voi myös löytyä muita kuin seulonnan kohteena olevia tauteja. Näiden kohdalla varhaisen diagnoosin hyötyä ei ole erikseen selvitetty. Seulontojen yleisten periaatteiden mukaan seulottavaan tautiin on oltava vaikuttava, hyväksytty hoito. Jos varhainen diagnoosi ei tuota terveyshyötyä voidaan käänteisesti todeta, että tällöin vanhemmat menettävät aikaa, jolloin heidän ei olisi vielä tarvinnut kantaa huolta lapsella todetusta sairaudesta.

Väärän negatiivisen mahdollisuus on erittäin pieni mutta mahdollinen. Seulonta voi johtaa myös siihen, että seulottavia tauteja ei osata enää oireiden ilmaantuessa epäillä ja tunnistaa, jos terveydenhuollon henkilöstön luottamus seulonnan kattavuuteen ja sensitiivisyyteen on suuri. Mitä suurempi osa vanhemmista päättää, että ei halua lapsestaan otettavan veritäplänäytettä, sitä suurempi on myös riski, että joku seulottavista harvinaisista taudeista ei tule tunnistetuksi seulontaohjelman kautta. Synnytyssairaaloihin lähetetyn kyselyn ja terveydenhoitajien haastattelun mukaan osallistumisprosenttiin vaikuttaa mm. varhainen kotiutuminen synnytyksen jälkeen sekä piikkikammoisuus, näihin voidaan terveydenhuollon toimin vaikuttaa.

Arvioitaessa SCID-seulonnan hyväksyttävyyttä väestön näkökulmasta on huomioitava seulottavan taudin yleisyys, vakavuus ja saavutettavissa oleva terveyshyöty sekä toisaalta seulonnasta aiheutuvat haitat niille perheille, joiden lapsella ei jatkotutkimuksissa todettu SCIDiä. Lisäksi on arvioitava seulonnan aiheuttamat kokonaiskustannukset sekä BCG-rokotuksen siirrosta aiheutuvan rokotuskattavuuden varmistamisen edellyttämät toimenpiteet ja mahdolliset lisäkustannukset. On myös huomioitava henkilöstön työajan kohdentaminen tulevien vanhempien yksilöllisten tiedontarpeiden näkökulmasta. Jokainen uusi seulottava tauti edellyttää lisäinformaation antoa ja tiedon tarve on perhekohtainen. Hyväksyttävyyteen vaikuttaa myös se, miten hyvin vääristä positiivista on tiedotettu ja miten hyvin perheiden kanssa tällainen tilanne käsitellään.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

7. Johtopäätökset

Vastasyntyneiden sekamuotoinen immuunivaje on hoitamattomana varhaislapsuudessa kuolemaan johtava sairaus. Mitä aikaisemmin kantasolusiirto voidaan tehdä, sitä todennäköisemmin lapsi ei ole ennättänyt saada elimistöä pysyvästi vahingoittavia infektioita ja sitä todennäköisemmin kantasolusiirron avulla voidaan parantaa lapsi pysyvästi.

SCID-seulonnan kriteerikohtainen arviointi on valmistelumuistion kappaleessa 6, sivut 26-40. SCIDIin liittyvät spesifit kriteerit täyttyvät muilta osin paitsi seulonnan positiivinen ennustearvo on liian matala. Veritäpläseulontaan kokonaisuutena liittyvien kriteerien osalta alueellinen vaihtelu on liian suurta ja lisäksi on tunnistettu yhtenäisen tiedottamisen ja tiedotemateriaalin, terveydenhuollon henkilökunnan koulutuksen sekä tiedonkeruun parantamisen tarve.

SCID on erittäin harvinainen sairaus ja vuosittain 1-2 potilaan varhainen löytäminen edellyttää seulontanäytteen ottamista ja tutkimista kaikilta vastasyntyneiltä. Suomessa on jo käynnissä vastasyntyneiden veritäpläseulontanäyte ja näytteet tutkitaan keskitetysti yhdessä laboratoriossa. Tämä mahdollistaa kustannustehokkaan prosessin. Veritäpläseulonnan laadussa todetut ongelmakohdat on kuitenkin kansallisesti korjattava ja toiminta yhdenmukaistettava ennen kuin siihen voidaan lisätä uusia tauteja. Keskittämisasiäsetuksen (582/2017) mukaisesti Yliopistosairaaloiden tulee yhdessä varmistaa, että vastasyntyneiden veritäpläseulontaan perustuvien harvinaisten tautien seulontaprosessissa todetut ongelmakohdat korjataan ja tiedonkeruuta parannetaan. Seulontojen kansallisesta ohjauksesta ja laadunvalvonnasta tullaan tekemään STM:ssä erillinen päätös.

SCID-taudin kustannusvaikuttavuuteen vaikuttaa paitsi analyysikustannukset myös se, että tuberkuloosin riskiryhmään kuuluvien rokotekattavuus voidaan varmistaa, kun BCG-rokotus siirretään SCID-seulontavastausta odottaessa synnytyssairaalaan noin 2 viikon iässä erillisellä rokotuskäynnillä annettavaksi. Tästä on jo olemassa kansallisia toimintamalleja, joita kehitettiin BCG-rokotteen saatavuusongelmien esiintyessä. Riskiryhmän kansallisen rokotekattavuuden varmistaminen edellyttää myös potilastietojärjestelmiä, joiden avulla riskiryhmään kuuluvien BCG-rokotusten toteutuminen voidaan varmistaa. THL antaa BCG-rokotuksen siirrosta kansallisen ohjeen.

Tilanteessa, jossa veritäpläseulonta toimii laadukkaasti, olisi lisäelinvuoden kustannus n 14 800 €, jos SCIDin seulonta-analyysin hinta olisi noin 4€. Kustannusvaikuttavuuteen vaikuttaa eniten seulontatestin hinta, mutta myös SCIDin ilmaantuvuus. Jos ilmaantuvuus onkin vain 1:80 000, nousee lisäelinvuoden hinta 23 300 euroon. Kustannuslaskelmissa ei kuitenkaan ole huomioitu veritäpläseulonnan laadun varmistamiseksi tarpeellisia toimenpiteitä eikä BCG-rokotuksen siirrosta aiheutuvia kustannuksia. Seulontaprosessin laadun varmistamisesta aiheutuvat kustannukset on huomioitava arvioitaessa veritäpläseulonnan kustannusvaikuttavuutta kokonaisuutena. SCID-seulonnan kustannusvaikuttavuuteen vaikuttaa sen sijaan itsenäisesti se, aiheutuuko BCG-rokotuksen siirrosta synnytyssairaalaan erilliselle poliklinikkakäynnille lisäkustannuksia ja voidaanko riskiryhmän rokotuskattavuus taata. THL arvioi, että rokotuskattavuuden heikkeneminen voisi johtaa yhden pikkulapsen sairastumiseen 2 vuoden välein. Vuosina 2005–2018 erikoissairaanhoidon päätyneen tuberkuloositapauksen (alle 5v) keskimääräiset

STM051:00/2020
VN/21679/2020

sairaalakustannukset olivat kahden vuoden ajalta 13 900 - 21 400 euroa tapausta kohti, valtaosa kustannuksista toteutui ensimmäisenä hoitovuotena. Avohoidon lääkehoitokustannukset ovat vain 160-400 €, jos se voidaan toteuttaa ilman valvontaa. Tuberkuloosin riskiryhmään kuuluu 10% vastasyntyneistä, joten rokottamisen ajankohdan siirrosta aiheutuva lisäkustannus tai merkittävä rokotuskattavuuden heikentyminen ja tuberkuloosin ilmaantuvuuden kasvu voi johtaa SCID-seulonnan kustannusvaikuttavuuden heikentymiseen.

8. Yhteenveto suosituksesta

Palko katsoo, että käynnissä olevaan vastasyntyneiltä otettavaan veritäplänäytteeseen perustuvaan seulontaohjelmaan voidaan lisätä uutena tautina SCID edellyttäen, että

4. Yliopistosairaalat vastaavat keskittämisesetuksen mukaisesti yhdessä siitä, että vastasyntyneiden veritäplänäytteeseen perustuvassa seulontaprosessissa todetut seulontaprosessin laatuongelmat sekä tiedonkeruun heikkoudet korjataan terveydenhuollon ammattilaisten toiminnan (koulutus, vanhemmille tiedottaminen ja tiedon välittäminen sekä kirjaaminen) osalta.
5. Tuberkuloosin riskiryhmän BCG-rokotusten siirto noin kahden viikon iässä erillisellä rokotekäynnillä toteutettavaksi voidaan kansallisesti varmistaa siten, että rokotuskattavuus ei heikkene. Tämä edellyttää yhtenäistä tiedonkulkua riskiryhmän tunnistamisesta rokotuksen toteutumisen varmistamiseen. THL antaa BCG-rokotuksen toteuttamisesta kansallisen ohjeen.
6. SCID-seulonnan kansallista seulontarajaa lasketaan niin, että seulontanäytteen positiivinen ennustearvo on parempi kuin 10%. Mahdollisuuksia edelleen vähentää jatkotutkimuksiin kutsuttavien määrää tulee selvittää.

Lisäksi Palko kiinnittää huomioita selvitysraportissa todettuun ongelmaan, että nykyisin seulottavista taudeista 17/22 osalta ei ole tehty seulontakriteerien mukaista kansallista arviota ennen niiden lisäämistä seulontaohjelmaan. Nämä tulisi jatkossa arvioida.

Kansallisesta seulontojen ohjauksesta, laadunvalvonnasta ja raportoinnista sekä veritäplänäytteestä tällä hetkellä seulottavien tautien arviointitarpeesta ja uusien tautien lisäämisen edellytyksistä tehdään erillinen STM:n päätös.

9. Lisänäytön kerääminen ja suosituksen vaikutusten seuranta

Vastasyntyneiden veritäplänäytteestä tulee kerätä systemaattista ja sairaalakohtaista tietoa seuraavista asioista

1. seulontaan osallistuvien osuus
2. uusintänäytteiden määrä ja syy (uusi seulontanäyte vai laajemmat tutkimukset)

3. tunnistetut taudit ml. sellaiset, jotka eivät olleet seulonnan tavoitteita

Lisäksi olisi tärkeää selvittää jatkotutkimuksissa vääriksi positiivisiksi varmistuneiden seulontalöydösten aiheuttamaa mahdollista huolta sekä terveydenhuollon toimien tarvetta.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Palveluvalikoimaneuvoston valmistelumuistio

**Vaikean sekamuotoisen immuunivajeen (SCID) seulonta
vastasyntyneiden kantapääverinäytteestä**

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Sisällysluettelo

Termit ja lyhenteet	4
1. Suosituksen tausta ja rajaukset	5
2. Vaikea sekamuotoinen immuunivaje	6
2.1. Taudin luonnollinen kulku	6
2.2. Diagnostiikka	7
2.3. Hoito	7
2.4. SCID-seulonta vastasyntyneeltä	8
3. Jaoston tekemät selvitykset	13
3.1. Kysely vastasyntyneiden veritäpläseulonnan toteutumisesta	13
3.2. Terveystoimien toteuttaminen	14
3.3. SCID-seulonnan kustannusvaikuttavuus	15
3.4. BCG-rokotuksen ajankohdan siirtäminen.....	21
4. Vastasyntyneiden aineenvaihduntasairauksien nykytilanteen selvitys	25
5. Seulontaohjelmien yleiset eettiset näkökulmat.....	26
6. Seulontaohjelman arviointikriteerien täyttyminen.....	27
6.1. Seulottavan taudin merkitys on suuri (WHO1)	28
6.2. Tauti voidaan havaita seulonnalla varhain (WHO4).....	28
6.3. Taudin luonnollinen kulku tunnetaan (WHO7)	29
6.4. Tarkoituksenmukainen seulontamenetelmä (WHO5).....	29
6.5. Väestö hyväksyy seulonta- ja diagnoosimenetelmät (WHO6)	32
6.6. Ennen seulonnan aloitusta on tehty arvio (T12)	33
6.7. Linjaukset siitä, keitä hoidetaan potilaina, ovat selkeät (WHO8)	35
6.8. Tautiin on vaikuttava, hyväksytty hoito (WHO2)	35
6.9. Taudin jatkotutkimus- ja hoitomahdollisuudet ovat saatavilla (WHO3).....	36
6.10. Seulonnan organisaatio on selvitetty yksityiskohtaisesti (T14).....	36
6.11. Seulonnan ja hoidon kustannukset on kuvattu (WHO9).....	41

STM051:00/2020
VN/21679/2020

6. 12. Seulonnan vaikuttavuus on arvioitu (T13).....	42
6.13. Seulonta on jatkuvaa (WHO10).....	42
6.14. Seulonnan kokonaiskustannukset ovat kohtuulliset (WHO9).....	42
7. Kotimaiset ja kansainväliset suositukset	43
7.1. Kotimaiset suositukset	43
7.2. Kansainväliset suositukset.....	43
8. Suosituksen valmistelu	43
9. Suosituksen valmisteluun osallistuneet	44
10. Viitteet	45

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Termit ja lyhenteet

BCG-rokote	Tuberkuloosirokote (bacillus Calmette-Guerin)
FinCCHTA	Kansallinen HTA-koordinaatioyksikkö
GVHD	Käänteishyljintä (graft vs. host disease)
HUS	Helsingin ja Uudenmaan sairaanhoitopiiri
HSCT	Verta muodostavien kantasolujen siirto (hematopoietic stem cell transplantation)
Lymfopenia	Veren imusolujen (lymfosyyttien) niukkuus
MPR-rokote	Tuhkarokko- sikotauti- ja vihurirokkorokote (morbilli, parotiitti, rubella)
PID	Primaari immuunivaje (primary immunodeficiency)
PPV	Seulontatestin positiivinen ennustearvo (Positive predictive value)
QALY	Laatupainotettu elinvuosi (quality-adjusted life-year)
SASKE	Synnynäisten aineenvaihduntasairauksien seulontakeskus, sijaitsee TYKS:n yhteydessä
SCID	Vaikea sekamuotoinen immuunivajavuus (severe combined immunodeficiency), alkaa vastasyntyneenä
TCR	T-solu reseptori (T-cell receptor)
TREC -määritys	T-solureseptorimääritys (T-cell receptor excision circle assay)
TYKS	Turun yliopistollinen keskussairaala
WHO	Maailman terveysjärjestö (World Health Organisation)

STM051:00/2020
VN/21679/2020

1. Suosituksen tausta ja rajaukset

Turun Yliopistollisen keskussairaalan Lasten ja nuorten klinikka ja Helsingin ja Uudenmaan sairaanhoitopiirin Uusi lastensairaala ehdottivat FinCCHTAlle arvioitavaksi vaikean sekamuotoisen immuunivajeen (severe combined immunodeficiency eli SCID) seulonnan lisäämisen käynnissä olevaan vastasyntyneiden kantapääverinäytteestä tehtävään aineenvaihduntatautiin seulontaohjelmaan (veritäpläseulonta). FinCCHTA tarjosi aiheesta Palkon tehtäväksi. Palko päätti kokouksessaan 1.11.2018 aloittaa suositusvalmistelun aiheesta ”Vaikean sekamuotoisen immuunivajeen (SCID) seulonta vastasyntyneiden kantapääverinäytteestä”. Jaosto nimitettiin 18.12.2019. Palko päätti 5.2.2019, että SCID-seulonnan arvioinnissa käytetään WHO:n ja Tanskan eettisen neuvoston kriteereihin perustuvia, STM:n seulontatyöryhmän hyväksymiä seulontakriteerejä (Autti-Rämö ym. 2006).

Seulonnassa tutkitaan sovittu ryhmä oireettomia henkilöitä, joista pyritään tunnistamaan sairastumisriskissä tai taudin varhaisvaiheessa olevat. Tautiepäilyssä diagnoosin varmistava jatkotutkimus järjestetään viiveettä ja jatkotutkimuksella on mahdollista tunnistaa sairastuneet luotettavasti. Diagnostiikkaan tarkoitetun jatkotutkimuksen tulos ei ole aina yksiselitteinen, se voi esimerkiksi sisältää myös muiden kuin seulonnan kohteena olevan taudin varhaisen tunnistamisen. Tämän merkitys kunkin seulontaohjelman toteuttamisen kannalta on otettava erikseen huomioon. Seulontaohjelman tavoitteena on ennusteen parantaminen, joten ennustetta parantavan hoidon on aina oltava saatavilla. Suomessa tarjottavien kansallisten seulontojen suunnittelua ja toteutusta ohjataan Valtioneuvoston asettamalla seulonta-asetuksella (399/2011).

Seulontaan liittyy myös haittavaikutuksia. Psykkistä stressiä ja muita haittoja voivat aiheuttaa kutsu seulontaan, oikea positiivinen seulontatulokset, väärä positiivinen seulontatulokset, väärä negatiivinen seulontatulokset ja mahdollinen diagnostiseen tutkimukseen liittyvä haitan riski. Seulottavat taudit ovat erilaisia ja niiden merkitys ihmisille vaihtelee. Periytyvien tautien seulonta voi aiheuttaa hyötyjä ja haittoja myös seulottavien sukulaisille.

Tässä valmistelumuistiossa arvioidaan SCID-seulonnan vaikuttavuutta, haittoja ja kustannuksia sekä sen seulontaan liittyviä sosiaalisia, organisatorisia, eettisiä ja juridisia vaikutuksia STM:n seulontatyöryhmän hyväksymien seulontakriteereiden mukaan, parhaaseen saatavilla olevaan tietoon perustuen.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

2. Vaikea sekamuotoinen immuunivaje

Immuunipuolustusolot syntyvät luuytimessä. Synnynnäinen vaikea sekamuotoinen immuunivaje (SCID, severe combined immunodeficiency) on tauti, jossa vastasyntyneeltä puuttuu kyky tuottaa yhtä immuunipuolustussolulinjaa, T-lymfosyyttejä, geneettisen poikkeaman vuoksi. T-lymfosyytit ovat kriittinen osa soluvälitteistä immunitaattia. SCID on vakavin lapsilla todettu synnynnäinen immuunivaje. SCIDin esiintyvyys on noin 1:58 000 vastasyntyntä kohti (Gennery ja Gant 2001). Tauti johtaa vakavaan infektiolttiuteen, jossa virusten, bakteerien ja alkueläinten aiheuttamat vaikeat tulehdukset aiheuttavat pysyviä elinvaurioita etenkin keuhkoissa. Hoitamattomana SCID johtaa lapsen kuolemaan imeväisiässä tai varhaislapsuudessa (Gennery ja Gant 2001). Terveeltä luovuttajalta saatu nopea kantasolusiirto on tehokas hoito, ellei lapselle ole kehittynyt merkittäviä infekti-ongelmia ennen toimenpidettä.

SCID on harvinaissairaus, joka todettiin ensimmäisen kerran vuonna 1950 (Glanzmann ja Riniker 1950). Sitä aiheuttavia geenivirheitä tunnetaan yli 10, useat ovat peittyvästi periytyviä (Buckley 2004). Vanhemmat ovat tällöin terveitä, mutta lapsi saa taudin, jos hän perii virheellisen geenialleelin molemmilta vanhemmiltaan. Sukulaisavioliittoja suosivissa kulttuureissa SCIDin esiintyvyys voi olla jopa 1:5000 (Suliaman ym. 2006).

2.1. Taudin luonnollinen kulku

SCID johtaa immuunivajeen ja vaikeiden infektioiden vuoksi suolen, keuhkojen ja ihon toiminnan pettämiseen ja lapsen menehtymiseen kahteen ikävuoteen mennessä, ellei potilaan immunitaattia korjata kantasolusiirrolla tai erityistilanteissa geeniterapialla.

Syntyessään lapset ovat oireettomia eikä vastasyntyneen lääkärintarkastuksessa todeta poikkeavia löydöksiä. SCIDin oireet alkavat noin 2 kuukauden iässä äidiltä sikiöaikana siirtyneiden ja syntymän jälkeen rintamaidosta saatujen puolustuskykyyn vaikuttavien tekijöiden vähenemisen myötä. SCID-diagnosiin päästään vaikeiden infektioiden perusteella yleensä yli 4 kk iässä, ellei tautia osata epäillä suvun aiemman tapauksen tai vastasyntyneenä tehdyn seulonnan perusteella. Ilman allogeenistä kantasolusiirtoa T-solujen puute johtaa kuolemaan, vaikka potilaalle annettaisiin laajakirjoista antimikrobilääkehoitoa, nykyaikaista tehohoitoa ja vasta-aineita. Nämä tukihoidot ovat kuitenkin tärkeitä siltahoitoja ennen kantasolusiirtoa (Dorsey ym. 2017).

Tyypilliset oireet muistuttavat aluksi tavallisia hengitystieinfektioita, jotka eivät kuitenkaan parane ja oire kroonistuu. Tavallisten hengitystievirusten ja bakteerien lisäksi taudinaiheuttajina ovat sytomegalovirus

STM051:00/2020
VN/21679/2020

(CMV), ympäristön mykobakteerit, Pneumocystis jirovecii ja Candida (Gennery ja Gant 2001). Lapsille kehittyä yleensä myös vakava kasvuhäiriö, sillä heillä on suolessa krooninen infektio.

Imeväisiässä annettavat elävät heikennetyt rokotteet, kuten BCG-rokote ja rotarokote, voivat aiheuttaa SCID-potilaille vakavan yleistyneen taudin, joka voi johtaa kuolemaan (Bakare ym. 2010, Marciano ym. 2015). Tämän vuoksi eläviä rokotteita ei suositella SCID-potilaille. Jos SCIDiä seulotaan vastasyntyneiltä, onkin suositeltu siirtämään perinteisesti synnytyssairaalassa annettu BCG-rokotus ajankohtaan, jolloin vastasyntyneeltä otetun seulontanäytteen vastaus on käytettävissä eli noin 2 viikon ikään.

2.2. Diagnostiikka

Epäiltäessä SCIDiä vaikean kliinisen oireilun vuoksi, otetaan lapsilta täydellinen verenkuvasta ja immunofenotyyppitys, jolla tutkitaan lymfosyyttien alaluokat. Suurella osalla potilaista lopullinen diagnoosi varmistuu nopeasti SCID-epäilyn herättyä, sillä taudin aiheuttava geenivirhe voidaan tunnistaa noin kahden viikon sisällä geenipaneelin, koko eksomin tai koko genomien sekvensoinnin avulla.

Taudin tarkempi diagnostikka ja ennen kantasolusiirtoa annettava hoito on keskitetty yliopistollisiin lastenkliniikkiin. HUS:n Lastensairaalan hematologian yksikkö vastaa kaikista lapsille tehtävistä kantasolusiirroista Suomessa ja kykenee hoitamaan lasten vaikeiden immuunivajeiden kantasolusiirrot (Ryhänen ym. 2017).

2.3. Hoito

Toiselta henkilöltä saatu (allogeeninen) kantasolusiirto on vaikean sekamuotoisen immuunivajeen parantava hoito. Siinä viallisia soluja tuottava luuydin vaihdetaan terveeltä henkilöltä saatuihin, jotka rakentavat uuden immuunijärjestelmän. Kantasoluja voi luovuttaa kudostyyppiltään sopiva sisarus, rekisteriluovuttaja tai terve vanhempi (haploidittinen kantasolusiirto).

Kantasolusiirteiden tarttuminen ja pitkäaikainen toiminta edellyttää usein siirteiden saajan esihoitoa solunsalpaajilla, tähän hoitoon voi liittyä pitkäaikaiskomplikaatioita. Esihoito valitaan immuunivajeen geneettisen taustan, potilaan iän ja käytettävissä olevan luovuttajan mukaan. Esihoito on kevein alle 3 kk ikäisillä lapsilla, jotka eivät ole sairastaneet infektioita ja joilla on sisarusluovuttaja. Rekisteriluovuttajan identifioimiseen voi kulua aikaa 3-4 kk. Sisarusluovuttajan kohdalla hoidon toteutus sujuu yleensä nopeammin, mutta sisarusluovuttaja löytyy vain neljäsosalle kantasolusiirron tarvitsevista lapsista.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Vanhemman luovuttama kantasolusiirre on nopeasti käytettävissä, mutta sen käyttökelpoiseksi saattaminen on laboratorioteknisesti vaativa ja erityisosaamista edellyttävä prosessi, joka on kuitenkin Suomen osalta saatavilla.

Mitä nuoremmalle kantasolusiirto tehdään, sitä paremmat ovat mahdollisuudet parantaa potilas pysyvästi. Jos vaikeaa immuunivajetta sairastava potilas saa kantasolusiirron alle 3 kk ikäisenä eikä hänellä ole ollut vakavia infektioita, onnistuu siirto 90 %:lla potilaista. Tämän iän jälkeen kantasolusiirron onnistumiseen ja lapsen selviytymisen mahdollisuuksiin vaikuttaa oleellisesti se, sairastuuko hän infektioauteihin ja saadaanko infektiot hoidettua. Erityisesti pneumocystis jirovecii, CMV tai RSV -virukset voivat vaurioittaa SCID-potilaan keuhkojen toimintaa pysyvästi. Jos infektioita ei saada rauhoittumaan ennen kantasolusiirtoa, liittyy siirtoon lisääntynyt sairastavuus erityisesti keuhkojen, maksan ja munuaisten toiminnassa, lyhyempi elinajanennuste ja suurempi kuolleisuus. Infektion riski kasvaa mitä myöhempään tauti todetaan ja kantasolusiirto tehdään (Gennery ja Gant 2010, Pai ym. 2014). Oireiden jälkeen diagnosoiduista ja kantasolusiirrolla hoidetuista SCID-potilaista oli 10 vuoden kuluttua elossa 31/43 (72%) ja siirteeseen liittyvä kuolleisuus oli 23% (Hamid ym. 2017).

Tunnistettuja perussairaudesta riippumattomia kantasolusiirron onnistumiseen vaikuttavia tekijöitä ovat mm. tarkat sopivuustestit, hyvä tukihoido ennen ja jälkeen kantasolusiirron (infektioiden profylaktinen hoito, immunoglobuliini korvaushoito), käännteishyljintäreaktion ennaltaehkäisy ja mahdollisuus kimerismin seurantaan (saajan verenkierrosta mitataan luovuttajan ja saajan alkuperää olevien solujen suhteellista osuutta. Saajan omien solujen suhteellisen osuuden lisääntyminen ennakoii siirteen hyljintää).

Immuunivajeen hoitomuotona kehitetään myös geeniterapiaa, jota ei ole vielä tarjolla kaikkien vaikeiden kombinoitujen immuunivajeiden hoitoon. Sitä antavat vain harvat keskuskeskukset maailmassa, eikä tämä hoito ole Suomessa vielä käytettävissä. Hoidon toteutus edellyttäisi potilaan lähettämistä hoitoja antavaan ulkomaiseen keskuskeskukseen.

2.4. SCID-seulonta vastasyntyneeltä

SCID-seulonnan lääketieteellinen peruste on ennusteen merkittävä paraneminen, jos taudin hoito eli allogeninen kantasolusiirto voidaan toteuttaa ennen kuin lapsi saa vaikeita infektioita.

Suomessa seulotaan useita synnynnäisiä ja harvinaisia aineenvaihduntatauteja vastasyntyneen kantapäästä erityiselle imupaperille otetusta veritäplästä. Aineenvaihduntatautiin seulontaa varten otettava näyte otetaan, kun lapsi on vähintään 48 h ikäinen, jolloin hänen oma aineenvaihduntansa on jo käynnistynyt. 1990-luvulla käyttöön otettu tandem-massaspektrometria on mahdollistanut usean eri

STM051:00/2020
VN/21679/2020

aineenvaihduntataudin seulonnan samalla laitteella, samasta veritäplänäytteestä (Autti-Rämö ym 2004). SCID-seulonta voidaan tehdä samasta veritäplänäytteestä, mutta näytteen jatkotutkimuksia varten tarvitaan oma menetelmä, laitteet sekä jatkotutkimusten suunnitelma.

SCID-seulonnassa vastasyntyneen kantapäästä imupaperille otetusta veritäplänäytteestä määritetään PCR-menetelmällä T-lymfosyyttien T-solureseptorin kypsymisessä vapautuvia DNA-kappaleita (T-cell receptor excision circles eli TREC). Näitä muodostuu, kun T-solut kulkevat kateenkorvan läpi, jossa T-solujen TCR-geenit muokkautuvat. Niiden esiintyminen veressä on merkki T-solujen normaalista kypsymisestä (Kong F-K ym. 1999, Hazenberg ym. 2001). SCID-potilailla TREC-kappaleiden määrä on hyvin pieni tai olematon.

Jos TREC-kopioiden määrä on alle viitearvon, on mahdollista, että vastasyntynyt sairastaa vaikeaa sekamuotoista immuunivajetta. Seulonnassa käytetty TREC-kappaleiden raja-arvo vaikuttaa merkittävästi lisätutkimuksiin kutsuttavien lasten määrään (Adams ym. 2014, Kwan ym. 2014). Hollantilaisessa aineistossa 1,6% lapsista lähetettiin lisätutkimuksiin raja-arvolla 40 kopiota/ μ l, kun raja-arvolla 22 kopiota/ μ l ainoastaan 0,08% lapsista sai lähetteen (Blom ym. 2017). Britteinsaarilla (Adams ym. 2014) ja Yhdysvalloissa (Kwan ym. 2014) on samoin havaittu moninkertaisia eroja lisätutkimusten määrässä valitusta raja-arvosta riippuen. Suomalaisessa 6000 lapsen aineistossa hälytysraja 30 kopiota/ μ l näytti liian korkealta. Jopa 0,5% näytteistä jäisi rajan alle ja hälytyksiä tulisi 250 vuodessa koko Suomessa, vaikka todellisia tapauksia olisi vain 1-2 (Muhonen 2019). Kansallista seulaa varten hyväksyttävä raja-arvo vakavien, kliinisesti merkittävien lymfopenioiden ja SCID-tapausten löytämiseksi ilman merkittävää terveille lapsille aiheutuvaa lisätutkimusten määrää voisi olla korkeintaan 18, joka Suomessa tietäisi lisätutkimuksia noin 10 lapselle vuodessa (1:5690) (Amatuni ym. 2019, Adams ym. 2014). Tällöin seulonnan positiivinen ennustearvo olisi samaa suuruusluokkaa kuin nykyinen veritäpläseulonnan PPV (positive predictive value) arvo aineenvaihduntatautien osalta, joka sekin on kansainvälisessä vertailussa matala.

On tärkeää määrittää sekä kansallinen viitearvo että toimintamalli kun seulontaraja alittuu. Esimerkiksi Kaliforniassa näiltä lapsilta otetaan välittömästi täydellinen verenkuvaa ja virtausytometriatutkimus, jotta tunnistetaan ne lapset (noin 40%), joilla on todellinen lymfosyyttivaje (alle 1500). Jos todetaan lapsen itsensä muodostamia (naiiveja) T-lymfosyyttejä, ei lisätutkimuksia tehdä. Ne lapset, joilla lymfosyyttien määrä on alle 300 tai lapsen itsensä tuottamien uusien (antigeeneja kohtaamattomien eli naiivien) CD4-lymfosyyttien määrä on alle 200, otetaan välittömästi sairaalaan (noin 16% seulapositiivisista). Näissä tilanteissa lääkärit antavat vanhemmille tiedon todennäköisestä SCID-taudista, lapsi asetetaan suojaeristykseen ja ryhdytään suunnittelemaan kantasolusiirron toteuttamista (Dorsey ym. 2017).

STM051:00/2020
VN/21679/2020

2.4.1. Suomessa toteuttu pilottivaihe

Turun yliopistollisen keskussairaalan yhteydessä toimiva vastasyntyneiden seulontakeskus SASKE on aloittanut pilottitutkimuksen, johon on kansainvälisen kirjallisuuden perusteella valittu yleisesti maailmalla käytetty menetelmä. Menetelmä sopii jo käytössä olevien muiden tautien seulontamenetelmien rinnalle ja hyödyntää olemassa olevia tietojärjestelmiä sekä samaa veritälänäytettä. Mikäli tulos on poikkeava, analyysi uusitaan.

Kirjallisuuden, pakastetuista tuntemattomista näytteistä tehdyn esiselvityksen perusteella sekä pilottivaiheen kokemuksen perusteella seulontarajaksi nykyiselle seulontatestille on valikoitunut 20 kopiota/ μ l. Menetelmälle julkaistu seulontaraja perustuu yli 3 miljoonan vastasyntyneen aineistoon (Amatuni ym. 2019). Mikäli seulontanäyte on positiivinen keskosella, otetaan uusi näyte ennen kotiutumista tai viimeistään lasketussa ajassa. Kun näytteitä on analysoitu 12 609, olisi seulontapositiivisia yhteensä yhteensä 12 kpl (0,095 %) seulontarajan ollessa 20 TREC-kopiota (Riikka Kurkijärvi, henkilökohtainen tiedonanto 23.3.2020).

Seulontaan osallistuvien yksiköiden kanssa on sovittu, keihin lääkäreihin SASKE:n asiantuntijalääkäri on yhteydessä seulontatuloksen ollessa positiivinen. Kun seulontatulos on positiivinen, SASKE:n asiantuntijalääkäri ottaa yhteyttä asiantuntijaverkoston lääkäriin. Tämä lääkäri on yhteydessä perheeseen ja käynnistää tarvittavat diagnostiset jatkotutkimukset. Diagnostisina jatkotutkimuksina ovat uudesta verinäytteestä tehtävät lymfosyyttien virtausytometrinen analyysi sekä lymfosyyttien stimulaatiotesti. Laboratoriomenetelmät on harmonisoitu suorittavien laboratorioiden kesken. Lopullinen diagnoosi saadaan geenitestillä. Yksityiskohtaiset ohjeet diagnostisista jatkotutkimuksista ja hoitoprosessista on lähetetty seulontaan osallistuviin yksiköihin.

Mikäli tulos on ≥ 5 kopiota/ μ l, jatkotutkimukset suoritetaan arkipäivänä. Lapselta otetaan tarkentavat näytteet lymfosyyttien ja niiden alaluokkien sekä T-solujen alaluokkien määrittämiseksi. Samalla käynnillä selvitetään äidin sytomegaloviruksen vasta-aineet. Osa äideistä erittää sytomegalovirusta (CMV) rintamaitoon, jolloin virus voi välittyä vastasyntyneeseen ja vaikeassa immuunivajeessa aiheuttaa hankalan infektion. Äiti saa imettää, kunnes sytomegaloviruskantajuus ja lapsen lymfosyttimääritysten tulos on selvillä. Jos lapsella on SCID ja äiti on viruksen kantaja, lopetetaan imetys.

Mikäli seulontatulos on hyvin matala, alle 5 kopiota/ μ l, järjestetään lapselle jatkotutkimukset päivystyksenä. Lapsesta ja äidistä tutkitaan samat näytteet kuin yllä. Näin matalalla TREC-tasolla SCIDin todennäköisyys on suuri, joten tavoite on estää infektiokontaktit. Lapsi otetaan sairaalaan suojaeristykseen Hepa-filteroituun huoneeseen. Lapselle aloitetaan suojalääkitys infektioiden estämiseksi (IgG korvaushoito, sienilääkkeet, sulfatrimetopriimi P.jiroveciin ehkäisyyn). Äidiltä otetaan sytomegalovirus (CMV) infektion

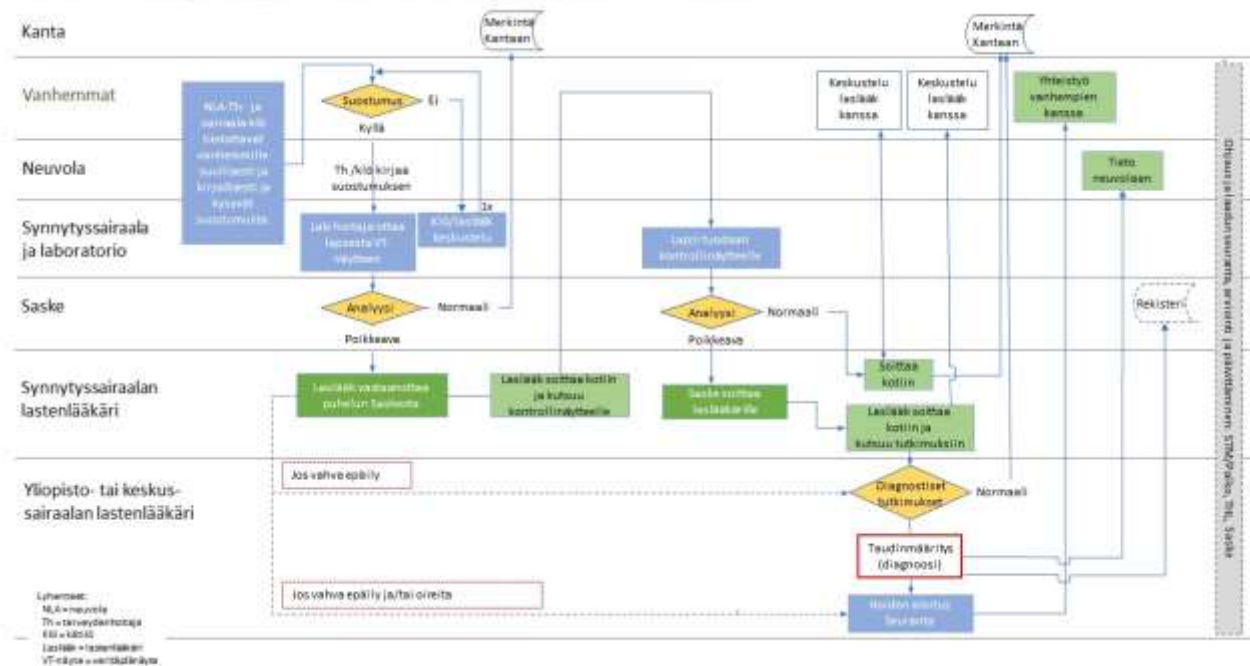
STM051:00/2020
VN/21679/2020

poissulkemiseksi näyttöet. CMV-positiivinen äiti ei voi imettää. Valmistelut kantasolusiirron luovuttajan löytämiseksi sekä geneettisen diagnoosin saamiseksi käynnistetään, sillä geneettinen diagnoosi vaikuttaa kantasolusiirron esihoidon valintaan. Kaikki toimet puretaan heti, jos kontrollinäytteet antavat immuunivajeen suhteen vapauttavan löydöksen. Suojaeristyksen kesto näissä tapauksissa on korkeintaan 2 viikkoa. Jos lapsella todetaan SCID-tauti, pyritään kantasolusiirto tekemään ennen 3 kk:n ikää, ja lapsi on siihen asti suojaeristuksessa. Kantasolusiirron toteutusta ja sen jälkeistä hoitoa ei tässä valmistelumuistiossa käsitellä.

Suomessa SCID-tauti lisättäisiin jo olemassa olevaan vastasyntyneiden veritäpläseulontaan, jonka nykykäytäntöä on selvitetty tarkemmin erillisessä selvitysraportissa (Salo M 2020). Selvitysraportin tulokset esitetään kappaleessa 4 ja Kuvassa 1 esitetään prosessin kuvaus.

Kuva 1. Vastasyntyneiltä otettavasta veritäplänäytteestä seulottavien tautien prosessin kuvaus. Lähde: Salo M: Vastasyntyneiden aineenvaihduntasairauksien seulonnan nykytilanteen selvitys, Sosiaali- ja terveystieteiden tutkimuskeskus, Sosiaali- ja terveystieteiden tutkimuskeskus, 2020:18.

VASTASYNTYNEIDEN AINEENVAIHDUNTASAIRAUKSIEN SEULONNAN PROSESSI



STM051:00/2020
VN/21679/2020

Mikäli seulontanäyte on positiivinen raskausviikolla 32 tai sen alle syntyneellä keskosella, näyte uusitaan ennen kotiutumista tai viimeistään lasketussa ajassa. Vääristä positiivisista SCID-seulontanäytteistä iso osa on ennen 33. raskausviikkoa syntyneiltä. Suomessa ensimmäisen pilottivuoden aikana seulontapositiivisista 6/18 (30%) oli syntynyt ennen 33. raskausviikkoa (seulontaraja oli alkuvaiheessa 25 TREC kopiota) (Riikka Kurkijärvi, henkilökohtainen tiedonanto 23.3.2020). Suomessa vv. 2014-18 pikkukeskosia oli yhteensä noin 1900 /265 000 syntyneitä eli 0,7 % (Mika Gissler, henkilökohtainen tiedonanto 2019).

2.4.2. SCID-seulonnassa tunnistetut muut taudit

SCID-seulonnassa todetaan myös muita lymfopenioita, jotka eivät vaadi välitöntä kantasolusiirtoa, mutta voivat myöhemmin tarvita kantasolusiirron. Tämän vuoksi nämä potilaat hyötyvät immunologisen seurannan aloittamisesta, jotta mahdollinen kantasolusiirto voidaan tehdä ennen ensimmäisiä vakavia infektioita (Amatuni ym. 2019). Jaosto arvioi, että Suomessa seulan avulla voitaisiin tunnistaa vuosittain arviolta 2-3 lasta, joilla on muu vaikea lymfopenia.

1. Noin 1-1,5 lasta/vuosi, joilla on immuniteettiin selvästi vaikuttava syndrooma (DiGeorge eli CATCH22, Down, rustohiushypoplasia); he kuuluvat immunologiseen seurantaan myös ilman SCID-seulontaa.
2. Noin 0,5 lasta/vuosi, joilla on sekundaarinen vaikea lymfopenia lymfaattisen järjestelmän poikkeavuuden tai suoliongelman vuoksi; nämä potilaat on usein vaikea tunnistaa ja potilaat tulevat huonon kasvun ja suolioireiden vuoksi lastenklินิกoiden hoitoon ensimmäisten elinkuukausien aikana ilman SCID-seulontaa.
3. Noin 0,5 lasta/vuosi, joiden lymfopenian syy liittyy keskosuuteen ja korjautuu kasvun myötä.
4. Noin 0,5 lasta/vuosi, joilla on todellinen lymfopenia, jonka täsmällinen syy jää epäselväksi, mutta jotka voivat saada vakavan infektion ja hyötyvät immunologisen poliklinikan seurannasta.

Aikavälillä 1.1.2019-31.1.2020 Suomessa oli seulottu yhteensä 12 609 lasta. Yhdellä seulontapositiivisista oli todettu rustohiushypoplasia (TREC 9/ μ l) ja yhdellä DiGeorgen (CATHC22) oireyhtymä (TREC 3/ μ l) (Riikka Kurkijärvi henkilökohtainen tiedonanto 23.3.2020)

STM051:00/2020
VN/21679/2020

3. Jaoston tekemät selvitykset

3.1. Kysely vastasyntyneiden veritäpläseulonnan toteutumisesta

Palveluvalikoimaneuvoston SCID-seulontajaosto lähetti keväällä 2019 kaikille Suomen synnytysairaaloille kyselyn synnynnäisten aineenvaihduntasairauksien seulontakäytännöistä. Vastaukset saatiin 19 sairaalasta, joista 10 lähetti seulontaan liittyviä potilasinformaatio- tai muita aineistojaan. Vastaukset koottiin Excel- taulukkaan, josta tarkasteltiin luokiteltujen vastausten jakaumia ja poimittiin esimerkkejä hyvistä käytännöistä. Kyselyn tulosten perusteella Palveluvalikoimaneuvosto totesi, että seulontaohjelma ei kokonaisuudessaan noudata kansallisia seulontaohjelman kriteereitä (katso tarkemmin kappale 6). STM päätyi hankkimaan 1.1.-31.3.2020 toteutetun erillisselvityksen veritäpläseulonnan kansallisesti yhdenmukaisen laadukkaan seulonnan toteutumisen edellytyksistä ja kehittämisen tarpeista.

Tässä kappaleessa on kooste jaoston suorittaman kyselytytkimuksen keskeisistä löydöksistä. Tärkeimmät havainnot olivat käytäntöjen suuri vaihtelu ja toivomus kansallisen ohjeistuksen ja tiedotusaineiston saamisesta.

