

SMA-aikuisten ajatuksia lääkehoidosta SMA Finland ry:n kyselyssä

SMA Finland ry toteutti huhtikuussa 2025 kyselyn lääkehoidosta Suomessa asuville yli 18-vuotiaille SMA:n 1, 2 ja 3 -tyyppiä sairastaville. Kyselyllä haluttiin kartoittaa SMA-aikuisten ajatuksia lääkehoidosta SMA Finland ry:n vaikuttamistyön tueksi. SMA Finlandin tavoitteena on saada SMA:han tarkoitettu lääkehoito kaikkien SMA:ta sairastavien saataville.

Kyselyyn vastasi 29 ihmistä, joista neljä oli lääkehoidon piirissä ja 25 ei ollut lääkehoidon piirissä. Kaikkiaan Suomessa arvioidaan olevan noin 75 SMA:ta sairastavaa aikuista. Kyselyn tulokset tarjoavat ainutlaatuisen ja realistisen tilannekuvan Suomessa asuvien spinaalista lihasatrofiaa (SMA) sairastavien aikuisten ajatuksista lääkehoidosta, arjen toiminnoista sekä työ- ja toimintakyvystä. Samalla se nostaa esiin tärkeitä havaintoja aikuisten SMA-potilaiden asemasta yhteiskunnassa. Tässä analyysissä käsittelemme erityisesti keskeisimpiä kyselyn vastauksista esiin nousevia teemoja ja seikkoja aikuisten SMA-potilaiden elämäntilanteista, työ- ja toimintakyvystä sekä näiden vaikutuksista arvioitaessa mahdollisen lääkehoidon hyötyvaikutuksia niin yksilölle kuin yhteisölle.

YHTEENVETO

SMA:ta sairastavien aikuisten yhteiskunnallinen aktiivisuus nousee kyselyssä selvästi esiin. SMA-aikuiset ovat työelämässä selvästi enemmän kuin vammaiset henkilöt yleensä ja heidän koulutustasonsa ylittää suomalaisten keskimääräisen tason. Poikkeuksellisen korkea koulutus- ja työelämäosallisuuden aste korostaa lääkehoidon tärkeyttä SMA:ta sairastavien aikuisten työkyvyn ylläpitämiseksi ja sairauden etenemisen ehkäisemiseksi. Perhe-elämä ja yhteiskunnallinen aktiivisuus ovat SMA-aikuisille tärkeitä. Monilla on lapsia tai he kantavat vastuuta muiden läheistensä hyvinvoinnista. 86 % vastaajista toimii itse henkilökohtaisten avustajien työnantajana ja työllistää useita ihmisiä. Moni on myös luottamustoimissa. Kyselyn tulokset korostavat, että SMA:ta sairastavat eivät ole laitoshoidossa olevia passiivisia hoidettavia tai objekteja, vaan yhteiskunnan tasa-arvoisia vastuunkantajia. Ilman lääkehoitoa olevat vastaajat ovat kuitenkin huolissaan mahdollisuudestaan jatkaa monin tavoin aktiivista elämäänsä ja esimerkiksi muista ihmisistä huolehtimisesta sairauden edetessä.

SMA-aikuisten suhtautuminen lääkehoitoon ja sitä myötä omaan hoitoonsa on kyselyn perusteella erittäin myönteinen. Kaikki ilman lääkehoitoa olevat ja lääkettä haluavat ovat sitä mieltä, että pienenkin lihasvoiman ja motorisen kyvyn säilyminen on merkityksellistä, vaikka itse lihasvoima ei paranisikaan. Kaikki lääkettä tällä hetkellä saavat taas kokevat hyötynsä lääkkeestä paljon. Lääkehoidon merkityksen katsotaan olevan suuri ennen kaikkea sairauden etenemisen estämisessä ja nykyisen toimintakyvyn säilymisessä, jotta itsemääräämisoikeus, aktiivinen elämä ja työ- ja toimintakyky voivat säilyä. Ilman lääkehoitoa olevien konkreettiset toiveet lääkehoidolle vastaavat hyötyjä, joita kyselyyn vastanneet lääkettä jo saavat ovat kokeneet. Tärkeäksi koetaan esimerkiksi lääkkeen vaikutus käsien liikkuvuuteen, yleiseen jaksamiseen ja hengitykseen. Käsien liikkuvuuden ylläpito tai paraneminen on merkittävä asia, sillä se mahdollistaa muun muassa tietokoneen ja puhelimen käytön sekä sähköpyörätuolilla ajamisen, jotka kaikki ovat todella merkittävässä osassa sekä arjessa että työelämässä. Kyselyn tulokset korostavat yksiselitteisesti tarvetta lääkehoidon saatavuuden parantamiselle Suomessa myös tasa-arvon näkökulmasta. Nykyinen SMA:n hoitoon tarkoitettujen lääkkeiden kohdentaminen vain alle 18-vuotiaana lääkehoidon aloittaville on vastaajien mielestä syrjivä ja epätasa-arvoinen linjaus monella tapaa.