Henkilökunnan koulutuksen kuvaus vaihteli yleisestä toteamuksesta ("kaikki asianosaiset koulutettu") laajaan selvitykseen eri ammattiryhmien ja yksiköiden koulutuksesta. Neljä sairaalaa koulutti myös neuvolat. Koulutusvastuu vaihteli ja vastuutahoja saattoi olla useita.

Vanhempien informoinnin ajateltiin tapahtuvan neuvolassa. Vastauksista ei ilmennyt, kysyttiinkö näytteenottotilanteissa erikseen suostumusta. Seulonnoista kieltäydyttiin harvoin, arviot vaihtelivat 0.5 ja 5 prosentin välillä.

Tautia epäiltäessä oli muissa paitsi yhdessä sairaalassa sovittu, kenelle SASKE välittää tiedot aineenvaihduntataudin epäilystä. Sairaalassa tieto tautiepäilystä annettiin vanhemmille suullisesti. Uusintanäytteen tai muiden jatkotutkimusten järjestäminen onnistui nopeasti, useimmiten välittömästi. Lapsi otettiin sairaalaan odottamaan uusintanäytteen tai jatkotutkimusten vastausta, jos epäilty tauti oli vaikea tai vakavia oireita saattoi ilmetä nopeasti. Taudin poissulku onnistui 1-2 päivässä ja toteaminen varmistui muutaman päivän aikana. Varmistuneesta aineenvaihduntataudista kerrottiin vanhemmille aina kasvokkain, mutta normaali jatkotutkimusten tulos tiedotettiin yleensä puhelimitse ja vahvistettiin kirjeellä.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Tiedotus perusterveydenhuoltoon vaihteli. Tiedonkulkua yhteisen sairauskertomusjärjestelmän tai Kanta-arkiston kautta pidettiin monin paikoin riittävänä. Todetun taudin kohdalla varmistettiin tiedonkulkua usein antamalla vanhemmille paperikopio sairaskertomuksesta vietäväksi terveyskeskukseen. Taudin tultua poissuljetuksi tiedon luotettiin kulkevan riittävän hyvin potilaskertomusmerkinnän avulla.

Aineenvaihduntatautiin seulonnan prosessin laatua arvioitiin järjestelmällisesti vain yhdessä sairaalassa. Muutama oletti sen tapahtuvan osana normaalia laboratorion laaduntarkkailua. Ongelmista, useimmiten tiedonkulun katkoista, raportoi vain viisi sairaalaa.

Kehittämisehdotukset koskivat pääosin seulontaprosessin yksityiskohtien selkiyttämistä ja tiedotusta. Kansallista ohjeistusta, koulutusta ja yhteistä tiedotusaineistoa pidettiin tarpeellisina. Nopea kotiutuminen synnytyksen jälkeen johtaa erilliseen näytteenottokäyntiin, jota on hankala järjestää, jos etäisyydet ovat pitkät. Tarve kutsua lapset vielä erikseen BCG-rokotusta varten voi vaatia lisäresursointia.

3.2. Terveystenhoitajien tapaaminen

Jaosto tunnisti, että seulontaohjelman toteutumisen kannalta tarvitaan lisää tietoa siitä, miten tietoa seulonnoista annetaan ja miten varsinkin väärin positiivisten tulosten vaikutukset vanhempiin näkyvät terveydenhoitajien työssä. Jaosto järjesti tämän vuoksi 19.11.2019 yhden suuren kaupungin terveydenhoitajien ryhmähaastattelun.

Terveydenhoitajien mukaan heidän työnsä on tällä hetkellä paljolti eri sairauksien ja tilojen seulomista. Neuvolan tehtävät laajenevat koko ajan ja on vaikea muistaa kaikkia asioita, mitä asiakkailta on kysyttävä ja mitä heille on kerrottava. Terveydenhoitajat kertoivat myös, että he ovat saaneet niukasti tietoa eri seulonnoista eikä neuvoloiden sisäisillä verkkosivuilla ole niistä tietoa.

Veritäpläseulonnasta kertomisen ajankohta vaihtelee neuvolan ensikäynnistä 30. raskausviikkoon. Terveydenhoitajat kokivat hankalaksi sen, että tieto informaation antamisesta ja suostumuksesta pitää kirjata kahteen paikkaan.

Terveydenhoitajat kertoivat, että he eivät tunne vastasyntyneiden veritäplästä seulottavia aineenvaihduntatauteja, mikä vaikeuttaa informaation antoa. Yleensä kerrotaan perusasiat - taudit ovat hyvin harvinaisia, piileviä mutta hoidettavissa olevia silloin, kun seulonta mahdollistaa "ajoissa kiinni saamisen". Osa terveydenhoitajista ei kerro tarkemmin seulontojen sisällöstä, vaan vastuuttaa vanhemmat

STM051:00/2020
VN/21679/2020

hankkimaan tietoa itsenäisesti SASKE:n nettisivuilta. Vanhempien tausta vaikuttaa myös heidän tekemiensä kysymysten määrään.

Terveydenhoitajat kertovat harvoin väärän positiivisen mahdollisuudesta, väärän negatiivisen mahdollisuudesta ei lainkaan. Raskaana oleville tarjotaan useita erilaisia seuloja, joissa väärän positiivisen mahdollisuus vaihtelee. Kun terveydenhoitaja kertoo väärän positiivisen mahdollisuudesta, hän päättelee asiakkaan reagoinnista, miten yksityiskohtaista kuvausta asiakas tarvitsee. Terveydenhoitajilla ei ollut tietoa siitä, kuinka monta väärää positiivista heidän vastuullaan olevien perheiden kohdalla oli löytynyt ja miten väärä positiivinen on mahdollisesti vaikuttanut perheeseen.

Terveydenhoitajat tunnistivat, että ne perheet, jotka kotiutuvat synnytyssairaalaan ennen veritaplanäytteen ottamista, eivät aina mene erilliseen näytteenottoon.

Terveydenhoitajat tunnistivat myös, että seulontoihin liittyy paljon eettisiä kysymyksiä. Koska seulontoihin osallistuminen on vapaaehtoista, oli terveydenhoitajilla kokemus, että tulevat vanhemmat eivät ole aina niistä kovin kiinnostuneita eivätkä pysty erottamaan erilaisten seulontojen tavoitteita. Keskustelussa tuli myös esille se, että ihmiset eivät aina tee kovin tietoisia päätöksiä seulontoihin osallistumisesta tai haluavat vain osia erilaisista seulontakokonaisuuksista. Myös piikkikammoisuus voi vaikuttaa osallistumishalukkuuteen ja yhdellä alueella olikin käytettävissä psykologin konsultaatiomahdollisuus, jotta piikkikammoisuus ei olisi syy seulonnoista tai esim. rokotuksista kieltäytymiselle.

Yhteenvetona terveydenhoitajien tapaamisesta voidaan todeta, että se vahvisti sairaaloihin lähetetyn kyselytutkimuksen tuloksia. Erot seulonnoista tiedottamisesta vaihtelevat jopa yhden kaupungin sisällä ja tieto seulonnan tuloksista ei välity neuvolaan.

3.3. SCID-seulonnan kustannusvaikuttavuus

Hollantilaisen kustannusvaikuttavuusarvion mukaan (Van der Ploeg ym. 2018) vastasyntyneiden SCID-seulonta saattaa olla kustannusvaikuttavaa, mutta arvioon liittyy edelleen paljon epävarmuutta. Aikaisemman havaitsemisen vuoksi SCIDista johtuvien kuolemien lukumäärän arvioitiin vähenevän 0,57:sta 0,23:een ja laatupainotettujen elinvuosien (QALY) lisääntyvän 11,7:llä 100 000 lasta kohti. Terveydenhuollon vuosittaiset kokonaiskustannukset, mukaan lukien seulonnan, diagnostiikan ja hoidon kustannukset, olivat seulontatilanteessa 390 800 euroa korkeammat kuin ilman seulontaa, joten kustannusvaikuttavuussuhde oli 33 400 € / QALY.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Jaosto teki kustannusvaikuttavuusarvion terveydenhuollon näkökulmasta Suomessa, hyödyntäen amerikkalaisten ja hollantilaisten tutkijoiden aikaisemmin kehittämää mallia. SCID-seulonnan lisäämistä olemassa olevaan vastasyntyneiden aineenvaihduntatautien seulontaan verrattiin nykykäytäntöön, jossa SCID tunnistetaan vasta taudin luonnollisen kulun myötä. Analyysi tehtiin terveydenhuollon näkökulmasta, eli siinä ei huomioitu potilaille itselleen, heidän omaisilleen tai yhteiskunnan muille sektoreille -aiheutuvia kustannuksia (esim. matka- ja aikakustannuksia tai vaikutuksia tuottavuuteen). Seulonnan käynnistämiseen liittyvistä terveydenhuollon kustannuksista mallissa ei huomioitu terveydenhuoltohenkilökunnan koulutusta, vanhempien tiedotusmateriaalia, tai BCG-rokotuksen ajankohdan siirrosta aiheutuvia kustannuksia.

Mallissa käytetyt muuttujat ja niiden lähteet on esitetty taulukossa 1. Käytetyt arvot perustuvat kirjallisuuteen ja asiantuntija-arvioihin suomalaisista hoitokäytännöistä. Kustannustiedot on poimittu kirjallisuuden lisäksi terveydenhuollon yksikkökustannuksista (Mäklin ja Kokko, 2020), sekä sairaanhoitopiirien ja laboratorioiden hinnastoista.

Kustannusvaikuttavuuden arviointiin liittyy epävarmuutta, joka voi aiheutua mallista, sen rakenteesta, valituista muuttujista tai muuttujien arvoista. Epävarmuutta tarkasteltiin yksisuuntaisilla herkkyyksianalyysillä, joissa vaihdeltiin yhden muuttujan arvoja kerrallaan.

Taulukko 1. Kustannusvaikuttavuusarviossa käytetyt muuttujat ja niiden lähteet

Muuttuja	Arvo	Herkkyyksianalyysissa käytetty vaihteluväli	Lähde
Epidemiologiset muuttujat			
syntyvyys	56 241	47 577 – 60 980	Tilastokeskus. Keskiarvo vuosilta 2009-2018 (vaihteluvälinä pienin ja suurin arvo)
SCIDin ilmaantuvuus	1:58 000	1:80 000 – 1:46 000	Kwan ym. 2014; Amatuni ym. 2019
% SCID-potilaista, joiden perheessä ennestään SCID	13,3%	5% - 20%	Chan ym. 2011
Muiden lymfopenioiden kuin SCIDin ilmaantuvuus	1:14 000	1:16 400 – 1:8 200	Kwan ym. 2014

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Muuttuja	Arvo	Herkkyysanalyysissa käytetty vaihteluväli	Lähde
% muista lymfopenioista, jotka todetaan ilman seulontaa	50%	0-100%	Asiantuntija-arvio perustuen Amatuni ym. 2019 (Down todetaan aina, diGeorgeista noin puolet)
Todennäköisyys olla elossa hoidon aloittamiseen, jos SCID todetaan ajoissa	98%	maksimi 99%	Kwan ym. 2014, Brown ym. 2011, Ding ym. 2016, Pai ym. 2014
Todennäköisyys olla elossa hoidon jälkeen, jos SCID todetaan ajoissa	92%	maksimi 95%	
Todennäköisyys olla elossa hoidon aloittamiseen, jos SCIDiä ei todeta ajoissa	65%	maksimi 73%	
Todennäköisyys olla elossa hoidon jälkeen, jos SCIDiä ei todeta ajoissa	61%	maksimi 68%	
Terveydentila kantasolusiirron jälkeen. todettu ajoissa / todettu myöhään	hyvä: 80% / 50% keskinkertainen: 15% / 30% heikko: 5% / 20%		Asiantuntija-arvio perustuen Van der Ploeg ym. 2019
Elinajanodote kantasolusiirron jälkeen (riippuen terveydentilasta)	hyvä: 65 vuotta keskinkertainen: 40 vuotta heikko: 25 vuotta		Van der Ploeg ym. 2019
Ylimääräisten virtausytometrioiden määrä yhtä SCIDiä kohti (ilman seulontaa)	25	10-100	Asiantuntija-arvio
Seulonta			
Ensimmäisen seulontatestin % < TREC-raja-arvo	0,08%	0,02 – 0,23%	Van der Spek ym. 2015; Amatuni ym. 2019; Blom ym. 2019
% toinen kantapääverinäyte	0,25%		Kwan ym. 2013;

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Muuttuja	Arvo	Herkkyysanalyysissa käytetty vaihteluväli	Lähde
			Verbsky ym. 2012, Vogel ym. 2014
Seulonnan herkkyys	100%		Van der Spek ym. 2015, Kwan ym. 2014
Muiden kuin SCIDin osuudet: % transient % idiopathic % muut ei-SCIDit	15% transient 19% idiopathic 66% muut		Asiantuntija-arvio
Kustannukset			
Seulontatesti (osana vastasyntyneiden aineenvaihduntatautien seulontaa)	4 €	0 -6 €	Saske
Uusintatesti	4 €	0 -6 €	Saske
Uusintanäyte	18,21 €		sis. uusi näytteenotto, postitus, analysointi
Lähetteen saaneiden lasten diagnostiset kustannukset	1 043€		sis. käynti pediatrialla, virtaussytometria, uusintavirtaussytometria kahdelle kolmasosalle ja geenitesti yhdelle kolmasosalle positiivisen testituloksen saaneista
Diagnostiset kustannukset, kun käytössä ei ole SCID-seulontaa (pediatrikäynti, virtaussytometria, geenitesti)	1 565€		sis. käynti pediatrialla, virtaussytometria, geenitesti
Kantasolusiirron kustannus, kun SCID todettu ajoissa	88 961 €		Clement ym. 2015 (muunnettu vuoden 2018 tasoon)
Kantasolusiirron kustannus, kun SCID todettu myöhään	202 096 €		
Hoitokustannukset, muut kuin SCID	transient: 744 €		Asiantuntija-arvio soveltaen kotimaisia tutkimus- ja hoitokäytäntöjä sekä

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Muuttuja	Arvo	Herkkyysanalyysissa käytetty vaihteluväli	Lähde
	idiopathic: 1 325 € muut: 1 325 €		yksikkökustannuksia (Mäklin ja Kokko 2020) ja sairaanhoitopiirien hinnastoja
Hoitokustannukset SCID-potilaalle, joka kuolee ennen siirtoa	177 922 €		Asiantuntija-arvio: kaksinkertaiset kustannukset suhteessa siihen, että kantasolusiirto tehty aikaisin todetussa taudissa; alin arvio 1,5x (Van der Ploeg ym. 2019) ja ylin arvio 3x (Ding ym. 2016)
Hoitokustannukset / vuosi elinaikana, riippuen terveydentilasta	hyvä: 26,5€ keskinkertainen: 17 649€ heikko: 9 453€		Asiantuntija-arvio soveltaen yksikkökustannuksia (Mäklin ja Kokko 2020) ja sairaanhoitopiirien sekä laboratoriodien hinnastoja
Viimeisten viiden elinvuoden kustannukset / vuosi	1 762€		Syövän (Torkki ym. 2018) ja COPD:n (Herse ym. 2005) keskimääräinen kustannus per vuosi

Nykytilanteeseen verrattuna SCID-seulonta aiheuttaisi arviolta 180 000 euron lisäkustannukset vuodessa. Varhaisemman diagnoosin ja SCID-potilaiden hoidon myötä saavutettaisiin samalla 12,2 lisäelinvuotta. Kustannusvaikuttavuussuhde on tällöin 14 826€ saavutettua lisäelinvuotta kohti (Taulukko 2). Luotettavia arvoja elämänlaadusta ei tässä analyysissä ollut käytettävissä, mutta herkkyysanalyysissä käytettiin vastaavia elämänlaatu-arvoja kuin van der Ploeg ym. (2018) julkaisemassa tutkimuksessa. Tällöin kustannusvaikuttavuussuhde oli 15 377€ laatuvaikutettua lisäelinvuotta kohti.

Herkkyysanalyysissä todettiin lisäksi, että tuloksiin vaikuttaa eniten seulontatestin hinta sekä SCIDin ilmaantuvuus. SCIDin ilmaantuvuuteen Suomessa liittyy epävarmuutta, mutta herkkyysanalyysin mukaan seulonnan kustannus olisi kohtuullinen myös pienimmän ilmaantuvuuden kohdalla. Kustannusvaikuttavuussuhde olisi 23 301€ saavutettua lisäelinvuotta kohti, mikäli ilmaantuvuus olisi 1:80 000.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Taulukko 2. Kustannusvaikuttavuusmallin tulokset

Todetut tapaukset Suomessa / vuosi	Seulonta	Ei seulontaa
SCID	0,97	0,97
aikainen diagnoosi	0,97	0,13
myöhäinen diagnoosi	0,00	0,84
Muut lymfopeniat kuin SCID	4,02	N/A
Seulonnan ja diagnostiikan kustannukset		
Keskimääräinen kustannus / vastasyntynyt	€ 4,88	€ 0,18
Testi ja tarvittaessa uusintatesti	€ 4,01	N/A
Uusintanäytteen ottaminen ja analysointi	€ 0,04	N/A
Virtausytometri ja geenitesti	€ 0,83	€ 0,18
Seulonnan ja diagnostiikan kokonaiskustannukset	€ 274 531	€ 10 115
Testi ja tarvittaessa uusintatesti	€ 225 324	N/A
Uusintanäytteen ottaminen ja analysointi	€ 2 280	N/A
Virtausytometri ja geenitesti	€ 46 927	€ 10 115
SCID:n hoitokustannukset		
Muiden SCID-potilaiden kustannukset, jotka kuolevat ennen diagnoosin varmistumista	€ 3 105	€ 52 766
Hoitokustannukset	€ 84 710	€ 121 709
Pitkäaikahoidon kustannukset	€ 63 011	€ 60 787
SCID:n hoidon kokonaiskustannukset	€ 150 827	€ 235 256
Non-SCID:n hoitokustannukset		
Non-SCID:n hoitokustannukset	€ 4 972	€ 4 748
Terveysthuollon kustannukset		
Seulonnan ja diagnostiikan kustannukset	€ 274 531	€ 10 115
SCID:n hoitokustannukset	€ 150 827	€ 235 256
Muiden lymfopenioiden kuin SCID:n hoitokustannukset	€ 4 972	€ 4 748
Terveysthuollon kustannukset yhteensä	€ 430 330	€ 250 119
Vaikuttavuus		
Kuolleet	0,10	0,52
Saavutetut elinvuodet	23,5	11,4
Laatupainatut elinvuodet	21,4	9,7
Seulonnan lisäkustannukset	€ 180 211	
Seulonalla saavutetut elinvuodet	12,2	
Seulonalla saavutetut QALYt	11,7	
Kustannus / elinvuosi	€ 14 826	
Kustannus / QALY	€ 15 377	

Arvio SCID-taudin lisäämisen kustannusvaikuttavuudesta olemassa olevaan veritäläseulontaan on pätevä vain, jos riskiryhmän BCG-rokotuksen siirtäminen 2 viikon ikään ei aiheuta lisäkustannuksia eikä johda mahdollisen tuberkuloositautitaakan lisääntymiseen (katso kappale 3.4.). Lisäksi koko seulontaprosessin laatu kaikkien seulontaohjelman kriteereiden osalta on varmistettava (katso kappale 6), mikä voi johtaa veritäläseulonnan kokonaiskustannusten kasvuun.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

3.4. BCG-rokotuksen ajankohdan siirtäminen

SCID-seulontaan liitty tuberkuloosin suhteen riskiryhmään kuuluvien lasten BCG-rokotuksen siirtäminen synnytyssairaalaista noin kahden viikon iässä tapahtuvaksi, jolloin seulontanäytteen vastaus on käytettävissä. BCG-rokottaminen edellyttää täten erillistä vastaanottokäyntiä. SCID-seulontapilotti aloitettiin Varsinais-Suomen Sairaanhoidopiirin alueella tammikuussa 2019 ja se laajennettiin koskemaan HUS:n synnytyssairaaloita heinäkuussa 2019.

Terveyden ja hyvinvointilaitoksen (THL) viranomaistehtävänä on määrittää [tuberkuloosin riskiryhmään kuuluvat henkilöt](#). Tuberkuloosin riskiryhmään kuuluvien vastasyntyneiden osuus vaihtelee sairaanhoidopiireittäin ja vain riskiryhmään kuuluvat rokotetaan. BCG-rokotukset on perinteisesti annettu synnytyssairaaloissa, joista tieto ei ole välittynyt valtakunnalliseen rokotusrekisteriin käytettyjen potilasjärjestelmä-Avohilmo-Rokotus Rekisteri yhdyspintojen puutteellisuuksien vuoksi. Tieto siitä, mikä on riskiryhmään kuuluvien suuruus ja BCG-rokotuskattavuus pitäisi täten selvittää kultakin paikkakunnalta erikseen. HUS:n alueella riskiryhmään kuuluvia on arvioitu olevan noin 20% vastasyntyneistä (Tea Nieminen, henkilökohtainen tiedonanto), koko Suomen alueella noin 10%.

Lasten tuberkuloositapauksia on todettu Suomessa viime vuosina 2-12/vuosi (vuonna 2019 todettu 9 tapausta, Taneli Puumalainen, henkilökohtainen tiedonanto 15.1.2020). Määrä on noin kaksinkertainen verrattuna aikaan, jolloin riskiryhmien sijaan jokainen vastasyntynyt sai BCG-rokotuksen. Suomessa tuberkuloosin suhteen korkean riskin maista tulevien maahanmuuttajien määrä on noussut ja lasten tuberkuloositapauksia esiintyy nykyisin lähes yksinomaan maahanmuuttajataustaisilla lapsilla. Riskiryhmäperusteinen rokotusstrategia on siis edelleen pätevä, mutta riskiryhmän hyvä rokotuskattavuus on välttämätön tuberkuloositartuntojen leviämisen ehkäisemiseksi. THL on arvioinut, että rokotuskattavuuden merkittävä heikkeneminen voisi johtaa yhden lapsusiän tuberkuloositapauksen ilmaantumiseen 2 vuoden välein.

Suomessa oli vuosina 2005–2018 alle 5-vuotiailla yhteensä 25 tuberkuloositapausta eli keskimäärin 1,8 tapausta vuotta kohden (Tartuntatautirekisteri). Tartuntatautirekisteriin ilmoitetuille 25 tapaukselle haettiin THL:ssä (Heini Salo) kaikki tuberkuloosiin liittyvät erikoissairaanhoidon vuodeosastohoitojaksot ja avohoitokäynnit (Tartuntatautirekisteri ja Hilmo 2005–2018). Tuberkuloosin takia erikoissairaanhoidon palveluja käyttivät yhtä lukuun ottamatta kaikki tapaukset (24 tapausta). Erikoissairaanhoidon palveluja käyttäneillä oli keskimäärin 2 vuodeosastohoitojaksoa (mediaani 1) (10,5 hoitopäivää) ja 18 avohoitokäyntiä (mediaani 8) tapausta kohden kahden vuoden aikana sairastumisesta. Avohoitokäyntien keskiarvoon vaikutti merkittävästi kaksi tapausta, joilla oli avohoitokäyntejä huomattavasti muita enemmän.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Tuberkuloositapausten erikoissairaanhoidon kustannukset arvioitiin kertomalla tapausten vuodeosastohoitojaksojen hoitopäivät ja avohoitokäynnit vastaavilla yksikkökustannuksilla. Yksikkökustannukset (keski- ja mediaanikustannukset) arvioitiin vertailun vuoksi sekä Hilmon kustannustiedoista että Yksikkökustannukset Suomessa -julkaisun DRG ryhmittäisistä yksikkökustannuksista (julkaisematon tieto). Hilmon kustannustiedoista arvioidut yksikkökustannukset perustuvat pienempään aineistoon kuin Yksikkökustannukset Suomessa -julkaisun tiedot.

Erikoissairaanhoidon päätyneen tuberkuloositapausten (alle 5v) keskimääräiset sairaalakustannukset olivat kahden vuoden ajalta 13 900 - 21 400 euroa tapausta kohti. Valtaosa kustannuksista aiheutui ensimmäisenä sairastumisvuonna vuodeosastohoidosta (Taulukko 3, Heini Salo, THL, sähköposti 20.3.2020). Avohoidon lääkekustannukset 6kk:n ajalta ovat 160-400€. Lääkehoidon kustannuksia voi lisätä lääkehoidon valvottu toteuttaminen, jota lasten kohdalla ei juuri tarvita. Valvottu lääkehoidon toteuttaminen hoitajan kotikäyntinä lisäisi kustannuksia maksimissaan 10 000 eurolla (hoitajan kotikäynti 5 x viikossa 6 kk:n ajan).

Taulukko 3. Tuberkuloositapausten erikoissairaanhoidon kustannukset (euroa)

Erikoissairaanhoidon kustannukset / tapaus / 2 vuotta			
	Skenaario 1*	Skenaario 2**	Skenaario 3***
Vuodeosastohoitojaksot (€)	16 379	11 349	8 821
Avohoitokäynnit (€)	5 012	3 894	5 041
Yhteensä (€)	21 391	15 243	13 862
Vuosittaisten uusien tapausten erikoissairaanhoidon kustannukset			
Vuodeosastohoitojaksot (€)	28 078	19 456	15 122
Avohoitokäynnit (€)	8 592	6 675	8 642
Yhteensä (€)	36 670	26 131	23 764

*Yksikkökustannuksena tuberkuloositapausten Hilmo-kustannustietojen keskiarvo: 1 554 € / hoitopäivä, 272 € / avohoitokäynti.

** Yksikkökustannuksena tuberkuloositapausten Hilmo-kustannustietojen mediaani: 1 077 € / hoitopäivä, 211 € / avohoitokäynti.

*** Yksikkökustannuksena Yksikkökustannukset Suomessa -julkaisun DRG ryhmittäiset yksikkökustannukset (julkaisematon tieto): 837 € / hoitopäivä (9040 Keuhkosairaus, lyhyt hoito ilman merkittävää toimenpidettä), 274 e (081 Alahengitystieinfektio tai inflammaatio, lapsi).

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Vastasyntyneen tuberkuloosi on erittäin vakava tauti, joka voi johtaa kuolemaan. Yhdysvaltalaisessa tutkimuksessa selvitettiin vuosina 1985-1992 alle 12 kuukauden iässä diagnosoituneiden tuberkuloosi-infektion saaneiden lasten ennustetta (Vallejo ym 1994). Lapsia oli yhteensä 47 ja heistä 79% diagnosoitiin oireselvittelyssä, 19% aikuisen tuberkuloositapauksen lähikontaktien selvittelyssä ja yhden lapsen tuberkuloosi tuli ilmi Mantoux tekniikalla tehdyssä ihotuberkuliinitestissä. 33:lla (70%) tuberkuloosi rajoittui keuhkokudoksiin, 11:llä se oli levinnyt keskushermostoon, kahdella laajasti elimistöön ja yhdellä tauti rajoittui kaulan imusolmukkeeseen. Yksi lapsista kuoli tuberkuloosiin ja yksi lapsi kuoli keskushermostotuberkuloosin vuoksi kehittyneen hydrokefaluksen takia operoidussa ventrikuloperitoneaalishuntissa ilmaantuneeseen infektiin. Lapset sietivät hyvin tuberkuloosilääkityksen, vain yhdelle kehittyi maksahaitta. Tuberkuloosilääkkeiden säännölliseen ottoon sitoutuminen vaihteli.

Ruotsalaisessa vuodet 2000-2009 kattaneessa tutkimuksessa oli diagnosoitu tuberkuloosi yhteensä 147:llä alle 18-vuotiaalla lapsella (Nejat ym. 2013). Heistä 90 oli syntynyt ulkomailla. Ruotsissa syntyneistä tuberkuloosiin sairastuneista lapsista 38:n vanhemmat olivat maahanmuuttajia ja 19:sta vanhemmat olivat syntyjään ruotsalaisia. Ruotsalaistaustaisten lasten infektio oli yhtä lukuunottamatta seurausta altistumisesta yhdessä päiväkodissa. Ulkomaalaistaustaisten lasten tartunnan lähde oli pääsääntöisesti perheenjäsen, muu lähisukulainen tai samassa asunnossa asuva. Tuberkuloosi diagnosoitiin 67:llä lapsella (46%) oireiden vuoksi, 46 (31%) tunnistettiin tuberkuloosi potilaan kanssa kontaktissa olemisen kautta ja 34 (23%) maahanmuuton yhteydessä tehdyn seulonnan johdosta. Myös ruotsalainen tutkimus osoittaa, että tuberkuloosin riski on suurempi maahanmuuttajaperheissä. Vain noin puolella lapsista oli hoitoon hakeutumiseen johtavia oireita. Tämäkin tutkimus osoittaa tuberkuloosin riskiryhmässä olevien BCG-rokotuskattavuuden tärkeyttä.

BCG-rokotuksen ajankohta on jo osassa sairaanhoitopiireissä siirretty annettavaksi erillisellä avohoitokäynnillä vuonna 2014-2015 esiintyneen rokotteen saatavuusongelman johdosta. Yhdestä ampullasta saa 10 rokotetta ja rokottamisia keskitettiin joko synnytysosastolla tietyille päiville tai erilliselle avokäynnille. Osassa sairaanhoitopiireistä tämä jäi vakiintuneeksi toimintamuodoksi.

Asiantuntija-arvion mukaan noin 10 prosenttia vastasyntyneistä kuuluu Suomessa riskiryhmään ja BCG-rokotuksen piiriin. Tämä tarkoittaisi keskimäärin 5 600 vastasyntynyttä vuosittain, joiden BCG-rokotus edellyttäisi erillistä vastaanottokäyntiä noin kahden viikon iässä. SCID-seulonnan kustannuksiin vaikuttaa siten myös se, miten rokotus käytännössä järjestettäisiin jatkossa: Mikäli 10 prosenttia vastasyntyneistä kutsutaan erilliselle avokäynnille erikoissairaanhoidon, se tarkoittaisi 5 600 lisäkäyntiä vuosittain. Tästä aiheutuisi koko maan tasolla yhteensä 448 000 euron lisäkustannukset vuodessa, jos yhden käynnin kustannukseksi arvioidaan 80 euroa. Tämä vastaisi lyhyen hoitajakäynnin kustannusta. Mikäli rokotus edellyttäisi lääkärin vastaanottokäyntiä erikoissairaanhoidossa, olisi yhden käynnin kustannus keskimäärin

STM051:00/2020
VN/21679/2020

310 euroa ja kokonaiskustannukset koko maan tasolla siten 1 736 000 euroa vuodessa. Monissa sairaaloissa BCG-rokotus toteutetaan koulutetun hoitajan toteuttamana ja käynti on sisällytetty synnytyskustannuksiin, eikä siitä lähde erillistä kuntalaskua. Käyntikustannuksia voisi lisätä myös niihin mahdollisesti liittyvät peruuttamatta jääneet ajanvaraukset, tarvittavat tulkkipalvelut sekä rokotteisiin liittyvä hävikki. Lisäksi on mahdollista, että rokotuskattavuuden ylläpitäminen vaatii muita lisätoimia ylimääräisten rokotuskäyntien lisäksi.

THL:n arvion mukaan rokotuskattavuuden heikkeneminen SCID-seulonnan myötä lisäksi tuberkuloositapauksia keskimäärin yhdellä joka toinen vuosi. Tuberkuloosin hoidosta aiheutuvat lisäkustannukset olisivat tällöin maltilliset, 10 000 – 20 000 euroa vuodessa. Avohoidon lääkekustannukset ovat alhaiset (160-400€), jos ne voidaan toteuttaa ilman ohjattua valvontaa. Hoitokustannusten lisäksi kustannuksia aiheutuu myös altistuneiden jäljittämisestä ja testaamisesta.

3.4.1. TYKS

Lastenlääkäri Kalle Korhonen antoi 21.2.2020 tiedot TYKS:in BCG-rokotuskäytännöistä. TYKS vastaa kaikista VSSHP:n BCG-rokotuksista. Riskiryhmien rokotuksiin siirtymisestä lähtien (2006) rokotuksen on antanut lapsivuodeosaston työpaikkakoulutettu kättilö. Riskiryhmän koko on ollut usean vuoden ajan noin 10% vastasyntyneistä. Kun rokotteen saatavuus huononi, päädyttiin rokotteen säästämiseksi rokottamisia keskittämään niin, että rokote annettiin erillisenä rokotuspäivänä 1-3 viikkoa kotiutumisen jälkeen. Rokotukset antaa lapsivuodeosaston työpaikkakoulutettu kättilö, joita on tällä hetkellä kymmenen. SCID-seulonnan alettua vuoden 2019 alussa rokotuspäivien (kerran viikossa, 8-12 rokotettavaa kerrallaan) ohjeistusta täsmennettiin niin, että rokotus annetaan aikaisintaan 2 viikon iässä, ja että ennen rokottamista rokottajan tulee vielä aina varmistaa, että aineenvaihduntasairauksien seula (sisältäen SCID-seulonnan) on vastattu negatiiviseksi (jos veritäplänäyte otettu). Tarvittaessa rokotukseen liittyvät asiat käydään tulkin välityksellä läpi jo vuodeosastolla, erillisellä rokotekäynnillä on mahdollista käyttää Tulka-puhelintulkkaukspalvelua. Rokotuskäynti sisältyy synnytyspakettiin eli siitä ei lähde erillistä kuntalaskua.

Potilastietojärjestelmän iPanaan on neuvolan toimesta kirjattu tunnistettu riskiryhmä ja rokotussuositus. THL:n kriteerien mukainen rokotetarve arvioidaan lisäksi aina myös lapsivuodevuodeosastolla kättilöiden ja kotiinlähtötarkastuksen tekevän lastenlääkärin toimesta. Annettu rokote merkitään iPanaan, joka on Kanta-yhteensopiva. Tämä mahdollistaa riskiryhmän rokotuskattavuuden varmistamisen. Rokotuskattavuus on ollut hyvä, vain yksittäiset perheet eivät ole saapuneet rokotuskäynnille, jolloin perheeseen otetaan yhteys puhelimitse.

3.4.2. HUS

STM051:00/2020
VN/21679/2020

THL:n BCG-rokotusten tilauksissa nähtiin laskua sen jälkeen, kun HUS päätyi siirtämään heinäkuussa 2019 BCG-rokotuksen annon synnytyssairaalaan 2 viikon iässä erillisellä rokotuspoliklinikalla annettavaan. STM pyysi 13.1.2020 HUS:lta selvitystä siitä, miten toimien riskiryhmän rokotekattavuus voidaan HUS alueella varmistaa. HUS vastasi 14.2.2020 seuraavasti. Alkuvaiheessa BCG-rokotukset annettiin keskitetysti Lasten sote-yhteistyökeskuksessa, jolloin rokotuskattavuus tilapäisesti heikkeni. Sittemmin BCG-rokotteiden anto siirrettiin Uuden lastensairaalan sekä Jorvin, Lohjan ja Hyvinkään sairaaloiden lasten vastaanotoilla annettavaksi. Rokotuskäynnille saapumatta jättäminen ilman peruuttamista ja toistuvasti rokotusaikaa siirtäneet ovat aiheuttaneet paljon lisätyötä.

HUS on sittemmin laatinut ohjeistuksen BCG-rokotuksesta tiedottamisesta synnytyssairaalaan sekä toimintamallin, jos perhe ei saavu rokotusajalle. Rokotteen antaa lastenlääkäri mutta jatkossa siirryttäneen ainakin Uudessa lastensairaalaan työpaikkakoulutetun kättilön antamaan rokotukseen. Vastaushetkellä riskiryhmien rokotuskattavuus oli HUS:n eri sairaaloiden alueella 97-99%, keskeinen syy rokottamattomuuteen on tietoinen rokotteesta kieltäytyminen. HUS:n siirtyessä Apotti-tietojärjestelmään kaikki lasta koskeva tieto kirjautuu samaan tietojärjestelmään, jolloin riskiryhmän rokotusten seuranta on luotettavaa. Toistaiseksi rokotekäynnistä ei ole lähetetty erillistä kuntalaskutusta.

3.4.3. Kansallinen ohjeistus

Tartuntatautilain 1227/2016 mukaan kunnat vastaavat rokotusten käytännön järjestelyistä. THL antaa terveydenhuoltohenkilöstölle ohjeet rokotusohjelman toteuttamisesta. THL on luvannut antaa kansallisen ohjeen siitä, mitä BCG-rokotusten kattavuuden varmistamiseksi tulee tehdä, jos se siirretään synnytyssairaalaan erillisellä avohoidon käynnillä toteutettavaksi.

Sairaanhoitopiirien täytyy ennen SCID-seulonnan aloitusta laatia vastuualueellaan toimiva malli, jolla varmistetaan, että riskiryhmien BCG-rokotukset pystytään toteuttamaan kattavasti eri puolilla Suomea. Tämä tarkoittaa BCG-rokotusten piiriin kuuluvien identifiointia jo odotusaikana sekä heidän seurantaan ja aktiivisia toimenpiteitä, joilla varmistetaan, että riskiryhmään kuuluvat vastasyntyneet rokotetaan heti SCID-seulontanäytteen tulosten varmistuttua.

4. Vastasyntyneiden aineenvaihduntasairauksien nykytilanteen selvitys

SCID-taudin seulonta perustuu vastasyntyneiltä noin kahden vuorokauden iässä otetun veritäplänäytteen ja seulontaprosessin hyödyntämiseen. Samasta veritäplänäytteestä seulotaan tällä hetkellä 22 erilaista hyvin harvinaista sairautta. Keskittämisasietus (582/2017) velvoittaa viiden yliopistosairaalan huolehtivan

STM051:00/2020
VN/21679/2020

aineenvaihduntatautiin seulonnan vastasyntyneiltä, niiden suunnittelusta ja yhteen sovittamisesta alueellisesti käsittäen jatkotutkimukset ja seulontaprosessin laadunvarmistuksen. Synnytys- ja lastensairaaloille osoitetussa kyselyssä (kappale 3.1.) ja terveydenhoitajien haastattelussa (kappale 3.2.) kävi ilmi, että koko seulontaprosessissa alkaen vanhempien neuvonnasta jatkotutkimuksista tiedottamiseen oli huomattavia alueellisia eroja.

Jotta veritäläseulontaan olisi mahdollista lisätä uusia tauteja, oli ensin tarkemmin selvitettävä seulontaprosessin mahdolliset korjaustarpeet (katso kuva 1, sivu 11). Tätä varten STM käynnisti erillisen selvitystyön. Dosentti Matti Salon tekemä selvitysraportti julkaistiin kesäkuussa 2020 (Salo 2020).

Selvityshenkilö esitti yhteensä 16 ehdotusta kansallisen seulontaohjelman laadun parantamiseksi. Nämä ehdotukset on huomioitu SCID-seulontaohjelman arviointikriteerien arvioimisessa (katso kappale 6). STM vastaa selvityshenkilön ehdotusten pohjalta kansallisen ohjaukseen liittyvien tehtävien toimenpiteiden käytännön toteutuksesta ja ohjauksesta.

5. Seulontaohjelmien yleiset eettiset näkökulmat

Seulontaohjelmiin liittyy sekä yleisiä, että seulontakohtaisia eettisiä haasteita. Tässä kappaleessa esitetään seulontoihin liittyviä yleisiä eettisiä näkökulmia.

Seulontaohjelmat kohdentuvat yleensä oireettomaan väestöryhmään ja niiden tavoitteena on ennusteen parantaminen. Tämä edellyttää, että ennustetta parantava hoito on olemassa ja saatavilla. Jos näyttöä ennustetta parantavasta hoidosta tai varmuutta sen järjestämisen mahdollisuuksista ei ole, ei seulontaa voida pitää eettisesti hyväksyttävänä.

Seulonnat ovat vapaaehtoisia ja ne perustuvat tietoisiin päätöksiin osallistua seulonnan jokaiseen vaiheeseen seulontanäytteen otosta jatkotutkimuksiin asti. Jotta osallistuminen voi olla tietoisia, tulee seulottavan saada riittävästi tietoa seulonnan tavoitteista (etsittävä tauti, varhaisen hoidon sisältö ja sen kesto), seulontaprosessista (missä ja miten seulontanäytteet otetaan, milloin vastaus saadaan, missä ja miten jatkotutkimukset tehdään ja mitä ne sisältävät, milloin lopulliset vastaukset saadaan) ja seulonnan ominaisuuksista (seulonnan herkkyys eli kyky tunnistaa sairaudet ja seulonnan spesifisyys eli kyky tunnistaa terveet). Lisäksi osallistujan tulee saada tietoa seulontaan liittyvistä mahdollisista haitoista ja erityispiirteistä (näytteen ottoon liittyvät, geneettisten sairauksien merkitys) ja mitä ne edellyttävät. Vastasyntyneiden kohdalla vanhemmat tekevät päätöksen seulontaan osallistumisesta ja on tärkeää varmistaa, että heidän tietoon perustuva suostumuksensa seulontaan osallistumisesta on kirjattu potilasasiakirjoihin.

Väärä positiivinen tulos eli myöhemmin virheelliseksi osoittautuva taudin epäily voi aiheuttaa kauan kestävästi ahdistuksen ja epäilyn, että toistetuista tutkimuksista huolimatta kyseinen henkilö on sairas.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Lasten kohdalla vanhemmat voivat ennättää jo luoda mielessään lapselle ”sairaana tulevaisuuden” ennen varmistavia tutkimuksia ja tästä tunteesta voi olla vaikea päästä eroon. On tärkeää, että seulonnan tavoitteet ja väärän positiivisen seulontalöydöksen mahdollisuus ja sen merkitys selvitetään vanhemmille ennen seulontaan osallistumista. Vastasyntyneiden veritäpläseulonnassa nopea jatkotutkimusten järjestäminen on tärkeää kahdesta syystä: todelliset tautitapaukset pitää varmistaa ja väärän positiivisen seulontatuloksen aiheuttama pelko poistaa.

Väärä negatiivinen tulos, jossa seulonta ei tunnista etsittyä tautia, voi viivästyttää taudin myöhempää toteamista. Tauteja, joita seulotaan väestöstä, ei osata aina epäillä, kun tauti alkaa oireilla taudin luonnollisen kulun mukaisesti. Biologisen vaihtelun, inhimillisten ja teknisten virheiden mutta myös tiedonkulun ongelmien vuoksi paraskaan seulonta ei aina löydä kaikkia tautitapauksia. Tämäkin on tärkeä tieto, joka seulontaan osallistuvilla tulee kertoa.

Etsityn taudin löytäminen eli oikea positiivinen tulos on aina psyykinen stressitilanne, on kyseessä lapsi tai aikuinen. Seulontaan osallistuvat eivät yleensä pysty hahmottamaan taudin löytymisen merkitystä. Taudin löytäminen voi johtaa raskaisiin tai jopa elinikäisiin hoitoihin. Vanhemmat eivät seulontaan osallistuessaan pysty esimerkiksi kuvittelemaan, mitä parantava hoito käytännössä tarkoittaa ja mitä se heiltä edellyttää. Mitä harvinaisempi etsittävä tauti on, sitä epätodennäköisempänä vanhemmat pitävät sen ilmenemistä omalla lapsella.

Seulonnassa voi löytyä myös tauteja tai poikkeavuuksia, jotka eivät ole seulonnan tavoite. Usein näiden tautien tai poikkeavuuksien osalta ei ole näyttöä siitä, että varhainen tunnistaminen parantaisi ennustetta. Tällöin kyseinen henkilö (tai hänen vanhempansa) käänteisesti menettää aikaa, jolloin hän on voinut elää ilman tietoa kyseisestä taudista tai poikkeavuudesta. Erityisen haasteellisia nämä löydökset ovat sikiöihin ja vastasyntyneisiin kohdistuvissa seulonnoissa.

Osa seulottavista taudeista on perinnöllisiä ja tällä tiedolla voi olla vaikutusta sekä perheen muihin jäseniin että sukulaisiin. Peittyvästi periytyvässä taudissa molemmat vanhemmat ovat kantajia ja sisarukset voivat olla oireettomia tautigeenin kantajia tai heillä voi olla vielä oireeton tauti. Vastasyntyneiden veritäpläseulonnassa etsittävät taudit ovat yleensä erittäin vaikeita, varhain oireita aiheuttavia ja perinnöllisyyden mahdollisuus heijastuu erityisesti tulevien raskauksien suunnitteluun. Periytyviin tauteihin liittyvän perinnöllisyysneuvonnan tarve ja mahdollisuus on tärkeä kertoa jo ennen seulontaan osallistumista.