TIIVISTELMÄ VASTAUKSISTA

- **SMA:n tautimuodot ja diagnoosin varmistaminen:** Kyselyyn vastanneista 65 % sairastaa SMA2-tautimuotoa ja 35 % SMA3-tautimuotoa. SMA1-tapauksia ei ollut, mikä johtunee siitä, että ilman lääkettä SMA1-potilaat eivät ole eläneet aikuisuuteen. 86 %:lla vastaajista SMA-diagnoosi on vahvistettu geenitestillä, mikä on tärkeää lääkkeellisten hoitojen ja hoitosuunnitelmien arvioinnin kannalta.
- **Vastaajien demografiset tiedot:** 55 % vastaajista oli 18-39 -vuotiaita, 28 % 40-59 -vuotiaita ja 17 % yli 60-vuotiaita. Nuorimmat vastaajista kuuluvat lääkeshoidon piiriin, sillä he ovat olleet alle 18-vuotiaita aloittaessaan lääkeshoidon. Ilman lääkeshoidon olevista vastaajista valtaosa, eli 64 % jakautui pääasiassa 30–69 ikävuosiin. Vastaajien koulutustaso on korkea, sillä 55 %:lla on korkeakoulututkinto. Osa vastaajista on vielä opiskelijoita. Palkkatyössä on noin 60 % vastaajista ja yrittäjinä noin 20 %, osa vastaajista molemmissa rooleissa. Työllisyysaste on selvästi korkeampi kuin vammaisten väestöryhmässä keskimäärin. Noin 20 % on siirtynyt työkyvyttömyyseläkkeelle SMA:n etenemisen vuoksi.
- **Vastuut, roolit ja elämänhallinta:** Perheroolit ja yhteiskunnalliset roolit ovat vastaajille tärkeitä. 31 % vastaajista elää avo- tai avioliitossa ja 28 %:lla on lapsia tai huollettavia, joiden asioista he vastaavat. Noin 40 % vastaajista on luottamustoimissa ja 86 % jollain tavalla aktiivisia vapaa-ajallaan.
- **Henkilökohtainen apu ja hoidon järjestäminen:** 86 % kyselyyn vastanneista toimii henkilökohtaisten avustajiensa työnantajina. Tämä malli mahdollistaa itsenäisyyden ja osallistumisen yhteiskuntaan. Samalla se työllistää merkittävän määrän henkilöitä.
- **Hengitystukihoito:** Vastaajista 48 %:lla ei ole käytössä hengitystukihoitoa ja 48 %:lla hengitystukihoito on käytössä öisin. 4 %:lla on jatkuva hengitystukihoito.
- **Lääkehoidon hyödyt sitä saavilla:** 100 % lääkettä saavista koki hyötynensä lääkkeestä paljon. Kaikilla lääkettä saavilla on tällä hetkellä käytössään suun kautta otettava Evrysdi-lääke. Kaikki olivat päätyneet kyseiseen lääkkeeseen ennen kaikkea sen helpon annostelun vuoksi. 100 % vastaajista koki yleisen jaksamisen lisääntyneen lääkkeen myötä. Lääke on pysäyttänyt kaikilla myös sairauden etenemisen. Tärkeimpiä hyötyjä lääkkeelle ovat olleet myös itsenäisen toimintakyvyn paraneminen, pään kannattelukyvyn paraneminen, käsien liikkuvuuden paraneminen ja väsymyksen tunteen väheneminen. Tärkeäksi koettuja hyötyjä ovat myös tasapainon, käsien hienomotoriikan, puhumisen ja yskimisen parantuminen. Avoimissa vastauksissa todettiin myös vastustuskyvyn parantuneen, sillä lääkeshoidon jälkeen ei ole ollut enää infektioita.
- **Halukkuus lääkkeelle:** Kaikki lääkettä jo saavat haluavat myös jatkaa lääkkeen saantia. Lääkehoidon ulkopuolella olevista 92 % toivoo pääsevänsä lääkeshoidon piiriin ja 8 % ei ole vielä muodostanut kantaansa. Potilaiden halukkuus hoidolle on siis hyvin suurta ja he kokevat syrjivänä ja epäoikeudenmukaisena lääkkeiden saamisen rajoitukset Suomessa verrattuna muihin Pohjoismaihin ja valtaosaan Euroopan maista.

- **Ilman lääkettä olevien toivomukset lääkityksestä:** 100 % lääkettä toivovista vastasi, että pienenkin lihasvoiman ja motorisen kyvyn säilyminen on merkityksellistä. Kaikki myös toivovat lääkkeen parantavan yleistä jaksamista. Seuraavaksi eniten lääkkeellä toivottiin olevan vaikutusta sairauden etenemisen pysäyttämiseen, käsien liikkuvuuteen, itsenäiseen toimintakykyyn ja hengitykseen.
- **Vastauksissa esiin nousevat huolet ja toiveet:** 92 % vastaajista oli huolissaan omasta toimintakyvystään ja itsenäisestä toimivuudestaan sairauden edetessä. 79 % oli myös huolissaan kyvystään huolehtia vastuutehtävistä työelämässä, luottamustoimissa, toisen ihmisen huoltajana jne., mikäli toimintakyky heikkenee. Avoimissa vastauksissa vastaajat kertoivat kokevansa lääkityksen ulkopuolella olemisen hyvin syrjivänä. He toivovat Suomen saattavan lääkityksen samalle tasolle muiden Euroopan maiden ja Pohjoismaiden kanssa. Vastaajille oli erityisen merkityksellistä työelämässä pysyminen ja nykyisen toimintakyvyn säilyminen. Sairauden eteneminen huolestuttaa ja lääkkeellä se voisi olla pysäytettävissä.

SMA FINLAND RY:N TARKEMPI ANALYYSI KYSELYN VASTAUKSISTA

1. SMA:n tautimuodot, diagnoosin varmistaminen ja lääkityksen piiriin kuuluminen

- **Tautimuodot:** Kyselyyn vastanneista 65 % sairasti SMA2-tautimuotoa ja 35 % SMA3-tautimuotoa. SMA1-tapauksia ei ollut, mikä johtunee siitä, että lääkitys on lapsillakin ollut saatavilla vain joitakin vuosia ja ilman lääkitystä SMA1-potilaat eivät ole eläneet aikuisuuteen.
- **Geenitesti:** Kyselyyn vastanneista 86 %:lla SMA-diagnoosi on vahvistettu geenitestillä. Näin ollen sairaus on lääketieteellisesti todennettu. Loput vastaajista eivät joko olleet varmoja siitä, onko geenitesti tehty tai sitä ei oltu tehty. Kyselyssä ei käynyt ilmi, onko geenitestissä katsottu SMN-geenin kopioiden määrää eli onko tautimuoto saanut tukea geenitestistä vai onko se asetettu ainoastaan kliinisiin perusteisiin. Tieto geenitestistä on tärkeä, kun arvioidaan mahdollisia lääkityksen ja hoitosuunnitelmien piiriin tulevaa potentiaalista potilasmäärää. Geenitesti on yleensä osa lääkityksen aloittamisen edellytyksistä.
- **Lääkityksen piiriin kuuluminen:** 29:stä vastaajasta 4 kertoi saavansa SMA:han tarkoitettua lääkettä. Kaikilla heistä lääkkeenä oli Evrysdi. Kyseinen lääke oli valittu sen helpon annostelutavan vuoksi. Nämä vastaajat ovat todennäköisesti olleet alle 18-vuotiaita aloittaessaan lääkityksen, sillä Suomessa lääkitys on tällä hetkellä rajattu henkilöihin, joilla se aloitetaan alle 18-vuotiaina. Vastaajista 25 ei ole tällä hetkellä oikeutettuja saamaan SMA:han tarkoitettua lääkettä Suomessa.