6. Seulontaohjelman arviointikriteerien täyttyminen

Suomessa käytetyt seulontaohjelman arviointikriteerit perustuvat WHO:n 1968 julkaisemiin kymmeneen arviointikriteeriin ja Tanskan eettisen neuvoston vuonna 2001 julkaisemiin lisäkriteereihin, jotka on

STM051:00/2020
VN/21679/2020

yhdistetty loogisesti eteneväksi 14 kriteerin kokonaisuudeksi (Autti-Rämö ym. 2006). WHO:n ja Tanskan eettisen neuvoston (T) alkuperäisten kriteerien numerot ovat suluisia.

SCID-tauti tulotisiin lisäämään jo olemassa olevaan seulontaohjelmaan, jossa vastasyntyneiltä otetusta veritäplänäytteestä seulotaan 22:ta erilaista harvinaista sairautta. Kunkin kriteerin kohdalle on kirjattu, miten kyseinen seulontakriteeri toteutuu SCID-taudin osalta silloin, kun kriteeri koskee SCID-tautia. Kun kriteerissä arvioidaan koko seulontaprosessia tai sen yksittäisestä taudista riippumatonta vaihetta, on huomioita erillisen seulontaraportin (Salo M, 2020) ja jaoston tekemän kyselyn tulokset. Näissä kohdissa käytetään termiä veritäpläseulonta. Kriteerikohtaiset arvioinnin taustatiedot ovat aiemmissa luvuissa, ellei muuta mainita.

Seulontaohjelman kriteereitä arvioitaessa on huomioitu jaoston erillisselvitysten tulokset, selvityshenkilön ehdotukset vastasyntyneiden veritäpläseulonnan laadun parantamiseksi sekä BCG-rokotuksen siirtämisestä mahdollisesti aiheutuvien kielteisten seurauksien hallinta. Lisäksi on arvioitu vanhempien yksilöllisen neuvonnan tarvetta ja väärän positiivisen merkitystä laajemmin (Ulph ym. 2017).

6.1. Seulottavan taudin merkitys on suuri (WHO1)

Seulottavan taudin merkitys on suuri sekä yksilön että yhteiskunnan kannalta

Kyllä yksilön kannalta.

Yksilön ja perheen kannalta tauti on merkittävä, sillä varhainen diagnoosi ja varhain aloitettu hoito vähentää merkittävästi lapsen kroonisen sairauden sekä kuoleman riskiä. SCIDin ilmaantuvuuden on Suomessa arvioitu olevan yksi noin 58 000 vastasyntyntä kohti.

Epävarma yhteiskunnan kannalta

Yhteiskunnan kannalta harvinaisen taudin varhaisen löytämisen merkitys tulee suhteuttaa resurssien käytön näkökulmasta toisaalta kansantautien varhaiseen hoitoon, toisaalta muiden harvinaistautien varhaisen hoidon mahdollistamiseen. Lisäksi on varmistettava, että SCIDin seulontaohjelmaan liittyvä BCG-rokotuksen ajankohdan siirto ei laske tuberkuloosin riskiryhmän rokotekattavuutta ja johda yleisvaarallisen tartuntataudin, tuberkuloosin esiintymisen lisääntymiseen varhaislapsuudessa.

6.2. Tauti voidaan havaita seulonnalla varhain (WHO4)

Tauti voidaan havaita seulonnalla varhaisemmassa vaiheessa kuin se muuten ilmenisi.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Kyllä.

Vastasyntyneen veritäplästä otetun näytteen tutkiminen mahdollistaa SCIDin tunnistamisen muutamia kuukausia ennen diagnosiin johtavien oireiden ilmaantumista.

6.3. Taudin luonnollinen kulku tunnetaan (WH07)

Taudin luonnollinen kulku tunnetaan hyvin.

Kyllä.

Luonnollinen kulku hoidotta on varhainen, vaikeiden infektioiden ja elinvaurioiden aiheuttama kuolema. Taudin kulku myös silloin kun diagnosi ja hoito toteutuu vasta taudin kliinisten oireiden myötä, tunnetaan hyvin. Oireiden jälkeen diagnosoiduista ja kantasolusiirroilla hoidetuista SCID-potilaista oli 10 vuoden kuluttua elossa 31/42 (72%) ja siirteeseen liittyvä kuolleisuus oli 23% (Hamid ym. 2017).

6.4. Tarkoituksenmukainen seulontamenetelmä (WH05)

Tautiin on tarkoituksenmukainen seulontamenetelmä, jonka osalta tunnetaan:

6.4.1. Soveltuvuus seulontaan (T11a)

Kyllä.

Veritäplänäytteeseen perustuva vastasyntyneen aineenvaihduntasairauksien seulonta on jo Suomessa käytössä. SCIDin tunnistamiseksi käytetty analyysimenetelmä on käytössä monissa maissa vastaavalla laitteella kuin Suomessa tulnaisiin käyttämään.

6.4.2. Herkkyys ja spesifisyys (T11b)

Kyllä, mutta nykyisellä raja-arvolla väärin positiivisten määrä on liian korkea

SCID-taudissa TREC arvo erittäin matala, alle 5 ja toistaiseksi ei ole raportoitu tilannetta, että seulonta ei olisi löytänyt tautitapausta.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

SCID-seulonnan pilottivaiheen ongelma on spesifisyys eli kuinka paljon seulonta tunnistaa terveitä vastasyntyneitä sairaksi (väärä positiivinen). Seulonnassa löydetään myös muita lymfopenioita, joiden välitön hoito ei ole tarpeen, ja pienillä keskosilla se tuottaa herkemmin vääriä positiivisia. Seulonnan tavoitteena on vain SCID-taudin löytäminen, jolloin väorien positiivisten määrää voidaan rajoittaa. Nykyinen raja-arvo (TREC-luku 20) johtaisi siihen, että 0.095%:lla vastasyntyneistä seulontalöydös olisi positiivinen. Jos syntyvyys on 50 000, olisi seulontapositiivisia 47. Heistä arviolta 15 olisi alle 33 raskausviikolla syntyneitä, jotka usein ovat sairaalahoidossa seulontanäytteen valmistuessa.

Seulonnassa löydettävät muut immuunivajeet ovat sattumalöydöksiä, eivät seulonnan tavoitteita. Näitä tauteja voi yhden etsityn SCIDin lisäksi löytyä 2-3 vuosittain. Todennäköisesti kansallisessa seulassa riittävän herkkä raja-arvo vakavien, kliinisesti merkittävien lymfopenioiden ja SCID-tapausten löytämiseksi ilman merkittävää terveille lapsille aiheutuvaa lisätutkimusten määrää on korkeintaan 18 (Amatuni ym. 2019, Adams ym. 2014). Perustuen Kalifornian seulan kokemuksiin esimerkiksi raja-arvolla < 18 virtausytometria tehtäisiin lisätutkimuksena vuosittain arviolta vain noin 10 lapselle (1:5690) (Taulukko 1, Amatuni 2019). Tällöin seulonnan PPV arvo (positive predictive value eli positiivinen ennustearvo) olisi samaa luokkaa kuin nykyisen veritäpläseulonnan tautipaneelin osalta, joka on kansainvälisessä vertailussa matala mutta toistaiseksi väestön hyväksymä.

Väorien positiivisten määrää voidaan vähentää tekemällä seulontalaboratoriossa ns. second tier lisätutkimus silloin kun tällainen veritäplänäytteeseen perustuva analyysi on mahdollista. Näiden lisätutkimusten järjestäminen on toinen mahdollisuus vähentää jatkotutkimuksiin kutsuttavien määrää, jos seulontarajaa ei voida perustellusta syystä alentaa.

6.4.3. Seulontatuloksen ennustearvo eli väorien positiivisten ja negatiivisten testitulosten osuus ja merkitys (T11c)

Kyllä, mutta hyväksyttävyyys riippuu asetetusta raja-arvosta.

Seulonnalla etsitään vakavaa sairautta ja riskejä sisältävään hoitoon ohjattavia vastasyntyneitä, mikä voi herättää pitkäkestoista huolta. Väorien positiivisten määrän on oltava mahdollisimman pieni ja siksi seulonta on kohdistettava vain SCID-tautiin.

Samasta veritäplänäytteestä tutkitaan kuitenkin 22 sairautta, jotka kaikki ovat harvinaisia ja jokaisen seulottavan taudin kohdalla esiintyy myös vääriä positiivisia. Tässä yhteydessä onkin tärkeää tarkastella väorien positiivisten osuutta myös kaikkien nykyisten seulottavien tautien osalta.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Selvityshenkilön raportissa todetaan, että seulontanäytteen positiivinen ennustearvo PPV (kuinka monta positiivisista seulontanäytteistä on todellisia etsittyjä tautitapauksia) on huomattavan matala, aineenvaihduntatautien osalta 10.1% ja kaikkien tautien osalta 6.6%. SCID-seulonnan PPV arvo on erittäin matala, vain 2%. Kuinka monta vastasyntynyttä voidaan kutsua kiireellisesti tai seuraavana arkipäivänä jatkotutkimuksiin mahdollisen etenevän tai vakavan harvinaisen taudin vuoksi? Nykyisin jokaista todellista tautitapausta kohden joudutaan jatkotutkimuksia tekemään yhdeksälle myöhemmin terveeksi osoittautuvalle lapselle. Jos SCID lisätään seulottavien tautien paneeliin nykyisellä raja-arvolla, nousisi jatkotutkimuksiin ohjattavien lasten määrä lähes puolella. Mikä pitäisi olla todellisten tautitapausten ja väärien positiivisten välinen suhde, jotta seulonta voidaan pitää väestötasolla hyväksyttänä? Nykyinen aineenvaihduntatautien seulonnan PPV arvo on selvästi heikompi kuin useimmissa muissa maissa, esimerkiksi Tanskassa PPV arvo on peräti 62% (Lund ym. 2020). On kuitenkin huomioitava, että Tanskan seulontaluvut eivät sisällä synnynnäistä lisämunuaishyperplasiaa (CAH), jonka seulontaan liittyy erityisesti enneaikaisesti syntyneillä runsaasti vääriä positiivisia.

Positiivisen löydöksen merkitys on erilainen, jos lapsi on sairaalassa, kuin jos hän on jo kotiutunut. Sairaalassa uusintanäyte voidaan ottaa tarvittaessa välittömästi ja toisaalta tiedetään ennakolta, että esim. enneaikaisuuteen tai tiettyihin lääkkeisiin liittyy väärän positiivisen tuloksen riski. Tilanteessa, jossa terveeksi määritetty lapsi kutsutaan kotoa uusintanäytteeseen, olisi positiivisen löydöksen ennustearvon hyvä olla merkittävästi nykyistä korkeampi. Olisikin tärkeää, että kansallisesta seulontoja koskevasta tietojärjestelmästä olisi saatavilla tieto toteutuneista positiivisista ennustearvoista, erikseen kotiutuneiden lasten osalta.

Väärien negatiivisten riski on todennäköisesti erittäin vähäinen, mutta inhimilliset virheet ja tekniset virheet ovat aina mahdollisia. Seulontanäytteet tutkitaan laatusertifioidussa laboratoriossa.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

6.5. Väestö hyväksyy seulonta- ja diagnoosimenetelmät (WH06)

Kyllä, mutta päätös osallistumisesta ei ole välttämättä aina tietoinen ja tietoon perustuva.

Sairaalakyselyn mukaan aineenvaihduntatautiin seulonnasta kieltäytytään harvoin (alueellisesti arviot vaihtelivat 0.5-5%), jos näyte otetaan lapsivuodeosastolla. Varhain kotiutuvista osa ei palaa näyttöön varten, vaikka he eivät ole siitä selvästi kieltäytyneet. Terveystieteiden tutkimuksen mukaan vanhempien haluttomuus antaa pistää lasta voi myös vaikuttaa osallistumishalukkuuteen. SASKE:n tilastojen mukaan seulontanäyte saadaan kuitenkin noin 99%:lta vastasyntyneistä, mikä vastaa kansainvälisiä osallistumisprosenttilukuja.

Raskaana oleville tarjotaan monia eri seulontoja ja on mahdollista, että vanhemmat eivät ymmärrä kaikkien sikiöön ja syntyvään lapseen kohdistuvien seulontojen tavoitteiden ja toteutuksen eroja. Myös terveydenhoitajien on vaikea tiedottaa yksilöllisesti erilaisista raskauden aikaisista ja synnytyksen jälkeisistä seulonnoista, positiivisen seulontalöydöksen aiheuttamista jatkotutkimuksista eri sairauksissa sekä eri sairauksien varhaisen hoidon merkityksestä. Keskeistä seulonnan hyväksyttävyyden kannalta on myös se, miten väärin positiivisen mahdollisuus kerrotaan sekä miten näissä tilanteissa toimitaan. Kansainvälinen tutkimus on osoittanut, että tietoa tulee antaa eri tavoin huomioiden vanhempien tarpeet ja edellytykset tiedon tulkintaan (Ulph ym. 2017). Terveystieteiden tulee saada lisäkoulutusta seulontojen erityispiirteistä kertomiseen.

Yhtenäistä vanhemmille ja ammattilaisille tarkoitettua tietoa ei ole tällä hetkellä saatavilla kaikista seulottavista taudeista ja seulonnan eri vaiheista sairaanhoitopiirien sivustoilla. Raskauden aikaisista ja sen jälkeisistä vastasyntyneisiin kohdentuvista seulonnoista tarvitaan yksi yhtenäinen tietoportaali, josta niin vanhemmat kuin terveydenhuollon ammattilaiset saavat tarvitsemaansa tietoa ja opetusmateriaalia. Tällainen tietopaketti on saatavissa vain [sikiön kromosomi- ja rakennepoikkeavuuksien seulonnasta](#) STM:n sivuilta. Seulontanäytteen analysoivan laboratorion SASKE:n nettisivustolla on tietoa veritälänäytteen seulonnasta 16 kielellä. Tiedottamista ei voida kuitenkaan ulkoistaa laboratoriolle ja edellyttää, että tämä tieto vastaa kaikkien vanhempien ja terveydenhuollon ammattilaisten tarpeisiin.

Keskeistä seulonnan hyväksyttävyyden kannalta on, että vanhemmat saavat yksilöllisesti räätälöityä tietoa (Ulph ym. 2017), väärin positiivisten määrä on mahdollisimman matala ja että vanhemmat saavat tarvittaessa tietoa ja tukea erilaisten seulontavastausten käsittelyyn.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

6.6. Ennen seulonnan aloitusta on tehty arvio (T12)

6.6.1. Seulonnan leimaavasta vaikutuksesta (T12b)

Ei toistaiseksi.

SCID-seulonta antaa tietoa taudista, joka ei ole erityisen leimaava, mutta asiaa ei ole selvitetty. Kyseessä on peittyvästi tai X-kromosomaalisesti periytyvä sairaus, joka on huomioitava mahdollisessa seuraavassa raskaudessa; sikiödiagnostiikkaa ei toistaiseksi tehdä. X-kromosomaalinen resessiivinen tautimuoto periytyy vain poikalapselle ja tytär on kantaja. Autosomaalisesti resessiivisesti periytyvissä tautimuodoissa syntyvän lapsen todennäköisyys olla täysin terve on 25%, kantaja 50% ja sairastaa SCIDiä vastaavasti 25%.

Kantasolusiirron myötä SCIDistä parantuneen potilaan geenivirhe säilyy, mikä on huomioitava hänen tulevassa perinnöllisyysneuvonnassaan. Autosomaalisesti resessiivisesti periytyvässä tautimuodossa hänelle syntyvä lapsi on aina vähintään kantaja.

6.6.2. Seulonnan psykologisesta ja eettisestä merkityksestä seulottavalle ja perheelle (T12a)

Ei toistaiseksi itsenäisesti SCIDin osalta

Raskauden aikaisen sikiön kromosomi- ja rakennepoikkeavuuksien seulonnan sekä aineenvaihduntatautiin seulonnan psykologiset vaikutukset on arvioitu aikaisemmissa kotimaisissa arviointiraporteissa (Autti-Rämö ym. 2004, 2005). Psykologiseen kuormaan vaikuttaa keskeisesti se, miten informaatiota seulonnan eri vaiheissa annetaan ja vastaako seulonnan tavoite perheen arvoja. Koska kyseessä on verinäyte, on myös huomioitava se, että osa perheistä ei halua lasta pistettävän. Psykologin konsultaatio voi olla tällöin tarpeellinen.

Koska samasta näytteestä seulotaan useita tauteja, on erittäin tärkeää, että perhe saa jo ennen näytteen ottoa asiantuntevaa tietoa kaikista seulottavista taudeista sekä mahdollisista toimenpiteistä, jos seulontalöydös on positiivinen ja jatkotutkimukset ovat tarpeellisia. Koska maahanmuuttajien määrä synnyttäneiden ryhmässä on merkittävästi kasvanut, on paitsi informaatiota annettaessa myös seulontatuloksista ilmoitettaessa varmistettava, että positiivisesta löydöksestä ja jatkotutkimusten tarpeesta tiedotettaessa perheellä on mahdollisuus tulkin käyttöön. Väärä positiivinen löydös aiheuttaa yleensä aina huolta vaikka kontrollinäytteen vastaus tulisi parissa päivässä. Tilanteessa, jossa terveeksi määritetty lapsi kutsutaan kotoa uusintänäytteeseen, on positiivisen löydökseen liittyvä psykologinen

STM051:00/2020
VN/21679/2020

stressi korkeampi. On ratkaisevaa, miten uusintavastausta odottaessa toimitaan ja miten perhettä tarvittaessa tuetaan, jos huoli lapsen terveydestä ei normaalin tuloksen saamisen jälkeen poistu. Englantilaisessa selvityksessä on kattavasti kuvattu yksilöllisen neuvonnan keinoja, jotka parantavat tietoista ja tietoon perustuvaa osallistumista sekä voivat vähentää psykologisia kuormitustekijöitä (Ulph ym. 2017).

Kun seulontanäyte on vahvasti SCIDiin viittaava, otetaan lapsi yliopistosairaalaan suojaeristykseen ja aloitetaan infektiolta suojaava lääkitys. Äiti voi hoitaa lastaan suojavaatteet päällä, mutta CMV-virusta kantava äiti ei saa imettää. Lapselta otetaan myös näytteet mahdollista kantasolusiirtoa varten. Suojaeristyksen psykologisesti kuormittavia vaikutuksia sekä lapseen että perheeseen voidaan pitää merkittävinä.

Syntymä on itsessään vastasyntyneelle ensimmäinen suuri stressi, jota lievittävät ihokontakti äidin kanssa, äidin tuoksu ja äidin ääni (Abrams ym. 2016, Ardiel ja Rankin 2010, Moore ym. 2012, Sullivan ja Toubas 1998). Vanhemman ja vauvan välisen varhaisen vuorovaikutuksen ja kiintymyssuhteen muodostumisen kannalta vauvan koskettaminen ja sylissäpitäminen, vauvan ja vanhemman välinen katsekontakti, ääntelyt, käsien ja pään liikkeet, jotka välittävät jaettua kokemusta, tunteita ja ymmärtämistä ovat tärkeitä (Trevarthen ja Aitken 2001). Tässä ns. protokonversaatioissa vauva saa paljon kognitiivista ja sosiaalista informaatiota, joka ohjaa hänen aivojensa kehitystä (Schore 2001).

Vastasyntyneisyyskaudella vauva tarvitsee vanhemman läsnäoloa myös voidakseen säädellä jatkuvien uusien ärsykkeiden ja omien tarpeidensa aiheuttamaa stressiä (Hofer 2005). Toisinaan tavanomainen vanhemman ja vastasyntyneen vuorovaikutus on mahdotonta infektioriskin tai muun vauvan terveyttä tai henkeä uhkaavan tekijän vuoksi. Näissä tilanteissa on kuitenkin tärkeää mahdollistaa niin paljon vanhempien ja vauvan välistä vuorovaikutusta kuin mahdollista. Esimerkiksi jos ihokontakti ei ole mahdollinen, voivat vanhemmat pitää vauvaa sylissä suoja-pukujen turvin ja jutella vauvan kanssa. Katsekontakti on vanhemman ja vauvan välisessä vuorovaikutuksessa voimakas ärsyke (Leong ym. 2017) ja äänensävy välittää tehokkaasti tunnetta, vaikka vanhempien suun seutu olisi suojattuna. Lyhytkestoisten eristystilanteiden mahdollinen kielteinen vaikutus on todennäköisesti vähäinen, jos vauva ja vanhemmat voivat koko ajan olla vuorovaikutuksessa edes jollain tavalla.

Väärä negatiivinen seulontalöydös voi aiheuttaa pettymyksen terveydenhuoltoa kohtaan, kun tauti havaitaan vasta oireiden jälkeen.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Seulontatuloksen on oltava saatavilla ja negatiivinen, ennen kuin vauvalle voi antaa BCG-rokotuksen. Tämä tarkoittaa, että tuberkuloosin suhteen riskiryhmään kuuluvan lapsen on tultava kotiutumisen jälkeen erikseen saamaan BCG-rokotus. Osa rokotuksista saattaa silloin jäädä antamatta, mikä voi johtaa tuberkuloosin suhteen riskiryhmään kuuluvan lapsen tuberkuloosiin sairastumiseen riskin merkittävään lisääntymiseen. On erityisesti huolehdittava siitä, että vanhemmat ymmärtävät sekä rokotuksen suojaavan vaikutuksen että rokottamatta jättämiseen liittyvät riskit, jotta lapsen rokottamatta jättäminen ei liittyisi puutteelliseen tietoon vaan olisi tietoinen päätös.

6.7. Linjaukset siitä, keitä hoidetaan potilaina, ovat selkeät (WH08)

Kyllä.

Suomessa käytetään yhtenäisiä diagnostisia kriteerejä, jotka perustuvat todettuun soluvälitteisen immunitetin vajeeseen. Soluvälitteisen immunitetin toimimattomuus osoitetaan, kun potilaalla todetaan hyvin matalat ja riittämättömästi toimivat T-lymfosyytit (Ryhänen ym. 2017). Lisäksi potilaalla voi olla häiriöitä B-solujen ja NK-solujen toiminnassa. Hoito on kaikille potilaille sama, mutta tautiin johtavia geenimuutoksia tunnetaan useita ja tarkka geneettinen syy voidaan osoittaa nykyisin noin 95% potilaista (Dvorak ym. 2019). Erilaiset geenimuutokset johtavat samaan lopputulokseen, jossa soluvälitteinen immunitetti ei toimi.

6.8. Tautiin on vaikuttava, hyväksytty hoito (WH02)

Kyllä.

Allogeeninen kantasolusiirto esi- ja jälkihoitoineen voi parantaa taudin, ja toivottu vaikutus immuunijärjestelmän toimintaan voidaan saada melko pienelläkin määrällä luovuttajan soluja (30% luovuttajan osuus eli kimerismi). Uusi kantasolusiirto tarvitaan, mikäli ensimmäinen siirre hylkiytyy kokonaan. Kantasolusiirron jälkeen seuranta jatkuu vuosittaisin kontrollein aikuisikään asti ja sen jälkeen erikoislääkärin seurannassa noin 5 vuoden välein, ellei ole erityisiä syitä tiuhempiin kontrolleihin. Jos on hoidettava käänteishyljintää tai ilmaantuu muita tarkemmin seurattavia terveyteen vaikuttavia tekijöitä, ohjataan potilas asianomaiselle aikuiserikoisalalle seurantaan ja kontrollit suunnitellaan tarpeen mukaan.

Kantasolusiirto voi olla verensiirtoon rinnastettava toimenpide joidenkin uskonnollisten näkemysten mukaan. Tilanteen hoidossa sovelletaan samanlaisia toimintamalleja.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

6.9. Taudin jatkotutkimus- ja hoitomahdollisuudet ovat saatavilla (WHO3)

Kyllä.

Suomessa diagnostiset tutkimukset onnistuvat kaikissa yliopistosairaaloissa ja hoito on keskitetty HUS:in Uuteen lastensairaalaan.

6. 10. Seulonnan organisaatio on selvitetty yksityiskohtaisesti (T14)

Kyllä.

Vastasyntyneiden aineenvaihduntatautiin seulonnan prosessia tiedottamisesta hoidon aloittamiseen kartoitettiin synnytys- ja lastensairaaloille lähetetyn kyselyn sekä terveydenhoitajien haastattelun avulla (katso kappale 3). Kyselytutkimuksessa esiintulleiden ongelmien vuoksi päädyttiin erilliseen selvitystyöhön (Salo M 2020), jossa seulontaprosessiin liittyvät ongelmakohdat selkiintyivät ja varmistuivat. Selvitysraportissa on esitetty 16 ehdotusta keinoista, joilla kansallisesti yhtenäinen ja laadukas seulontaprosessi voidaan varmistaa. Raportissa on myös esitetty yksityiskohtainen ehdotus seulonnan organisoimisesta.

Keskittämisasetus (582/2017) velvoittaa viisi yliopistosairaalaan huolehtimaan aineenvaihduntatautiin seulonnasta vastasyntyneiltä, sen suunnittelusta ja yhteen sovittamisesta alueellisesti käsittäen jatkotutkimukset ja koko prosessin laadunvarmistuksen. Yliopistosairaaloiden tulee yhdessä varmistaa, että vastasyntyneiden veritäläseulontaan perustuvien harvinaisten tautien seulontaprosessissa todetut ongelmakohdat korjataan terveydenhuollon ammattilaisten toiminnan (koulutus, vanhemmille tiedottaminen ja kirjaaminen sekä tiedon välittäminen) osalta.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

6. 10.1. Seulonnan kansallinen ja alueellinen taso (T14a)

Kyllä, mutta kansallisesta ohjauksesta on sovittava.

Suomessa seulontanäytteiden analyysi on keskittynyt yhdelle toimijalle (SASKE), joka antaa ohjeet näytteenotosta ja positiivisten näytteiden perusteella tehtävistä jatkotutkimuksista. Yliopistosairaalat tukevat alueensa muita sairaaloita ja synnytyssairaalat alueensa neuvoloita. Selvityshenkilön raportissa on annettu ehdotus kansallisesta ja alueellisesta ohjauksesta. Kansallisesta ohjauksesta on sovittava ennen uusien tautien lisäämistä veritäpläseulontaan.

6.10.2. Laadunohjaus ja tulosten rekisteröinti (T14b,c)

Kyllä, mutta nykyisen veritäpläseulonnan osalta vaihtelua on paljon eikä kaikkea tarvittavaa tietoa ole saatavilla.

Seulontatutkimukset tehdään keskitetysti (ISO15189-standardin mukaisesti) akkreditoitussa laboratoriossa. Akkreditoitu laboratorio on sitoutunut noudattamaan akkreditointistandardin asettamia vaatimuksia ja toimimaan näiden edellyttämällä tavalla (sisältäen mm. tulosten luotettavuuden edellyttämät laadunvarmistustoimet, toiminnan dokumentoinnin, henkilökunnan pätevyyden varmistamisen jne.) FINAS (Suomen akkreditointipalvelu) tekee kerran vuodessa arviointikäynnin, jossa ulkoiset asiantuntijat arvioivat täyttääkö laboratorion toiminta standardin vaatimukset ja voidaanko akkreditointitunnusta jatkaa. Tällä tavalla pyritään mm. varmistamaan tulosten oikeellisuutta.

Koko seulontaprosessin laatu sen sijaan vaihtelee eikä seulontaohjelman eri vaiheiden tuloksia ole saatettu järjestelmällisesti keskeisten toimijoiden tietoon. Selvityshenkilö on antanut raportissa ehdotuksia koko seulontaprosessin laadun, tiedon keruun ja seulonnan tulosten seuraamiseksi sekä raportoimiseksi. Tämän kokonaisuuden toimintamalli ja tietojen kirjaaminen on sovittava.

6.10.3. Seulontaesite ja väestölle tiedottaminen (T14e)

Kyllä, mutta nykyisen veritäpläseulonnan osalta vaihtelua on paljon.

Neuvoloiden ja sairaaloiden aineistot ja käytännöt tiedottamisessa vaihtelevat. Tieto seulontaohjelmasta, seulottavista taudeista ja niiden diagnosoinnin edellyttämistä jatkotutkimuksista tulee koota kansalliseen

STM051:00/2020
VN/21679/2020

tietokantaan, jossa se on niin väestön kuin terveydenhuollon toimijoiden käytettävissä. Tiedon on oltava helposti saavutettavissa ja ymmärrettävässä muodossa. STM:n sivustoilla oleva [sikiöseulontaa koskeva informaatio](#) on tähän hyvä malli. Aiheesta on saatavilla myös kirjallinen opas (Leipälä ym. 2009) Selvityshenkilön raportissa on annettu myös muita kehittämisehdotuksia.

Vastasyntyneen seulonnasta tulee kertoa vanhemmille jo raskausaikana. Oikean tiedon antaminen oikeaan aikaan oikealla tavalla mahdollistaa tietoon perustuvan päätöksenteon, säästää vanhempia tarpeettomalta ahdistukselta ja terveydenhuollon ylimääräisiltä kustannuksilta. Raskauden aikana tarjotaan hyvin erilaisia seulontoja, joihin kaikkiin liittyy tiedon anto seulottavasta taudista, eri seulontatulosten merkityksestä sekä jatkotutkimuksiin liittyvistä vaihtoehdoista. Tiedon antamiseen ei ole massa yhtä näyttöön perustuvaa, tehokasta tai standardoitua mallia. Tärkeää on yksilöllinen sekä oikeaa ja luotettavaa tietoa sisältävä neuvonta, jonka antaa terveydenhuollon ammattilainen (Ulph ym. 2017).

Perustieto vastasyntyneen veritälänäytteen perustuvasta seulontakokonaisuudesta annetaan kaikille vanhemmille raskauden viimeisellä kolmanneksella. On tärkeä huomioida, että myös lapsen toinen vanhempi saa tiedon seulonnasta eikä ainoastaan raskaana oleva. On myös tärkeä muistuttaa vanhempia eri tietolähteistä, joihin he voivat omassa rauhassa tutustua ja etsiä sieltä halutessaan yksityiskohtaisempaa tietoa. Terveydenhoitajan tulee varmistaa, että vanhemmat ovat ymmärtäneet saadun neuvonnan, jotta he voivat antaa tietoon perustuvan suostumuksensa seulontaan osallistumisesta.

Kun seulonta otetaan ensimmäisen kerran puheeksi, olisi se hyvä tehdä kasvotusten. Keskustelussa tulee ottaa huomioon vanhempien tiedontarpeet, oppimistyyli ja toiveet tiedon laadun ja määrän suhteen. Vanhempia ei tule kohdella tiedon passiivisina vastaanottajina vaan osallistuvina ja aktiivisina tiedon käyttäjinä. Neuvonnan sisältö tulee yksilöidä vanhempien toiveiden ja tarpeiden mukaan. Toiset kaipaavat yksityiskohtaista tietoa, kun taas toiset haluavat tietää vain perusasiat. Neuvonnassa tulee myös ottaa huomioon vanhempien äidinkieli. Tarvittaessa tulee järjestää tulkki neuvontaa varten. Lisätiedon äärelle ohjaaminen on tärkeä osa neuvontaa. Seulontoja koskevan neuvonnan tulee sisältää alla esitetyt kohdat (Taulukko 4) (Ulph ym 2017).

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Taulukko 4. Vastasyntyneiden veritäpläseulontaa koskevan neuvonnan sisältö

Neuvonnan sisältö
<ul style="list-style-type: none">• Perustelut seulonnalle• Seulonnan vapaaehtoisuus• Näytteenotto (näytteenottotekniikka, ajankohta, vastasyntyneelle aiheutunut kipu, kivunlievitys, infektioriski)• Tiedonantaminen seulottavista sairauksista (seulottavat sairaudet, sairauksien esiintyvyys väestössä, periytyvyys, sairauksien seuraukset, hoito)• Tuloksista tiedottaminen (tulosten valmistuminen ja tiedottamistapa)• Positiivinen tulos (väärän positiivisen tuloksen todennäköisyys, nopean reagoimisen tärkeys, uusintanäytteenotto, hoidon eteneminen)• Seulontakäytäntöjen muuttuminen, jos kyseessä uudelleensynnyttäjä• Lisätiedon äärelle ohjaaminen

Synnytyssairaalassa synnytyksen jälkeen kättilön tulee muistuttaa seulonnasta ja varmistaa, että perhe on saanut seulontaan liittyvän tiedon raskausaikana, ymmärtänyt saadun neuvonnan sekä antanut suostumuksensa seulontaan osallistumisesta (Ulph ym. 2017).

6.10.4. Potilaiden kulku organisaatiossa(T14 d)

Kyllä, mutta nykyisen veritäpläseulonnan osalta vaihtelua on paljon.

Perustuen vastasyntyneiden aineenvaihduntatautien seulontaa koskeviin selvityksiimme, veritäplänäytteen seulontatuloksen jälkeinen prosessi vaihtelee eri sairaaloiden välillä. Kaikista sairaaloista ei saatu selkeää

STM051:00/2020
VN/21679/2020

kuvausta erityisesti niiden lasten osalta, joilla seulontanäyte on positiivinen, mutta joilla ei todeta jotain seulottavista taudeista.

Kansainväliset tutkimukset viittaavat siihen, että väärä positiivinen tulos lisää ainakin ensimmäisen elinvuoden aikana terveydenhuollon kontaktien määrää jopa kolminkertaiseksi (Karaceper ym. 2016, Tu ym. 2012). Huolen määrä on yhteydessä alkuperäisen informoinnin ja tulosten ilmoittamisen toteutukseen ja laatuun (Vernooij-Langen ym. 2014). Suomessa ei ole tutkittu, miten väärä positiivinen vaikuttaa perheeseen. Koska SCID-seulonnessa etsitään vaikeaa immunivajetta on kuitenkin mahdollista, että väärin positiivisten kohdalla mikä tahansa infektiosairaus imeväis tai leikki-iässä lisää terveydenhuollon käyntejä.

Jatkossa on varmistettava, että niiden perheiden, joiden lapsella on todettu väärä positiivinen tulos minkä tahansa seulottavan taudin suhteen, yksilölliset tarpeet tulevat huomioituksi mahdollisesti pitkittyvän huolen poistamiseksi.

6.10.5. Henkilökunnan koulutus (T14f)

Kyllä, mutta nykyisen veritäpläseulonnan osalta vaihtelua on paljon.

Koulutuksen kohderyhmät, määrä ja menetelmät vaihtelevat sairaalasta toiseen. Henkilökunnan säännöllinen koulutus on osa laadunvarmistusta ja jatkuva henkilökunnan koulutus täytyy varmistaa ennen SCID-seulonnan lisäämistä veritäpläseulontaan. Terveystenhoitajille, jotka antavat vanhemmille tietoa raskauden aikaisista ja syntymän jälkeisistä seulonnoista tulee järjestää koulutusta, jotta he pystyvät antamaan vanhemmille ajantasaista ja oikeaa tietoa. Seulontatulosten antamiseen osallistuvan henkilökunnan hyvät vuorovaikutustaidot ja seulontatulosten kertomisen koulutus ovat tärkeä osa seulonnan laadun varmistusta. Väärin positiivisten mahdollisiin seurauksiin tulee kiinnittää huomiota. Selvityshenkilön raportissa esitetään täydennyskoulutusta koskevia ehdotuksia.

6.10.6. Testituloksista tiedottaminen ja neuvonta (T14 g)

Kyllä, mutta nykyisen veritäpläseulonnan osalta vaihtelua on paljon.

Tiedotuskäytännöt niin ennakkotiedon kuin negatiivisten ja positiivisten tulosten osalta ovat eri puolilla maata varsin erilaisia sekä vanhempien että perusterveydenhuollon suuntaan. Kansallista ohjausta kaivataan niin kyselytutkimuksen kuin terveydenhoitajien tapaamisen perusteella. Seulontatulosten

STM051:00/2020
VN/21679/2020

antamiseen osallistuvan henkilökunnan hyvät vuorovaikutustaidot ja seulontatulosten kertomisen koulutus ovat tärkeä osa seulonnan laadun varmistusta. Väärien positiivisten mahdollisiin seurauksiin tulee kiinnittää huomiota.

Selvityshenkilön raportissa on tuotu esiin tiedonvälityksen tärkeys eri toimijoiden välillä.

6.11. Seulonnan ja hoidon kustannukset on kuvattu (WHO9)

Kyllä.

Kustannusvaikuttavuuden mallintaminen on tehty Suomen oloihin. Arvion mukaan SCID-seulonnan kustannukset yhtä lisäelinvuotta kohti olisivat 14 826 euroa. Seulonnan ja diagnostiikan aiheuttamat lisäkustannukset tulisivat olemaan vuositasolla noin 265 000 euroa, mutta aikaisempien diagnoosien ansiosta hoitokustannukset olisivat seulonnan myötä noin 84 000 euroa alhaisemmat kuin ilman seulontaa. On huomattava, että kustannusvaikuttavuusarvion tulos riippuu merkittävästi siitä, mikä hinta seulontanäytteelle asetetaan ja kuinka tehokkaaksi hoito arvioidaan. Lisäksi on huomioitava selvityshenkilön esittämien seulontaohjelman laadun varmistamisen edellyttämien toimenpiteiden kustannukset sekä riskiryhmien kattavan BCG-rokotuksen toteutumisen aiheuttamat lisäkustannukset, kun rokotus siirretään synnytyssairaalasta kahden viikon iässä toteutettavaksi.

Asiantuntija-arvion mukaan noin 10 prosenttia vastasyntyneistä kuuluu Suomessa riskiryhmään ja näiden, keskimäärin 5 600 vastasyntyneen, BCG-rokotus edellyttäisi erillistä vastaanottokäyntiä noin kahden viikon iässä. Koko maan tasolla tästä aiheutuisi 448 000 - 1 736 000 euron kustannus vuosittain, riippuen siitä toteutetaanko lisäkäynti lääkärin vai hoitajan vastaanotolla. Monissa sairaaloissa 2 viikon ikään siirretty BCG-rokotus toteutetaan koulutetun hoitajan toteuttamana ja käynti on sisällytetty synnytyskustannuksiin, eikä siitä lähde erillistä kuntalaskua. Käyntikustannuksia voisi lisätä myös niihin mahdollisesti liittyvät peruuttamatta jääneet ajanvaraukset, tarvittavat tulkkipalvelut sekä rokotteisiin liittyvä hävikki. Lisäksi on mahdollista, että rokotuskattavuuden ylläpitäminen vaatii muita lisätoimia ylimääräisten rokotuskäyntien lisäksi.

THL:n arvion mukaan rokotuskattavuuden heikkeneminen SCID-seulonnan myötä lisäisi tuberkuloositapauksia keskimäärin yhdellä joka toinen vuosi. Tuberkuloosin hoitokustannukset yhtä vuotta kohti olisivat tällöin maltilliset, alle 20 000 euroa vuodessa, mikäli lääkitys avohoidossa voidaan toteuttaa ilman valvontaa. Hoitokustannusten lisäksi kustannuksia aiheutuu myös altistuneiden jäljittämisestä ja testaamisesta.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

6.12. Seulonnan vaikuttavuus on arvioitu (T13)

Kyllä.

Kustannusvaikuttavuusanalyysi Suomen oloihin on tehty ja sitä varten on selvitetty Suomen kustannustasot. Mallinnuksen mukaan ilman seulontaa kuolisi keskimäärin 1 lapsi kahdessa vuodessa, kun taas SCID-seulonnan myötä kuolemia olisi yksi kymmenessä vuodessa. Kyseessä on hyvin harvinainen sairaus ja yhtä syntymäkohorttia kohti seulonnalla saavutettaisiin keskimäärin 12,2 lisäelinvuotta.

Vaikuttavuutta arvioitaessa on huomioitava, että SCID-tauti olisi lisäksi jo nyt seulottavien 22 harvinaisen taudin kokonaisuuteen, jossa osa seulottavista taudeista on vielä SCID-tautiakin harvinaisempi.

Seulonnan haittana on mahdollinen BCG-rokotuksen siirtämiseen liittyvä tuberkuloosiriskin lisääntyminen, jos riskiryhmän rokotekattavuudesta ei pystytä huolehtimaan.

6.13. Seulonta on jatkuvaa (WHO10)

Kyllä, jos se päädytään Suomessa aloittamaan.

Turussa ja Helsingissä on pilotoitu SCID-seulontaan soveltuvaa menetelmää jo jonkin aikaa. Koko seulontaprosessin laadun varmistaminen edellyttää kansallista ohjausta ja ratkaisuja selvitysraportissa esitettyjen korjaavien toimenpiteiden toteutuksesta.

6.14. Seulonnan kokonaiskustannukset ovat kohtuulliset (WHO9)

Seulonnan kokonaiskustannukset ovat kohtuulliset muihin terveydenhuoltopalveluihin verrattuna.

Kyllä edellyttäen, että seulontaprosessi on yhdenmukainen, laadukas ja tuberkuloosin riskiryhmän rokotekattavuus ei heikkene eikä sen varmistaminen aiheuta kohtuuttomia lisäkustannuksia

Palveluvalikoimaneuvosto arvioi SCID-seulonnan ja siihen liittyvien lisäkustannusten kohtuullisuutta suhteessa terveydenhuollon muihin toimiin. Kustannusten kohtuullisuuteen vaikuttaa oleellisesti se, miten veritäpläseulonnan laatu varmistetaan, millaiseksi seulontanäytteen analyysin hinta muodostuu sekä miten BCG-rokotuskattavuus varmistetaan ja mitä se maksaa.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

7. Kotimaiset ja kansainväliset suositukset

7.1. Kotimaiset suositukset

Virallista suositusta ei ole.

7.2. Kansainväliset suositukset

Uusimman katsauksen mukaan (Quinn ym. 2020) SCID on lisätty vastasyntyneiden seulontaohjelmiin seuraavissa 10 maassa: Saksa, Islanti, Israel, Libanon, Uusi Seelanti, Norja, Ruotsi, Sveitsi, Taiwan ja Yhdysvallat. Lisäksi seuraavissa 10 maassa on menossa pilottivaihe tai seulonta toteutetaan vain osassa maata: Brasilia, Kanada, Suomi, Italia, Japani, Hollanti, Puola, Saudi Arabia, Espanja ja Turkki.