2. Vastaajien demografiset tiedot

- **Ikä:** Kaikista vastaajista 55 % oli 18-39 -vuotiaita, 28 % 40-59 -vuotiaita ja 17 % yli 60-vuotiaita. Nuorimmat vastaajista kuuluivat lääkityksen piiriin, sillä he ovat olleet alle 18-vuotiaita aloittaessaan lääkityksen. Ilman lääkitystä olevista vastaajista valtaosa eli 64 % jakautui 30-69 ikävuosiin. Tällä ryhmällä on jo todennäköisesti hyvin pitkälle edennyt sairaus sekä fyysisen toimintakyvyn rajoite. Näin ollen sairauden etenemisen ehkäisemisellä ja toimintakyvyn mahdollisella pienelläkin parantumisella on välitön merkitys heidän terveydentilansa, työ- ja toimintakyvyn säilymisen sekä elämänlaadun kannalta.

- **Koulutus:** Koulutustausta vastaajilla on monipuolinen ja yli 67 %:lla vastaajista koulutustasona oli alempi tai ylempi korkeakoulututkinto tai he opiskelivat parhaillaan tutkintoa. 28 %:lla vastaajista oli ylempi korkeakoulututkinto. On merkillepantavaa, että Tilastokeskuksen vuoden 2023 väestön koulutusrakenteen tietojen¹ perusteella 30–60-vuotiaista aikuisista 11,2 % on Suomessa suorittanut ylempään korkeakoulututkinnon (esimerkiksi maisteri tai ylempi ammattikorkeakoulututkinto). Kyselyn perusteella voidaan siis todeta, että SMA:ta sairastavien koulutustausta suhteessa muuhun väestöön on keskimääräistä koulutetumpi. Väestöön suhteutettu keskimääräistä koulutetumpi koulutustaso saattanee korreloida myös tässä kyselyssä esiin tulleet SMA-potilaiden muuhun aktiivisuuteen niin työelämässä kuin muilla elämän osa-alueilla.
- **Työ:** Kyselyyn vastanneista 75 % on joko osa-aikatyössä, kokoaikatyössä tai yrittäjiä. Osa oli vastannut olevansa sekä palkkatyössä että yrittäjiä, mikä korottaa hieman kokonaislukua. Vammaisfoorumin ja Ihmisoikeuskeskuksen (2018) toteuttamassa kyselyssä vammaisten ihmisten työllisyysasteeksi arvioitiin 20 %. Yleinen työllisyysasteen taso Suomessa oli taas vuoden 2023 lopussa noin 73–74 %. Kyselyyn vastanneilla SMA-potilailla on poikkeavan korkea työllisyysaste suhteessa yleiseen vammaisten työllisyysasteeseen. Verrattaessa kyselyyn vastanneiden SMA-potilaiden työllisyysastetta suhteessa yleiseen väestöön työllisyysasteeseen, on heidän työllistymisasteensa hyvin sama.

Tämä kertoo, että valtaosa SMA-aikuisista elää hyvin aktiivista elämää ja heillä on aktiivinen rooli yhteiskunnassa. He elävät tavanomaista työelämässä olevien ihmisten arkea. Korkea koulutus- ja työelämäosallisuuden aste nostaa esille lääkehoidon poikkeuksellisen tärkeyden ja perusteet lääkehoidon saamiselle SMA-potilaiden työkyvyn ylläpitämiseksi ja sairauden etenemisen ehkäisemiseksi.