8. Suosituksen valmistelu

1.11.2018	Palveluvalikoimaneuvosto päätti perustaa Seulontajaosto:SCID-jaoston
12.12.2018	Palveluvalikoimaneuvosto nimesi jaoston jäsenet
16.1.2019	Sihteeristön ja puheenjohtajan 1. kokous
5.2.2019	Palveluvalikoimaneuvosto hyväksyi seulontaohjelman arvioinnissa käytettävät kriteerit
20.2.2019	Sihteeristön ja puheenjohtajan 2. kokous
11.3.2019	Jaoston 1. kokous, sovittiin kyselytutkimuksen tekemisestä
17.4.2019	Kysely sairaanhoitopiirien kirjaamoihin
21.5.2019	Jaoston 2. kokous
13.8.2019	Sihteeristön ja puheenjohtajan 3. kokous
22.8.2019	Jaoston 3. kokous
30.9.2019	Jaoston 4. kokous
29.10.2019	Palveluvalikoimaneuvoston kokous, ohjeistusta jatkotyöskentelyyn
19.11.2019	Terveystieteiden haastattelu
22.11.2019	Jaoston 5. kokous
12.12.2019	Palveluvalikoimaneuvoston kokous, tiedotetaan selvitystyön käynnistymisestä (aikaväli 1.1.-30.3.2020)
15.1.2020	Jaoston 6. kokous
19.3.2020	Palveluvalikoimaneuvoston kokous, tiedotetaan valmistelutyön vaiheesta
25.3.2020	Jaoston 7. kokous

STM051:00/2020
VN/21679/2020

23.4.2020	Palveluvalikoimaneuvoston kokous, esitetään selvityshenkilön raportti ja ohjeistettiin suosituksen viimeistelyä
13.5.2020	Jaoston 8. kokous
11.6.2020	Palveluvalikoimaneuvoston kokous, hyväksytään luonnokset otakantaa.fi palveluun
8.9.2020	Jaoston 9. kokous
25.9.2020	Palveluvalikoimaneuvoston kokous, hyväksytään suositus, valmistelumuistio ja tiivistelmä

9. Suosituksen valmisteluun osallistuneet

Palko perusti SCID-seulontaa varten jaoston toimikaudeksi 12.12.2018-30.6.2020. Jaoston toimikautta jatkettiin Palkon 14.8.2020 tekemällä päätöksellä suosituksen valmistumiseen asti. Sen jäsenet ovat

Puheenjohtaja Minna Kaila, terveydenhuollon hallinnon professori, Helsingin yliopisto

Jäsenet

Lasten infektiosairauksien erikoislääkäri, emeritusprofessori Matti Korppi, Tampereen yliopistollinen sairaala

Vastuualuejohtaja, ylilääkäri Marja-Leena Lähdeaho, Tampereen yliopistollinen sairaala

Emeritaprofessori Marjukka Mäkelä, Kööpenhaminan yliopisto, 14.8.2020 alkaen

Erikoistutkija Suvi Mäklin, Terveyden ja hyvinvoinnin laitos, terveystaloustiede

Neuvotteleva virkamies Arja Ruponen, Sosiaali- ja terveysministeriö, 14.1.2019 alkaen

Lasten hematologian erikoislääkäri Mervi Taskinen, Helsingin ja Uudenmaan sairaanhoitopiiri

Lasten infektiosairauksien erikoislääkäri Terhi Tapiainen, Pohjois-Pohjanmaan sairaanhoitopiiri

Asiantuntija

Marjukka Mäkelä, emeritaprofessori, 1.1.2020- 30.6.2020

Sihteeristö

Ilona Autti-Rämö, dos, Palkon pääsihteer, STM

Sari Koskinen, Palkon sihteeri, STM

Marjukka Mäkelä, emeritaprofessori, Palkon sivutoiminen sihteeri, STM 31.12.2019 asti

Laura Sandström, korkeakouluharjoittelija, STM, 23.3-22.6.2020

STM051:00/2020
VN/21679/2020

10. Viitteet

Abd Hamid IJ, Slatter MA, McKendrick F, Pearce MS, Gennery AR. Long-term outcome of hematopoietic stem cell transplantation for IL2RG/JAK3 SCID: a cohort report. *Blood* 2017;129:2198-201.

Abrams DA, Chen T, Odriozola P, Cheng KM, Baker AE, Padmanabhan A, Ryali S, Kochalka J, Feinstein C,

Adams SP, Rashid S, Premachandra T, Harvey K, Ifederu A, Wilson MC ym. Screening of neonatal UK dried blood spots using a duplex TREC screening assay. *J Clin Immunol* 2014;34:323-30.

Amatuni GS, Currier RJ, Church JA, Bishop T, Grimbacher E, Nguyen AA ym. Newborn screening for severe combined immunodeficiency and T-cell lymphopenia in California, 2010-2017. *Pediatrics* 2019;143(2). pii: e20182300.

Argudo-Ramirez A, Martin-Nalda A, Marin-Soria J et al. First universal newborn screening program for severe combined immunodeficiency in Europe. Two-year's experience in Spain (Catalonia) *Front. Immunol* 2019. Article 2406).

Ardiel EL, Rankin CH. The importance of touch in development. *Paediatr. Child Health* 2010;15:153-156.

Autti-Rämö I, Malila N, Mäkelä M, Leppo K. Lisääkö seulonta terveyttä? *Suom Lääkäril* 2006;61: 2997-3001.

Bakare N, Menschik D, Tiernan R, Hua W, Martin D. Severe combined immunodeficiency (SCID) and rotavirus vaccination: reports to the Vaccine Adverse Events Reporting System (VAERS). *Vaccine* 2010; 28:6609-12.

Blom M, Pico-Knijnenburg I, Sijne-van Veen M, Boelen A, Bredius RGM, van der Burg M ym. An evaluation of the TREC assay with regard to the integration of SCID screening into the Dutch screening program. *Clin Immunol* 2017;180:106-110.

Brown L, Xu-Bayford J, Allwood Z, Slatter M, Cant A, Davies EG ym. Neonatal diagnosis of severe combined immunodeficiency leads to significantly improved survival outcome: the case for newborn screening. *Blood* 2011;117: 3243-6.

Buckley RH. The multiple causes of human SCID. *J Clin Invest* 2004;114:1409-11.

Chan K, Davis J, Pai SY, Bonilla FA, Puck JM, Apkon M. A Markov model to analyze cost-effectiveness of screening for severe combined immunodeficiency (SCID). *Mol Genet Metab*. 2011;104(3):383-389. doi:10.1016/j.ymgme.2011.07.007

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Ding Y, Thompson JD, Kobrynski L, Ojuda J, Zarbalian G, Grosse SD. Cost-effectiveness/cost-benefit analysis of newborn screening for severe combined immune deficiency in Washington State. *J Pediatr* 2016;172:127-35.

Dorsey MJ, Dvorak CC, Cowan MJ, Puck JM. Treatment of infants identified as having severe combined immunodeficiency by means of newborn screening. *J Allergy Clin Immunol* 2017;139:733-42.

Dvorak CC, Haddad CC, Buckley RH: The genetic landscape of severe combined immunodeficiency in the United States and Canada in the current era (2010-2018). *J Allerg Clin Immunol* 2019;143:405-406.

Gennery AR, Cant AJ. Diagnosis of severe combined immunodeficiency. *J Clin Pathol* 2001;54:191-5.

Glanzmann E, Riniker P. Essentielle Lymphocytopenie; ein neues Krankheitsbild aus der Säuglingspathologie [Essential lymphocytopenia; new clinical aspect of infant pathology]. *Ann Paediatr*. 1950;175(1-2):1-32.

Hamid IJ, Slatter MA, McKendrick F, Pearce MS, Gennery AR. Long-term outcome of hematopoietic stem cell transplantation for IL2RG/JAK3 SCID: a cohort report. *Blood*. 2017;129(15):2198-2201. doi:10.1182/blood-2016-11-748616

Hazenberg MD, Verschuren MC, Hamann D, Miedema F, van Dongen JJ. T cell receptor excision circles as markers for recent thymic emigrants: basic aspects, technical approach, and guidelines for interpretation. *J Mol Med* 2001;79:631-40.

Heimall J, Cowan MJ. Long term outcomes of severe combined immunodeficiency: therapy implications. *Expert Rev Clin Immunol* 2017;13:1029-40.

Herse F, Kiljander T, Lehtimäki L. Annual costs of chronic obstructive pulmonary disease in Finland during 1996-2006 and a prediction model for 2007-2030. *NPJ Prim Care Respir Med*. 2015;25:15015. Published 2015 Mar 26. doi:10.1038/npjpcrm.2015.15

Hofer MA. The psychobiology of early attachment. *Clin Neurosci Res* 20015: 4;291-300.

Karaceper MD, Chakraborty P, Coyle D, Wilson K, Kronick JB, Hawken S, Davies C, Brownell M, Dodds L, Feigenbaum A, Fell DB, Grosse SD, Guttman A, Laberge AM, Mhanni A, Miller FA, Mitchell JJ, Nakhla M, Prasad C, Rockman-Greenberg C, Sparkes R, Wilson BJ, Potter BK. The health system impact of false positive newborn screening results for medium chain acyl-CoA dehydrogenase deficiency: a cohort study. *Orphanet Journal of Rare Diseases* 2016; 11:12 DOI 10.1186/s13023-016-0391-5

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Kong FK, Chen CL, Six A, Hockett RD, Cooper MD. T cell receptor gene deletion circles identify recent thymic emigrants in the peripheral T cell pool. *Proc Natl Acad Sci USA* 1999;96:1536-40.

Kwan A, Abraham RS, Currier R, Brower A, Andruszewski K, Abbott JK ym. Newborn screening for severe combined immunodeficiency in 11 screening programs in the United States. *JAMA* 2014;312:729-38.

Kwan A, Church JA, Cowan MJ, Agarwal R, Kapoor N, Kohn DB. Newborn screening for severe combined immunodeficiency and T-cell lymphopenia in California: results of the first 2 years. *J Allergy Clin Immunol* 2013;132:140-50.

Leipälä J, Ignatius J, Autti-Rämö I, Mäkelä M: Sikiöseulonnat. Opas raskaana oleville. THL, Yliopistopaino 2009

Leong V, Byrne E, Clackson K, Georgieva S, Lam S, Wass S. (2017). Speaker gaze increases information coupling between infant and adult brains. *Proc Natl Acad Sci USA*, 114(50), 13290-13295.

Lund A, Wibrand F, Skogstrand K, Cohen A, Christensen M, Bak Jäpelt R, Dunø M, Skovby F, Nørgaard-Pedersen B, Gregersen N, Storstein Andresen B, Jentoft Olsen RK, Hougaard D. Danish expanded newborn screening is a successful preventive public health programme. *Dan Med J* 2020; 67:1-8

Marciano BE, Huang CY, Joshi G, Rezaei N, Carvalho BC, Allwood Z ym. BCG vaccination in patients with severe combined immunodeficiency: complications, risks, and vaccination policies. *J Allergy Clin Immunol* 2014;133:1134-41.

Menon V. Neural circuits underlying mother's voice perception predict social communication abilities in children. *Proc Natl Acad Sci USA* 2016;113:6295-6300.

Moore ER, Bergman N, Anderson GC, Medley N. (2016) Early skin-to-skin contact for mothers and their healthy newborn infants. *Cochrane Database Syst Rev* (2016), 11

Muhonen M. Vastasyntyneiden SCID-seulonta TREC-analyysin avulla. Pro gradu-tutkielma, Turun yliopisto 13.8.2019. Saatavilla osoitteessa: <http://urn.fi/URN:NBN:fi-fe2019081924623>, noudettu 22.12.2019.

Mäklin, S., Kokko, P. (2020) Terveysten- ja sosiaalihuollon yksikkökustannukset Suomessa vuonna 2017. THL työpäpaperi 21/2020. Terveysten ja hyvinvoinnin laitos, Helsinki

Nejat S, Buxbaum C, Eriksson M, Pergert M, Bennet R. Pediatric tuberculosis in Stockholm: a mirror to the world. *Pediatr Infect Dis J*. 2012;31(3):224-227. doi:10.1097/INF.0b013e31823d923c

Pai SY, Logan BR, Griffith LM, Buckley RH, Parrott RE, Dvorak CC ym. Transplantation outcomes for severe combined immunodeficiency, 2000-2009. *N Engl J Med* 2014;371: 434-46.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Quinn J, Orange JS, Modell V, Modell F: The case for severe combined immunodeficiency (SCID) and T cell lymphopenia newborn screening: saving lives...one at a time. *Immunol Res*, published on line 04 march 2020.

Ryhänen S, Huttunen P, Heiskanen K, Seppänen M, Kainulainen L, Tapiainen T ym. Lasten vaikean synnynnäisen immuunivajeen hoito kantasolusiirron avulla. *Suom Lääkäril* 2017;34:1776-81.

Schore AN. Effects of a secure attachment relationship on right brain development, affect regulation, and infant mental health. *Infant Mental Health Journal* 2001;22:7-66.

Suliaman F, Al-Ghonaïum A, Harfi H. High incidence of severe combined immune deficiency in the Eastern Province of Saudi Arabia. *Pediatric Asthma Allergy Immunol* 2006;9:14-8.

Sullivan RM, Toubas P. Clinical usefulness of maternal odor in newborns: soothing and feeding preparatory responses. *Biol Neonate* 1998;74:402-408.

Torkki P, Leskelä RL, Linna M, et al. Cancer costs and outcomes in the Finnish population 2004-2014. *Acta Oncol*. 2018;57(2):297-303. doi:10.1080/0284186X.2017.1343495

Trevarthen C, Aitken KJ. Infant intersubjectivity: research, theory and clinical application. *J Child Psychol Psychiatry* 2001;42:3-48.

Tu W-J, He J, Chen H, Shi X-D, Li Y. Psychological Effects of False-Positive Results in Expanded Newborn Screening in China. *PLoS ONE* 2012; 7(4): e36235. doi:10.1371/journal.pone.0036235

Ulph F, Wright S, Dharni N, Payne K, Bennett R, Roberts S, Walshe K ja Lavender T: Provision of information about newborn screening antenatally: a sequential exploratory mixed-methods project. *Helath Technol Assess* 2017;21:(55)

Vallejo JG, Ong LT, Starke JR. Clinical features, diagnosis, and treatment of tuberculosis in infants. *Pediatrics*. 1994;94(1):1-7

Van der Ploeg CPB, Blom M, Bredius RGM, van der Burg, Schielen PCJI, Verkerk PH. Cost-effectiveness of newborn screening for severe combined immunodeficiency. *Eur J Pediatr* 2019;178:721-9.

van der Spek J, Groenwold RH, van der Burg M, van Montfrans JM. TREC Based Newborn Screening for Severe Combined Immunodeficiency Disease: A Systematic Review. *J Clin Immunol*. 2015;35(4):416-430. doi:10.1007/s10875-015-0152-6

Verbsky J, Thakar M, Routes J. The Wisconsin approach to newborn screening for severe combined immunodeficiency. *J Allergy Clin Immunol* 2012;129:622-7.

STM051:00/2020
VN/21679/2020

Vernooij-van Langen AMM, van der Pal SM, Reijntjens AJT, Loeber JG, Dompeling E, Dankert-Roelse JE. Parental knowledge reduces long term anxiety induced by false-positive test results after newborn screening for cystic fibrosis. *Molec Gen Metab Reports* 2014; 1: 334–344

Vogel BH, Bonagura V, Weinberg GA, Ballow M, Isabelle J, DiAntonio L. Newborn screening for SCID in New York State: experience from the first two years. *J Clin Immunol* 2014;34:289-303.

25.9.2020

TIIVISTELMÄ PALKON SUOSITUKSESTA VAIKEAN SEKAMUOTOISEN IMMUUNIVAJEEN (SCID) SEULONTA VASTASYNTYNEIDEN KANTAPÄÄVERINÄYTTEESTÄ

Suositus on hyväksytty Palveluvalikoimaneuvoston kokouksessa 25.9.2020

Vastasyntyneiden sekamuotoinen immuunivaje (SCID) johtaa hoitamattomana kuolemaan varhaislapsuudessa. Mitä aiemmin taudin hoito eli kantasolusiirto voidaan tehdä, sitä todennäköisemmin lapsi välttää elimistöä pysyvästi vahingoittavat infektiot ja tauti on mahdollista parantaa. Taudin tunnistaminen oireetomassa vaiheessa seulonnalla parantaa ennustetta.

SCID taudin seulonta toteutuu lisäämällä se jo käynnissä olevaan vastasyntyneiden veritäplänäytteestä otettavaan seulontaohjelmaan, minkä vuoksi Palko arvioi sekä veritäpläseulonnan että SCIDin lisäämisen siihen käyttäen STM:n seulontatyöryhmän 2005 hyväksymiä seulontaohjelman 14 arviointikriteeriä. Vastasyntyneiden veritäpläseulontaprosessin laatua koskevan erillisselvityksen¹ perusteella veritäpläseulonnan toteutuksessa on laatuongelmia: alueellinen vaihtelu on suurta ja on tarve parantaa yhtenäistä tiedottamista ja tiedotemateriaalia, terveydenhuollon henkilökunnan koulutusta sekä tiedonkeruun tapoja. SCID-seulonnan positiivinen ennustearvo on nykyisin liian matala. Lisähaasteena on BCG rokotuksen siirto synnytysairaalaan erilliselle rokotekäynnille ja rokotekattavuuden varmistaminen.

Jos veritäpläseulonta toteutuu laadukkaasti ja SCID-testin hinta olisi noin 4€, olisi lisäelinvuoden kustannus noin 14 800 €. Kustannusvaikuttavuuteen vaikuttaa eniten seulontatestin hinta. Jos SCIDin ilmaantuvuus onkin vain 1:80 000, nousee lisäelinvuoden hinta 23 300 euroon. SCID-seulonnan kustannusvaikuttavuuteen vaikuttaa lisäksi tuberkuloosin riskiryhmien BCG-rokotus, joka voidaan tehdä vasta SCID-seulonnan tuloksen selvittyä noin 2 viikon iässä erillisellä rokotuskäynnillä, sekä mahdollisesta rokotekattavuuden laskusta aiheutuva tuberkuloosin esiintyvyyden nousu. Kustannuslaskelmissa ei ole huomioitu veritäpläseulonnan laadun varmistamiseksi tarpeellisia toimenpiteitä.

Palko katsoo, että käynnissä olevaan vastasyntyneiltä otettavaan veritäplänäytteeseen perustuvaan seulontaohjelmaan voidaan lisätä uutena tautina SCID edellyttäen, että

1. Yliopistosairaalat vastaavat keskittämisasetuksen mukaisesti yhdessä siitä, että vastasyntyneiden veritäplänäytteeseen perustuvan seulontaprosessin laatuongelmat sekä tiedonkeruun heikkoudet korjataan terveydenhuollon ammattilaisten toiminnan (koulutus, vanhemmille tiedottaminen ja tiedon välittäminen sekä kirjaaminen) osalta.
2. Tuberkuloosin riskiryhmän BCG-rokotusten siirto noin kahden viikon iässä erillisellä rokotuskäynnillä toteutettavaksi voidaan kansallisesti varmistaa siten, että rokotuskattavuus ei heikkene. THL antaa BCG-rokotuksen toteuttamisesta kansallisen ohjeen.

¹ Matti Salo: [Vastasyntyneiden aineenvaihduntasairauksienseulonnan nykytilanteen selvitys](#). SOSIAALI- JA TERVEYSMINISTERIÖN RAPORTTEJA JA MUISTIOITA 2020:18



3. SCID-seulonnan kansallista seulontarajaa lasketaan niin, että seulontanäytteen positiivinen ennustearvo on parempi kuin 10%. Mahdollisuuksia edelleen vähentää jatkotutkimuksiin kutsuttavien tulien selvittäminen.

Tämä on tiivistelmä terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto Palkon hyväksymästä suosituksesta. Varsinaisen suosituksen ja sen taustamateriaalin löydät Palkon kotisivuilta [valmiiden suositusten sivulta](#).

Kotisivuilta löydät myös tiivistelmän [ruotsin-](#) ja [englanninkieliset](#) versiot.

Palko toimii sosiaali- ja terveysministeriön yhteydessä ja sen tehtävänä on antaa suosituksia terveydenhuollon menetelmien kuulumisesta julkisesti rahoitettuun terveydenhuoltoon. Lisätietoja terveydenhuollon palveluvalikoimasta voit lukea [Palkon kotisivuilta](#)



Hyväksytty Palveluvalikoimaneuvoston kokouksessa 25.9.2020

Palveluvalikoimaneuvoston suositus

**ELINTAPAMUUTOSTA TUKEVAT
TEKIJÄT ELINTAPAOHJAUKSEN JA
OMAHOIDON TUEN MENETELMISSÄ
EPÄTERVEELLISEN RAVITSEMUK-
SEN JA VÄHÄISEN LIKKUMISEN
AIHEUTTAMAN SAIRASTUMISRIS-
KIN PIENENTÄMISEKSI.**

Sisällys

1. Perusteet suosituksen laatimiseen	3
2. Suosituksen kohderyhmä	4
3. Arvioitavat menetelmät.....	4
4. Terveysongelman ja estettävissä olevien sairauksien kuvaus	4
5. Vaikuttavuus ja turvallisuus sekä niihin liittyvät epävarmuustekijät.....	5
6. Johtopäätökset.....	6
7. Yhteenveto suosituksesta.....	9
8. Lisänäytön tarve ja suositusten vaikutusten seuranta.....	10

1. PERUSTEET SUOSITUKSEN LAATIMISEEN

Epäterveellinen ravitsemus ja vähäinen liikkuminen lisäävät riskiä sairastua vakaviin kansantauteihin kuten sydän- ja verisuonisairauksiin, tyypin 2 diabetekseen, tuki- ja liikuntaelinsairauksiin, muistisairauksiin, masennukseen ja tiettyihin syöpämuotoihin. Epäterveelliseen ravitsemukseen ja vähäiseen liikkumiseen liittyvät ongelmat heikentävät yksilön elämänlaatua ja työkykyä, niillä on suuri vaikutus kansantalouteen ja niiden hoito kuormittaa huomattavasti terveydenhuollon palveluja. Sekä yksilölle että yhteiskunnalle aiheutuvien haittojen vuoksi kansantautien kehittymistä on pyrittävä ehkäisemään.

Julkisessa terveydenhuollossa tulee tarjota potilaille vaikuttavia elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmiä, joilla pyritään estämään elintavoista johtuva sairastuminen tilanteessa, jossa henkilön riski sairastua on jo merkittävästi kohonnut. Aiemmin ei ole ollut olemassa kansallista suositusta siitä, millaisia elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmiä sisällytetään palveluvalikoimaan julkisia terveystalouksia ja palveluvalikoimaneuvostolla on valmisteilla elintapaohjauksen ja omahoidon tuen suosituskokonaisuus, jossa tarkastellaan tupakointia, huonoon ravitsemukseen, vähäiseen liikkumiseen, huonoihin nukkumiseen liittyviin tottumuksiin ja huonoon suuhygieniaan vaikuttamisen menetelmiä. Kokonaisuus on jaettu osiin siten, että tässä muistiossa tarkastellaan epäterveellisestä ravitsemuksesta ja vähäistä liikkumista riskikäyttäytymisen muotoina ja niihin puuttumista elintapaohjauksen ja omahoidon tuen keinoin. Tupakointia koskeva suositus julkaistiin kesäkuussa 2020. Tiedetään, että terveyttä edistävästä elintapamuutoksista hyötyvät erityisesti ne henkilöt, joilla on muutenkin kohonnut riski sairastua kansantauteihin, ja ne, jotka ovat jo sairastuneet.

Terveellisen ravitsemuksen ja riittävän liikkumisen tulee kuulua kansantautien ehkäisyyn, hoitoon ja kuntoutukseen tarvittaessa muihin elämäntapamuutoksiin ja hoitoihin yhdistettynä. Elintapamuutoksella, jota on tuettu hyvin toteutetulla ravitsemusohjauksella ja liikuntaneuvonnalla, voidaan parantaa hoitoennusteita, ehkäistä ja lievittää komplikaatioita ja kroonisia tauteja, jolloin voidaan parantaa potilaan elämänlaatua ja saavuttaa merkittäviä säästöjä hoitokustannuksissa. Suosituksen tavoitteena on, että käytössä olevat menetelmät ovat vaikuttavia, asiakaslähtöisiä, sekä yhdenvertaisesti saatavilla.

Tämä suositus perustuu voimassaolevaan lainsäädäntöön, tutkimusnäyttöön ja Elintapa- ja omahoidon tuki jaoston moniammatilliseen kliiniseen kokemukseen. Suosituksen tietopohja on kuvattu erillisessä valmistelumuistiossa ja sen liitteissä.

Suositus on kohdennettu terveydenhuollon järjestäjille, palveluntuottajille ja terveydenhuollon ammattilaisille hoidettaessa potilaita, joilla on korkea sairastumisen riski kansantauteihin epäterveellisen ravitsemuksen ja/tai vähäisen liikkumisen vuoksi, ja jotka eivät ole ilman ulkopuolista tukea pystyneet muuttamaan elintapojaan.

2. SUOSITUKSEN KOHDERYHMÄ

Potilaat, joiden ravitsemukseen ja liikkumiseen liittyvät elintavat, ovat jo johtaneet korkeaan sairastumisen riskiin ja, jotka eivät ilman ulkopuolista tukea tai puuttumista ole muuttaneet elintapojaan terveyttä tukeviksi.

3. ARVIOITAVAT MENETELMÄT

Lähtökohtana oli tunnistaa teoriapohjaiset menetelmät, joiden avulla potilas sitoutuu ja motivoituu elintapojensa muuttamiseen, terveellisiin ravitsemustottumuksiin ja terveyden kannalta riittävään liikkumiseen, rajaamatta etukäteen mitään menetelmiä pois.

Tässä yhteydessä teoriapohjaisilla menetelmillä tarkoitetaan sellaisia tieteellisesti todennettuja menetelmiä, joiden osatekijät on kuvattu.

Systemaattisessa katsauksessa tarkasteltiin interventioiden niitä osatekijöitä, joilla todettiin olevan yhteys potilaan motivaatioon tehdä elintapamuutoksia. Tulosten kautta löytyivät ne elintapaohjauksen menetelmien osatekijät, jotka ovat käyttäytymisen muutoksen aikaansaavalle interventiolle välttämättömiä.

Lisäksi koottiin tutkimusnäyttöä ja tietoa menetelmien osatekijöistä Suomessa perusterveydenhuollossa käytössä olevista menetelmistä ja tutkimushankkeissa käytetyistä toimintamalleista.

4. TERVEYSONGELMAN JA ESTETTÄVISSÄ OLEVIEN SAIRAUKSIEN KUVAUS

Terveysongelmana ovat potilaan epäterveelliset ravitsemustottumukset ja/tai terveyden kannalta riittämätön liikkuminen silloin, kun ne ovat jo johtaneet korkeaan sairastumisen riskiin ja potilas ei ilman ulkopuolista tukea tai puuttumista ole muuttanut elintapojaan terveyttä tukeviksi.

Ravitsemuksella ja liikkumisella on suuri merkitys terveyden ylläpitämisessä ja sairauksien ehkäisyssä. Fyysisesti passiivinen, paljon istumista sisältävä elämäntapa sekä jatkuvasti saatavilla oleva liiallinen tai epäterveellinen ruoka lisäävät riskiä sairastua kansantauteihin. Epäterveellinen ruokavalio ja liikkumattomuus lisäävät erityisesti sydän- ja verisuonisairauksien, tyypin 2 diabeteksen, muistisairauksien, tiettyjen syöpämuotojen sekä tuki- ja liikuntaelinsairauksien riskiä. Elintavoilla voidaan vähentää riskiä sairastua masennukseen, joka on yksinään eniten työkyvyttömyyttä aiheuttava tekijä. Ravitsemuksella ja sokerinkäyttötiheydellä on yhteys myös kariekseen, joka on eräs yleisimpiä kansantauteja. Vuonna 2017 kaikista kuolemista noin 20 % liittyi huonoon ravitsemukseen, 3% liikkumattomuuteen ja 11 % ylipainoon.

Valtaosa suomalaisista 18-74 –vuotiaista aikuisista ei saavuta kansallisia ravitsemus-suosituksia. Tyypillisiä ongelmia ovat muun muassa niukka kasvisten, hedelmien, marjojen ja täysjyväviljavalmisteiden kulutus sekä liiallinen suolan ja tyydyttyneen rasvan saanti. Huolestuttavaa on lasten ja nuorten ylipainon ja lihavuuden yleistymisen viime vuosikymmenten aikana. Suomalaisen ruokavaliossa ja ravitsemustottumuksissa on havaittu eroja myös väestöryhmien välillä.

Suomalaiset aikuiset viettävät suurimman osan valvellaoloajastaan paikallaan, istuen tai makuulla. Reippaampaan liikkumiseen käytetään keskimäärin alle tunti päivässä. Suomalaisista miehistä ja naisista yli puolet ei saavuta terveysliikkumissuositusta, joka sisältää sekä kestävyysliikunnan että lihaskuntoa kehittävän tai ylläpitävän liikunnan. Vastaavasti lapset ja nuoret viettävät keskimäärin puolet valvellaoloajastaan paikallaan, istuen tai makuulla ja liikkuvat reippaasti vajaat kaksi tuntia päivässä. Iän myötä paikallaanoloaika lisääntyy ja yli 80-vuotiaista vain noin 10 % ylittää suositeltuun kestävyys- ja lihaskuntoliikunnan määrään viikossa. Väestöryhmien välillä on lisäksi eroja liikkumistottumusten suhteen.

5. VAIKUTTAVUUS JA TURVALLISUUS SEKÄ NIIHIN LIITTYVÄT EPÄVARMUUS- TEKIJÄT

Epäterveellisen ravitsemuksen ja vähäisen liikkumisen vuoksi riskissä olevien potilaiden elintapaohjausta ja omahoidon tukea käsittelevistä tutkimuksista, joissa saatiin näyttöä menetelmien vaikuttavuudesta, valtaosa oli monitekijäisiä, eli interventioissa pyrittiin vaikuttamaan samanaikaisesti useaan elintapaan. Ravitsemusohjauksen ja liikuntaneuvonnan yhdistelmä oli yleisin. Elintapojen muuttamiseen liittyvät teoriat ja käytetyt tekniikat eivät yksiselitteisesti selvinneet tutkimusartikkeleista. Tutkimuksissa oli kuitenkin listattu keskeisimpiä toimintatapoja. Motivoivasta keskustelusta osana kokonaishoitoa saatiin vaikuttavuusnäyttöä useammassa tutkimuksessa. Vaikuttaviksi todetut menetelmät sisälsivät osatekijöinä lähtötilanteen kartoittamisen, tiedonvaihdon, tavoitteenasettelun, suunnitelman tekemisen, edistymisen seurannan ja palautteen antamisen.

Eri tutkimuksissa onnistuneelle elintapaohjaukselle yhteisiä tekijöitä olivat ohjauksen kohdistuminen useaan elintapaan samanaikaisesti, koulutettu moniammatillinen työtiimi, potilaskeskeinen lähestymistapa, jolla tarkoitetaan annettavan ohjauksen ja tuen räätälöimistä sekä sisällöltään että antotavaltaan potilaan kulloiseenkin tilanteeseen sopivaksi, ja käyttäytymismuutostekniikoiden hyödyntäminen. Tärkeitä tekijöitä olivat myös elintapamuutosta estävien ja kannustavien tekijöiden tunnistaminen sekä asiakkaan omien voimavarojen, pystyvyyden ja motivaatiotason kartoittaminen.

Vaikuttavia tuloksia saavutettiin pelkällä ryhmäohjauksella ja pelkällä yksilöohjauksella tai niiden yhdistelmällä. Katsauksen perusteella elintapaohjauksetojen määrää ja kestoja ei voida yksiselitteisesti määrittää, mutta niitä tulisi kuitenkin olla useita, sillä elintapamuutos on prosessi. Myöskään yksilö- tai ryhmäohjauksen paremmuudesta toisiinsa nähden ei löytynyt yksiselitteistä tietoa.

Valtaosa kirjallisuushaussa esiin tulleista interventioista oli vaikuttavia ainakin jonkin päätetapahtuman suhteen. Yleisimmin tuloksena raportoitiin kliinisen mittauksen muutos (esim. paino) tai muutos elintavassa (ruokavalio tai liikkuminen). Elintapoja koskevat tulosmittarit olivat tutkimusten välillä erilaisia ja esimerkiksi ravitsemuksen osalta mittareina toimivat energiansaanti laskettuna neljän päivän ruokapäiväkirjojen perusteella, itseraportoidut muutokset ruokavaliossa tai muutokset syömiskäyttäytymisessä (syömisen tietoinen rajoittaminen, tunnesyöminen). Liikkumisen osalta mittareina toimivat niin itseraportoidut kuin mitatut liikkumismäärät, fyysisen aktiivisuuden tasoa yleisesti arvioivat kysymykset tai fyysinen kunto.

Arvioitujen elintapainterventioiden ja niiden osatekijöiden turvallisuutta kyseenalaistavaa tutkimustietoa ei tullut esiin.

Epävarmuustekijöinä on huomioitava, että elintapaohjauksessa ja terveyden edistämisessä on terveydenhuollon toiminnan rinnalla tärkeä rooli myös muilla julkisilla toimijoilla, kuten kuntien liikuntatoimella tai järjestetyillä ruokailuilla esim. kouluissa ja työpaikoilla. Eri toimijoiden välille, niin terveydenhuollon sisälle kuin sen ulkopuolelle, on luotava toimiva yhteys, jotta potilas saa tarvitsemansa riittävän tuen ja mahdollisuudet elintapojensa muuttamiseen. Lisäksi tulee ottaa huomioon, että elintapainterventioiden vaikuttavuudesta on vahva näyttö erityisesti tutkimusolosuhteissa, mutta interventioiden vaikutukset usein laimenevat, kun niitä toteutetaan osana terveydenhuollon tavanomaista toimintaa.

6. JOHTOPÄÄTÖKSET

6.1 Epäterveellinen ravitsemus ja vähäinen liikkuminen terveysongelmana

Epäterveellinen ravitsemus ja vähäinen liikkuminen ovat merkittäviä terveysongelmia, koska ne lisäävät merkittävästi riskiä sairastua moniin vakaviin kansantauteihin, erityisesti sydän- ja verisuonisairauksiin, tyypin 2 diabetekseen, joihinkin syöpiin, muistisairauksiin, tuki- ja liikuntaelinsairauksiin sekä masennukseen. Kansantaudit heikentävät yksilön elämänlaatua ja työkykyä, niillä on suuri vaikutus kansantalouteen ja niiden hoito kuormittaa huomattavasti terveydenhuollon palveluja.

Ravitsemus- ja liikkumistottumusten muuttamiseen on olemassa vaikuttavia elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmiä. On lääke- ja hoitotieteellisesti perusteltua ottaa nämä vaikuttaviksi todetut menetelmät käyttöön, koska niillä voidaan pienentää vakavasti sairastumisen riskiä. Näiden vaikuttavaksi todettujen menetelmien käyttämiseen ei ole todettu liittyvän turvallisuusriskejä.

6.2 Ravitsemukseen ja liikkumiseen liittyvän elintapaohjauksen ja omahoidon tuen vaikuttaviksi todetut menetelmät

Vaikuttavaksi todettuja ovat sellaiset elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmät, jotka sisältävät seuraavat kuusi osatekijää:

- **lähtötilanne:** Vaikuttava elintapaohjaus alkaa elintapojen puheeksi ottamisella. Selvitetään mitä potilas tietää ja millaista tukea hän tarvitsee. Kartoitetaan potilaan elämäntilannetta, elintapoja, ravitsemus- ja liikkumistottumuksia, elintapamuutosta estäviä ja helpottavia tekijöitä, voimavaroja ja motivaatiotasa. Tehdään terveystarkoitus laboratoriotarkoituksena ja keskustellaan muutostarpeista. Tunnistetaan potilaan omat, muutosta tukevat motiivit ja arvioidaan potilaan pystyvyyttä. Potilas arvioi omaa ravitsemus- ja liikkumiskäyttäytymistään ja reflektoi mahdollisia aikaisempia muutostyönsuunnitelmia. Ohjauksessa käytetään toimintatapana motivoivaa keskustelua.
- **tiedonvaihto:** potilaalle tarjotaan tietoa epäterveellisen ravitsemuksen ja vähäisen liikkumisen vaikutuksista terveyteen sekä tietoa siitä, mitä ovat terveellinen ruokavalio ja terveyttä edistävä liikkuminen. Ohjauksessa huomioidaan terveysvaikutukset ja potilaan näkemykset terveydestä sekä elintapamuutosten muista mahdollisista vaikutuksista potilaan elämään. Potilaalle annetun tiedon tulee olla yksilöllisesti räätälöityä ja tiedonantotapa tulee valita potilaan oppimistarpeen mukaisesti. Tiedonvaihto on dialogisessa vuorovaikutuksessa tapahtuvaa potilaan tarpeista ja arvoista lähtevää keskustelua.
- **tavoite:** Tavoitteen tulee olla yksilöllinen, potilaan omaan lähtötilanteeseen suhteutettu, realistinen, selkeästi määritelty, mitattavissa ja aikaan sidottu. Usein käyttäytymistavoite on helpompi saavuttaa (esimerkiksi, että ”syön joka päivä iltapäiväkahvin yhteydessä hedelmän”). Tavoitteet perustuvat potilaan vahvuuksiin, onnistumisiin ja toiveisiin. Tuetaan potilaan omaa tavoitteen asettamista.
- **suunnitelma:** suunnitelmaan kirjataan potilaan kanssa yhdessä laadittu tavoite, aikataulu, keinot ja seurantasuunnitelma. Suunnitelma tehdään niin, että aluksi tavoitteet ovat pieniä ja helposti saavutettavia ja niitä lisätään, kun edelliset on saavutettu. Potilasta autetaan tunnistamaan esteitä ja keinoja niiden ylittämiseksi ratkaisukeskeisesti ja kognitiivis-behavioraalisten menetelmien avulla. Potilaalle annetaan työkaluja ja tukea esimerkiksi syömisen hallintaan tai liikkumisen lisäämiseen. Potilaalle tarjotaan sosiaalista tukea ja häntä kannustetaan muutoksessa.
- **seuranta:** säännöllisiä seurantakontakteja järjestetään yksilöllisen tarpeen mukaan, kuitenkin niin, että alussa seuranta on tiiviimpää ja harvenee loppua kohden. Seuranta voi tapahtua kasvotusten, puhelimitse, tekstiviestitse tai digitaalisia menetelmiä käyttäen (esim. sähköpostin välityksellä). Potilas seuraa myös omaa edistymistään esimerkiksi kirjaamalla ylös syömisensä (ruokapäiväkirja), mittaamalla aktiivisuuttaan tai painoaan sekä näihin vaikuttavista tekijöistä (esim. tilanteet ja tunnetilat). Kaikki tiedot kirjataan systemaattisesti ja selkeästi. Seurannalla vahvistetaan potilaan kokemusta omasta pystyvyydestä elintapamuutoksessa.
- **palautte:** potilaalle annetaan säännöllisesti palautetta suhteessa tavoitteisiinsa. Palautteen keskeinen tavoite on minäpystyvyyden vahvistaminen.

Vaikuttaville elintapaohjauksen menetelmille on yhteistä ohjauksen räätälöinti potilaan lähtötilanteen ja tarpeiden mukaan. Vaikuttavat menetelmät ovat usein monitekijäisiä, ja niissä yhdistetään ainakin ravitsemusohjausta ja liikuntaneuvontaa. Ohjauksen toimintatapa voi olla yksilö- tai ryhmäohjausta tai näiden yhdistelmä. Myös etäohjauksen, kuten sähköisten kanavien kautta tapahtuvan ohjauksen, mahdollisuutta voidaan hyödyntää elintapaohjauksessa. Elintapamuutos on kokonaisvaltainen ja yksilöllinen prosessi. Ohjausvastuun on hyvä kuulua moniammatilliselle tiimille, johon kuuluu hoitajan lisäksi ravitsemusterapeutti ja/tai fysioterapeutti, lääkäri, ja mahdollisesti myös psykologi tai liikunnan ammattilainen. Vaikka hoitajalla tai muulla koordinaattorilla olisi päävastuu ohjauksen toteuttamisesta, suunnittelussa on tärkeää käyttää eri ammattiryhmien asiantuntijoita.

Palveluiden tulee olla helposti saatavilla olevia matalankynnyksen palveluita, joissa on hyödynnetty erityisosaamista.

Taulukkoon 1 on koottu esimerkinomaisesti joitakin vaikuttavaksi todettuja elintapaohjauksen menetelmiä.

Taulukko 1. Joitakin vaikuttaviksi todettuja elintapaohjauksen menetelmiä

Menetelmä	Osatekijät	Vaikuttavuus
Neuvokas Perhe –malli Valtakunnallinen lapsiperheiden elintapaohjausmenetelmä.	Lähtötilanteen kartoittaminen, tiedon antaminen, tavoitteiden asettelu, suunnitelman tekeminen, seuranta, palaute	Interventiolla oli myönteisiä vaikutuksia perheiden ruokailu- ja liikkumistottumuksiin. Vaikuttava.
StopDia ryhmäohjausmalli Elintapaohjaus, jossa ryhmäohjauksen lisäksi digisovellus tukee terveellisten tapojen omaksumista.	Lähtötilanteen kartoittaminen, tiedonvaihto, tavoitteen asettelu, suunnitelman tekeminen, seuranta, palaute	Ruokailutottumukset paraniivat ja vyötärön ympärys kaventui. Vaikuttava.
Onnikka-painonhallintaohjelma yhdistettynä kognitiiviseen käyttäytymisterapiaan Internetpohjainen painonhallintaohjelma.	Tiedonvaihto, tavoitteiden asettaminen, suunnitelman teko, seuranta, palaute	Painon lasku ja tulos säilyivät seurantajakson (2v) ajan. Vaikuttava.

6.3 Eettisyys ja taloudellisuus kokonaisuutena

Pyrkimys vähentää riskiä vakaviin sairauksiin sairastumiseen on merkityksellistä eettiseltä ja taloudelliselta kannalta. Panostamalla vaikuttaviin elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmiin voi terveydenhuoltojärjestelmä välttää kustannuksia,

joita syntyisi sairauksien hoidosta. Toisaalta myös inhimillisen kärsimyksen määrää voidaan vähentää, jos onnistutaan välttämään vakava sairastuminen. Eri väestöryhmien välisiä terveyseroja voidaan kaventaa parantamalla ravitsemus- ja liikkumistotumuksia. Yhteiskunnan terveydenhuollon resurssien oikeudenmukainen jakaminen tässä yhteydessä on sitä, että resursseja kohdennetaan myös ennaltaehkäisevästi sairastumisriskin pienentämiseksi niille, joiden on todettu olevan riskiryhmässä. Yksilöllä itsellään on myös vastuu omista elintavoistaan, mutta on kohtuutonta jättää ihminen kamppailemaan yksin riskiä aiheuttavan elintapansa kanssa, jos hän ei sen muuttamisessa, halustaan huolimatta, ole aiemmin onnistunut.

Elintapaohjauksen kustannusvaikuttavuudesta on saatavilla verraten vähän tietoa, mutta systemaattiseen kirjallisuuskatsaukseen sisällyneistä tutkimuksista löytyi näyttöä elintapaohjauksen kustannusvaikuttavuudesta. Elintapamuutosten vaikuttavuus ja mahdollisesti siten myös kustannusvaikuttavuus leviävät todennäköisesti myös yksilöä laajemmalle, koska elintapamuutokset vaikuttavat yleensä myös yksilön ympäristöön, kuten perheeseen tai muuhun lähipiiriin. Näitä tekijöitä on tutkimuksissa kuitenkin vaikea huomioida.

Vaikuttavien menetelmien käyttöönottamisesta syntyvät kustannukset ovat ensisijaisesti henkilöstökustannuksia, mikäli ravitsemusohjaukseen ja liikuntaneuvontaan ei ole varattu riittävästi resursseja. Elintapaohjauksessa vaikuttavien menetelmien käyttöönotosta syntyvien kustannusten määrää arvioitaessa on huomioitava, että myös ei-vaikuttavien menetelmien käytöstä muodostuu resurssikustannuksia. Jos ei-vaikuttavien menetelmien sijaan käytetään vaikuttavia menetelmiä, käyttöönottamisen budjettivaikutukset ovat pääasiassa koulutuskustannuksia. Joissakin tutkimuksissa tarjottiin potilaalle motivointikeinona mahdollisuutta esimerkiksi ilmaisen liikuntapaikan käyttöön tai tutkimuksen tarjoamaan ryhmäliikuntaan. Maksuttomuus lisäsi potilaiden liikkumista. Näistä koituu kuitenkin palvelunjärjestäjille jonkinlaisia kustannuksia, jotka tulee ottaa huomioon.

7. YHTEENVETO SUOSITUKSESTA

Ravitsemukseen ja liikkumiseen liittyvän myönteisen elintapamuutoksen tukemisessa vaikuttavaksi todetut menetelmät kuuluvat terveydenhuollon palveluvalikoimaan.