Kyselyyn vastanneista SMA-potilaista 24 % oli ollut työelämässä, mutta joutunut jäämään työkyvyttömyyseläkkeelle SMA-sairauden etenemisen takia. Näin ollen on perusteltua arvioida, että lääkehoidolla olisi myös positiivisia ja merkityksellisiä taloudellisia vaikutuksia, mahdollistaen SMA:ta sairastavien entistäkin paremman osallistumisen työelämään. Lääkehoidolla olisi oletettavasti merkittävä välitön vaikutus SMA-aikuisten työ- ja toimeentulon turvaamiseksi, unohtamatta työnteon välillisiä ja positiivisia vaikutuksia terveyden- ja sosiaalihuollon sekä muihin yhteiskuntataloudellisiin kustannuksiin. On selvä, että työ- ja toimintakyky ennaltaehkäisee terveydenhuollon resurssien monimuotoista kustannusten syntymistä sekä inhimillistä kärsimystä.

3. Vastuut, roolit ja elämänhallinta

Perhe ja roolit: Vastauksista kävi ilmi perhe-elämän ja luottamustoimien merkitys vastaajille. Toimintakyvyn säilymisellä on suuri merkitys myös sille, että nykyiset roolit perhe- ja ystäväpiireissä sekä luottamustoimissa voivat jatkua. Vastaajista 31,0 % elää avo- tai avioliitossa. 21 %:lla vastaajista on lapsia ja 8 %:lla henkilöitä, joiden huollosta he vastaavat. Suomessa 10–15 % aikuisista kantaa huoltovastuuta omien lastensa lisäksi muista perheenjäsenistä, kuten ikääntyvistä vanhemmista, isovanhemmista tai muista läheisistä sukulaisista. Näin ollen, vaikka lapsia SMA-potilailla oli väestöön nähden keskimääräistä vähemmän, vastasivat SMA-potilaat toisen henkilön huollosta merkittävän paljon.

¹ https://stat.fi/tilasto/vkour?utm_source=

Aikuisten SMA-potilaiden keskimääräistä vähäisempään lapsimäärään vaikuttaa oletettavasti se, että SMA:han ei ole aiemmin ollut aiemmin käytössä lääkehoitoa ja etenkin SMA2-tyypin naiset ovat raskauden osalta riskiryhmässä, mikä oletettavasti vaikuttaa perhesuunnitteluun. Lääkehoito, joka ehkäisisi toimintakyvyn heikkenemistä ja joissain tilanteissa parantaisi sitä toisi myös positiivisia vaikutuksia niiden naispuolisten SMA-potilaiden lisääntymisoikeuksiin, jotka vielä ovat hedelmällisessä iässä, mutta jotka ovat jääneet 18-vuoden ikärajan takia lääkehoidon ulkopuolelle.

Kyselyyn vastanneista 38 % ilmoitti olevansa luottamustoimissa ja 88 % ilmoitti harrastavansa aktiivisesti vapaa-ajalla tai olevansa muutoin aktiivinen. Omaehtoinen aktiivisuus eri toiminnaissa tuo esille SMA-aikuispotilaiden harvinaisen aktiivisen, vastuuta kantavan elämänasenteen ja toimijuuden osana yhteiskunnan toimintaa. Samalla se tuo esille käytännön tasolla, etteivät SMA-potilaat ole laitoshoidossa olevia passiivisia hoidettavia tai objekteja, vaan yhteisön tasavertaisia vastuunkantajia, jotka ovat oman elämänsä subjekteja.

SMA-potilailla on merkittäviä ja moniulotteisia rooleja niin perheen sisällä kuin laajemmin yhteiskunnassa ja he ovat myös vastuussa muiden henkilöiden hyvinvoinnista erityisesti lähipiirissä. Tämä antaa olettaa siitä, että SMA-potilaiden elämänhallinta ja vastuunkanto myös toisten arjen sujumisesta on laajasti merkityksellinen monien muiden, kuin pelkästään yksilön oman elämän ja arjen sujumisen vaikutusten osalta. Tämän takia aikuisten SMA-potilaiden toimintakyvyn vaikutukset ovat laajemmat kuin pelkkä yksilön tila. Toimintakyky vaikuttaa välittömästi myös läheisten ja huollossa olevien henkilöiden hyvinvointiin, elämänlaatuun, arkeen ja mahdollisesti jopa heidän oikeuksien toteutumiseen.

4. Henkilökohtainen apu ja hoidon järjestäminen

- **Henkilökohtainen apu:** Kyselyyn vastanneista valtaosa eli 86 % toimii itse henkilökohtaisten avustajien työnantajina. Tämä on merkittävästi enemmän, kuin miten henkilökohtaisen avun järjestämistavoissa yleisesti on työnantajamallin mukainen henkilökohtainen apu järjestetty².

SMA-aikuiset siis järjestävät ja vastaavat itse omasta päivittäistoimintaan liittyvästä henkilökohtaisesta avusta olemalla itse juridisena työnantajana omille henkilökohtaisille avustajilleen. Tämä korreloi kyselyyn vastanneiden SMA-potilaiden työelämäosallisuutta sekä muuta kyselyssä esille tuotua aktiivisuustasoa ja vastuunkantoa, mikä ei olisi mahdollista ilman työnantajamalliin pohjautuvaa henkilökohtaista apua ja toisaalta SMA:ta sairastavien kykyä toimia työnantajina.

Samalla on huomioitava, että henkilökohtaisen avun työnantajamallilla on myös työllistävä vaikutus, jolla työllistetään merkittävässä määrin henkilöitä, jotka muutoin saattaisivat olla syystä tai toisesta työelämän ulkopuolella. Työ ei vaadi ammattipätevyysvaatimuksia, mikä tekee työstä matalan kynnyksen työpaikan, jolla on siis positiivisia työllisyysvaikutuksia. 68 % vastaajista työllisti neljästä kymmeneen työntekijää ja 8 % yli kymmenen työntekijää. Yleisesti henkilökohtaisen avun myönnetty tuntimäärät painottuvat alle 25 tuntiin viikossa. Ottaen huomioon aikuisten SMA-potilaiden toimintakyky ja avuntarve sekä avustajiksi

² Vuonna 2019 henkilökohtaisen avun yleisin järjestämistapa oli työnantajamalli. Tällä tavoin henkilökohtainen apu oli järjestetty 48 prosentille asiakkaista. Palvelusetelin käyttö on kasvanut vuoteen 2016 verrattuna. THL tilastoraportti 37/2020.

työllistettävien henkilöiden lukumäärä on oletettavaa, että aikuisilla SMA-potilailla on myönnetty vähintään 70 tuntia viikossa henkilökohtaista apua, monilla ympäri vuorokauden. Vähintään 70 tuntia viikossa myönnettyä henkilökohtaista apua on henkilökohtaisen avun käyttäjillä ollut yleisesti vain 2 %:lla asiakkaista³. Tämäkin tuo esille aikuisten SMA-potilaiden poikkeaman vammaispalveluiden henkilökohtaiseen apuun ja päivittäistoimintojen järjestämiseen liittyen.

On huomionarvoista, että tilanteissa, joissa välttämätön päivittäistoimintoihin liittyvä toisen henkilön antama apu on järjestetty nimenomaan henkilökohtaisen avun työnantajamallilla, on kyseessä myös kansantaloudellisesti kustannustehokas tapa järjestää palvelu. Samanaikaisesti työnantajamalli turvaa parhaalla mahdollisella tavalla vaikeavammaisen henkilön itsemääräämisoikeuden, elämänhallinnan sekä -valinnat, mukaan lukien esimerkiksi opiskelu- ja työelämän.