Vaikuttaviksi todettujen ravitsemusohjauksen tai liikuntaneuvonnan menetelmien keskeiset osatekijät ovat:

- lähtötilanteen kartoitus
- tiedonvaihto
- tavoitteenasettelu
- suunnitelma
- seuranta
- palaute

Sen lisäksi, että käytettävä menetelmä sisältää edellä mainitut osatekijät, on huolehdittava:

- **että yhteistyökäytännöistä eri toimijoiden välillä on sovittu:**
Koko hoitoketju perusterveydenhuollosta erikoissairaanhoidon tarjoaa, sovitun työnjaon mukaisesti, elintapaohjausta ja omahoidon tukea, epäterveellisen ravitsemuksen tai vähäisen liikkumisen vuoksi, korkeassa kansantauteihin sairastumisen riskissä oleville potilaille. Ohjauksen toteutus kuuluu moniammatilliselle tiimille.
- **elintapaohjauksen systemaattisesta toimintasuunnitelmasta:**
Palveluiden tarjoajilla on systemaattinen toimintasuunnitelma, jossa esitetään käytössä olevat elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmät.
- **hoidon yksilöllisyydestä ja räätälöimisestä potilaan tarpeisiin:**
Potilaan tilanne on aina yksilöllinen ja hoidon sekä tuen tulee joustaa potilaan tarpeiden ja pystyvyyden mukaan. Tuen toteutustapa voi olla yksilö-, ryhmä- tai digitaalinen edellyttäen, että se sisältää edellä mainitut osatekijät.
- **menetelmää käyttävän henkilökunnan osaamisesta:**
Elintapaohjauksen menetelmiin tulee olla riittävä osaaminen, jotta potilaan epäterveelliset ravitsemustottumukset ja vähäinen liikkuminen voidaan tunnistaa ja häntä voidaan auttaa ja kannustaa elintapamuutoksessa vaikuttavilla menetelmillä.
- **osatekijöiden toteuttamisen kirjaamisesta potilastietojärjestelmään**
Edellytyksenä potilaan ohjauksen suunnitelmalliselle toteuttamiselle sekä sen vaikutusten seuraamiselle on, että tehdyt asiat kirjataan potilastietojärjestelmään.

8. LISÄNÄYTÖN TARVE JA SUOSITUSTEN VAIKUTUSTEN SEURANTA

Lisänäyttöä tarvitaan:

- 1) Elintapaohjauksen ja omahoidon tuen merkityksestä monitieteisen ja laajalajaisen tutkimusyhteistyön avulla
- 2) epäterveellisen ravitsemuksen ja vähäisen liikkumisen elintapaohjauksen kustannusvaikuttavuudesta sekundaaripreventiossa.
- 3) eri elintapaohjausmenetelmien käytön määristä sekä menetelmien käytön yhteyksistä ravitsemustapojen ja liikkumisaktiivisuuden muutokseen ja sitä kautta sairastuvuuteen.
- 4) elintapaohjauksen pitkäaikaisista vaikutuksista elintapoihin, jotta nähtäisiin elintapamuutoksen pysyvyys ja tulokset.
- 5) digitaalisten menetelmien vaikuttavuudesta elintapaohjauksessa.

- 6) Potilaan pystyvyydentunteen yhteydestä muutokseen motivoitumiseen
- 7) Vertaistukitoiminnan merkityksestä ja roolista

Suosituksen vaikutusten seuranta:

Edellytyksenä suositusten vaikutusten seuraamiselle on, että annettu elintapaohjaus ja omahoidon tuki on kirjattu potilastietojärjestelmään. Hoito- tai sairauskertomukseen tulee kirjata potilaan nykytila, suunnitelma, etenemisen seuranta ja lopputulos sekä käytetyt elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmät niille soveltuvin koodein. On tärkeää, että kirjaamisessa käytettyjä toimenpidekoodeja yhtenäistetään eri toimijoiden välillä ja käytetään systemaattisesti samoja koodeja. Lisäksi on tärkeää saada tietoa siitä, miten eri palvelunjärjestäjät huomioivat Palkon suositukset alueensa palveluvalikoimassa. Pidemmällä aikavälillä on tarpeen tarkastella erillisellä tutkimuksella suosituksen huomioimisen yhteyttä epäterveelliseen ravitsemukseen ja vähäiseen liikkumiseen yhteydessä olevien vakavien sairauksien ilmaantuvuuteen.

Hyväksytty Palveluvalikoimaneuvoston kokouksessa 25.9.2020

Palveluvalikoimaneuvoston valmistelumuistio

Elintapamuutosta tukevat tekijät elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmissä epäterveellisen ravitsemuksen ja vähäisen liikkumisen aiheuttaman sairastumisriskin pienentämiseksi.

Sisällys

1. Suosituksen tausta	3
2. Käsitteet ja tiedon hankkimiseen käytetyt menetelmät.....	4
2.1. Käsitteet.....	4
2.2. Tiedon hankkiminen.....	5
3. Terveysongelma ja sen yleisyys	7
3.1. Epäterveellinen ravitsemus, vähäinen liikkuminen ja lihavuus terveysongelmina ja niiden vakavuus.....	7
3.2. Epäterveellisen ravitsemuksen, vähäisen liikkumisen ja lihavuuden yleisyys	10
4. Elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmät ja niiden käytön yleisyys	13
4.1. Menetelmien käytön yleisyys	14
5. Systemaattinen kirjallisuuskatsaus.....	15
6. Elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmien hoitosuositukset ja selvitykset.....	19
6.1 Kotimaiset hoitosuositukset ja selvitykset	19
6.2 Ulkomaiset hoitosuositukset ja selvitykset	21
7. Interventioiden kustannukset ja budjettivaikutukset	22
8. Eettinen tarkastelu	22
8.1 Ihmisarvo	22
8.2 Itsemääräämisoikeus.....	23
8.3 Tarve-oikeudenmukaisuus.....	23
8.4 Hoidon toteuttaminen	23
9. Palveluiden järjestäminen.....	24
10. Suosituksen valmisteluun ja hyväksymiseen osallistuneet	24
11. Suosituksen valmisteluvaiheet	26
12. Kommentointiprosessi.....	26
Liitteet.....	26
Lähteet.....	28

1. SUOSITUKSEN TAUSTA

Suositusvalmistelu lähti liikkeelle, kun Lääkärit tupakkaa vastaan (DAT)-yhdistys oli tehnyt ehdotuksen Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvostolle (Palkolle) tupakka- ja nikotiiniriippuvuuden vieroituspalveluiden ottamisesta palveluvalikoimaan. Palko piti aihetta tärkeänä ja aloitti syksyllä 2017 valmistelun laajemmasta, elintapaohjausta ja omahoidon tukea koskevasta suosituksesta, jossa kohderyhmänä ovat kansantauteihin sairastumisen kannalta korkean riskin potilaat. Kansantaudeiksi luokitellaan sydän- ja verisuonitaudit, tyypin 2 diabetes, astma ja allergia, krooniset keuhkosairaudet, syöpäsairaudet, muistisairaudet, tuki- ja liikuntaelimestön sairaudet, karies sekä mielenterveyden ongelmat. Kansantaudit heikentävät yksilön elämänlaatua ja työkykyä, niillä on suuri vaikutus kansantalouteen ja niiden hoito kuormittaa huomattavasti terveydenhuollon palveluja. Sekä yksilölle, yhteisöille että yhteiskunnalle aiheutuvien haittojen takia kansantautien kehittymistä on pyrittävä ehkäisemään.

Palko piti tärkeänä määritellä millaisia elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmiä sisällytetään palveluvalikoimaan julkisia terveyspalveluja järjestettäessä. Kun ihmisellä on terveyteensä liittyvää riskikäyttäytymistä, kannattaa jokainen ”tilaisuus” muutoksen aikaansaamiseksi hyödyntää. Riskikäyttäytymisen muodot, joihin valmis-teilla olevilla suosituksilla ja niissä tarkasteltavilla menetelmillä halutaan vaikuttaa, ovat epäterveellinen ravitsemus, vähäinen liikkuminen tupakoiminen, huonot nukkumiseen liittyvät tottumukset ja huono suuhygienia. Kokonaisuus on jaettu osiin siten, että tässä muistiossa tarkastellaan epäterveellistä ravitsemusta ja vähäistä liikkumista riskikäyttäytymisen muotoina. Terveellisellä ravinnolla ja riittävällä fyysisellä aktiivisuudella voidaan tehokkaasti ehkäistä monia sairauksia, lisätä toimintakykyä ja parantaa koettua terveyttä¹. Tiedetään, että terveyttä edistävästä elintapamuutoksista hyötyvät erityisesti ne henkilöt, joilla on muutenkin kohonnut riski sairastua kansantauteihin, ja ne, jotka ovat jo sairastuneet.

Yleisimpiin kansantauteihin liittyvään riskikäyttäytymiseen puuttumista on tutkittu paljon. Erilaisia menetelmiä, joilla käyttäytymisen muutokseen tähdätään, on myös paljon. Toiset menetelmät ovat vaikuttavampia kuin toiset riippuen siitä, millaisia terveyskäyttäytymisen muutosta edistäviä elementtejä muutoksen aikaansaamiseksi ne sisältävät. Valmistelutyön päätavoitteena on ollut tunnistaa ne tekijät, jotka ovat käyttäytymisen muutoksen aikaansaavan intervention välttämättömät osa-alueet. Elintapaohjauksen vaikuttavien menetelmien käyttämisellä pyritään estämään elintavoista johtuva sairastuminen tilanteessa, jossa henkilön riski sairastua on jo merkittävästi kohonnut. Lisäksi terveyserojen kaventaminen on mahdollista vaikuttavalla elintapaohjauksella ja omahoidon tuella.

Julkisessa terveydenhuollossa, erityisesti perusterveyden- ja työterveyshuollossa, tulee tarjota potilaille vaikuttavia elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmiä. Se on potilaan oikeus ja terveydenhuollon velvollisuus. Toisaalta julkisen terveydenhuoltojärjestelmän kannalta resursseja pitää kohdentaa lähtökohtaisesti vain vaikuttaviksi tiedettyihin menetelmiin, jotta ne tulevat käytettyä perustellusti ja mahdollisimman paljon terveyshyötyä tuottavasti. Suositus määrittää millaisia ovat ne palveluvalikoimaan kuu-

¹ STM 2008

luvut elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmät, joilla voidaan estää elintavoista johtuvaa sairastumista tilanteessa, jossa henkilön riski sairastua on jo merkittävästi kohonnut elintapojen takia.

2. KÄSITTEET JA TIEDON HANKKIMISEEN KÄYTETYT MENETELMÄT

2.1. KÄSITTEET

sekundaarinen ehkäisy, sekundaaripreventio

Sekundaariprevention tarkoitus on estää sairauden eteneminen tai paheneminen poistamalla riskitekijä tai pienentämällä sen vaikutusta. Sekundaaripreventio on jo osa sairauden hoitoa. Tätä voidaan toteuttaa elintapamuutoksien, terveydenhuollon antaman neuvonnan tai lääkehoidon taikka esimerkiksi järjestöjen tarjoamien erilaisten tukimuotojen avulla.²

sairauksien ensisijainen ehkäisy, primaaripreventio

Sairauksien ensisijainen ehkäisy pyrkii vähentämään alttiutta sairastua tautiin estämällä käyttäytymiseen tai ympäristöön liittyvien, terveydelle haitallisten tekijöiden vaikutukset. Ensisijaiset ehkäisytoimet estävät riskitekijän vaikutuksen ennen kuin se synnyttää sairauteen johtavia muutoksia. Toimintaa, joka kokonaan poistaa riskitekijän, kutsutaan myös varhaisehkäisyksi (primordial prevention).³

tertiaarinen ehkäisy, tertiaaripreventio

Toimet joilla pyritään torjumaan taudin eteneminen, komplikaatioiden ilmeneminen tai taudista aiheutuvien haittojen paheneminen (esimerkiksi toimet, joilla pyritään estämään sydäninfarktipotilaan uusi infarkti).⁴

elintapaohjaus , -neuvonta

Elintapaohjauksella tarkoitetaan neuvontaa ja ohjausta esimerkiksi ravitsemuksesta, liikkumisesta, tupakoinnista, alkoholin käytöstä ja unesta terveille tai jo sairastuneille henkilöille.⁵

terveysvalmennus

Terveysvalmennuksella tarkoitetaan asiakaskeskeistä, terveyttä edistävää ja luottamukselliseen hoitosuhteeseen perustuvaa menetelmää, jonka tavoitteena on auttaa asiakasta tunnistamaan omat tarpeensa, löytämään omat keinonsa ja psyykkiset voimavaransa saavuttaakseen terveyteen liittyviä tavoitteita ja tukea muutokseen sitoutumisessa.⁶

² Duodecim & Suomen Akatemia 2017

³ ””

⁴ Duodecim, Terveysportti Sanakirjat 2020.

⁵ Autti-Rämö ym. 2016

⁶ Kivelä 2019

omahoidon tuki

Kun totunnainen potilasohjaus tarjoaa tietoa ja teknisiä taitoja, omahoitovalmennuksessa painotetaan ongelmanratkaisutaitoja. Käytännössä tämä tarkoittaa pitkäaikaissairaalan potilaan tai henkilön, jolla on korkea riski sairastua, tilanteen kartoitusta ja omahoidon suunnittelua osana terveys- ja hoitosuunnitelmaa (asiakassuunnitelmaa), sen mukaisia terveydenhuollon tukitoimia, yksilö- tai ryhmäohjausta, seurantaa ja monipuolisten sähköisten työvälineiden käyttöä näissä.⁷

epäterveellinen ravitsemus

Tyypillisiä sairastumisriskiä lisääviä ongelmia ovat niukka kasvisten, hedelmien, marjojen ja täysjyväviljan kulutus sekä liiallinen energian, suolan ja tyydyttyneen rasvan saanti. Osalla väestöä myös sokerin saanti sekä punaisen ja prosessoidun lihan kulutus on liiallista, lisäksi joillakin on myös niukkaa suojaravintoaineiden saantia.⁸

vähäinen liikkuminen

Alle terveysliikuntasuosituksen oleva liikkuminen ja liikunta. Aikuisten liikuntasuositukset: kohtuukuormitteista kestävyysliikuntaa, kuten reipasta kävelyä, ainakin 150 minuuttia viikossa tai raskasta liikuntaa, kuten juoksua, 75 minuuttia viikossa sekä lihasvoimaa ja -kestävyyttä ylläpitävää tai lisäävää liikuntaa vähintään kahtena päivänä viikossa. Ikääntyneet tarvitsevat lisäksi nivelten liikkuvuutta ja tasapainoa ylläpitävää ja kehittävää liikkumista.⁹

2.2. TIEDON HANKKIMINEN

Palko on teettänyt Terveyden ja hyvinvoinnin laitoksella systemaattisen kirjallisuuskatsauksen elintapainterventioiden osatekijöistä ja vaikuttavuudesta korkean riskin henkilöillä (THL 21.10.2019, liite 1).

Kirjallisuuskatsauksella selvitettiin millaisilla elintapaohjauksen menetelmillä voidaan vaikuttaa keskeisiin kansantautien riskitekijöihin, kuten epäterveelliseen ravitsemukseen, vähäiseen liikkumiseen, huonoon suuhygieniaan, tupakkatuotteiden käyttöön ja nukahtamista vaikeuttaviin ja nukkumaanmenoon liittyviin tottumuksiin (huono unihygenia).

Kirjallisuuskatsaukseen otettiin mukaan vain sellaiset tutkimukset, joissa menetelmän vaikuttavuutta on arvioitu Suomessa tai muissa Pohjoismaissa. Kriteerit täyttäviä tutkimuksia löytyi kuitenkin vain vähän. Tästä syystä katsauksessa on huomioitu myös muutama muutoin relevantti tutkimus, joissa esimerkiksi seuranta-aika oli asetettu ja kriteerejä lyhyempi sekä mukaan hyväksyttiin muutamia artikkeleita myös joistakin muista maista, joista saatu tieto olisi sovellettavissa Suomeen. Tiedonhaun hakukriteerit määritettiin PICOn avulla ja systemaattisessa kirjallisuuskatsauksessa on kuvattu tarkemmin katsauksen rajaus, siinä käytetyt menetelmät sekä muut tavat tiedon hankkimiseen¹⁰.

⁷ Routasalo & Pitkälä 2009

⁸ FinTerveys 2017, Suomalaiset ravitsemussuositukset 2014

⁹ Liikunta Käypä Hoito –suositus

¹⁰ Systemaattinen kirjallisuuskatsaus 2019, s. 10-15

Kaikista systemaattiseen katsaukseen sisältyneistä, vaikuttavista, tutkimuksista ei noussut esiin yksilöitäviä elintapaohjauksen menetelmiä Siksi lisäksi koottiin Suomessa käytössä olevista menetelmistä vaikuttavuustietoa ja tietoa menetelmien sisältämisestä osatekijöistä. Jaoston asiantuntemuksen ja kokemuksen perusteella tarkasteltaviksi valittiin menetelmiä, jotka ovat laajasti Suomessa käytössä tai joista on olemassa Suomessa tehtyä tutkimusta. Osa näin esiin nousseista menetelmistä osoittautui tutkimustiedon perusteella vaikuttaviksi ja ne oli toteutettavissa Suomen perusterveydenhuollossa. Menetelmistä löytyi samoja elintapaohjauksen osatekijöitä kuin systemaattisen kirjallisuuskatsauksen vaikuttavista tutkimuksista, joilla potilas motivoitui ja sitoutui elintapojensa muuttamiseen.

Lisäksi Palko tilasi, ennen systemaattisen kirjallisuuskatsauksen teettämistä, Suomalaisen Lääkäriseuran Duodecimin Käypä hoito -yksiköltä raportin, johon on laadittu analyysi julkisen terveydenhuoltojärjestelmän antamaa omahoidon tukea ja elintapaohjausta koskevista näytönastekatsauksista ja keskeisistä kotimaisista sekä kansainvälisistä suosituksista ¹¹. Siinä tarkasteltiin elintapaohjauksen ja omahoidon tuen tehoa tai vaikuttavuutta kymmenessä terveysongelmassa, jotka olivat astma, uniapnea, tyypin 2 diabetes, lihavuus, sydän- ja verisuonisairaudet ja niiden riskitekijät, TULES-sairaudet, syömishäiriöt, mielenterveyden häiriöt ja suun terveyden ongelmat.

Tekijät totesivat raportin perusteella näyttävän selvältä, että terveydenhuoltojärjestelmän on, useiden kansanterveydenkin kannalta keskeisten terveysongelmien ja -riskien kyseessä ollen, kyettävä tarjoamaan eri muotoista omahoidon tukea ja itsehoidon ohjausta. Tuella ja ohjauksella on merkitystä sekä terveysongelmien primaariprevention (esimerkiksi suuressa sydän- ja verisuonisairauksien riskissä olevat henkilöt) että sekundaariprevention ja hoidon (esimerkiksi astma, mielenterveysongelmat) kohdalla. Muodot ja tavat, joilla tukea ja ohjausta tulee tarjota, vaihtelevat potilasryhmistä ja palvelujärjestelmän ominaisuuksista (esimerkiksi saatavuus ja saavutettavuus) riippuen.¹²

Jaosto tapasi myös StopDia- ja Onnikka –hankkeiden edustajia. He kertoivat hankkeiden kautta saatuja näkemyksiä siitä, millä menetelmillä voidaan parhaiten vaikuttaa riskikäyttäytymisen ts. huonojen ravitsemus- ja liikkumistottumusten muuttamiseen ja millaista kansallista ohjausta kliinisessä työssä tarvittaisiin.

Epäterveellinen ravitsemus ja vähäinen liikkuminen terveysongelmina ja niihin kohdennetut elintapainterventiot ovat hyvin tunnettuja myös potilaan näkökulmasta. Jaosto katsoi, että erillisellä potilasedustajien tapaamisella ei tämän aiheen yhteydessä saavutettaisi lisäarvoa, joten tilaisuutta potilaskokemusten kokoamiseksi ei erikseen järjestetty. Ota kantaa-komentointi antaa kaikille mahdollisuuden lisänäkökohtien tuomiin.

Ravitsemus- ja liikuntaneuvonnan yleisyydestä etsittiin rekisteritietoa, jotta saataisiin kuvaa siitä, kuinka paljon perusterveydenhuollossa näitä menetelmiä käytetään vuositasolla. SPAT-luokitus¹³ on perusterveydenhuollon avohoidon toimintoluokitus, jota käytetään kuvaamaan perusterveydenhuollon avohoidon toimintoja ja toimenpiteitä. Tietoa kirjauksen tasosta tai yleisyydestä ei kuitenkaan ole saatavilla, joten käytien

¹¹ Komulainen & Sipilä 2018

¹² Komulainen & Sipilä 2018

¹³ Vuoden 2020 alusta aiemmin käytössä olleet SPAT-koodit on sisällytetty osaksi THL – Toimenpideluokitusta, mutta SPAT-koodeja saatetaan edelleen käyttää kirjaamisessa ja THL ottaa niitä edelleen erikseen vastaan.

määrä ei kerro siitä, kuinka paljon ravitsemuksen ja painonhallinnan ohjausta tai liikkuamiseen liittyviä neuvonta- ja ohjauksikäyntejä todellisuudessa toteutetaan perusterveydenhuollossa.¹⁴

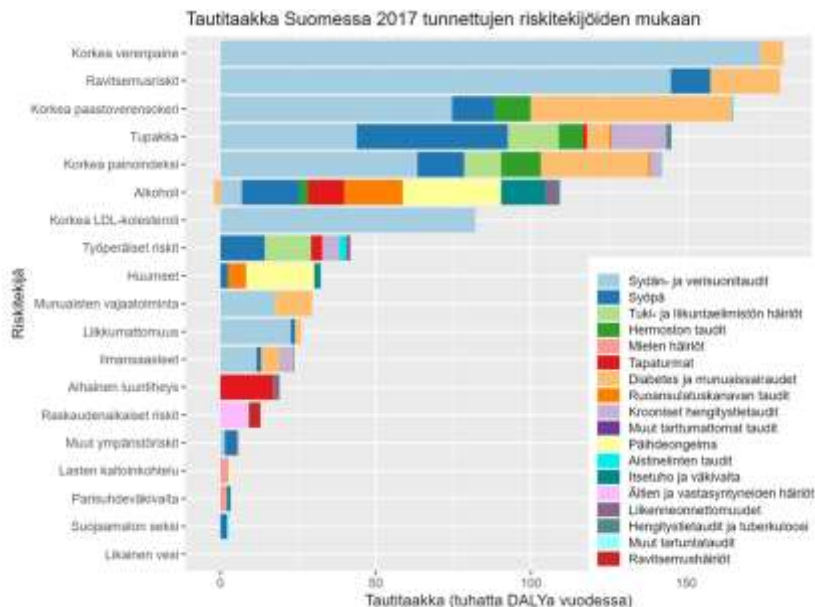
3. TERVEYSONGELMA JA SEN YLEISYYS

3.1. EPÄTERVEELLINEN RAVITSEMUS, VÄHÄINEN LIIKKUMINEN JA LIHAVUUS TERVEYSONGELMINA JA NIIDEN VAKAVUUS

Terveysongelmana ovat potilaan epäterveelliset ravitsemustottumukset ja/tai terveyden kannalta riittämätön liikkuminen silloin, kun ne ovat jo johtaneet korkeaan kansantauteihin sairastumisen riskiin ja potilas ei ilman ulkopuolista tukea tai puuttumista ole muuttanut elintapojaan terveyttä tukeviksi.

Ravitsemuksella ja liikunnalla on suuri merkitys terveyden ylläpitämisessä ja sairauksien ehkäisyssä. Epäterveellinen ruokavalio ja liikkumattomuus lisäävät erityisesti sydän- ja verisuonisairauksien, diabeteksen ja joidenkin syöpien riskiä (kuvio 1), sekä lisäksi muistisairauksien ja tuki- ja liikuntaelinsairauksien riskiä.

Elintason nousu ja elinympäristön sekä elintapojen muuttuminen ovat vaikuttaneet ylipainon ja lihavuuden yleistymiseen. Fyysisesti passiivinen, paljon istumista sisältävä elämäntapa sekä jatkuvasti saatavilla oleva liiallinen tai epäterveellinen ruoka lisäävät lihomisriskiä. Väestön painonnousun hillitseminen kohentaisi huomattavasti kansanterveyttä ja kansantaloutta.



Kuvio 1. Tautitaakka Suomessa eriteltyinä riskitekijöiden mukaan. Perustuu IHME-instituutin arvioihin. (http://fi.opasnet.org/fi/Tautitaakka_auttaa_hahmottamaan_ja_v%C3%A4lt%C3%A4m%C3%A4n_terveysriskej%C3%A4)

¹⁴ Avohilmo 2020

Arviot osoittavat, että Suomessa lähes 40 % kuolemista voidaan selittää käyttäytymiseen liittyvillä riskitekijöillä. Vuonna 2017 kaikista kuolemista noin 20 % liittyi huonoon ravitsemukseen, 11 % tupakkaan, 4 % alkoholiin ja 3 % liikkumattomuuteen.¹⁵

Ravitsemus

Suomalaiset ravitsemussuositukset uudistettiin vuonna 2014. Sen lisäksi suosituksia on annettu erikseen eri kohderyhmille: lapsiperheet (2019), varhaiskasvatus (2018), kouluruokailu (2017), ammatilliset oppilaitokset ja lukio (2019), korkeakouluopiskelijat (2016), ikääntyneet (2020) ja ravitsemushoito (2010) (ks.

<https://www.evira.fi/elintarvikkeet/terveytta-edistava-ruokavalio/>). Suosituksissa korostetaan muun muassa kasvisten, marjojen ja hedelmien sekä täysjyväviljan päivittäistä käyttöä, kasviöljyn ja kalan suosimista, prosessoidun ja punaisen lihan käytön vähentämistä, vähärasvaisten tai rasvattomien maitovalmisteiden ja vähäsuolaisten tuotteiden valintaa sekä sopivaa energian saantia suhteessa energian kulutukseen.

Suomalaisessa yhteiskunnassa ruokatarjonta on runsasta, mikä muodostaa haasteen terveyttä edistävän ruokavalion noudattamiselle. Pitkäaikainen energiantarpeen ylittävä energiansaanti on yksi syytekijä väestön ylipainon ja lihavuuden yleistymiseen. Yksipuolinen, runsaasti energiaa sisältävä ravitsemus heikentää ruokavalion laatua, altistaa välttämättömien ravintoaineiden liian vähäiselle saannille ja lisää monien sairauksien riskiä mukaan lukien sydän- ja verisuonisairaudet, tyypin 2 diabetes, muistisairaudet, tietyt syöpämuodot, tuki- ja liikuntaelinsairaudet ja hammaskaries. Ruokavalio kuuluu osaksi kroonisten sairauksien ehkäisyä myös Käypä hoito -suositusten mukaan.¹⁶

Noin 20 % kuolemista liittyy epäterveelliseen ravitsemukseen, enemmän kuin perinteiset riskitekijät eli tupakka ja alkoholi yhteensä. Kyseessä on siis erittäin merkittävä kansanterveydellinen ongelma. Erityisesti suolan ja tyydyttyneen rasvan saannin vähentäminen olisi kustannusvaikuttava tapa vähentää suomalaisten tautitaakkaa.¹⁷

Liikkuminen

Aikuisten terveyttä edistävän liikkumisen suositus uudistettiin vuonna 2019. Erityissuositukset (soveltava liikunta) sekä lasten ja nuorten suositukset tullaan uudistamaan vuoden 2020-2021 aikana (ks. <https://www.ukkinstituutti.fi/liikkumisensuositus>). Liikkumisen suositukset kiteyttävät terveyden kannalta viikoittaisen liikkumisen määrän ja antavat esimerkkejä liikkumisen muodoista. Reipasta liikkumista suositellaan 2 tuntia 30 minuuttia viikossa, mutta samat terveyshyödyt saadaan myös lisäämällä liikkumisen tehoa rasittavaksi, jolloin liikkumisen määrä on 1 tunti 15 minuuttia viikossa. Lihaskuntoa ja liikehallintaa tulee harjoittaa vähintään kaksi kertaa viikossa. Uudistunut suositus huomioi entistä paremmin kevyen liikuskelun, paikallaanolon tauottamisen ja riittävän unen merkityksen.¹⁸

Vähäinen liikkuminen lisää riskiä sairastua tyypin 2 diabetekseen, sydän- ja verisuonitauteihin, useisiin syöpiin ja lievään tai keskivaikeaan masennukseen (kuvio 2). Liikkumisella on aikuisille myönteisiä vaikutuksia painon hallintaan, fyysiseen ja kognitii-

¹⁵ OECD/European Observatory on Health Systems and Policies 2019

¹⁶ Systemaattinen kirjallisuuskatsaus 2019, s.17.

¹⁷ Suomi ym. 2019

¹⁸ UKK-instituutti 2020

viseen toimintakykyyn, fyysiseen suorituskykyyn, kehon rasvan määrään, verenpaineeseen ja veren rasva-arvoihin.¹⁹ Fyysinen aktiivisuus edesauttaa työ- ja toimintakyvyn säilyttämistä, joka edelleen vaikuttaa työn tuottavuuteen, työsuoritukseen, työvireyteen, työstä ja työstressistä palautumiseen, kognitiiviseen suorituskykyyn, sairauslomiin ja työkyvyttömyyteen²⁰. Liikkuminen ehkäisee ikääntyvillä kaatumisia sekä niistä johtuvia loukkaantumisia. Lapsilla liikkuminen lisää luuterveyttä, vähentää liiallista painonnousua ja ylipainon riskiä. Jo pieni liikkumisen lisääminen ja paikallaanolon vähentäminen vaikuttavat myönteisesti terveyteen, ennen kaikkea lähtökohtaisesti vähän liikkuvilla. Liikkumalla enemmän voidaan myös pienentää runsaan paikallaanolon aiheuttamaa vaaraa terveydelle.²¹ Elintavoilla voidaan myös vähentää riskiä masennukseen, joka on yksinään eniten työkyvyttömyyttä aiheuttava tekijä. Yksilötasolla masennustilan kehittymisen riskiä voivat vähentää kohtalainen määrä liikuntaa ja terveellinen ruokavalio. Ohjattu liikuntaharjoittelu tukee myös toipumista masennuksesta.²²



Kuvio 2. Terveyden kannalta liian vähän liikkuvan henkilön riski sairastua kansantauteihin verrattuna liikunnallisesti aktiivisiin. UKK-instituutin 2018 Liikkumattomuuden lasku kasvaa -raportin tueksi laadittu diasarja.

Terveyden kannalta liian vähäinen liikkuminen (vähäinen fyysinen aktiivisuus, runsas istuminen ja huono fyysinen kunto) aiheuttavat Suomessa vuosittain vähintään 3,2 miljardin euron kustannukset. Kuntatasolla tämä tarkoittaa kymmenien, jopa satojen miljoonien eurojen kustannuksia vuodessa. Mikäli viisi prosenttia liian vähän liikkuvista saadaan liikkumaan suositusten mukaisesti, tuo se kunnalle satojen tuhansien, jopa miljoonien säästöt. Pelkästään sairauksien aiheuttamat, liikkumattomuudesta seuraavat terveydenhuollon ja tuottavuuden alenemisen kustannukset ovat 1,5–4,4 miljardia euroa.²³

Lihavuus

Lihavuus on seurausta pitkäaikaisesta ja liiallisesta energiansaannista suhteessa energiantuotukseen. Lihavuus on pitkäaikais sairaus, jossa kehon rasvakudoksen määrä on

¹⁹ vonBonsdorff ym. 2011a, von Bonsdorff ym. 2011b, Kulmala ym. 2014

²⁰ Aittasalo ym. 2017, Rinne & Husu 2018

²¹ Systemaattinen kirjallisuuskatsaus 2019, s. 18

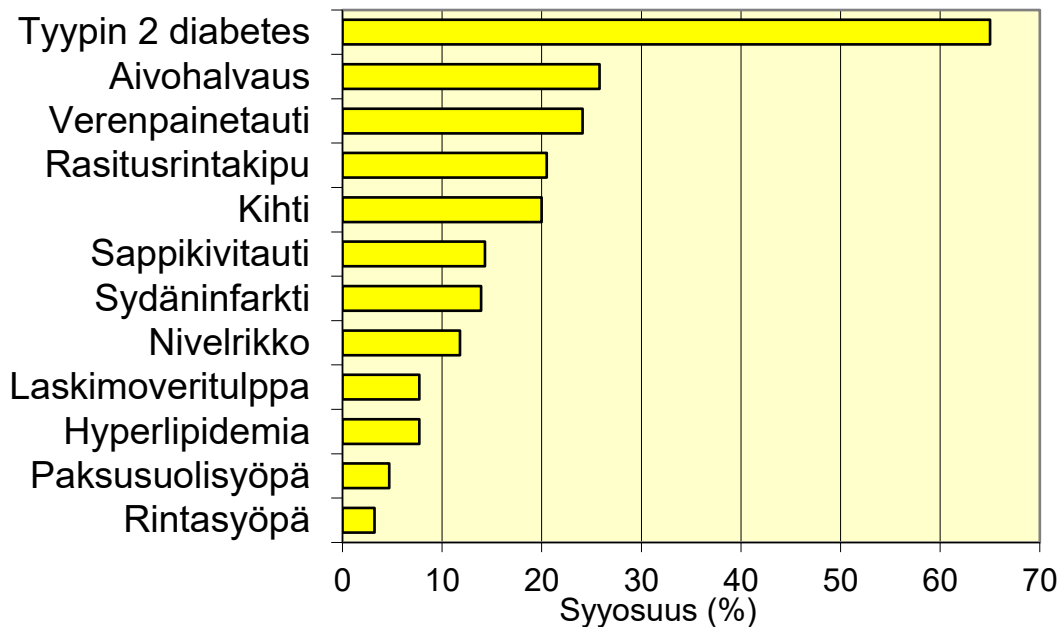
²² Depressio Käypä Hoito -suositus

²³ Vasankari T & Kolu P

liian suuri. Lihavuuden taustatekijät ovat moninaiset ja siihen vaikuttavat monet yksilölliset ja yhteiskunnalliset tekijät.²⁴

Ylipaino ja lihavuus ovat yksi tärkeimpiä suomalaisten kansanterveyttä uhkaavia tekijöitä. Painonhallintaa edistävät fyysinen aktiivisuus sekä terveyttä edistävä ruokavalio, jossa energiansaanti ei ylitä energian kulutusta. Lihavuuden ehkäisy ja hoito ovat tärkeitä kaikissa ikäryhmissä, sillä lihavuudella on merkittäviä fyysisiä, psyykkisiä, sosiaalisia ja taloudellisia vaikutuksia sekä yksilölle että yhteiskunnalle.²⁵ Lihavuus suurentaa merkittävästi riskiä moniin sairauksiin ja oireyhtymiin. Lihavuus, erityisesti vyötärölle kertyneenä, lisää riskiä sairastua muun muassa tyypin 2 diabetekseen, sydän- ja verisuonitauteihin, moniin syöpiin sekä tuki- ja liikuntaelinsairauksiin²⁶ (kuvio 3).

Lihavuuden syyosuus (%), BMI > 28 kg/m²



Kuvio 3. Lihavuus on osasyynä useisiin sairauksiin. Syyosuudet (%). Markku Pekurisen esitys Kansanterveyspäivillä 2011.

Lihavuus ja siihen liittyvät liitännäissairaudet kuormittavat terveydenhuoltoa ja aiheuttavat myös merkittäviä kustannuksia. Arvion mukaan 1,4–7 % Suomen kaikista terveysmenoista johtuu epäsuorasti lihavuudesta.²⁷ Vuonna 2017 noin 11 % kuolemista liittyi ylipainoon²⁸.

3.2. EPÄTERVEELLISEN RAVITSEMUKSEN, VÄHÄISEN LIKKUMISEN JA LIHAVUUDEN YLEISYYS

²⁴ Lihavuus Käypä hoito –suositus 2020

²⁵ Lihavuus Käypä hoito –suositus 2020

²⁶ Systemaattinen kirjallisuuskatsaus 2019, s. 7

²⁷ THL 2020

²⁸ Lancet 2017

Ravitsemus

FinRavinto 2017 tutkimuksen mukaan valtaosa Suomen 18-74 –vuotiaista aikuisista (86 % miehistä ja 78 % naisista) ei saavuttanut ohjeellista 500 g vähimmäissaantisuositusta kasvisten, hedelmien ja marjojen käytössä. Punaisen ja prosessoidun lihan käyttösuositus (enintään 500 g/vko) ylittyi 79 %:lla miehistä ja 26 %:lla naisista. Energia- ravintoaineiden saanti oli suositusten mukaista ainoastaan tyydyttymättömien rasvahappojen ja proteiinin osalta. Tyydyttyneiden rasvahappojen suosituksen saavutti vain yksi aikuinen kahdestakymmenestä. Hiilihydraattien ja kuidun saanti oli riittämätöntä yli kahdella kolmasosalla väestöstä. Miesten keskimääräinen ruokavalio sisälsi enemmän rasvaa ja suolaa verrattuna naisten ruokavalioon. Suolaa sai liikaa yhdeksän kymmenestä aikuisesta. Naisten ruokavalio oli kokonaisuutena lähempänä suosituksia. Kotona asuvien ikääntyneiden ruokavalio oli väestötutkimusten perusteella samankaltainen kuin nuoremmilla.²⁹

Ruokatottumukset omaksutaan varhain ja ne säilyvät usein muuttumattomina aikuisuuteen asti. Lasten ravitsemuksen ongelmia ovat muun muassa kasvisten vähäinen kulutus, paljon energiaa ja vähän ravintoaineita sisältävien, kuten sokeripitoisten ruokien ja juomien, runsas kulutus, runsas suolan saanti ja ruokavalion huono rasvan laatu.³⁰

Suomalaisten ruokavaliossa ja ravitsemustottumuksissa on havaittu eroja väestöryhmien välillä. Korkeimmin koulutetut syövät enemmän kasviksia ja hedelmiä ja vähemmän punaista lihaa kuin muut. Työikäisistä miehistä 50 %:lla ja naisista 60 %:lla oli mahdollisuus ruokailla työpaikka- tai oppilaitosruokalassa. Puolet niistä, joilla tämä mahdollisuus oli, ilmoitti käyttäneensä näitä ruokapalveluita. Ylimpään koulutusryhmään kuuluvien on myös havaittu hyödyntävän henkilöstöruokailua muihin koulutusryhmiin kuuluvia enemmän.³¹

Raskaana olevien naisten terveelliset ruokavalinnat sekä ravintovalmisteiden käyttö ovat yleisimpiä vanhemmilla ja korkeammin koulutetuilla naisilla kuin nuoremmilla ja vähemmän koulutetuilla naisilla. Nuorten, vähän koulutettujen ja tupakoivien äitien ruokavalio on kauimpana ravitsemussuosituksista. Eriarvoisuutta nähdään jo vauvojen ravitsemuksessa: korkeammin koulutetut äidit imettivät puolen vuoden ikäistä vauvaa neljä kertaa useammin kuin matalimpaan koulutusryhmään kuuluvat äidit.³²

Liikkuminen

Suomalaiset aikuiset viettävät suurimman osan valveaoloajastaan paikallaan, istuen tai makuulla. Reippaampaan liikkumiseen käytetään keskimäärin alle tunti päivässä. FinTerveys 2017-tutkimuksen mukaan miehistä 61% ja naisista 66% ei saavuttanut terveysliikuntasuositusta, joka sisältää sekä kestävyysliikunnan että lihaskuntoa kehittävän tai ylläpitävän liikkumisen.³³ Alueellisen terveys- ja hyvinvointitutkimuksen (ATH) mukaan 89 % työikäisistä ei saavuttanut terveysliikuntasuositusta.³⁴ Kunnan Kartta-tutkimukseen alustavien tulosten mukaan taas keskimäärin 80 % aikuisista ei saavuttanut kestävyysliikuntasuositusta.³⁵ Merkittävä osa suomalaisista aikuisista ei siis saavuta liikuntasuosituksia ja liikkuu terveytensä kannalta liian vähän. Vastaavasti lapset ja nuoret viettävät keskimäärin puolet valveaoloajastaan paikallaan, istuen tai makuulla ja liikkuvat reippaasti vajaat kaksi tuntia päivässä. Vähän liikkuvilla lapsilla

²⁹ Valsta ym. 2018

³⁰ ””

³¹ Systemaattinen kirjallisuuskatsaus 2019, s. 17

³² ””

³³ Borodulin & Wennman 2019

³⁴ Bennie ym. 2017

³⁵ Husu ym. 2018

merkittävä osa liikkumisesta tapahtuu koulupäivän aikana. Iän myötä paikallaanoloaika lisääntyy.³⁶ Mitä vanhemmasta väestöstä on kyse, sitä harvemmin terveystoimintasuoritukset saavutetaan. Yli 80-vuotiaista vain 13 % miehistä ja 9 % naisista ylsi suositukseen mukaiseen määrään kestävyys- ja lihaskuntoliikuntaa viikossa.³⁷

Hyvässä sosioekonomisessa asemassa (korkeampi koulutus, tulotaso ja ammattiasema) olevat henkilöt harrastavat enemmän vapaa-ajan liikkumista ja työmatkaliikuntaa kuin matalassa sosioekonomisessa asemassa olevat henkilöt. Työhön liittyvän ruumiillisen rasituksen suhteen tilanne on vastakkainen, sillä matalammassa sosioekonomisessa asemassa olevat henkilöt kokevat työnsä korkean sosioekonomisen aseman henkilöitä useammin ruumiillisesti rasittavaksi. Yksilön sosiodemografisista ominaisuuksista liikkumista edistäviä tekijöitä ovat muun muassa vanhempi ikä, miessukupuoli, ei-parisuhteessa oleminen, pieni lasten lukumäärä sekä etniseen vähemmistöryhmään kuuluminen.

Yksilön biologisista ominaisuuksista liikkumiseen liittyviä tekijöitä ovat normaali-paino ja perinnölliset tekijät. Yksilön psyykkisistä ja kognitiivisista tekijöistä liikkumista edistäviä tekijöitä ovat muun muassa vahva pystyvyyden, kontrollin ja motivaation tunne, liikkumisesta nauttiminen ja uskomukset liikkumisen hyödyllisyydestä. Sosiaalisista tekijöistä lääkärin, puolison tai ystävien sosiaalinen tuki liikunnan harrastamiselle on erityisen tärkeä.³⁸

Lihavuus

Vuonna 2017 lähes kolme neljäsosaa yli 30-vuotiaista miehistä ja kaksi kolmasosaa naisista oli ylipainoisia (BMI vähintään 25 kg/m²) ja neljännes aikuisista luokiteltiin lihaviksi (BMI vähintään 30 kg/m²). Lähes joka toinen aikuinen (46 %) oli vyötärölihava (vyötärön ympärysmitta naisilla >90 cm ja miehillä >100cm). 18-29-vuotiaista miehistä lähes puolet ja naisista reilu kolmannes oli vähintään ylipainoisia (BMI >25 kg/m²) ja lähes viidesosa nuorista miehistä ja naisista oli lihavia. Vyötärölihavuuden kriteerit täyttyivät lähes joka viidennellä nuorella aikuisella.³⁹

Vuonna 2018 2–16-vuotiaista pojista 27 % ja tytöistä 18 % oli ylipainoisia (ISO-BMI⁴⁰ 25-30 kg/m²). Pojista lihavia oli 8 % ja tytöistä 4 % (ISO-BMI>30 kg/m²).⁴¹ Viime vuosikymmenten aikana lasten ja nuorten ylipaino ja lihavuus ovat lisääntyneet Suomessa.⁴²

Koulutusryhmien välillä on eroa lihavuuden esiintyvyydessä. Perusasteen koulutuksen saaneista kolmannes oli lihavia, kun korkea-asteen koulutuksen saaneista heitä oli alle neljäsosa.⁴³ Suomessa on tehty vain vähän tutkimuksia etnisistä ryhmistä ja maahanmuuttajataustaisesta väestöstä. Maahanmuuttajien terveys- ja hyvinvointitutkimus kuitenkin osoitti, että etnisillä ryhmillä voi olla terveyteen liittyviä erityistarpeita, jotka on hyvä huomioida. Kehoon ja painoon liittyvät normit ja ihanteet ovat erilaisia

³⁶ ”, ”

³⁷ Borodulin & Wennman 2019

³⁸ Borodulin, Jallinoja & Koivusalo 2016

³⁹ Koponen ym. 2018

⁴⁰ Lasten painoindeksi lasketaan samalla tavalla kuin aikuistenkin, mutta laskettu painoindeksiluku ei sellaisenaan ole vertailukelpoinen aikuisten indeksin kanssa. Tämän vuoksi lasten painoa tulee aina arvioida käyttäen aikuista vastaavaa painoindeksiä (ISO-BMI). Siinä lasten painoindeksi muutetaan iänmukaisella kertoimella aikuista vastaavaksi. ISO-BMI kuvastaa hyvin lapsen rasvaprosenttia. Lasten painoindeksiä käytetään 2 vuoden iästä lähtien 18 ikävuoteen asti.

⁴¹ Lundqvist & Jääskeläinen 2019

⁴² Vuorela, Saha & Salo 2011

⁴³ OECD/European Observatory on Health Systems and Policies 2019

eri kulttuureissa. Ruokailutottumukset ja sen kautta energiansaanti sekä myös liikku- mistottumukset ja –mahdollisuudet vaihtelevat eri kulttuureissa ja myös sukupuolten välillä.⁴⁴

4. ELINTAPOOHJAUKSEN JA OMAHOIDON TUEN MENETELMÄT JA NIIDEN KÄYTÖN YLEISYYS

Palkon suositusten valmisteluprosessin mukaisesti kysymyksenasettelu määriteltiin käyttäen PICO-rakennetta, jossa määritellään terveysongelma, hoito- tai kuntoutusmenetelmä (interventio), vaihtoehtoinen hoito- tai kuntoutusmenetelmä (vertailuinterventio) ja tavoiteltava hoidon tai kuntoutuksen lopputulos (terveystulos).

Lähtökohtana oli tunnistaa teoriapohjaiset menetelmät, joiden avulla potilas sitoutuu ja motivoituu elintapojensa muuttamiseen, terveellisiin ravitsemustottumuksiin ja terveyden kannalta riittävään liikkumiseen, rajaamatta etukäteen mitään menetelmiä pois.

Terveelliseen ravitsemukseen ja terveyden kannalta riittävään liikkumiseen tähtäävien menetelmien avulla potilas sitoutuu ja motivoituu elintapojensa muuttamiseen.

Tehdyn systemaattisen kirjallisuuskatsauksen tulosten kautta löytyi menetelmiä, joilla potilas motivoitui ja sitoutui muuttamaan ravitsemukseensa ja liikkumiseensa liittyviä elintapojaan. Jaosto arvioi näiden menetelmien ja niiden osatekijöiden vaikuttavuutta systemaattisen kirjallisuuskatsauksen pohjalta ja kokosi vaikuttavien menetelmien kuvauksista ne elementit, joilla nähtiin olevan yhteyttä potilaan motivoitumiseen ja sitoutumiseen elintapojensa muuttamiseksi. Tutkimuksista valtaosa oli monitekijäisiä, eli interventioissa pyrittiin vaikuttamaan samanaikaisesti useaan elintapaan. Ravitsemusohjauksen ja liikuntaneuvonnan yhdistelmä oli yleisin. Kaikista tutkimuksista ei nous- sut yksilöitäviä elintapaohjauksen menetelmiä esiin. Käytetyistä elintapaohjauksen me- netelmistä erottui kuitenkin sellaisia vaikuttavia osatekijöitä, joiden avulla potilas mo- tivoitui ja sitoutui elintapojensa muuttamiseen. Motivoivasta keskustelusta osana koko- naishoitoa saatiin vaikuttavuusnäyttöä useammassa tutkimuksessa. Vaikuttaviksi tode- tut menetelmät sisälsivät osatekijöinä lähtötilanteen kartoittamisen, tiedonvaihdon, ta- voitteenasettelun, suunnitelman, seurannan ja palautteen.

Koska systemaattiseen katsaukseen sisältyneistä vaikuttavista tutkimuksista ei noussut esiin yksilöitäviä, Suomessa käytettyjä elintapaohjauksen menetelmiä, joiden osateki- jöinä ovat lähtötilanteen kartoittaminen, tiedonvaihto, tavoitteenasettelu, suunnitelma, seuranta ja palaute, päädyttiin täydentämään menetelmiin liittyvää tietoa kokemuspe- rusteisesti. Jaosto kokosi erikseen tietoa sellaisten yksilöityjen menetelmien tai toimin- tamallien vaikuttavuudesta, joiden tiedettiin olevan Suomessa perusterveydenhuollossa käytössä tai, joista on Suomessa tehtyä tutkimusta, sekä varmistamaan, että ne sisälsi- vät samat osatekijät kuin, mitkä nousivat systemaattisen katsauksen vaikuttavista me- netelmistä esiin. Neuvokas Perhe –malli, jonka taustalla on STRIP⁴⁵⁴⁶⁴⁷ (sepelvaltimo- taudin riskitekijöiden interventioprojekti) -projektista kerätty tutkimusnäyttö, StopDia-

⁴⁴ Castaneda ym. 2012

⁴⁵ Räsänen ym. 2004

⁴⁶ Seppänen & Räsänen 2001

⁴⁷ Lagström ym. 1997

ryhmäohjausmalli⁴⁸⁴⁹⁵⁰ ja Onnikka- painonhallintaohjelma yhdistettynä kognitiiviseen käyttäytymisterapiaan⁵¹ osoittautuivat vaikuttaviksi perusterveydenhuollossa toteutettaviksi menetelmiksi ja niistä löytyi samat osatekijät kuin systemaattisen katsauksen vaikuttaviksi todetuista tutkimusten menetelmistä.

Valmistelussa huomioitiin erikseen löytyykö tietoa am. ryhmille kohdennettavista interventioista:

- nuoret henkilöt
- iäkkäät henkilöt
- raskaana olevat henkilöt
- vähän koulutusta saaneet henkilöt
- henkilöt, joilla on mielenterveyden häiriö

Vertaistukitoiminta menetelmänä jätettiin tarkastelun ulkopuolelle, koska se ei yleensä ole terveydenhuollon ammattilaisten tuottamaa palvelua. Vertaistukitoiminta voi täydentää ammattihenkilöiden antamia palveluita ja monen potilaan kokemuksen mukaan se voi olla hyvinkin merkityksellistä ja vaikuttavaa.

4.1. MENETELMIEN KÄYTÖN YLEISYYS

Elintapoihin vaikuttamiseen, omahoitoon erikoistuneita asiantuntijoita on saatavilla 38-95 %:ssa terveyskeskuksista. Noin kolmessa neljästä terveyskeskuksessa on sovittu yhteisistä käytännöistä, jonka mukaan asiakkaille tarjotaan tukea esimerkiksi terveyskäyttäytymiseen ja imetykseen liittyen. Ravitsemussuunnittelija tai -terapeutti on ollut vuonna 2018 käytettävissä 88 %:lla terveyskeskuksista ja ravitsemusterapeutin vakansseja on ollut perusterveydenhuollossa 38 %:lla terveyskeskuksista.⁵² Tämä ei vielä kerro kuinka paljon näitä asiantuntijoita todellisuudessa käytetään. Tästä ei tietoa tällä hetkellä ole.⁵³ Käytännössä ravitsemusohjausta eri asiakasryhmissä toteuttavat laillistettujen ravitsemusterapeuttien lisäksi mm. terveyden- ja sairaa hoitajat sekä lääkärit.⁵⁴

Ravitsemuksen ja painonhallinnan ohjauksen (SPAT1306) käyntejä on vuositasolla noin 2,5 miljoonaa. Liikkumiseen liittyviä neuvonta- ja ohjaukseyntejä (SPAT1305) on keskimäärin 150 000 vuodessa. Tietoa kirjauksen luotettavuudesta tai yleisyydestä ei kuitenkaan ole saatavilla, joten käynnit eivät kerro siitä, kuinka paljon ravitsemuksen ja painonhallinnan ohjausta tai liikkumiseen liittyviä neuvonta- ja ohjaukseyntejä todellisuudessa toteutetaan perusterveydenhuollossa.⁵⁵

⁴⁸ Pihlajamäki ym. 2019

⁴⁹ Absetz ym. 2007

⁵⁰ Absetz ym. 2009

⁵¹ Teeriniemi ym. 2018

⁵² TEA 2018

⁵³ THL:stä saatu teksti (Timo Ståhl) perustuu muutamaan asiantuntijahaastatteluun (Tiina Laatikainen ja Patrick Sandström)

⁵⁴ Systemaattinen kirjallisuuskatsaus 2019, s. 34

⁵⁵ Avohilmo 2020

Liikkuminen osana sairauksien hoitoa ja ehkäisyä on lisääntynyt terveydenhuollossa annettavan yksilöllisen liikuntaneuvonnan tai elintapaohjauksen seurauksena. Liikuntaneuvoja on ollut vuonna 2019 käytettävissä 16 %:lla terveyskeskuksista ja lisäksi terveydenhuollossa on ollut käytettävissä 30 %:lla ohjauskäytäntö kuntien liikuntatoimen yksilölliseen liikuntaneuvontaan. Liikuntaneuvontaa on erityisesti tarjolla työikäisille.⁵⁶

Elintapaohjaus omana palvelunaan on lisääntynyt terveysasemilla. Elintapaohjausta tai hyvinvointivalmennusta tarjotaan prosessinomaisena yksilöllisenä palveluna terveydenhuollon ammattilaisten toteuttamana. Tietoa palvelun määrästä tai kunnista ei vielä tällä hetkellä ole.

5. SYSTEMAATTINEN KIRJALLISUUSKATSAUS

Palko teetti systemaattisen kirjallisuuskatsauksen (liite 1) elintapainterventioiden osatekijöistä ja vaikuttavuudesta korkean riskin henkilöillä. Kirjallisuuden hakustrategia laadittiin yhdessä jaoston kanssa. Tässä kappaleessa mainittujen alkuperäisten julkaisujen tarkemmat tiedot lähdeviitteineen löytyvät liitteestä 2, johon on koottu ne tutkimukset systemaattisesta kirjallisuuskatsauksesta, jotka päädyttiin arvioinnin jälkeen otamaan mukaan suositukseen.

Kirjallisuuskatsaukseen valikoitui yhteensä 49 sisäänottokriteerit täyttävää ravitsemusta ja liikkumista koskevaa tutkimusta, joista jaosto arvioi tutkittujen menetelmien vaikuttavuutta ja siirrettävyyttä perusterveydenhuollon kontekstiin. Itse suositukseen valikoitui arvioinnin jälkeen 22 tutkimusta (liite 2). Valtaosa tutkimuksista oli satunnaistettuja koe-kontrolli tutkimuksia (RCT) (n=18), lisäksi oli kohorttitutkimuksia (n=3) ja yksi ei-satunnaistettu koe-kontrollitutkimus. Valituista tutkimuksista valtaosa oli tehty Suomessa (n=12) ja loput Ruotsissa (n=6), Tanskassa (n=2), Norjassa (n=1) ja Islannissa (n=1). Interventioon osallistujamäärät vaihtelivat 35 henkilön (Kalavainen ym. 2007) ja 2798 henkilön (Saaristo ym. 2010) välillä. Yleisin seuranta-aika oli vuosi, mutta Danielsson ym. 2016 seuranta-aika ulottui viiteen vuoteen.

Kirjallisuuskatsauksessa todetaan, että valtaosa kirjallisuushaussa esiin tulleista interventioista oli vaikuttavia ainakin jonkin päätapahtuman suhteen. Yleisimmin tuloksena raportoitiin kliinisen mittauksen muutosta (esim. paino) tai muutosta elintavassa (ruokavalio tai liikkuminen). Elintapoja koskevat tulosmittarit olivat tutkimusten välillä erilaisia ja esimerkiksi liikkumisen osalta mittareina toimivat niin itse-raportoidut kuin mitatut liikkumismäärät, fyysisen aktiivisuuden tasoa yleisesti arvioivat kysymykset tai fyysinen kunto.⁵⁷

Elintapojen muuttamiseen liittyvät teoriat, käytetyt tekniikat tai yksittäiset menetelmät eivät yksiselitteisesti selvinneet tutkimusartikkeleista. Motivoivasta keskustelusta osana kokonaisuhoitoa saatiin vaikuttavuusnäyttöä useammassa tutkimuksessa. Vaikuttaviksi todetut menetelmät sisälsivät osatekijöinä lähtötilanteen kartoittamisen, tiedon vaihtamisen, tavoitteenasettelun, suunnitelman tekemisen, edistymisen seurannan ja palautteen antamisen.⁵⁸

5.1 VAIKUTTAVUUS JA TURVALLISUUS

⁵⁶ Tuunanen 2020

⁵⁷ Systemaattinen kirjallisuuskatsaus 2019, s.19

⁵⁸ Systemaattinen kirjallisuuskatsaus 2019, s.19-20

Absetz ym. 2007 tutkimuksen interventio pohjautui DPS-tutkimukseen (Diabetes Prevention Study). Elintapaohjaus koostui ravitsemusohjauksesta ja liikuntaneuvonnasta, jota annettiin ryhmässä. Aikuisten (n=352), joilla oli kohonnut riski tyypin 2 diabetekseen, riskitekijät vähenivät merkittävästi 12 kuukauden seuranta-aikana. Painonpudotus, joka oli saavutettu vuoden kohdalla, oli pysynyt 3 vuoden seurannan kohdalla.

Danielsson ym. 2016 ruotsalaisen tutkimuksen interventio oli kohdistettu 5-13 –vuotiaille lihaville tai ylipainoisille lapsille (n=220) sekä heidän vanhemmilleen. Ohjaus oli monitekijäistä ravitsemusohjausta ja liikuntaneuvontaa sekä yksilönä että ryhmässä, jossa hyödynnettiin motivoivaa keskustelua. Seuranta-aika oli 5 vuotta, jonka aikana lasten BMI laski merkittävästi. Laatu heikensi se, että vain 50 % perheistä osallistui vanhempien ryhmiin.

Eriksson, Franks & Eliasson 2009 ruotsalaisessa tutkimuksessa interventio oli kohdistettu 18-65 –vuotiaille aikuisille (n=71), joilla oli kliinisesti dokumentoitu riski korkeasta verenpaineesta, dyslipidemiasta, tyypin 2 diabeteksestä tai he olivat ylipainoisia. Interventio koostui ohjatusta liikunnasta sekä ravitsemusohjauksesta ryhmässä. Seuranta-aika oli 36 kuukautta, jossa vyötärönympäryys pieneni ja aerobinen kunto parani merkittävästi. 3 kk interventio aikana liikuntaneuvontaan osallistuminen vaihteli 15 % ja 100 %:n välillä. Ravintoneuvonnan osalta tutkitavista 63 % osallistui 3–5 ravintoneuvontasessioon ja loput 36 % vain 1–2 sessioon. Pääasiallinen syy vähäisen osallistumiseen olivat työhön liittyviä.

Juul ym. 2016 Tanskassa tehdyssä tutkimuksessa annettiin monitekijäistä ryhmämuotoista elintapaohjausta, joka pohjautui suomalaisen DPS-tutkimuksen tavoitteisiin. Interventioyryhmä koostui 28-70 –vuotiaista aikuisista (n=63), joilla oli kohonnut riski sairastua tyypin 2 diabetekseen. 12 kuukauden seuranta-aikana interventioyryhmän paino, vyötärönympäryys ja systolinen verenpaine laskivat merkittävästi.

Koivusalo ym. 2016 suomalaisessa tutkimuksessa toteutettiin yksilömuotoinen ravitsemus- ja liikuntainterventio raskaana oleville naisille, joilla oli kohonnut riski raskausdiabetekseen (n=155). Raskausdiabetes väheni merkittävästi ja lisäksi interventioyryhmän osallistujat lisäsivät liikunta-aktiivisuuttaan ja heidän ravintonsa laatu parani raskausaikana. Lisäksi interventioyryhmän raskausajan painonnousu oli pienempää kuin kontrolliryhmässä. Seuranta-aikaa tehtiin raskauden ajan.

Ngandu ym. 2015 Suomessa toteutetussa tutkimuksessa annettiin monitekijäistä ryhmä- ja yksilömuotoista elintapaohjausta yhdistettynä kognitioharjoitteluun tietokoneella 60-77 –vuotiaille, joilla oli kohonnut dementiariski (n=1260). Ohjauksessa käytettiin motivoivaa keskustelua. Kognitiiviset toiminnot paranivat, paino laski ja interventioyryhmäläiset raportoivat käyttävänsä enemmän kalaa ja kasviksia sekä liikkuvansa useammin kuin kontrolliryhmä. Seuranta-aika oli 2 vuotta.

Nilsen, Bakke & Gallefors 2011 Norjassa tehdyssä tutkimuksessa annettiin monitekijäistä yksilöneuvontaa, jossa käytettiin motivoivaa keskustelua. Ohjausta saivat korkeassa tyypin 2 diabetes riskissä olevat aikuiset (n=213). BMI, aerobinen kapasiteetti ja triglyseridit paranivat merkittävästi. Seuranta-aika oli 18 kuukautta. Ryhmissä oli tilastollinen ero painossa alkutilanteesta satunnaistamisesta huolimatta (noin 2 kg). Tutkittavien oli sallittua käyttää lääkkeitä, myös painonalentamista tukevia lääkkeitä, mikä vaikeuttaa kliinisten mittaustulosten arviointia.

Njardvik ym. 2018 islantilaisessa tutkimuksessa toteutettiin monitekijäinen yksilö- ja ryhmäelintapaohjaus perheille, joissa oli 8-12 –vuotias lihava lapsi (n=84). Interventioyryhmässä olevien paino oli pysynyt 2 vuoden mittauksissa matalampana kuin kontrolliryhmän.

Saaristo ym. 2010 suomalaisessa tutkimuksessa annettiin monitekijäistä ryhmä- ja yksilöelintapaohjausta aikuisille, jotka olivat korkeassa tyyppin 2 diabetesriskissä (n=2798). Malli pohjautui DPS-tutkimuksen kokemuksiin ja tavoitteisiin. Interventoryhmässä paino laski ja diabetekseen sairastumisriski väheni merkittävästi. Myös useita suostuisia muutoksia havaittiin sydän- ja verisuonitautien riskitekijöissä. Seuranta-aika oli 12 kuukautta.

Teeriniemi ym. 2018 Suomessa tehdyn tutkimuksen interventio oli monitekijäinen kognitiivis-behavioraaliseen terapiaan perustuva ryhmäneuvonta, jossa oli mukana internet-ohjausta. Ohjausta annettiin 20-60 –vuotiaille ylipainoisille tai lihaville aikuisille (n=532). Interventoryhmällä painonlasku oli merkittävää 2 vuoden seurannan aikana.

Tuomilehto ym. 2001 Suomessa tehdyn tutkimuksen interventio oli monitekijäinen yksilöohjauksena toteutettu ravitsemusohjaus ja liikuntaneuvonta. Potilaat olivat 40-65 –vuotiaita ylipainoisia aikuisia, joilla oli heikentynyt sokerinsieto (n=522). Interventio osoitti vähentävän diabeteksen ilmaantuvuutta, paransi ruokavalion laatua, vaikutti suostuisasti painoon ja liikuntatottumukseen sekä sydän- ja verisuonitautien riskitekijöihin. Keskimääräinen seuranta-aika oli 4 vuotta.

Vinter ym. 2011 tanskalaisessa tutkimuksessa interventiona oli monitekijäinen yksilö- ja ryhmäohjauksena toteutettu ravitsemusohjaus ja liikuntaneuvonta. Interventioon osallistui ylipainoisia raskaana olevia naisia (n=180). Painonnousu raskauden aikana oli vähäisempää interventoryhmässä kuin kontrolliryhmässä. Seuranta jatkettiin synnytykseen asti.

Aittasalo ym. 2012 suomalaisessa tutkimuksessa interventio koostui yhdestä ryhmätapaamisesta, ja sen jälkeen osallistujille lähetettiin kuukausittain kuuden kuukauden ajan sähköpostiviestejä, joissa kannustettiin yksilöllisen askelmäärätavoitteen saavuttamista. Osallistujat olivat iältään keskimäärin 45-vuotiaita toimistotyöntekijöitä (n=241). 12 kuukauden kohdalla rappusten kävely ja vapaa-ajan kävely lisääntyivät. Interventoryhmään valitut olivat useammin naisia, heillä oli harvemmin ala-ikäisiä huolettavia ja he olivat harvemmin ylipainoisia kuin kontrolliryhmäläiset.

Drevenhorn ym. 2012 Ruotsissa tehdyssä tutkimuksessa käytettiin moniosaista ja –sisällöllistä yksilöelintapaohjausta, jossa hyödynnettiin motivoivaa keskustelua. Interventioon osallistuivat potilaat, joilla oli korkea verenpaine (n=153). Interventoryhmällä laski leposyke, BMI, paino, LDL-kolesteroli ja vyötärön ympäryys pieneni merkittävästi 2 vuoden seurannan aikana. Lisäksi itseraportoitu liikunta lisääntyi interventoryhmässä 2 vuoden aikana. Lääkehoidon roolia ei eritelty tutkimuksessa.

Huvinen ym. 2018 Suomessa tehdyssä tutkimuksessa elintapaohjaus keskittyi ravitsemuksen laatuun ja liikuntatavoitteisiin. Interventioon osallistui raskaana olevia naisia, joilla oli todettu riski raskausajan diabetekseen (n=155). Interventio paransi sokeriainneenvaihduntaa merkittävästi. Seuranta jatkui 12 kuukautta raskauden jälkeen. Tarkkuutta heikentävät itseraportoitu lähtöpaino ja liikuntamäärä.

Kalavainen ym. 2007 suomalaisessa tutkimuksessa oli useasta osatekijästä rakentuva elintapamuutosohjelma, jossa oli perhekeskeisiä ryhmätapaamisia, joissa keskityttiin elintapojen parantamiseen ja hyvinvointiin painonpudotuksen sijasta. Interventioon osallistui 7-9 –vuotiaita ylipainoisia lapsia sekä heidän vanhempiaan (n=35). Interventoryhmässä lasten paino putosi merkittävästi. Seuranta-aika oli 12 kuukautta.

Tuomilehto ym. 2001 suomalaisessa tutkimuksessa interventio sisälsi yksilömuotoista liikuntaneuvontaa sekä ruokavalio-ohjausta. Osallistujat olivat 40-65 –vuotiaita, joilla

oli heikentynyt glukoosin sietokyky, ylipainoa ja BMI yli 25 (n=265). Interventoryhmässä sairastui tyypin 2 diabetekseen merkittävästi vähemmän henkilöitä kuin kontrolliryhmässä. Interventoryhmässä raportoitiin enemmän elintapamuutoksia; lisääntynyttä liikuntamäärää ja parantuneita ruokailutottumuksia. Keskimääräinen seuranta-aika oli 3,2 vuotta.

von Bonsdorff ym. 2008 suomalaisessa tutkimuksessa osallistujille annettiin henkilökohtaista liikuntaneuvontaa, jossa käytettiin motivoivaa keskustelua. Lisäksi tarjottiin kaksi luentotilaisuutta. Interventoryhmässä oli 75-81 -vuotiaita aikuisia (n=632). Fyysinen aktiivisuus lisääntyi merkittävästi interventoryhmässä. Seuranta-aika oli 2 vuotta.

Bertz ym. 2014 Ruotsissa toteutetussa interventiossa vaikuttavaksi osoittautui yksilömuotoinen ravitsemusohjaus. Ohjausta saivat imettävät ylipainoiset tai lihavat naiset (n=33). Interventoryhmän naisilla paino putosi merkittävästi. Ravintointerventio johti pienentyneeseen energian, rasvan ja sakkaroosin saantiin. Myös rasvan ja sakkaroosin suhteelliset osuudet ruokavaliossa pienenevät ohjauksen seurauksena, kun taas proteiinin ja kuidun osuudet kasvoivat. Ravintointerventio johti myös vyötärön ympäröivän rasvan pienemiseen ja paastoinsuliiniin alenemiseen sekä HDL-kolesterolin nousuun. Seuranta-aika oli yhden vuoden.

Huseinovic ym. 2016 ruotsalaisessa tutkimuksessa annettiin yksilömuotoista ravitsemusohjausta ylipainoisille synnyttäneille naisille (n=110). Painon laskussa, ruokavalion energiansaannissa ja joissakin energiaravintoaineissa oli merkittävä ero interventio- ja kontrolliryhmien välillä. Seuranta-aika oli 12 kuukautta.

Brekke ym. 2014 Ruotsissa tehdyssä tutkimuksessa vaikuttavaksi osoittautui yksilömuotoinen ravitsemusohjaus. Tutkimukseen osallistui naisia, jotka olivat ylipainoisia tai lihavia ennen raskautta (n=68). Vyötärön ympäröivä rasva, kokonaiskolesteroli, LDL-kolesteroli ja paastoinsuliini laskivat merkittävästi. Seuranta-aika oli 12 kuukautta. Hoidon vaikutus oli p-arvojen valossa kohtalaisen hyvä, mutta ryhmäkoot olivat pienet ja luottamusvälien tarkemmat luvut puuttuivat.

Ngandu ym. (2015) tutkimuksessa raportoitiin muutama haittavaikutus tutkimuksen aikana liittyen lihas- ja tukieliinon heikentymisiin. Arvioitujen elintapainterventioiden ja niiden osatekijöiden turvallisuutta kyseenalaistavaa tutkimustietoa ei kuitenkaan tullut esiin.

5.2 EPÄVARMUUSTEKIJÄT

Tämän katsauksen rajauksilla tunnistetut ravitsemus- ja liikumisinterventiotutkimukset liittyivät useimmin aikuisten lihavuuden hoitoon ja tyypin 2 diabeteksen ehkäisyyn sekä hoitoon. Tuloksissa nousi esiin myös sydän- ja verisuonitautiriskissä ja muistisairauksien riskissä oleville kohdennettuja interventioita sekä lasten lihavuuteen, raskaus- ja/tai imetysajan painoon ja verensokeritasapainoon, tuki- ja liikuntaelinsairauksien hoitoon sekä ikääntyvien toimintakykyyn ja kaatumisiin keskittyviä tutkimuksia.⁵⁹ Tutkimukset eivät siis kata, asetettujen hakukriteerien vuoksi, kaikkea ravitsemukseen ja liikkumiseen liittyvää ohjausta terveydenhuollossa. Esimerkiksi ravitsemuspuolelta ei ole mukana vajaravitsemuksen ehkäisy ja hoito, samoin puuttuvat monet ravitsemushoitoa vaativat sairaudet (keliakia, allergiat, munuaissairaudet tms.) ja muut ravitsemukseen liittyvät ongelmat, kuten syömishäiriöt, ja niiden hoito.

Elintapoja koskevat tulosmittarit olivat tutkimusten välillä erilaisia ja esimerkiksi liikumisen osalta mittareina toimivat niin itse-raportoidut kuin mitatut liikkumismäärät,

⁵⁹ Systemaattinen kirjallisuuskatsaus s. 19

fyysisen aktiivisuuden tasoa yleisesti arvioivat kysymykset tai fyysinen kunto. Vaikutukseltaan heikompia interventioita ei usein julkaista, mikä osaltaan johtaa julkaisu-harhaan, mutta julkaistujen tulosten perusteella voidaan vetää yhteen niissä vaikuttaviksi havaittuja toimia.⁶⁰

Elintapaohjauksen riittävää määrää tai kestoja tai yksittäisten ohjauksen kestoa ei voida läpikäydyn kirjallisuuden perusteella yksiselitteisesti määrittää. Ohjauksen määrää vaihteli tarkastelluissa tutkimuksissa 1–32 kerran välillä, minkä lisäksi tutkimuksen tarjoamaa omatoimista liikumisharjoittelua saattoi olla koko tutkimusajan.⁶¹

Pienet osallistujamäärät voivat vaikuttaa tutkimusten luotettavuuteen ja yleistettävyyteen. Lisäksi tutkimukset, joissa osallistujat raportoivat itse ruokailuun, painoan tai liikkumismääriään, tulee suhtautua kriittisesti näiden mitattujen tulosten osalta. Vaikuttavien tutkimusten interventioista osa oli luotu itse tutkimusta varten, ja niiden taustalla oli vaikuttaviksi todettuja menetelmiä, mutta ne eivät silti olleet identtisiä kyseisten menetelmien kanssa.

6. ELINTAPAOHJAUKSEN JA OMAHOIDON TUEN MENETELMIEN HOITOSUOSITUKSET JA SELVITYKSET

6.1 KOTIMAISET HOITOSUOSITUKSET JA SELVITYKSET

Käypä hoito -suositus Liikunta⁶² on julkaistu vuonna 2016. Sen mukaan terveydenhuollon ammattilaisten tehtävä on kysyä liikuntatottumuksista ja liikkumisesta, kirjata tiedot ja kannustaa liikkumaan. Terveydenhuollon ja liikunnan ammattilaiset antavat yhteistyössä yksilölliset liikuntaohjeet ja seuraavat liikuntaohjelmien toteutumista. Säännöllisen liikunnan tulee kuulua pitkäaikaissairauksien, kuten valtimotautien, lihavuuden, diabeteksen, rappeuttavien tuki- ja liikuntaelinsairauksien, ahtauttavien keuhkosairauksien, muistisairauksien, masennuksen ja useiden syöpäsairauksien, ehkäisyyn, hoitoon ja kuntoutukseen, tarvittaessa yhdistettynä muihin elintapamuutoksiin ja hoitoihin. Ryhmässä tai yksilöllisesti toteutetun liikuntahoidon vaikuttavuudessa ei yleensä ole eroa silloin, kun yksilölliset rajoitteet on huomioitu. Kotiharjoittelun vaikuttavuus näyttäisi olevan vähäisempi kuin valvotun harjoittelun, koska sen toteutuminen on epävarmempaa kuin valvotun harjoittelun. Liikuntaohjelma toteutetaan yksilöllisesti – ohjattuna tai omatoimisena – tai ohjattuna ryhmäliikuntana.

Käypä hoito -suositus Lihavuus⁶³ (lapset, nuoret ja aikuiset) on julkaistu maaliskuussa 2020. Sen mukaan lihavuuden hoito on nykyisellään riittämätöntä. Terveydenhuollossa lihavuutta tulee ehkäistä ja hoitaa erityisesti potilailla, joilla on lihavuuden lisäksi liitännäissairauksia (muun muassa tyypin 2 diabetes) tai niiden vaaratekijöitä, jotka ovat vaikeasti lihavia (BMI ≥ 35 kg/m²), tai jotka suunnittelevat raskautta, ovat raskaana, tai joilla on vaikeuksia tulla raskaaksi.

Lihavuuden hoidon tulee olla kiinteä osa terveydenhuollon toimintaa, joka edellyttää alueellisten moniammatillisten hoito-ohjelmien ja hoitoketjujen luomista, henkilökunnan jatkuvaa kouluttamista sekä laihdutus- ja painonhallintaryhmien järjestämistä.

⁶⁰ ”_”

⁶¹ ”_”

⁶² Liikunta Käypä hoito -suositus

⁶³ Lihavuus Käypä hoito -suositus

Pääosa lihavuuden hoidosta toteutetaan perusterveydenhuollossa. Hoito on potilaslähtöistä. Potilas itse ja lasten ja nuorten osalta lisäksi hänen perheensä osallistetaan hoidon suunnitteluun ja kannustetaan omahoitoon.

Hoitomenetelmän valintaan vaikuttavat potilaan omat toiveet, elämäntilanne, voimavarat, lihavuuden määrä sekä samanaikaiset sairaudet. Hoitomenetelmä valitaan aina yhdessä potilaan kanssa keskustelemalla. Käypä Hoito -suosituksissa ehdotettavat hoitomenetelmät ovat omatoimiseen lihavuuden hoitoon motivointi eli mini-interventio tai useita ohjaukskertoja sisältävä tavoitteellinen elintapaohje. Suunnitelmallinen, usealla tapaamiskerralla toteutettava elintapaohje, jossa huomioidaan ruokailutottumukset, liikunta, uni, päihteet, psyykinen hyvinvointi ja voimavarat sekä käsitellään syömiseen ja painonhallintaan liittyviä ajatuksia, tunteita, asenteita ja käyttäytymistä, on lihavuuden ensisijainen hoitomuoto. Elintapaohje voidaan toteuttaa yksilö- tai ryhmäohjauksena ja siinä voidaan hyödyntää internet-pohjaista etäohjaustekniikkaa. Yksilö- ja ryhmäohje saattavat olla yhtä tehokkaita (C-tason näyttö⁶⁴). Internetpohjaiset lihavuuden hoito-ohjelmat ilmeisesti tukevat laihtumista ja painonhallintaa (B-tason näyttö). Psykologiset ja käyttäytymisteorioihin perustuvat interventiot tehostavat lihavuuden hoitoa ja parantavat hoitoon sitoutumista (A-tason näyttö). Ohjauksessa hyödynnettäviä psykologisia lähestymistapoja ovat muun muassa motivoiva haastattelu, ratkaisukeskeinen työskentelytapa sekä kognitiivis-behavioraaliset menetelmät. Niiden tarkoituksena on edistää potilaan valmiuksia omahoitoon ja vastuun ottamista omasta hyvinvoinnista. Aikuisilla elintapaohjausta tukevia menetelmiä voivat olla erittäin niukka energinen dieetti (ENED), jolla voidaan tehostaa laihtumista ja vähentää lihavuuteen liittyviä liitännäissairauksia (A-tason näyttö). Sairaalloista lihavuutta voidaan hoitaa kirurgisesti, jos asianmukainen ei-kirurginen hoito ei tuota pysyvää laihtumistulosta.

Suosituksessa mini-interventioon sisältyvät:

- lihavuuden ja elintapojen puheeksi ottaminen potilaslähtöisesti
- lihavuuden arvioiminen (paino, pituus, BMI, vyötärön ympäryys, lihavuuden liitännäissairaudet ja näiden tietojen kirjaaminen potilastietojärjestelmään)
- keskustelu lihavuudesta, siihen vaikuttavista tekijöistä sekä sen vaikutuksesta potilaan hyvinvointiin
- konkreettinen omahoitosuunnitelma
- paikkakuntakohtaisesti tarjolla olevien painonhallinnan ja laihtumisen keinojen esittely painonhallinnan ja laihtumisen tueksi ja toteuttamiseksi (huomioidaan myös kansanterveysjärjestöjen, kolmannen sektorin ja muiden toimijoiden tarjoamat palvelut)
- kirjallinen ja sähköinen materiaali elintapamuutosten ja painonhallinnan tueksi

Lisäksi ravitsemusta ja liikumista käsitellään muutamassa muussa Käypä Hoito-suosituksessa, esimerkiksi raskausdiabeteksen (2013) sekä dyslipidemioiden (2017) Käypä Hoito-suosituksissa.

Yhtenäiset kiireettömän hoidon perusteet⁶⁵(2019) ovat suosituksia, jotka erityisesti tukevat oikeaa hoidon porrastusta. Lääkärit käyttävät suosituksia päättyessään potilaan hoidosta huomioiden myös potilaan yksilöllisen elämäntilanteen ja hoidon

⁶⁴ Näytönastekatsauksessa tutkimusten näytön vahvuuden ilmaisemiseen on käytetty seuraavia symboleja: A:vahva näyttö, B:kohtalainen näyttö, C:heikko näyttö, D:hyvin heikko näyttö ja NA näytön vahvuutta ei arvioitu tai se on epäselvä.

⁶⁵ STM 2019

tarpeen. Suosituksissa ei oteta kantaa hoidossa tai kuntoutuksessa käytettäviin menetelmiin, kuten terapioihin.

Ravitsemussuosituksilla⁶⁶ pyritään parantamaan väestön terveyttä ravitsemuksen avulla. Suositukset on tarkoitettu erityisesti ruokapalveluiden, terveydenhuollon ja elintarviketeollisuuden ammattilaisten sekä eri viranomaisten käyttöön toiminnan ohjaamiseksi. Terveyttä edistävä ruokavalio on kokonaisuus. Monipuolinen ja vaihteleva ruoka-aineiden valinta mahdollistaa terveyttä edistävien aterioiden ja välipalojen koostamisen. Valtion ravitsemusneuvottelukunta on antanut eri kohderyhmille, kuten aikuisille (2014), lapsiperheille (2019) ja ikääntyneille (2020) ravitsemussuosituksia.

UKK-instituutin liikkumisen suositus⁶⁷ (2019) kertoo viikoittaisen terveyden kannalta riittävän liikkumisen määrän ja antaa esimerkkejä liikkumisen muodoista 18-64-vuotiaille. UKK-instituutti on laatinut lisäksi eri ikäisille ja eri kohderyhmille liikkumisen suosituksia. UKK-instituutti on kehittänyt myös Liikkumisreseptin, joka on tarkoitettu liikuntaneuvonnan työkaluksi terveydenhuollon vastaanotolle. Se sisältää liikuntaneuvonnan ydinkohdat, jotka täytetään jokaisen potilaan kohdalla. Reseptiin täytettävät kohdat ovat: potilaan liikkumistottumukset ja riittävyys terveyden kannalta, liikkumisen tavoitteet, liikkumisohjeet, lisäohjeet ja liikkumisen toteutumisen seuranta. UKK-instituutti tuottaa lisäksi asiakasmateriaalia, jota voidaan käyttää liikuntaneuvonnassa.

Painopiste preventioon -konsensuslausumassa⁶⁸ esitetään suosituksia, jotka painottuvat sosiaali- ja terveydenhuollon eri tasojen toimintaan, ja todetaan myös, että suuremmat mahdollisuudet edistää terveyttä ja hyvinvointia ovat muilla yhteiskunnan ja yhteisöjen toimialoilla. Laaja-alaisella, poikkihallinnollisella yhteistyöllä on parhaat mahdollisuudet onnistua suuren sosiaali- ja terveydenhuollon uudistuksen yhteydessä ja sen jälkeen. Lausuman suosituksista osa sivuaa läheisesti tätä suositusta:

- Seurataan ja arvioidaan ehkäisevän työn laatua ja vaikuttavuutta. Määritellään yhtenäiset, valtakunnalliset laatuksiteerit ja mittarit sekä seurantajärjestelmät. Kehitetään yhdenmukaisia kirjaamiskäytäntöjä ja hyödynnetään rakenteista kirjaamista.
- Edistetään sosiaali- ja terveydenhuollossa hyvinvointi- ja terveystieteiden kattavaa tunnistamista, varhaista ehkäisyä ja tukea sekä palveluihin ohjaamista. Kohdistetaan ja kohdennetaan palveluita erityisryhmille.
- Otetaan sosiaali- ja terveydenhuollossa liikunta ja terveellinen ravitsemus vahvemmin osaksi keinovalikoimaa terveyden ja hyvinvoinnin edistämiseksi, sairauksien ehkäisyssä ja hoidossa sekä kuntoutuksessa
- Kiinnitetään huomiota sekundaariprevention käyttämättömiin mahdollisuuksiin.

6.2 ULKOMAISET HOITOSUOSITUKSET JA SELVITYKSET

Ruotsissa Socialstyrelsen on julkaissut vuonna 2015 hoitolinjauksen (**Riktlinjer**)⁶⁹ ennaltaehkäisyyn ja epäterveellisten elintapojen muuttamiseksi. Hoitolinjauksen mukaan useimmat suositellut toimenpiteet sisältävät menetelmänä motivoivan keskustelun (rådgivande samtal), jonka tarkoituksena on tukea epäterveellisen elämäntavan muutosta. Lääkkeillä ja toiminnan määrää mittaavilla laitteilla täydennetään motivoivaa keskustelua.

⁶⁶ Suomalaiset ravitsemussuosituksien 2014

⁶⁷ UKK-instituutti 2020

⁶⁸ Duodecim & Suomen Akatemia 2017

⁶⁹ Socialstyrelsen 2019

Hoitolinjaukseen sisältyy myös muun tyyppistä toimintaa, kuten verkkopohjaisia ohjelmia ja perhetuki-ohjelmia. Eri toimenpiteiden tarkoituksena on tukea elintapojen muutoksia ja siten parantaa terveyttä ja vähentää sairauksien riskiä.

Toimenpiteiden seuranta on tärkeää, jotta voidaan tarjota lisää motivointitukea, antaa palautetta ja arvioida tarvittaessa hoidon vaikutuksia. Seuranta nähdään luonnollisena osana kaikkia toimia ja se mukautetaan yksilön tarpeisiin.

Motivoivaa keskustelua voidaan käyttää yleisemmällä tai syvemmällä tasolla: neuvoo-antavana keskusteluna tai syvällisenä hoitokeskusteluna. Jako kahteen tasoon perustuu toimenpiteiden rakenteeseen, sisältöön ja laajuuteen, siten kuin menetelmiä teollisessa kirjallisuudessa kuvataan. Motivoiva keskustelu pohjautuu potilaan kanssa käytävään vuoropuheluun. Syvälliset hoitokeskustelut ovat usein sekä laajempia että pidempiä kuin neuvoo-antavat keskustelut. Lisäksi oletetaan, että henkilöstö on koulutettu menetelmän käyttöön ja, että hänellä on siihen kunnollinen pätevyys.

7. INTERVENTIOIDEN KUSTANNUKSET JA BUDJETTIVAIKUTUKSET

Elintapaohjauksen kustannusvaikuttavuudesta on saatavilla verraten vähän tietoa, mutta systemaattiseen kirjallisuuskatsaukseen löydetty tutkimukset osoittivat elintapaohjauksen olevan kustannusvaikuttavaa. Elintapamuutosten vaikutus ja siten kustannusvaikutus leviävät todennäköisesti myös yksilöä laajemmalle, koska elintapamuutokset vaikuttavat yleensä myös yksilön ympäristöön, kuten perheeseen tai muuhun lähipiiriin. Näitä tekijöitä on tutkimuksissa kuitenkin vaikea huomioida. Elintapaohjaus on kustannusvaikuttavaa etenkin, jos sitä vertaa elintapasairauksien (esim. sydän- ja verisuonisairauksien) hoitoon niiden ilmaantumisvaiheessa.⁷⁰

Tyypin 2 diabetes, joka on yksi merkittävimmistä kansantaudeista yleistyy Suomessa nopeasti ja sen keskeisimpiä syitä ovat erityisesti epäterveellinen ravitsemus ja liikuttamattomuus. Taudin ilmaantumista voidaan kuitenkin siirtää tai jopa ehkäistä kokonaan kohonneessa tyypin 2 diabetes riskissä olevilla henkilöillä elintapainterventioiden avulla. Elintapainterventioiden avulla voitaisiin tuottaa 73 000 – 146 000 laatu-painotettua lisäelinvuotta, kun tyypin 2 diabetekseen ja siihen liittyvien liittännäissairauksien ilmaantuvuutta saataisiin väestötasolla vähennettyä. Tulosten perusteella elintapainterventioihin sijoitetut kustannukset on mahdollista saada takaisin 3-12 vuodessa, riippuen intervention kustannuksesta, vaikuttavuudesta ja tyypin 2 diabeteksen lähtötilanteen riskistä.⁷¹

8. EETTINEN TARKASTELU

Eettisen tarkastelun keskiössä ovat ihmisarvon, itsemääräämisoikeuden, tarve-oikeuden mukaisuuden, ja hoidon toteuttamisen arvioiminen.