Tästä näkökulmasta katsoen, voidaan myös perustellusti katsoa tärkeäksi turvata aikuisten SMA-potilaiden toimintakykyä ja ehkäistä sairauden etenemistä kaikilla mahdollisilla keinoilla. Toimintakyyn säilyminen on edellytys työnantajavastuun toteuttamiselle. Kyselystä selviää, että 79,0 % kyselyyn vastanneista ilman lääkehoitoa olevista oli huolissaan siitä, ettei kykenisi mahdollisesti jatkossa sairauden edetessä toimimaan henkilökohtaisen avustajiensa työnantajina, jos lääkehoitoa ei olisi tulevaisuudessa saatavilla. Näin ollen aikuiset SMA-potilaat kokevat nimenomaan työnantajuuden henkilökohtaisille avustajilleen olevan tärkeää ja merkityksellinen osa omaa toimintakykyään. Toisaalta niillä aikuisilla, joilla sairaus ei vielä ole pitkälle edennyt, on mahdollisuus lääkehoidon ansiosta selvitä jatkossa vähäisemmällä henkilökohtaisella avulla, mikäli lääkehoito pysäyttää sairauden etenemisen.

- **Hengitystuki:** Vastaajista 48 %:lla ei ole ollenkaan käytössä hengitystukihoitoa ja 48 %:lla hengitystukihoito on käytössä öisin. 4 %:lla on jatkuva hengitystukihoito.

Lääkehoidolla voidaan oletettavasti ehkäistä ja myöhentää hengitystukihoidon aloittamista aikuisilla SMA-potilailla tai joissain tapauksissa estää se kokonaan. Samalla voidaan vähentää terveydenhuollon hoitovastuuta SMA-potilaiden hoidosta. Kyselyllä ei kartoitettu muita aikuisten SMA-potilaiden terveydenhuollon palveluita, koska yleisen kokemustiedon mukaisesti nimenomaan SMA-diagnoosiin liittyvänä nimittäjänä on ainoastaan useimmiten hengitystukihoito. Näin ollen hengitystuen tarpeen vähentämisellä voi olla positiivisia vaikutuksia sekä terveydenhuollolle että SMA-aikuispotilaiden elämänlaadulle.

5. Lääkehoidon hyödyt lääkettä saavilla

Neljästä lääkettä saavasta vastaajasta kaikki kokevat hyötynsä lääkkeestä paljon. 100 % vastaajista kokee yleisen jaksamisen lisääntyneen lääkkeen myötä ja lääke on pysäyttänyt kaikilla myös sairauden etenemisen. Tärkeimpiä hyötyjä (75 %:lla vastaajista) lääkkeestä on ollut myös itsenäisen toimintakyvyn paraneminen, pään kannattelukyvyn paraneminen, käsien liikkuvuuden paraneminen ja väsymyksen tunteen väheneminen. Tärkeitä hyötyjä (50 %:lla vastaajista) oli myös tasapainon, käsien hienomotoriikan, puhumisen ja yskimisen parantuminen. Nämä kaikki ovat toimintakyvyn kannalta hyvin merkittäviä. Esimerkiksi käsien liikkuvuuden ja hienomotoriikan paraneminen voi mahdollistaa tietokoneen ja puhelimen

³ Henkilökohtaisen avun saajan tuntimäärät 2019. THL tilastoraportti 37/2020.

käytön, jotka ovat usein merkittävässä osassa työelämässä. Avoimissa vastauksissa todettiin myös vastustuskyvyn parantuneen, sillä

lääkehoidon jälkeen ei ole ollut enää infektoita. Kaikki vastaajat haluavat jatkaa lääkkeitä myös tulevaisuudessa.

6. Ilman lääkkeitä olevien ajatukset lääkityksestä

- **Halukkuus lääkkeen saantiin:** 29:stä vastaajasta 25 ilmoitti olevansa tällä hetkellä SMA:han tarkoitetun lääkityksen ulkopuolella. 92 % heistä ilmoitti haluavansa lääkityksen piiriin. 8 % ei ollut vielä aivan varma kannastaan ja odottavansa lisätietoa lääkkeestä. 83 % vastaajista kertoi toivovansa Evrysdi-lääkevalmistetta ja 17 % ei osannut sanoa kantaansa. Evrysdi kiinnostaa todennäköisesti erityisesti siksi, että se annostellaan suun kautta. Monella aikuisella esimerkiksi skolioosi tai muut ruumiinrakenteen poikkeavuudet saattavat estää selkäyttimeen annosteltavan lääkkeen annostelun kokonaan tai tehdä sitä hyvin haastavaa.

Suomi erottuu kaikista muista Pohjoismaista sekä myös valtaosasta muita