8.1 IHMISARVO

⁷⁰ WHO 2016

⁷¹ Martikainen, Heiskanen & Jalkanen 2020

Ihmisarvon ja ihmisen kunnioittaminen ovat sosiaali- ja terveydenhuollon toiminnan perusta. Terveydenhuollon ammattihenkilöiden on mietittävä omalta osaltaan, miten yksilön vastuu omista elämänvalinnoistaan näkyy potilaan ohjauksessa siten, että potilaan ihmisarvoa ja itsemääräämisoikeutta kunnioitetaan. Potilasta tulee kunnioittaa yksilönä, joka mahdollisesti ei voi kaikissa tilanteissa ottaa vastuuta tai tehdä päätöksiä omasta terveydestään ja hyvinvoinnistaan. Potilaan ihmisarvoa voi ylläpitää tarjoamalla riittävää hoitoa sekä olemalla herkkä sille, mitä potilas haluaa sanoa.^{72 73} Aito vuorovaikutus alkaa kuuntelemisesta ja eläytymisestä toisen asemaan. Kysymys on myötäelämisen taidosta. Luottamus saavutetaan osaamisen kautta osoittamalla aitoa kiinnostusta potilaaseen ja toimimalla avoimesti.⁷⁴

8.2 ITSEMÄÄRÄÄMISOIKEUS

Potilaan asemasta ja oikeuksista annetun lain (785/1992) mukaan potilaalla on oikeus laadultaan hyvään terveyden- ja sairaanhoitoon. Hänen hoitonsa on järjestettävä ja häntä on kohdeltava siten, ettei hänen ihmisarvoaan loukata sekä, että hänen vakaumustaan ja yksityisyyttään kunnioitetaan. Laki turvaa potilaan itsemääräämisoikeuden hoitopäätöksiä tehtäessä. Potilasta on hoidettava yhteisymmärryksessä hänen kanssaan. Potilaalla on oikeus kieltäytyä tietystä hoidosta, hoitotoimenpiteestä tai tutkimuksesta, ja tällöin häntä on hoidettava yhteisymmärryksessä muulla lääketieteellisesti hyväksyttävällä tavalla.

Jos potilas ei ole kyennyt yrityksistä huolimatta muuttamaan epäterveellisiä ravitsemustottumuksiaan tai lisäämään liikkumistaan, häntä tulee auttaa siinä. Potilaalla on kuitenkin viimekädessä vastuu omista elintavoistaan. Potilaalla on oikeus saada vaikeuttavaa elintapaohjausta ja omahoidontukea elintapamuutokseensa, mutta hänen tulee myös omalta osaltaan sitoutua hoitoon.

8.3 TARVE-OIKEUDENMUKAISUUS

Eettiseltä kannalta tarve-oikeudenmukaisuuden osalta on merkityksellistä, jos voidaan vähentää riskiä sairastua vakaviin sairauksiin. Panostamalla vaikuttaviin elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmiin voi terveydenhuoltojärjestelmä välttää kustannuksia, joita syntyisi sairauksien hoidosta. Toisaalta myös inhimillisen kärsimyksen määrää voidaan vähentää, jos onnistutaan välttämään vakavasti sairastuminen. Yhteiskunnan terveydenhuollon resurssien oikeudenmukainen jakaminen tässä yhteydessä on sitä, että resursseja kohdennetaan myös ennaltaehkäisevästi sairastumisen riskin pienentämiseksi niille, joiden on todettu olevan riskiryhmässä. Terveydenhuoltolain (1326/2010) mukaan terveyden ja hyvinvoinnin edistämistä sekä sairauksien ehkäisyä tukevaa elintapaohjausta tulee tarjota kaikissa terveydenhuollon palveluissa.

8.4 HOIDON TOTEUTTAMINEN

Yksilöllä itsellään on vastuu omista elintavoistaan, mutta on kohtuutonta jättää ihmisen yksin riskiä aiheuttavan ravitsemustottumuksen tai liikkumattomuuden kanssa,

⁷² Etene 2011

⁷³ Sairaanhoidtajaliitto 2014

⁷⁴ Lääkäriin etiikka 2013

jos hän ei niiden muuttamisessa halustaan huolimatta ole aiemmin onnistunut. Terveysthuollon ammattilaisella taas on vastuu ottaa elintavat puheeksi potilaan kanssa, tarjota elintapaohjausta ja vastuu herättää potilaan motivaatio.

Ravitsemukseen ja liikkumiseen liittyvään elintapaohjaukseen voi liittyä osalla ammattilaisia turhautumista ja muita kielteisiä tunteita. Taustalla voi olla muun muassa se, että lihavuus nähdään itseaiheutettuna, millä voi olla vaikutusta potilaan kohteluun sekä siihen saako hän elintapaohjausta, ja millä tavalla.

Terveysthuollon työntekijän vastuulla on pitää omaa ammattitaitoa yllä. Lisäksi työnantajalla on vastuu huolehtia työntekijän osaamisesta mahdollistamalla työntekijän osallistuminen erilaisiin koulutuksiin.

9. PALVELUIDEN JÄRJESTÄMINEN

Tällä hetkellä elintapaohjausta ja omahoidon tukea antavien palveluiden järjestäminen ja kustantaminen on hajautunut monelle taholle. Järjestämisvastuuta kantavat kunnat ja kuntayhtymät. Julkisessa terveysthuollossa tuotetaan perusterveysthuollossa elintapaohjausta ja omahoidon tukea antavia palveluita omana toimintana ja niitä annetaan myös työterveysthuollossa. Neuvolat sekä koulu- ja opiskeluterveysthuolto ovat tärkeässä asemassa lasten ja nuorten ennaltaehkäisevien palvelujen tarjoamisessa ja tuen tarjoamisessa.

Kuntien tulee järjestää elintapaohjausta ja omahoidon tukea antavat palvelut sisällöltään ja laadultaan kunnassa esiintyvän tarpeen mukaisiksi. Eri menetelmien vaikuttavan toteuttamisen mahdollistaa vain se, että henkilökunnalla on vahvaa menetelmällistä osaamista.

Terveysthuoltolaki (6§) velvoittaa huomioimaan palveluita järjestettäessä potilaan oikeuden käyttää palveluita sekä suomen että ruotsin kielellä ja saamenkieltä saamen kielilain määrittämässä tilanteissa.

Sähköiset välineet ovat laajentamassa elintapaohjauksen ja omahoidon tuen tarjontamahdollisuuksia ja tasaamassa tunnistettuja alueellisia epätasaisuuksia saatavuudessa. Palvelujen digitalisoimista pidetään yhtenä mahdollisuutena lisätä saatavuutta ja alentaa kynnystä osallistua hoitoon, mutta ensin on saatava tutkimusnäyttöä digitaalisten menetelmien vaikuttavuudesta.

10.SUOSITUKSEN VALMISTELUUN JA HYVÄKSYMISEEN OSALLISTUNEET

Suositus on valmisteltu Palkon Elintapaohjauksen ja omahoidon tuen -jaostossa (ELO-jaosto) toimikaudella 24.8.2017–30.6.2020, jolloin jaoston kokoonpano oli:

Puheenjohtaja: Pekka Mäntyselkä, professori, Itä-Suomen yliopisto

Jäsenet:

- Heli Hätönen, neuvotteleva virkamies, STM (3/2019 alkaen)

- Mika Kastarinen, ylilääkäri, Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea 30.4.2018 asti, Kuopion yliopistollinen sairaala 1.5.2018 alkaen
- Päivi Koivuranta, hallintoylilääkäri, Suomen Kuntaliitto
- Risto Kuronen, asiantuntijalääkäri, Päijät-Hämeen hyvinvointikuntayhtymä
- Olli-Pekka Lappalainen, yliopistonlehtori, LT, EHL, Helsingin yliopisto
- Meri Larivaara, johtava asiantuntija ja asiantuntijalääkäri, Mieli ry
- Sari Mäkinen, ylilääkäri, Pirkanmaan sairaanhoitopiiri
- Meri Paavola, neuvotteleva virkamies, Sosiaali- ja terveysministeriö
- Taina Remes-Lyly, asiantuntijahammaslääkäri, Suomen hammaslääkäriseura Apollonia
- Katri Vehviläinen-Julkunen, professori, Itä-Suomen yliopisto

Suositus viimeisteltiin Palkon Elintapaohjauksen ja omahoidon tuen -jaostossa toimikaudella 14.8.2020–30.6.2023, jolloin jaoston kokoonpano oli:

Puheenjohtaja: Katri Vehviläinen-Julkunen, professori, Itä-Suomen yliopisto

Jäsenet:

- Päivi Koivuranta, hallintoylilääkäri, Suomen Kuntaliitto
- Risto Kuronen, asiantuntijalääkäri, Päijät-Hämeen hyvinvointikuntayhtymä
- Sari Mäkinen, ylilääkäri, Pirkanmaan sairaanhoitopiiri
- Taina Remes-Lyly, HL, Apollonia
- Olli-Pekka Lappalainen, yliopiston lehtori, Helsingin yliopisto
- Heli Hätönen, neuvotteleva virkamies, STM, Toimintakyky-yksikkö
- Juha Auvinen, kliininen opettaja, Oulun yo, Duodecim
- Teuvo Antikainen, ylilääkäri, Keski-Suomen keskussairaala

sekä palveluvalikoimaneuvoston sihteeristöä:

Sari Koskinen, erityisasiantuntija, vastuuvaimistelijä

Ilona Autti-Rämö, pääsihteeri (1.12.18 alkaen)

Anne Arvonen, erityisasiantuntija (osa-aikaisesti 1.5.-31.12.19)

Laura Sandström, korkeakouluharjoittelija (osa-aikaisesti 22.3.-22.6.20)

Reima Palonen, erityisasiantuntija

lisäksi asiantuntijoina jaoston alaisten pienryhmien työhön ovat osallistuneet:

Sirpa Sarlio, neuvotteleva virkamies, STM

Sari Kivimäki, asiantuntija, STM

Suosituksen hyväksymiseen Palveluvalikoimaneuvoston kokouksessa 25.9.2020 osallistui:

Puheenjohtaja: Sirkku Pikkujämsä

Jäsenet:

- Annakaisa livari, varapj
- Minna-Liisa Luoma
- Janne Leinonen, varapj.
- Jussi Holmalahhti
- Päivi Koivuranta
- Vesa Kiviniemi
- Marja Pöllänen
- Juha Auvinen
- Juhani Sand
- Miia Turpeinen
- Teppo Heikkilä

- Heikki Lukkarinen
- Katri Vehviläinen-Julkunen
- Juha Alanko
- Ismo Linnosmaa

11.SUOSITUKSEN VALMISTELUVAIHEET

- 7.6.2017: Palko hyväksyi nikotiinivierotus -aihe-ehdotuksen otettavaksi jatkovalmisteluun
- 16.11.2017: Palko nimitti Elintapaohjauksen ja omahoidon tuen –jaoston ja laajensi aiheen koskemaan kansantautien sekundaaripreventiota
- 14.12.2017: Jaosto kokoontui ensimmäisen kerran
- 29.3.2018: Elintapaohjauksen näytönastekatsausten katsaus valmistui
- 9.8.2018: PICO-työpaja Käypä Hoidon vetämänä
- 03-05/2019: kilpailutus systemaattinen kirjallisuuskatsauksen tekemiseksi
- 3.7.2019: sopimus THL:n kanssa systemaattisen kirjallisuuskatsauksen tekemiseksi
- 4.10.2019: Systemaattinen kirjallisuuskatsaus luovutettiin
- 31.1.2020: Palko päätti jakaa suosituskokonaisuuden neljään osaan
- 11.6.2020: Palko päätti suosituksen laittamisesta otakantaa-palveluun kommentoitavaksi
- 25.9.2020: Palko hyväksyi suosituksen

12.KOMMENTOINTIPROSESSI

Suositusluonnos oli kommentoitavana Otakantaa-palvelussa 22.6.20-25.8.2020. Siihen antoi palautetta 35 vastaajaa. Jaosto kävi kokouksessaan 7.9.20 läpi saadun palautteen ja teki sen pohjalta suositusluonnokseen sekä valmistelumuistioon joitakin muutoksia ja tarkennuksia. Saatu palaute oli pääosaltaan positiivista.

Kommentoijien tausta vaihteli seuraavasti:

Vastaajien tausta, 35 vastaajaa	Vastaajien lkm
Potilas tai asiakas taikka heidän omaisensa	0
Potilaita tai asiakkaita edustava järjestö	1
Terveyspalvelujen tuottaja	1
Lääkevalmistaja, maahantuoja tai markkinoija	0
Sosiaali- ja terveysalan hallinto	5
Sosiaali- ja terveysalan työntekijä	12
Terveystieteiden edunvalvontajärjestö	3
Terveystieteiden tieteellinen järjestö	3
Viranomais	2
Poliittinen päättäjä	0
Muu	8
Yhteensä	35

LIITTEET

1. Systemaattinen kirjallisuuskatsaus elintapainterventioiden osatekijöistä ja vaikuttavuudesta korkean riskin henkilöillä (THL 21.10.2019).

2a Analyysi julkisen terveydenhuoltojärjestelmän antamaa omahoidon tukea ja elintapaohjausta koskevista näytönastekatsauksista ja keskeisistä kotimaisista sekä kansainvälisistä suosituksista

2b ADHD

2c Ahdistuneisuushäiriöt

2d Depressio

2e Näytönastekatsaukset

2f Sydän- ja verisuonitaudit

LÄHTEET

Absetz P, Oldenburg B, Hankonen N, Valve R, Heinonen H, Nissinen A, Fogelholm M, Talja M & Uutela A. 2009. Type 2 diabetes prevention in the real world. Three-year results of the GOAL lifestyle implementation trial. *Diabetes Care* 32(8), 1418 – 1420.

Absetz P, Valve R, Oldenburg B, Heinonen H, Nissinen A, Fogelholm M, Ilvesmäki V, Talja M & Uutela A. 2007. Type 2 diabetes prevention in the real world. one-year results of the GOAL lifestyle implementation trial. *Diabetes Care* 30(10), 2465 – 2470.

Aittasalo M. 2019. Miten tuen potilasta muuttamaan liikkumistottumuksiaan? *Lääkärilehti* 46(74), 2660 – 2662.

Aittasalo M, Livson M, Lusa S, Romo A, Vähä-Ypyä H, Tokola K, Sievänen H, Mänttari A & Vasankari, T. 2017. Moving To Business – changes in physical activity and sedentary behavior after multilevel intervention in small and medium sized workplaces. *BMC Public Health*, 17, 319.

Autti-Rämö I, Salminen A-L, Rajavaara M & Ylinen A (toim.). 2016. Kuntoutu-
minen. Duodecim.

Avohilmo. 2020. Perusterveydenhuollon avohoidon SPAT-toimenpiteet. Toimenpiteet (SPAT) aluettain. THL. https://sampo.thl.fi/pivot/prod/fi/avo/perus08/summary_spat01

Bennie JA, Pedisic Z, Suni JH, Tokola K, Husu P, Biddle SJH & Vasankari T. 2017. Self-reported health-enhancing physical activity recommendation adherence among 64 830 finnish adults. *Scand J Med Sci Sports* 27(12), 1842 – 1853.

von Bonsdorff MB, Seitsamo J, Ilmarinen J, Nygård CH, von Bonsdorff ME & Rantanen T. 2011a. Work ability in midlife as a predictor of mortality and disability in later life: a 28-year prospective follow-up study. *Canadian Medical Association Journal*, 183, 235 – 242.

von Bonsdorff ME, Kokko K, Seitsamo J, von Bonsdorff MB, Nygård CH, Ilmarinen J & Rantanen T. 2011b. Work strain in midlife and 28-year work ability trajectories. *Scandinavian Journal of Work, Environment & Health*, 37, 455 – 463.

Borodulin K, Jallinoja P & Koivusalo M (toim.) 2016. Epäterveellinen ruokavalio, vähäinen liikunta ja polarisaatio – syyt kustannukset ja ohjaustoimet. Valtioneuvoston selvitys- ja tutkimustoiminta. Luettavissa https://tietokayttoon.fi/documents/10616/2009122/24_Ep%C3%A4terveellinen+ruokavalio%2C+v%C3%A4h%C3%A4inen+liikunta+ja+polarisaatio.pdf/374e8208-7f72-4538-81ca-b72fcdc7efca/24_Ep%C3%A4terveellinen+ruokavalio%2C+v%C3%A4h%C3%A4inen+liikunta+ja+polarisaatio.pdf?version=1.0.

Borodulin K & Wennman H. 2019. Aikuisväestön liikunta Suomessa – FinTerveys 2017 – tutkimus. Tilastoraportti 48/2019. Luettavissa <https://www.jul->

[kari.fi/bitstream/handle/10024/138989/Tilastoraportti_Ai-kuisv%C3%A4est%C3%B6n%20liikunta%20Suomessa%20-FinTerveys%202017%20tutkimus_BANNERILLA.pdf?sequence=1&isAllowed=y](https://www.julkari.fi/bitstream/handle/10024/138989/Tilastoraportti_Ai-kuisv%C3%A4est%C3%B6n%20liikunta%20Suomessa%20-FinTerveys%202017%20tutkimus_BANNERILLA.pdf?sequence=1&isAllowed=y)

Castaneda A, Rask S, Koponen P, Mölsä M & Koskinen S (toim.). 2012. Maahanmuuttajien terveys ja hyvinvointi. Tutkimus venäläis-, somalialais- ja kurditaustaisista Suomessa. Terveysten ja hyvinvoinninlaitoksen raportti 61/2012. Tampere: Juvenes Print. Luettavissa https://www.julkari.fi/bitstream/handle/10024/90907/THL_RAP2012_061_verkko.pdf?sequence=1&isAllowed=y.

Depressio. Käypä hoito –suositus. 2020. Suomalaisen Lääkäriseuran Duodecimin ja Suomen Psykiatriyhdistys ry:n asettama työryhmä. Helsinki: Suomalainen Lääkäri-seura Duodecim. Luettavissa <https://www.kaypahoito.fi/hoi50023#readmore>.

Duodecim & Suomen Akatemia. 2017. Painopiste preventioon. Konsensuslausuma tarttumattomien sairauksien ehkäisystä. Luettavissa <https://www.duodecim.fi/wp-content/uploads/sites/9/2017/04/Konsensuslausuma-2017.pdf>.

Duodecim, Terveysportti. 2020. Sanakirjat. Primaarinen ehkäisy. Luettavissa <https://www.terveysportti.fi/sovellukset/sanakirjat/#/q/primaarinen%20ehk%C3%A4isy>

ETENE. 2011. Sosiaali- ja terveystalouden eettinen perusta. ETENE -julkaisuja 32. STM 2011.

Husu P, Sievänen H, Tokola K, Suni J, Vähä-Ypyä H, Mänttari A & Vasankari T (toim.). 2018. Suomalaisten objektiivisesti mitattu fyysinen aktiivisuus, paikallaanolo ja fyysinen kunto. Opetus- ja kulttuuriministeriön julkaisuja 30/2018. Luettavissa http://julkaisut.valtioneuvosto.fi/bitstream/handle/10024/161012/OKM_30_2018.pdf.

Kivelä K. 2019. Terveysvalmennuksen vaikuttavuus paljon terveystaloudellisesti käyttäville asiakkaille perusterveydenhuollossa. Akateeminen väitöskirja, Oulun yliopisto. Tampere: Juvenes. Luettavissa <http://jultika.oulu.fi/files/isbn9789526224589.pdf>.

Komulainen J & Sipilä R. 2018. Omahoidontuki ja elintapaohjaus; käypä hoito –suositusten näytönastekatsaukset ja katsaus keskeisiin kansainvälisiin hoitosuosituksiin.

Koponen P, Borodulin K, Lundqvist A, Sääksjärvi K & Koskinen S (toim.). 2018. FinTerveys-tutkimus 2017. Terveys, toimintakyky ja hyvinvointi Suomessa. Raportti 4/2018. THL. Luettavissa https://www.julkari.fi/bitstream/handle/10024/136223/Rap_4_2018_FinTerveys_verkko.pdf?sequence=1&isAllowed=y.

Kulmala J, Hinrichs T, von Bonsdorff MB, Törmäkangas T, von Bonsdorff ME, Seitsamo J, Nygård CH, Ilmarinen J & Rantanen T. 2014. Work-related stress in midlife is associated with higher number of mobility limitation in old age - Results from the FLAME Study. AGE, 36, 9722.

Kyttälä P, Erkkola M, Ovaskainen M-L, Lehtinen-Jacks S, Uusitalo L, Kronberg-Kippilä C, Lindfors P, Tapanainen H, Lahti-Koski M, Koivumäki T, Hakulinen-

Viitanen T & Virtanen S. 2014. Perhelähtöinen ravintointerventio lastenneuvoloissa. Elintapainterventio Napereilla (ETANA) –esitutkimus. THL raportti 2/2014.

Lagström H, Jokinen E, Seppänen R, Rönnemaa T, Viikari J, Välimäki I, Venetoklis J, Myyrinmaa A, Niinikoski H, Lapinleimu H & Simell O. 1997 Nutrient intakes by young children in a prospective randomized trial of low-saturated-fat, low-cholesterol diet. The STRIP baby-project. Archives of Pediatrics and Adolescent Medicine 151(2), 181 – 188.

Lancet. 2017. General burden of disease. Luettavissa <https://www.thelancet.com/lancet/visualisations/gbd-compare>.

Lihavuus (lapset, nuoret ja aikuiset). Käypä hoito -suositus. Suomalaisen Lääkäriseuran Duodecimin, Suomen Lihavuustutkijat ry:n ja Suomen Lastenlääkäriyhdistys ry:n asettama työryhmä. Helsinki: Suomalainen Lääkäriseura Duodecim, 2020. Luettavissa <https://www.kaypahoito.fi/hoi50124#K1>.

Liikunta. Käypä hoito –suositus. Suomalaisen Lääkäriseuran Duodecimin ja Suomen Kardiologisen Seuran asettama työryhmä. Helsinki: Suomalainen Lääkäriseura Duodecim, 2016. Luettavissa <https://www.kaypahoito.fi/hoi50075>.

Lundqvist A & Jääskeläinen S. 2019. Lasten ja nuorten ylipaino ja lihavuus 2018. Tilastoraportti 9/2019. FinLapset. THL.

Lääkärin etiikka. 2013. 7. painos. Suomen Lääkäriliitto 2013.

Martikainen J, Heiskanen J & Jalkanen K. 2020. Kansallisen säästöpotentiaalın mallintaminen tyyppin 2 diabeteksen ehkäisyssä Suomessa. Lääketalouden ja vaikuttavuuden tutkimusyksikkö. Kuopio, Itä-Suomen yliopisto. Luettavissa https://www.uef.fi/documents/1529015/1538329/T2D_Raportti/b94f9d09-d636-44a0-a847-18a65f21388a.

Neuvokas Perhe tietokansio. 2014. Henkilökohtainen tiedonanto Terhi Koivumäki 28.5.2020.

OECD/European Observatory on Health Systems and Policies. 2019. Suomi: Maan terveysprofiili 2019, State of Health in the EU. OECD Publishing, Paris/European Observaotry on Health Systems and Policies, Brussels. Luettavissa <https://www.oecd-ilibrary.org/docserver/342765e3-fi.pdf?expires=1589195389&id=id&accname=oid048242&checksum=D9AF370F53CB5594F899ECEE70EFC331>

Pihlajamäki J, Männikkö R, Tilles-Tirkkonen T, Karhunen L, Kolehmainen M, Schwab U, Lintu N, Paananen J, Järvenpää R, Harjumaa M, Martikainen J, Kohl J, Poutanen K, Ermes M, Absetz P, Lindström J & Lakka T. 2019. Digitally supported program for type 2 diabetes risk identification and risk reduction in real-world setting: protocol for the StopDia model and randomized controlled trial. BMC Public Health 255(19), 1 – 13.

Rinne M. & Husu P. 2018. Työpaikkavalmentajat työhyvinvoinnin edistäjinä. Iällä ei ole väliä. ESR hankkeen loppuraportti (9/2018).

Routasalo P & Pitkälä K (toim.). 2009. Omahoidon tukeminen. Opas terveydenhuollon ammattihenkilöille. Forssa: Duodecim. Luettavissa <https://nuorisolaakarit-yhdis->

tysavain-fi-bin.di-recto.fi/@Bin/71b6f4d9b156dce67292d2bbef186c68/1589187838/application/pdf/193899/omahoidon_tukem_opas_12_09.pdf.

Räsänen M, Niinikoski H, Keskinen S, Heino T, Simell O, Rönnemaa T & Viikari J. 2004. Impact of nutrition counselling on nutrition knowledge and nutrient intake of 7- to 9-y-old children in an atherosclerosis prevention project. *European Journal of Clinical Nutrition* 58(1), 162 - 172.

Sairaanhoitajaliitto. 2014. Sairaanhoitajien eettiset ohjeet. Luettavissa <https://sairaanhoitajat.fi/jasenpalvelut/ammattillinen-kehittyminen/sairaanhoitajan-eettiset-ohjeet/>.

Seppänen R, Räsänen L. 2001. Suomalaisen lapsen ravitsemus ja siihen kohdistuvan intervention vaikutusmahdollisuudet. *Duodecim* 117(13), 1363-1368.

Socialstyrelsen. 2019. Nationella riktlinjer för vård och stöd vid missbruk och beroende. Stöd för styrning och ledning. Luettavissa <https://www.socialstyrelsen.se/globalassets/sharepoint-dokument/artikelkatalog/nationella-riktlinjer/2019-1-16.pdf>.

STM. 2008. Valtioneuvoston periaatepäätös. Terveyttä edistävänä liikunnan ja ravinnon kehittämislinoista. Sosiaali- ja terveysministeriön esitteitä 2008:10. Luettavissa <http://julkaisut.valtioneuvosto.fi/bitstream/handle/10024/71002/Es200810fin.pdf?sequence=1&isAllowed=y>.

STM. 2019. Yhtenäiset kiireettömän hoidon perusteet 2019. Sosiaali- ja terveysministeriön julkaisuja 2019:2. Luettavissa http://julkaisut.valtioneuvosto.fi/bitstream/handle/10024/161496/STM_J02_Yhtenais%20kiireettoman%20hoidon%20perusteet.pdf?sequence=4&isAllowed=y.

Suhonen K, Aittola K, Nuutinen O & Viitasalo L. 2020. Hyvät ravitsemuskäytännöt – Ravitsemusterapeutit ja ravitsemusasiantuntijat osana terveyden edistämistä ja ravitsemushoitoa. Ravitsemusterapeuttien yhdistys ry.

Suomalaiset ravitsemussuositukset 2014. Fogelholm M, Hakala P, Kara R, Kiuru S, Kurppa S, Kuusipalo H, Laitinen J, Marniemi A, Misikangas M, Roos E, Sarlio-Lähteenkorva S, Schwab U & Virtanen S. 2014. Terveyttä ruoasta. Valtion ravitsemusneuvottelukunta. Luettavissa https://www.ruokavirasto.fi/globalassets/teemat/terveytta-edistava-ruokavalio/kuluttaja-ja-ammattilaismateriaali/julkaisut/ravitsemussuositukset_2014_fi_web_versio_5.pdf

Suomi J, Haario P, Asikainen A, Holma M, Raschen A, Tuomisto J, Joutsen S, Luukkanen J, Huttunen L-M, Pasonen P, Ranta J, Rimhanen-Finne R, Hänninen O, Lindroos M & Tuominen P. 2019. Ruokajärjestelmän kansanterveydellisten vaikutusten kustannukset ja riskinarviointi. Valtioneuvoston selvitys- ja tutkimustoiminnan julkaisusarja 2019: 63. Luettavissa https://julkaisut.valtioneuvosto.fi/bitstream/handle/10024/161912/VNTEAS_2019_63.pdf?sequence=1&isAllowed=y

TEA (Terveydenedistämisaktiivisuus) perusterveydenhuollossa. 2018. Tiedonkeruun perustaulukot. Luettavissa https://teaviisari.fi/teaviisari/content/file/187/Perusterveydenhuollon_perustaulukot_2018.

Teeriniemi A-M, Salonurmi T, Jokelainen T, Vähänikkilä H, Alahäivälä T, Karppinen P, Enwald H, Huotari M-L, Laitinen J, Oinas-Kukkonen H & Savolainen M. 2018. A randomized clinical trial of the effectiveness of a web-based health behaviour change support system and group lifestyle counselling on body weight loss in overweight and obese subjects: 2-year outcomes. *Journal of Internal Medicine* 284(5), 534 – 545.

THL. 2020. Lihavuuden kustannukset. Luettu 14.11.2019. <https://thl.fi/fi/tutkimus-ja-kehittaminen/tutkimukset-ja-hankkeet/kansallinen-lihavuusohjelma-20122015/lihavuus-lukuina/lihavuus-tulee-kalliiksi>.

Tuunanen K. 2020. Liikkuva aikuinen. Työikäisten liikuntaneuvonnan tila 2019. Liikkuva aikuinen –ohjelma. Luettavissa https://www.kkiohjelma.fi/filebank/3179-Työikäisten_liikuntaneuvonnan_tila_2019_selvitys.pdf.

UKK-instituutti. 2020. Liikkumisen suositukset. Luettavissa <https://www.ukkinstituutti.fi/liikkumisensuositus>.

Valsta L, Kaartinen N, Tapanainen H, Männistö S & Sääksjärvi K (toim.). Ravitsemus Suomessa - FinRavinto 2017 –tutkimus. 2018. THL Raportti 12/2018.

Vasankari T & Kolu P (toim.). 2018. Liikkumattomuuden lasku kasvaa – vähäisen fyysisen aktiivisuuden ja heikon fyysisen kunnan yhteiskunnalliset kustannukset. Valtioneuvoston selvitys- ja tutkimustoiminnan julkaisusarja 31/2018. Luettavissa <https://julkaisut.valtioneuvosto.fi/bitstream/handle/10024/160724/31-2018-Liikkumattomuuden%20lasku%20kasvaa.pdf?sequence=1&isAllowed=y>

Vuorela N, Saha MT, Salo MK. 2011. Change in prevalence of overweight and obesity in Finnish children - comparison between 1974 and 2001. *Acta Paediatr* 100, 109 – 115.

WHO. 2016. Integrating diet, physical activity and weight management services into primary care. World Health Organization. Copenhagen. Luettavissa http://www.euro.who.int/_data/assets/pdf_file/0016/324304/Integrating-diet-physical-activity-weight-management-services-primary-care.pdf?ua=1.

25.9.2020

TIIVISTELMÄ PALKON SUOSITUKSESTA ELINTAPAMUUTOSTA TUKEVAT TEKIJÄT ELINTAPOHJAUKSEN JA OMAHOIDON TUEN MENETELMISSÄ EPÄTERVEELLISEN RAVITSEMUKSEN JA VÄHÄISEN LIKKUMISEN AIHEUTTAMAN SAIRASTUMISRISKIN PIENENTÄMISEKSI

Suositus on hyväksytty Palveluvalikoimaneuvoston kokouksessa 25.9.2020

Suositus koskee potilaita, joiden ravitsemukseen ja liikkumiseen liittyvät elintavat, ovat jo johtaneet korkeaan kansantauteihin sairastumisen riskiin ja, jotka eivät ilman ulkopuolista tukea tai puuttumista ole pystyneet muuttamaan elintapojaan terveyttä tukeviksi. Suositus on kohdennettu terveydenhuollon järjestämistä vastuussa oleville tahoille ja palvelujen tuottajille potilaiden elintapamuutokseen vaikuttamisen tueksi.

Epäterveellinen ravitsemus ja vähäinen liikkuminen lisäävät riskiä sairastua vakaviin kansantauteihin kuten sydän- ja verisuonisairauksiin, tyyppin 2 diabetekseen, tuki- ja liikuntaelinsairauksiin, muistisairauksiin, masennukseen ja tiettyihin syöpämuotoihin. Epäterveelliseen ravitsemukseen ja vähäiseen liikkumiseen liittyvät ongelmat heikentävät yksilön elämänlaatua ja työkykyä, niillä on suuri vaikutus kansantalouteen ja niiden hoito kuormittaa huomattavasti terveydenhuollon palveluja.

Suositusvalmistelun tavoitteena oli tunnistaa ne tekijät, joilla tuetaan potilaan motivoitumista ja sitoutumista elintapamuutoksen tekemiseen. Suosituksen mukaan ”Ravitsemukseen ja liikkumiseen liittyvän myönteisen elintapamuutoksen tukemisessa vaikuttavaksi todetut menetelmät kuuluvat terveydenhuollon palveluvalikoimaan”. Tieteellisen tutkimusnäytön perusteella todetaan, että **vaikuttavat ravitsemusohjauksen tai liikkumisneuvonnan menetelmät sisältävät seuraavat kuusi osatekijää: lähtötilanteen kartoitus, tiedonvaihto, tavoitteenasettelu, suunnitelman tekeminen, seuranta ja palautteen antaminen.**

Suosituksessa todetaan esimerkinomaisesti joitakin Suomessa tutkittuja menetelmiä, jotka sisältävät edellä mainitut osatekijät ja, joiden vaikuttavuudesta on saatu tutkimusnäyttöä. Keskeistä on, se, että palveluvalikoimaan kuuluvien menetelmien tulee sisältää kaikki nämä osatekijät.

Sen lisäksi, että menetelmä sisältää edellä mainitut osatekijät, on huolehdittava:

- **että yhteistyökäytännöistä eri toimijoiden välillä on sovittu:**

Koko hoitoketju perusterveydenhuollosta erikoissairaanhoidon tarjoaja, sovitun työnjaon mukaisesti, elintapaohjausta ja omahoidon tukea, epäterveellisen ravitsemuksen tai vähäisen liikkumisen vuoksi, korkeassa kansantauteihin sairastumisen riskissä oleville potilaille. Ohjauksen toteutus kuuluu moniammatilliselle tiimille.

- **elintapaohjauksen systemaattisesta toimintasuunnitelmasta:**

Palveluiden tarjoajilla on systemaattinen toimintasuunnitelma, jossa esitetään käytössä olevat elintapaohjauksen ja omahoidon tuen menetelmät.

- **hoidon yksilöllisyydestä ja räätälöimisestä potilaan tarpeisiin:**

Potilaan tilanne on aina yksilöllinen ja hoidon sekä tuen tulee joustaa potilaan tarpeiden ja pystyvyyden mukaan. Tuen toteutustapa voi olla yksilö-, ryhmä- tai digitaalinen edellyttäen, että se sisältää edellä mainitut osatekijät.



- **menetelmää käyttävän henkilökunnan osaamisesta:**

Elintapaohjauksen menetelmiin tulee olla riittävä osaaminen, jotta potilaan epäterveelliset ravitsemustottumukset ja vähäinen liikkuminen voidaan tunnistaa ja häntä voidaan auttaa ja kannustaa elintapamuutoksessa vaikuttavilla menetelmillä.

- **osatekijöiden toteuttamisen kirjaamisesta potilastietojärjestelmään**

Edellytyksenä potilaan ohjauksen suunnitelmalliselle toteuttamiselle sekä sen vaikutusten seuraamiselle on, että tehdyt asiat kirjataan potilastietojärjestelmään.

Elintapaohjauksen onnistuneessa toteuttamisessa on huomioitava, että terveydenhuollon toiminnan rinnalla tärkeä rooli myös on myös muilla kunnallisilla sekä kolmannen sektorin että yksityissektorin toimijoilla. Eri toimijoiden välille, niin terveydenhuollossa kuin sen ulkopuolisten toimijoiden kanssa, on luotava toimiva yhteys, jotta potilas saa tarvitsemansa, riittävän tuen ja mahdollisuudet elintapojensa muuttamiseen.

Tämä on tiivistelmä terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto Palkon hyväksymästä suosituksesta. Varsinaisen suosituksen ja sen taustamateriaalin löydät Palkon kotisivuilta www.palveluvalikoima.fi/valmiit-suositukset

Tiivistelmän ruotsin- ja englanninkieliset versiot löydät kotisivuilta (lisätään osoitteet myöhemmin).

Palko toimii sosiaali- ja terveysministeriön yhteydessä ja sen tehtävänä on antaa suosituksia terveydenhuollon menetelmien kuulumisesta julkisesti rahoitettuun terveydenhuoltoon. Lisätietoja terveydenhuollon palveluvalikoimasta voit lukea Palkon kotisivuilta www.palveluvalikoima.fi



Palveluvalikoimaneuvoston suositus

Brolusitsumabi kostean silmänpohjan ikärappeuman hoidossa

Brolusitsumabi ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan neovaskulaarisen (kostean) silmänpohjan ikärappeuman hoidossa. Palveluvalikoimaneuvoston näkemyksen mukaan eri VEGF-estäjien välillä ei ole kliinisesti merkittäviä eroja vaikuttavuudessa. Palko suositaa, että ensisijaisesti kostean silmänpohjan ikärappeuman hoidossa käytetään edullisinta VEGF-estäjähoitoa, joka tällä hetkellä on bevasitsumabi. Myös toisen tai myöhemmän linjan hoidoksi tulee valita sairaaloille kokonaistaloudellisin vaihtoehto.

Nykytiedon mukaan brolusitsumabi ei ole turvallisuudeltaan yhdenvertainen muiden VEGF-estäjien kanssa. Brolusitsumabilla on havaittu enemmän vakavia silmään liittyviä haittoja kuin afliberseptillä. Brolusitsumabin turvallisuusprofiilista tarvitaan lisää tietoa ennen kuin voidaan ottaa uudelleen kantaa sen asemaan kostean silmänpohjan ikärappeuman hoidossa.



Sisällys

Lyhenteet

1.	Suosituksen kohde ja rajaukset ja tietopohja.....	4
2.	Sairaus tai terveysongelma.....	4
3.	Arvioitava menetelmä	5
4.	Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä johon verrataan	5
5.	Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi.....	5
6.	Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset	8
7.	Eettiset näkökohdat	8
8.	Johtopäätökset	9
9.	Yhteenvedo suosituksesta	10
10.	Lisänäytön kerääminen ja suositusten vaikutusten seuranta	10
11.	Suosituksen valmisteluun osallistuneet.....	10
12.	Suosituksen valmistelun vaiheet	11
13.	Viitteet.....	11

Liite 1.



Versio 21.9.2020

STM051:00/2020

Lyhenteet

AMD	Silmänpohjan ikärappeuma (Age-Related Macular Degeneration)
BCVA	Paras korjattu näöntarkkuus (Best Corrected Visual Acuity)
CSFT	Verkkokalvon paksuus (Central SubField Thickness)
CSFTns	Keskeisen verkkokalvon neurosensorisen osan paksuus
CSFTtot	Keskeisen verkkokalvon kokonaispaksuus
ICER	Inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde (Incremental Cost-Effectiveness Ratio)
SAE	Vakava haittatapahtuma (Serious Adverse Event)
VEGF	Verisuonen endoteelikasvutekijä (Vascular Endothelial Growth Factor)

Versio 21.9.2020

STM051:00/2020

1. Suosituksen kohde ja rajaukset ja tietopohja

Suositus käsittelee brolusitsumabin käyttöä uudissuonituksen aiheuttaman (neovaskulaarisen) kostean silmänpohjan ikärappeuman hoidossa aikuisilla.

Palkon suositus perustuu EUnetHTA-verkoston yhteisarviointiraporttiin¹ ja Fimean toukokuussa 2020 raportista julkaisemaan yhteenvedoon ja kustannusten arviointiin². Muun materiaali on kuvattu viitteissä.

2. Sairaus tai terveysongelma

Silmänpohjan ikärappeuma (Age-Related Macular Degeneration, AMD) on yleisin näkövammaisuuden aiheuttaja kehittyneissä maissa. AMD-potilaista noin 10–20 % sairastaa kosteaa tautimuotoa (wet AMD, wAMD), jossa silmän suonikalvosta eli silmämunan seinämän keskikerroksesta syntyy patologisia uudisverisuonia silmän sisimmän kerroksen eli verkkokalvon alle. Uudisverisuonista verkkokalvon sisälle tai sen alle tiheä neste ja veri aiheuttavat verkkokalvon turvotusta, jonka johdosta verkkokalvo paksuuntuu. Tällaiset muutokset johtavat näöntarkkuuden heikkenemiseen. (Brolusitsumabi-valmisteyhteenvedo, Käypä hoito -suositus 2016)

Kosteaa AMD:ta sairastavien potilaiden lukumäärästä ei ole tarkkaa tietoa. Vuoden 2018 lopussa Näkövammarekisteriin oli kirjattuna 7 419 henkilöä AMD-diagnoosilla. Yli 64-vuotiaiden rekisteröidyistä uusista näkövammoista 71 % (n = 1 010 / 1 431) johtui ikärappeumasta (Ojamo 2019).

Näkövammarekisterin luvuissa ovat mukana myös kuivan ikärappeuman vuoksi näkövammautuneet ja lisäksi kosteaa AMD:tä sairastaa suuri joukko potilaita, joiden näkökyky on heikentynyt, mutta näkövammaisuuden kriteerit eivät täyty.

¹ EUnetHTA PTJA09. Authoring Team. Relative Effectiveness Assessment of pharmaceutical technologies. Brolucizumab for the treatment of adults with neovascular (wet) age-related macular degeneration (AMD). Joint Assessment. Diemen (The Netherlands): EUnetHTA; 2020. 124 pages. PTJA09. Available from: <https://www.eunethta.eu>

² Härkönen U, Kiviniemi V. Brolusitsumabi. EUnetHTA-raportin yhteenvedo ja kustannusten arviointi (julkaistu 5/2020). Arvioitu käyttöaihe: Brolusitsumabi on tarkoitettu neovaskulaarisen (kostean) silmänpohjan ikärappeuman (AMD) hoitoon aikuisille. FIMEA/2019/000969. https://www.fimea.fi/documents/160140/1454401/Brolusitsumabi_yhteenvedo.pdf/b9fdc2bb-c456-53b4-180f-0d0b20da15bd?t=1589779785456

Versio 21.9.2020

STM051:00/2020

3. Arvioitava menetelmä

Brolusitsumabi on verisuonen endoteelikasvutekijä A -reitin (VEGF-A) estäjä, joka on saanut Euroopassa myyntiluvan helmikuussa 2020. Brolusitsumabi on tarkoitettu neovaskulaarisen (kostean) silmänpohjan ikärappeuman (AMD) hoitoon aikuisille. (Brolusitsumabi-valmisteyhteenveto)

Brolusitsumabi annostellaan injektiona silmän sisälle lasiaistilaan. Se vähentää epänormaalia uudissuonien muodostusta ja verisuonten läpäisevyyttä. Suositeltu annos on 6 mg brolusitsumabia neljän viikon välein ensimmäisten kolmen annoksen ajan. Tämän jälkeen lääkäri voi muuttaa hoitovälejä yksilöllisesti näöntarkkuuden ja/tai anatomisten parametrien perusteella arvioimansa tautiaktiivisuuden pohjalta. Tautiaktiivisuuden arviointia suositellaan 16 viikon kuluttua hoidon aloittamisesta. Potilaille, joilla tauti ei ole aktiivinen, suositellaan hoitoa 12 viikon välein. Potilaille, joilla on tautiaktiivisuutta, suositellaan hoitoa 8 viikon välein. (Brolusitsumabi-valmisteyhteenveto)

4. Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä johon verrataan

Kostean AMD:n hoidon kulmakivi on silmän lasiaiseen injektiona annettava VEGF-estäjä. Markkinoilla on pitkään ollut tähän tarkoitukseen kaksi myyntiluvallista lääkevalmistetta, aflibersepti ja ranibitsumabi, joille on lähivuosina tulossa käyttöön biosimilaarit alkuperäisvalmisteiden patenttien umpeutuessa. Bevasitsumabilla ei ole virallista käyttöaihetta silmänsairauksien hoidossa, mutta sitä käytetään monissa maissa sen edullisemman hinnan vuoksi. Bevasitsumabi on todettu olevan yhtä vaikuttava ja turvallinen kuin ranibitsumabi ja aflibersepti (Käypä hoito -suositus 2016). Palko on antanut 10.12.2015 suosituksen, jonka mukaan kostean AMD:n silmänsisäinen hoito bevasitsumabilla kuuluu Suomessa julkisesti rahoitettuun terveydenhuollon palveluvalikoimaan.

Bevasitsumabia käytetään Suomessa ensisijaisena kostean AMD:n hoitovaihtona. Afliberseptiä käytetään lähinnä toissijaisena vaihtoehtona. Ranibitsumabia käytetään hyvin vähän. Vuonna 2018 on julkaistu Vältä viisasti -suositus, joka tarkentaa VEGF-estäjän valintaa kostean AMD:n hoidossa (Sipilä ym. 2018). Suosituksessa ranibitsumabia ja afliberseptiä suositellaan vältettävän kostean AMD:n ensisijaisena lääkehoitona korkeiden kustannusten vuoksi.

5. Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi

Fimean yhteenvedossa tutkimusnäyttö brolusitsumabin tehosta ja turvallisuudesta kostean AMD:n hoidossa perustuu pääasiassa kahteen satunnaistettuun, kaksoissokkoutettuun faasin III tutkimukseen (HAWK ja HARRIER), joissa vertailuhoitona oli aflibersepti. Lisänäyttöä on faasin II OSPREY-tutkimuksesta, jossa vertailuhoitona oli myös aflibersepti. EUnetHTA-arvioinnissa on lisäksi raportoitu verkostometa-

Versio 21.9.2020

STM051:00/2020

analyysi, jossa brolusitsumabia verrattiin epäsuorasti ranibitsumabiin. Brolusitsumabia ja bevasitsumabia ei ole verrattu keskenään suorasti eikä epäsuorasti.

Tutkimuksiin otettiin mukaan yli 50-vuotiaita AMD:ta potilaita, joiden silmiin ei ollut aiemmin annosteltu VEGF-estäjiä. Potilaat satunnaistettiin HAWK-tutkimuksessa kolmeen ryhmään brolusitsumabi 3mg n = 360, brolusitsumabi 6mg n = 361, aflibersepti 2mg n = 361 ja HARRIER-tutkimuksessa kahteen ryhmään: brolusitsumabi 6 mg n = 372 ja aflibersepti 2 mg n = 371. Brolusitsumabi ja aflibersepti annosteltiin injektiona silmän lasiaiseen. Kaikissa ryhmissä ensimmäiset kolme injektiota annettiin kuukauden välein (päivänä 0, viikolla 4 ja viikolla 8). Tämän jälkeen aflibersepti-ryhmässä annostelu jatkui säännöllisinä injektioina 8 viikon välein. Brolusitsumabi-ryhmissä ylläpitohoito annosteltiin 8 tai 12 viikon välein, taudin aktiivisuudesta riippuen. Seuranta-aika oli 96 viikkoa. Sökkouttamisen säilyttämiseksi kummassakin tutkimuksessa käytettiin näennäis (sham)-toimenpiteitä, jossa toimenpide suoritettiin injektioruiskulla ilman neulaa.

Tutkimusten asetelmana oli non-inferiority, eli tavoitteena oli osoittaa, ettei brolusitsumabin vaikutus näöntarkkuuteen ole huonompi kuin afliberseptin. Ensisijaisena tulosmuuttujana HAWK- ja HARRIER-tutkimuksissa oli parhaan korjatun näöntarkkuuden BCVA:n muutos alkutilanteen ja viikon 48 välillä. Siinä ei havaittu eroa brolusitsumabi- ja aflibersepti-ryhmien välillä, eikä myöskään alkutilanteen ja viikon 96 välillä. Tutkimuksissa ei havaittu eroa myöskään keskeisen verkkokalvon neurosensorisen osan paksuudessa (CSFTns) brolusitsumabi- ja aflibersepti-ryhmien alkutilanteen ja viikon 48 välillä. Keskeisen verkkokalvon kokonaispaksuuden (CSFTtot) muutoksessa sen sijaan havaittiin tilastollisesti merkitsevä ero ryhmien välillä viikoilla 16, 48 ja 96. Erot olivat brolusitsumabille suotuisia, eli verkkokalvon ohenemista tapahtui enemmän brolusitsumabi- kuin aflibersepti-ryhmissä.

Hieman yli puolet potilaista (HAWK tutkimuksessa 56 %, HARRIER tutkimuksessa 51 %) pärjäsi ylläpitohoidossa viikolle 48 saakka 12 viikon välein tapahtuvalla brolusitsumabi-annostelulla. Vastaavasti 44 % ja 49 % potilaista joutui jossain vaiheessa ensimmäisen hoitovuoden aikana siirtymään tiheämpään 8 viikon välein tapahtuvaan annosteluun. Päätös annosteluvälistä perustui taudin aktiivisuuden arviointiin.

Ryhmien väliset erot injektioiden annostelun suhteen olivat pieniä molemmissa tutkimuksissa: HAWK- ja HARRIER-tutkimuksissa injektiomäärien keskiarvot 96 viikon aikana olivat 10,2 ja 10,9 brolusitsumabi-ryhmissä ja 11,3 ja 12,1 aflibersepti-ryhmissä. Potilaiden taustatekijöistä ei tunnistettu ominaisuuksia, jotka olisivat ennustaneet potilaiden mahdollisuuksia ylläpitää pidempää 12 viikon annosteluväliä. Verkkokalvon paksuus (CSFT) oli alaryhmäanalyysien perusteella potentiaalisin erotteleva tekijä. Potilaat, joilla verkkokalvon paksuus oli alkutilanteessa ohuempi (< 400 µm), säilyivät todennäköisemmin 12 viikon annostelussa.

Kostean silmäpohjan ikärappeuma aiheuttaa potilaille huomattavaa haittaa arkielämän tilanteissa ja nykyinen hoito silmän sisäisillä injektioilla vaatii säännöllisiä sairaalakäyntejä. Tämä todettiin myös EUnetHTAn toteuttamassa kyselyssä potilasjärjestöille AMD:n hoidosta. HAWK- ja HARRIER-tutkimuksissa ei mitattu yleistä terveyteen liittyvää elämänlaatua. Näkökykyyn liittyvää elämänlaatua mitattiin NEI VFQ-25 -

Versio 21.9.2020

STM051:00/2020

mittarilla. Pientä elämänlaadun paranemista tapahtui sekä brolusitsumabi- että aflibersepti-ryhmissä, mutta tulokset eivät ole kliinisesti merkittäviä.

Myyntiluvan haltija toimitti EUnetHTA-arviointiryhmälle verkostometa-analyysin, jossa brolusitsumabia verrattiin afliberseptiin (2 mg) ja ranibitsumabiin (0,5 mg), mutta ei bevasitsumabiin. Verkostometa-analyysiin liittyy useita epävarmuustekijöitä, tulosten kliinistä merkitystä ei ole mahdollista arvioida. EUnetHTA-arviointiryhmän tekemän kirjallisuuskatsauksen mukaan bevasitsumabin ja afliberseptin tai ranibitsumabin välillä ei havaittu eroja näkökykyyn liittyvissä tulosmuutujissa. (Fimean yhteenvedon luku 3.3., EUnetHTA-raportin luvut 3.1.3; 4.1.3; 4.2.3; 4.12)

Turvallisuus

Vakavat silmään liittyvät haittatapahtumat (serious adverse events, SAEs) olivat HAWK- ja HARRIER-tutkimuksissa harvinaisia. Vähintään yksi silmään liittyvä vakava haitta ilmeni tutkimusten brolusitsumabi-ryhmissä 3,3 %:lla ja 3,5 %:lla ja aflibersepti-ryhmissä 1,4 %:lla ja 1,6 %:lla potilaista. Tavallisimpia silmään liittyviä haittatapahtumia kaikissa hoitoryhmissä olivat sidekalvon verenvuoto ja näkökyvyn heikkeneminen. Brolusitsumabi-ryhmissä ilmeni afliberseptiin verrattuna enemmän silmänsisäistä tulehdusta ja retinavaltimon tukostapahtumia. Silmän sisäisiä tulehduksia ilmeni 1,7 %:lla ja 1,4 %:lla HAWK- ja HARRIER-tutkimusten brolusitsumabi-ryhmissä ja 0 %:lla ja 0,3 %:lla aflibersepti-ryhmissä. Retinavaltimon tukostapahtumia ilmeni 0,3 %:lla ja 0,9 %:lla HAWK- ja HARRIER-tutkimusten brolusitsumabi-ryhmissä ja 0 %:lla ja 0,3 %:lla aflibersepti-ryhmissä. (EUnetHTA-raportti taulukko 4.18 ja taulukko 4.19, s. 54-55).

HAWK- ja HARRIER-tutkimusten turvallisuustuloksia analysoineen riippumattoman arviointikomitean mukaan brolusitsumabiin liittyvä silmän sisäisen tulehduksen ja näkökyvyn heikkenemisen (vähintään 15 kirjaimen menetys) raportoitiin 0,7 % (8/1088) potilaista. Suurin osa (74 %) tulehduksellisista tapahtumista ilmaantui puolen vuoden sisään brolusitsumabi-hoidon aloittamisesta (https://www.brolucizumab.info/sites/brolucizumab_info/files/2020-07/ASRS_SRC_report.pdf)

Brolusitsumabin markkinoille tulon jälkeen on julkaistu pienimuotoisia selvityksiä (Baumal ym. 2020, Witkin ym. 2020) ja tapausselostuksia (Haug ym. 2020, Jain 2020) brolusitsumabi-hoitoon liitettyistä vakavista haitoista, erityisesti silmänsisäistä tulehdusta tulehduksista sekä tukkeutumisista. Witkin ym. (2020) analysoivat amerikkalaisen silmälääkäriyhdistyksen ASRS:n (American Society of Retinal Specialists) raportoimat 26 brolusitsumabiin liitettyä haittatapausta. Analyysin mukaan 92% tapauksista liittyi silmän sisäinen tulehdus ja silmien verisuonten tukkeutumista oli nähtävillä 83% kuvatuista silmistä. Lähes puolessa silmistä visuaalinen näkökyky heikentyi.

Versio 21.9.2020

STM051:00/2020

6. Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset

Brolusitsumabia on olemassa kahdessa erilaisessa pakkausmuodossa: esitäytetty ruisku (0,165 ml) ja injektiopullo (0,23 ml). Molemmissa vahvuus on 120 mg/ml. Toistaiseksi vain esitäytetty ruisku on Suomessa kaupan, ja sen tukkumyyntihinta on 853 euroa. Potilaskohtaisten keskimääräisten kustannusten tai vuosikustannusten arvioiminen on vaikeaa, koska VEGF-estäjiä käytetään useiden erilaisten annosteluprotokollien mukaan, jolloin vuosittainen injektioiden määrä vaihtelee suuresti. Fimean yhteenvedossa on arvioitu, että kahden samaa lääkeainetta saavan potilaan vuosittaisissa lääkekustannuksissa voi olla 2,5-kertainen ero, joka määräytyy taudin aktiivisuuden ja valitun annosteluprotokollan perusteella.

HAWK- ja HARRIER-tutkimuksissa viikolle 48 mennessä potilaat saivat HAWK-tutkimuksessa keskimäärin 6,1 brolusitsumabi-injektiota ja HARRIER-tutkimuksessa 6,2. Viikkoon 96 mennessä injektiomäärät olivat vastaavasti 10,2 ja 10,9. Näiden tietojen perusteella laskettuna brolusitsumabin potilaskohtaiset lääkekustannukset tukkumyyntihinnoin ja 90 euron annostelukustannus (HUS Palveluhinnasto 2020) huomioiden olisivat ensimmäisen vuoden (48 viikkoa) ajalta 5800 euroa ja kahden ensimmäisen vuoden (96 viikkoa) ajalta 9950 euroa.

Edullisen hintansa vuoksi bevasitsumabi on Suomessa ensisijainen kostean AMD hoitovaihtoehto (Sipilä ym. 2018). Brolusitsumabin hinnanalennuksen tulisi olla vähintään 96 %, jotta se pärjäisi hintavertailussa bevasitsumabille. Näin ollen on todennäköistä, että brolusitsumabi haastaisi lähinnä afliberseptin asemaa ns. toisen linjan hoitovaihtoehtona, koska brolusitsumabin ja afliberseptin julkiset tukkumyyntihinnat ovat samat. Käyttöaiheen mukaisesti käytettäessä ei ole odotettavissa, että brolusitsumabin käyttöönotto aiheuttaisi merkittävän budjettivaikutuksen aflibersepti-hoitoon verrattuna. Fimean arviointiraportti ei sisällä kustannusvaikuttavuusanalyysiä, joten ei ole käytettävissä arviota brolusitsumabi-hoidon inkrementaalista kustannusvaikuttavuussuhteesta (ICER) afliberseptiin verrattuna.

7. Eettiset näkökohdat

Brolusitsumabi-hoidon kohdalla tärkein eettinen kysymys liittyy hyötyjen ja haittojen suhteeseen: Altistetaanko potilaita turhaan vakaville haitoille, jotka voivat pahimmillaan viedä näkökyvyn, vaikka muita hoitovaihtoehtoja on olemassa? Brolusitsumabi ei myöskään tarjoa lisäarvoa kostean silmäpohjan ikärappeuman hoitoon elämänlaadun tai kustannusten suhteen. Sen tukkuhinta on vastaava kuin afliberseptin, eikä lisähyötyä esimerkiksi harvemman annostelun suhteen voitu osoittaa.

Tutkimusnäyttöön liittyvä rajoitus on se, ettei brolusitsumabia ole verrattu bevasitsumabiin, joka on off-label asemasta huolimatta käytetyin lääke kostean silmäpohjan ikärappeuman hoidossa. Suomessa sen käyttö kattaa n. 98% VEGF-estäjien käytöstä AMD:n hoidossa (Kataja ym. 2018).

Versio 21.9.2020

STM051:00/2020

8. Johtopäätökset

HAWK- ja HARRIER-tutkimusten asetelmana oli 'non-inferiority' eli tavoitteena oli osoittaa, ettei brolusitsumabin vaikutus näöntarkkuuteen ole huonompi kuin afliberseptin. Käytettävissä olevan tutkimustiedon perusteella Palko toteaa, että brolusitsumabin ja afliberseptin hoidollisissa vaikutuksissa koston AMD:n hoidossa ei ole merkittäviä eroja.

Tutkimuksissa hoitoihin liittyvät vakavat silmien haittatapahtumat olivat harvinaisia, mutta brolusitsumabia saaneilla potilailla ilmeni afliberseptillä hoidettuja enemmän silmänsisäistä tulehdusta ja retinavaltimon tukostapahtumia. Brolusitsumabin kliinisessä käytössä on myös raportoitu tapauksia silmän sisäisistä tulehduksista ja niihin liittyvistä verkkokalvon valtimoiden veritulpista ja muista verisuonitulehduksista (Baumal ym. 2020, Jain ym. 2020, Haug ym. 2020, Witkin ym. 2020). Vakavimmillaan nämä haitat voivat johtaa näkökyvyn nopeaan heikkenemiseen, ja vaikuttaa sitä kautta potilaiden toimintakykyyn sekä itsenäiseen pärjäämiseen. Kuvatuissa tapauksissa potilaat olivat saaneet aikaisemmin vaihtelevan määrän muita VEGF-hoitoja, mikä vaikeuttaa haittojen arviointia. Yhdysvaltalaiset silmälääkäriasiantuntijat ovat esittäneet huolensa haitoista ja neuvoneet pidättäytymään lääkkeen käytöstä, kunnes lisänäyttöä on saatavilla (Rosenfeld & Browning 2020).

Brolusitsumabi-hoidon kustannusvaikuttavuudesta ei ole tietoa. Vaikka komplikaatioiden ilmaantuvuus on harvinaista, Palkon näkemyksen mukaan niiden hoidosta voi aiheutua merkittäviäkin lisäkustannuksia ja elämänlaadun alenemista.

Brolusitsumabista ja käytetyimmistä VEGF-estäjistä bevasitsumabista ei ole tehty suoria tai epäsuoria vertailuja. Brolusitsumabin ja ranibitsumabin vaikutuksia on vertailtu vain verkostometaanalyysin perusteella, johon liittyy useita epävarmuustekijöitä. Näiden lääkeaineiden välillä ei havaittu eroja näkökyvyssä (BCVA-muutos), eikä useimmissa muissa tulostuloksissa.

Käytettävissä olevan tutkimustiedon perusteella Palko toteaa, että eri VEGF-estäjien (aflibersepti, bevasitsumabi, brolusitsumabi, ranibitsumabi) välillä ei ole vaikuttavuudessa kliinisesti merkittäviä eroja koston AMD:n hoidossa. Palko on 26.5.2016 hyväksynyt periaatteen, jonka mukaan vaikuttavuudeltaan ja turvallisuudeltaan yhdenvertaisista vaihtoehdoista samaan terveysongelman hoitoon tulee julkisesti rahoitettuun palveluvalikoimaan valita kokonaistaloudellisesti edullisin vaihtoehto. Tämän perusteella bevasitsumabi on edelleen edullisen hintansa vuoksi Suomessa ensisijainen koston AMD:n hoitovaihtoehto. Brolusitsumabi ei ole turvallisuudeltaan yhdenvertainen muiden VEGF-estäjien kanssa. Myös ns. toisen tai myöhemmän linjan hoidossa tulee huomioida valittavan hoidon turvallisuus ja kokonaistaloudellisuus. HAWK ja HARRIER tutkimuksissa mukaan otetut potilaille eivät olleet saaneet aikaisemmin VEGF-hoitoja, joten ei tiedetä vaikuttavuudesta, kun aikaisempia VEGF hoitoja on käytetty, mikä vastaisi brolusitsumabin käyttöä toisen tai kolmannen linjan lääkkeenä.

Useissa maissa brolusitsumabia koskeva arviointi on kesken. (Liite 1)

Versio 21.9.2020

STM051:00/2020

9. Yhteenveto suosituksesta

Brolusitsumabi ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan neovaskulaarisen (kostean) silmänpohjan ikärappeuman hoidossa. Palveluvalikoimaneuvoston näkemyksen mukaan eri VEGF-estäjien välillä ei ole kliinisesti merkittäviä eroja vaikuttavuudessa. Palko suosittaa, että ensisijaisesti kostean silmänpohjan ikärappeuman hoidossa käytetään edullisinta VEGF-estäjähoitoa, joka tällä hetkellä on bevasitsumabi. Myös toisen tai myöhemmän linjan hoidoksi tulee valita sairaaloille kokonaistaloudellisin vaihtoehto.

Nykytiedon mukaan brolusitsumabi ei ole turvallisuudeltaan yhdenvertainen muiden VEGF-estäjien kanssa. Brolusitsumabilla on havaittu enemmän vakavia silmään liittyviä haittoja kuin afliberseptillä. Brolusitsumabin turvallisuusprofiilista tarvitaan lisää tietoa ennen kuin voidaan ottaa uudelleen kantaa sen asemaan kostean silmänpohjan ikärappeuman hoidossa.

10. Lisänäytön kerääminen ja suositusten vaikutusten seuranta

Lisätietoa tarvitaan erityisesti brolusitsumabi-hoidon turvallisuudesta. Euroopan lääkeviraston myyntilupa-arvion mukaisesti valmisteeseen liittyy lisäseuranta. Tietohaitoista kertyy EU- tietokantaan <http://www.adrreports.eu/fi/search.html>, jossa on jo tällä hetkellä (21.9.2020) 404 ilmoitusta brolusitsumabin haitoista. Niiden perusteella ei ole kuitenkaan mahdollista arvioida, ovatko haitat todella olleet brolusitsumabi-hoitoon liittyviä.

Suosituksen vaikutusta voidaan seurata tukkumyyntitiedoista.

11. Suosituksen valmisteluun osallistuneet

Suosituksen valmisteluun Palkon lääkejaostossa (toimikausi 14.8.2020–30.6.2023) ovat osallistuneet:

Puheenjohtaja:

Professori, tutkimus- ja arviointiylilääkäri Miia Turpeinen, Pohjois-Pohjanmaan sairaanhoitopiiri

Jäsenet:

Lastentautien ja lasten infektiosairauksien erikoislääkäri, Tarja Heiskanen-Kosma, Kuopion yliopistollinen sairaala

Toimialuejohtaja, Operatiivinen ja syöpätaudit toimialue, Sirkku Jyrkkiö, Turun yliopistollinen keskussairaala

Linjajohtaja, infektiotaudit, Asko Järvinen, HUS Helsingin yliopistollinen sairaala

Johtajaylilääkäri Vesa Kataja, Keski-Suomen sairaanhoitopiiri/ KaikuHealth

Yliproviisori Jaana Martikainen, Lääkkeiden hintalautakunta /STM

Arviointiylilääkäri Anna-Kaisa Parkkila, Pirkanmaan sairaanhoitopiiri

Lääketaloustieteilijä Piia Rannanheimo, Fimea

Asiantuntija:

Ylilääkäri Jyrki Vanakoski, Lääkkeiden hintalautakunta/STM

Versio 21.9.2020

STM051:00/2020

Jaoston vastuusihteereinä ovat toimineet Palkon sihteeristön erityisasiantuntijat Sinikka Sihvo ja Reima Palonen, sekä sivutoimisena sihteerinä syöpätautien erikoislääkäri Katariina Klintrup.

Jaoston tehtävänä on valmistella sairaalalääkkeitä koskevia suosituksia.

12. Suosituksen valmistelun vaiheet

Toukokuu 2020 EUnetHTA-raportin yhteenvedon ja kustannusten arvioinnin julkaisu

11.6.2020 lääkejaoston alustava käsittely

17.8.2020 suositusluonnoksen käsittely lääkejaostossa

21.9.2020 suosituksen viimeistely lääkejaostossa

25.9.2020 suositusluonnoksen hyväksyminen Palveluvalikoimaneuvostossa vietäväksi otakantaa.fi-palveluun kommentoitavaksi

28.9.-18.10 suositus kommentoitavana otakantaa.fi-palvelussa

13. Viitteet

Baumal CR, Spaide RF, Vajzovic L ym. Retinal Vasculitis and Intraocular Inflammation after Intravitreal Injection of Brolucizumab. *Ophthalmology*. 2020;S0161-6420(20)30371-7. doi:10.1016/j.ophtha.2020.04.017.

Brolusitsumabi-valmisteyhteenvedo (Beovu®). First published 18/02/2020.

https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/beovu-epar-product-information_fi.pdf

EUnetHTA PTJA09. Authoring Team. Relative Effectiveness Assessment of pharmaceutical technologies. Brolucizumab for the treatment of adults with neovascular (wet) age-related macular degeneration (AMD). Joint Assessment. Diemen (The Netherlands): EUnetHTA; 2020.124 pages. <https://eunetha.eu/ptja09/>

Haug SJ, Hien DL, Uludag G ym. Retinal arterial occlusive vasculitis following intravitreal brolucizumab administration. *Am J Ophthalmol Case Rep*. 2020;18:100680. doi:10.1016/j.ajoc.2020.100680

Härkönen U, Kiviniemi V. Brolusitsumabi. EUnetHTA-raportin yhteenvedo ja kustannusten arviointi (julkaistu 5/2020). Arvioitu käyttöaihe: Brolusitsumabi on tarkoitettu neovaskulaarisen (kostean) silmänpohjan ikärappeuman (AMD) hoitoon aikuisille. FIMEA/2019/000969.

https://www.fimea.fi/documents/160140/1454401/Brolusitsumabi_yhteenvedo.pdf/b9fdc2bb-c456-53b4-180f-0d0b20da15bd?t=1589779785456.

Jain A, Chea S, Matsumiya W ym. Severe vision loss secondary to retinal arteriolar occlusions after multiple intravitreal brolucizumab administrations. *Am J Ophthalmol Case Rep*. 2020;18:100687. doi:10.1016/j.ajoc.2020.100687.



Versio 21.9.2020

STM051:00/2020

Kataja M, Hujanen P, Huhtala H ym. Outcome of anti-vascular endothelial growth factor therapy for neovascular age-related macular degeneration in real-life setting. Br J Ophthalmol 2018;**102**:959–965. doi:10.1136/bjophthalmol-2017-311055.

Käypä hoito -suositus: Kosteaa silmänpohjan ikärappeuma (AMD). Julkaistu 11.5.2016.
<https://www.kaypahoito.fi/hoi50107>

Ojamo M. Näkövammarekisterin vuosikirja 2018. Kirjapaino: Digipaino Kirjaksi.Net Jyväskylä 2019. ISSN 1236-5114.

Rosenfeld PJ & Browning DJ. Is This a 737 Max Moment for Brolucizumab (Editorial). American Journal of Ophthalmology August 2020. doi: [10.1016/j.ajo.2020.05.012](https://doi.org/10.1016/j.ajo.2020.05.012).

Sipilä R, Tuulonen A, Kaarniranta K. VEGF:n estäjähoidon valinta AMD:ssä. Vältä viisaasti, 23.1.2018.
<https://www.kaypahoito.fi/dnd00061>

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston suositus (2015). Silmänpohjan kostean ikärappeuman hoito silmänsisäisellä bevasitsumabilla kuuluu Suomen julkisesti rahoitettuun terveydenhuollon palveluvalikoimaan. https://palveluvalikoima.fi/suositus_amd.

Witkin AJ, Hahn P, Murray TG ym. Occlusive Retinal Vasculitis Following Intravitreal Brolucizumab. J Vitreoretin Dis. 2020 July ; 4(4): 269–279. doi:10.1177/2474126420930863.



Versio 21.9.2020

STM051:00/2020

Liite 1. Brolusitsumabi kostean silmäpohjan ikärappeuman hoidossa koskevat suositukset muissa maissa (tilanne 8.9.2020)

Ruotsi	Arviointi meneillään. NT-rådet on antanut suosituksen välttää brolusitsumabin käyttöä kunnes arviointi ja varsinainen suositus valmistuvat: https://janusinfo.se/download/18.185dfea217042689a76c4b6c/1582282445795/Beovu-(brolucizumab)-avvakta-200221.pdf
Norja	Arviointi meneillään https://nyemetoder.no/metoder/brolucizumab-beovu
Tanska	Ei suositella (7/2020). https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/a-d/brolucizumab-beovu-vad-amd-neovaskulaer-vad-aldersrelateret-macula-degeneration-amd
Englanti	Arviointi meneillään. https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-ta10455
Skotlanti	Hyväksytty käyttöön (9/2020) https://www.scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/brolucizumab-beovu-full-smc2272/
Kanada	Hyväksytty käyttöön (5/2020) tietyin ehdoin. https://cadth.ca/brolucizumab

Vaihtoehdot:

Versio xx.x.202x

Hyväksytty xx.xx.202x julkaistavaksi kommentoitavaksi otakantaa.fi –palvelussa

Hyväksytty Palkon kokouksessa xx.xx.202x

SUOSITUKSEN MALLIPOHJA

Palveluvalikoimaneuvoston suositus

[Suosituksen nimi]

[Yhteenveto suosituksesta]

Sisällys

1.	Suosituksen kohde, rajaukset ja tietopohja	1
2.	Terveysongelma	1
3.	Arvioitava menetelmä	1
4.	Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan	1
5.	Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi	1
6.	Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset	1
7.	Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat.....	1
8.	Johtopäätökset	1
9.	Yhteenvedo suosituksesta	1
10.	Lisänäytön kerääminen ja suositusten vaikutusten seuranta	1

Suosituksessa käytettyjen lähteiden luettelo on Palkon valmistelumuistion liitteenä.

Lyhenteet

Palkon suosituksista

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto Palkon tehtävänä on ohjata julkisesti rahoitettujen terveyspalveluiden järjestämistä antamalla suosituksia siitä, kuuluuko arvioitu terveydenhuollon menetelmä terveydenhuollon palveluvalikoimaan tietyn terveysongelman tutkimuksessa, hoidossa tai kuntoutuksessa.

Palkon suositus koostuu tästä varsinaisesta suosituksesta, valmistelumuistiosta ja tiivistelmästä. Suositus julkaistaan taustamateriaaleineen [kotisivuilla](#) suomeksi. Tiivistelmä julkaistaan myös [ruotsiksi](#) ja [englanniksi](#).

Suositukset perustuvat parhaaseen hyväksymishetkellä käytettävissä olleeseen lääketieteelliseen ja muuhun tietoon. Suositus on voimassa toistaiseksi, ellei voimassaoloaikaa ole rajoitettu.

Terveydenhuollon palveluvalikoiman määrittely sekä Palkon toiminta perustuu [terveydenhuoltolain \(1203/2014\) 7a](#) ja [78a](#) §:ään sekä [terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvostosta annettuun valtioneuvoston asetukseen \(63/2014\)](#) muutoksineen ([718/2017](#) ja [995/2019](#)).

[Palkon hyväksymä käsikirja](#) sisältää tarkemman kuvauksen käsittelyprosessista ja palveluvalikoiman määrittelyn periaatteista.

Palkon suositus ei ole kannanotto siihen, miten yksittäistä potilasta tulisi tutkia, hoitaa tai kuntouttaa, vaan siitä päätetään [potilaslain](#) mukaisesti hyödyt ja haitat yksittäistapauksessa punniten. Harkittaessa käytettäväksi menetelmää, joka on rajattu palveluvalikoiman ulkopuolelle, tulee huomioida [terveydenhuoltolain 7a §:n 3 momentin](#) säännös poikkeamisen lääketieteellisistä edellytyksistä. Poikettaessa palveluvalikoimasta korostuu velvollisuus perustella ja kirjata ratkaisun perusteet.

[Sairausvakuutuslain](#) mukaan palveluvalikoiman ulkopuolelle rajatusta hoidosta ei voi saada sairausvakuutuskorvausta.

STM051:00/2020
VN/xxxx/xxxx

- 1. Suosituksen kohde, rajaukset ja tietopohja**
- 2. Terveysongelma**
- 3. Arvioitava menetelmä**
- 4. Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan**
- 5. Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi**
- 6. Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset**
- 7. Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat**
- 8. Johtopäätökset**
- 9. Yhteenveto suosituksesta**
- 10. Lisänäytön kerääminen ja suositusten vaikutusten seuranta**

Teknisiä seikkoja

Tekstin fontti Calibri 11pt.

Vaihtoehdot:

Versio xx.x.202x

Hyväksytty xx.xx.202x julkaistavaksi kommentoitavaksi otakantaa.fi –palvelussa

Hyväksytty Palkon kokouksessa xx.xx.202x

VALMISTELUMUISTION MALLIPOHJA

Valmistelumuistio palveluvalikoimaneuvoston suositukseen

[Suosituksen nimi]

Sisällys

1.	Suosituksen laatimisen perusteet	1
2.	Terveysongelma	1
3.	Arvioitava menetelmä	1
4.	Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan	1
5.	Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi	1
6.	Tilastotiedot	1
7.	Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat.....	1
8.	Kansalaisnäkökulma ja potilaskokemus	1
9.	Valmistelun vaiheet.....	1
10.	Suosituksen valmisteluun ja hyväksymiseen osallistuneet.....	1

Valmistelumuistion tarkoitus

Palkon suosituksen kokonaisuus koostuu varsinaisesta suosituksesta, sen tiivistelmästä sekä tästä valmistelumuistiosta. Valmistelumuistion tarkoitus on tuoda esille, mihin tietoon suositus perustuu, sekä miten suosituksen valmistelu on tapahtunut.

Suositus taustamateriaaleineen julkaistaan [kotisivuilla](#) suomeksi. Tiivistelmä julkaistaan myös [ruotsiksi](#) ja [englanniksi](#).

STM051:00/2020
VN/(vahva-
numero)

- 1. Suosituksen laatimisen perusteet**
- 2. Terveysongelma**
- 3. Arvioitava menetelmä**
- 4. Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan**
- 5. Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi**
- 6. Tilastotiedot**
- 7. Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat**
- 8. Kansalaisnäkökulma ja potilaskokemus**
- 9. Valmistelun vaiheet**
- 10. Suosituksen valmisteluun ja hyväksymiseen osallistuneet**

Teknisiä seikkoja

Tekstin fontti Calibri 11pt.

Lähdeviitteet

- Tekstin sisällä käytetään
 - yksi kirjoittaja: sukunimi + vuosiluku suluissa
 - useampi kirjoittaja: mainitaan vain ensimmäinen sukunimi + et al + vuosiluku
 - jos em. säännöillä tulisi useampi samanlainen viite, lisätään vuosiluku ja tarvittaessa lisäksi pikkukirjain a,b,c,...
- Lähdeluettelossa
 - Sukunimi, Etunimen alkukirjain (kaikkien kirjoittajien nimet) + vuosiluku suluissa. Artikkelin nimi. Julkaisun nimi; vuosi: alkusivu-loppusivu.
 - Tarkempia ohjeita voi katsoa esim. www.duodecimlehti.fi > Tietoa lehdestä > Ohjeet kirjoittajalle > Kirjallisuusluettelo

Systemaattiseen katsaukseen viittaaminen

Valmistelumuistion alussa kerrotaan, mihin materiaaliin se perustuu (systemaattinen katsaus tärkein). Muistiossa ja suosituksessa voidaan todeta jonkun nimenomaisen tiedon perustuvan katsaukseen

STM051:00/2020
VN/(vahva-
numero)

(+sivunumero), mutta luettavuuden varmistamiseksi katsaukseen kannattaa viitata säästeliäästi. Katsaukseen viitattaessa alkuperäislähdettä ei ole välttämätöntä tarkistaa. Mikäli viitataan suoraan alkuperäislähteeseen, tieto pitää tarkistaa tästä lähteestä.

Alaviitteet

Alaviitteitä voidaan käyttää, kun tekstissä olevasta tiedosta halutaan antaa lisätietoa, mutta samalla pitää itse teksti lyhyenä (esim. lisätietoa, joka auttaa löytämään tarkempaa tietoa). Mahdollinen linkki laitetaan hyperlinkiksi itse tekstiin ja alaviitteeseen lisätieto, jonka perusteella esim. paperiversion lukija voi löytää saman tiedon. Lyhenteet avataan omassa luettelossaan ja niihin liittyvät linkit ym. sijoitetaan sinne.

- Tekstin sisällä: ...ns. [potilasdirektiivin¹](#) mukaan...
- Alaviitteessä: ¹Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiivi 2011/24/EU potilaiden oikeuksien soveltamisesta rajatylittävässä terveydenhuollossa

TIIVISTELMÄPOHJA

TIIVISTELMÄ PALKON SUOSITUKSESTA XXXX

Suositus hyväksytty Palkon kokouksessa xx.xx.202x

Tiivistelmän tulee olla ymmärrettävä itsenäisenä asiakirjana. Se käännetään ruotsiksi ja englanniksi.

Tiivistelmän pituus korkeintaan 2 sivua.

Tiivistelmä sisältää suosituksen keskeisen sisällön ja perusteet ensi sijaisesti suosituksen Johtopäätökset- ja Yhteenvedo-kohtien mukaisesti (tarvittaessa voidaan täydentää muilla tiedoilla ymmärrettävyyden ja luettavuuden parantamiseksi, esim. tiedot sairaudesta ja yleisyydestä). Tiivistelmä ei saa sisältää mitään sellaista tietoa, mitä ei löydy itse suosituksesta. Ensimmäiseen kappaleeseen on hyvä tiivistää suosituksen lopputulos (kuuluuko palveluvalikoimaan), koska se helpottaa tiivistelmän muuttamista tiedotteeksi (tiedotteeseen tarvitaan ingressi).

Jos tiivistelmään on poikkeuksellisesti tarpeen liittää lähdeviittauksia (vain tärkeimmät), ne liitetään loppuun samalla tavalla kuin valmistelumuiustiossakin.

Yleinen tietolaatikko tiivistelmissä

Tämä on tiivistelmä terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto Palkon hyväksymästä suosituksesta. Varsinaisen suosituksen ja sen taustamateriaalin löydät Palkon kotisivuilta [valmiiden suositusten sivulta](#).

Kotisivuilta löydät myös tiivistelmän [ruotsin-](#) ja [englanninkieliset](#) versiot.

Palko toimii sosiaali- ja terveysministeriön yhteydessä ja sen tehtävänä on antaa suosituksia terveydenhuollon menetelmien kuulumisesta julkisesti rahoitettuun terveydenhuoltoon. Lisätietoja terveydenhuollon palveluvalikoimasta voit lukea [Palkon kotisivuilta](#)



25.9.2020

HANKITTAVAN PALVELUN AIHEENKuvaus / SYSTEMAATTISEN KIRJALLISUUSKATSAUKSEN JA KRIITTISEN ARVIOINNIN PÄIVITTÄMISEN TEETTÄMINEN INTENSIIVISEN HOIDON JA KUNTOUTUKSEN MENETELMISTÄ HUUME- JA LÄÄKERIIPPUVUUKSIEN HOIDOSSA

Systemaattisen katsauksen päivittämiseen tarvittavan kirjallisuushaun PICO:n osat ovat (punaisella keskeiset muutokset):

P = terveysongelma / potilasryhmä (Population, Patient, Problem), jota tutkitaan:
Huume- ja lääkeriippuvuudet (diagnoosinumerot F11.2, F12.2, F13.2, F 14.2, F 15.2, F16.2, F 18.2 ja F 19.2 viitteellisiä)

I = Tutkittava interventio/menetelmä, jolla terveysongelmaan pyritään vaikuttamaan:

Psykososiaaliset interventiot, joita käytetään päihdehoitoon tai päihdekuntoutukseen. Tunnistetaan mahdolliset interventiot (eli hakuna hakusanana interventio + erikseen ainakin alla luetellut):

- KKT
- muut kognitiivisen psykoterapian muodot (näiden osana erikseen MET ja retkahduksen ehkäisy, koska ne kuuluvat ns. minimitason interventio-osaamiseen)
- 12 askeleen ohjelma
- ratkaisukeskeinen terapia
- yhteisö vahvistusohjelma
- psykodynaaminen psykoterapia
- interpersonaalinen psykoterapia
- pari-, perhe- ja verkostoterapiat
- palkkiohoito
- yhteisöhoito
- verkkopohjaiset ohjelmat.

Lisäksi otetaan erikseen huomioon seuraaville ryhmille kohdennetut interventiot:

- Raskaana olevien interventiot
- nuorten interventiot
- naisten interventiot
- iäkkäiden interventiot
- väkivaltaisten interventiot
- asunnottomien interventiot
- interventiot käyttäjille, joilla on kognitiivisia häiriöitä jne.

C = Vertailumenetelmä / vaihtoehtoinen menetelmä (Comparison), johon tutkittavaa menetelmää verrataan:

- Yleinen supportio tai hoitosuhde ilman spesifiä tavoitteellista interventiota
- Lääkehoito
- Jonohoito

O = Terveystulos (Outcome), menetelmän tuottamat terveystulokset, joita halutaan selvittää:

- Raittius ja päihdekäytön väheneminen eri tavoin arvioituna. On otettava huomioon, että eri tutkimuksissa on eri outcome-mittarit. 12 askeleen ohjelman tutkimuksissa arvioidaan raittiutta, mutta mahdollisesti ei muita lopputuloksia (aika ensimmäiseen relapsiin jne, relapsi saatetaan määritellä eri tavoin). Muita interventioita koskevissa tutkimuksissa voi olla monenlaisia päihdekäytön vähenemisen outcome-mittareita.
- Hoidossa pysyminen. Ennustaa pitkällä tähtäimellä hyvää tulosta.
- Vaikutus muiden terveystulosten käyttöön (esim. päivystyskäynnit)
- HRQOL, toimintakyky, mahdolliset muut terveystulokset

S = Tutkimusasetelma (Study design):

- Avohoito ja laitoshoido
- Meta-analyysit, systemaattiset katsaukset, RCT:t

T = Seuranta-aika (Time):

Seuranta-ajan määrittelyä päätetään yhteistyöneuvottelussa sen jälkeen, kun uudet tutkimukset on tunnistettu. Pääsääntöisesti tutkimuksen tulee sisältää mittauksia intervention jälkeen, ellei kyse ole jatkuvaluonteisesta interventiosta.

Päivitettävän kirjallisuuskatsauksen haut oli tehty Medline ja Cochrane tietokannoista 17.1.-21.1.2019. Päivitykseen tulee sisältyä ne PICO aselman mukaiset artikkelit, jotka on julkaistu tämän ajankohdan jälkeen.

Palvelun tuottaja tulee saamaan alkuperäisen hakustrategian käyttöönsä. Tieto tulee kerätä alkuperäisen tiedonkeruun mukaisiin taulukoihin.

25.9.2020 kokoukseen

PALVELUVALIKOIMANEUVOSTON ASiantuntijoiksi Ehdotettujen ESITTELY

Kari Tikkinen valmistui lääkäriksi ja väitteli lääketieteen tohtoriksi Tampereen yliopistosta. Hän on kliinisen epidemiologian dosentti ja urologian professori Helsingin yliopistossa. Tikkinen väitteli epidemiologian alalta ja on suuntautunut kliiniseen epidemiologiaan erityisesti McMaster University:ssä suoritetun kolmen vuoden post doc -jaksonsa aikana (2011-2013). Tikkinen on johtanut toistakymmentä laajaa systemaattista katsausta ja meta-analyysia, toiminut useassa kansainvälisessä hoitosuosituksessa asiantuntijana (ml. Euroopan urologiyhdistyksen tromboosiprofylaksia-hoitosuosituksen puheenjohtaja ja BMJ:n PSA-seulonnan Rapid Recommendation -suositusten puheenjohtaja) ja johtaa tällä hetkellä kahta satunnaistettua koetta: hän on monikansallisen APPEAL-antibiioittiprofylaksia-hoitotutkimuksen kansainvälinen päätutkija ja WHO:n alullepaneman Solidarity-COVID-lääketutkimuksen kansallinen päätutkija. Tikkinen on opettanut menetelmäosaamista kansainvälisissä ja kansallisissa kokouksissa ja osana yliopisto-opetusta yli 10 vuoden ajan.

Mika Gissler on valtiotieteen maisteri Helsingin yliopistosta pääaineenaan kansantaloustiede ja tilastotiede sekä filosofian tohtori pääaineenaan epidemiologia Tampereen yliopistosta. Hän on toiminut tutkimusprofessorina THL:ssä 15.3.2010 alkaen ja sitä aiemmin kehittämispäällikkönä Stakesissa (2002–2008) ja THL:ssä (2009–2010) vastaten THL:n seksuaali- ja lisääntymisterveyteen liittyvistä tilastoista ja -rekisteristä. Tämän lisäksi hänen toimeensa kuuluu sosiaali- ja terveysrekisterien hyödyntäminen erityisesti rekisteritutkimuksessa sekä terveys- ja hyvinvointi-indikaattorien kehittäminen sekä rekisteritutkimuksen menetelmien kehittäminen.

Jorma Komulainen on lastentautien ja lastenendokrinologia erikoislääkäri ja lastentautiopin dosentti. Hän työskentelee Suomalaisessa Lääkäriseurassa Duodecimissa Käypä hoito -suositusten päätoimittajana ja kantaa vastuun Käypä hoito -suosituksista. Komulainen on perehtynyt näyttöön perustuvan lääketieteen metodologiaan, toiminut aktiivisesti hoitosuosituksia laativien organisaatioiden kansainvälisessä yhteistyössä ja luennoinut ja kirjoittanut suomalaisille terveydenhuollon toimijoille tutkimustiedon kriittisestä arvioinnista.

Maija Miettinen on koulutukseltaan filosofian tohtori (kansanterveystiede). Hän on työskennellyt aiemmin THL:ssä tutkimustehtävissä ja on tällä hetkellä STM:n yhteydessä toimivan ETENEn pääsihteeri. ETENEn toiminta perustuu potilaslakiin ja lakiin sosiaalihuollon asiakkaan asemasta ja oikeuksista. Neuvottelukunnan toiminnan tarkoituksena on potilaan ja asiakkaan perusoikeuksien, ihmisarvon, itsemääräämisen, yhdenvertaisuuden, oikeudenmukaisuuden sekä hyvän hoidon, hoivan, palvelun ja kohtelun edistäminen sosiaali- ja terveysalalla. ETENEn pääsihteerin tehtävien lisäksi Miettinen on mm. elämän loppuvaiheen asiantuntijatyöryhmän asiantuntijas sihteeri.

Lauri Pelkonen on koulutukseltaan oikeustieteen kandidaatti, varatuomari ja valtiotieteen lisensiaatti. Hän on ollut vuodesta 1997 STM:ssä eri tehtävissä (vastuualueet: sairausvakuutusjärjestelmä ml lääkekorvausjärjestelmä, valtionosuusjärjestelmä, asiakasmaksut, valtionavustukset, sosiaaliturvauudistus / SATAkomitea ja lääkeasiat) ja nykyisessä lääkkeiden hintalautakunnan johtajan tehtävässä vuodesta 2010 lukien (virka-aikana 2017-2018 noin vuoden ajan: Päivittäistavarakauppa ry:n selvityshanke lääkkeiden jakelujärjestelmään uudistamisesta). Pelkonen on osallistunut lukuisiin asiantuntijatehtäviin (asiantuntija, työryhmän pj tai jäsen erilaisissa selvityshankkeissa) liittyen lääkehuoltoon.

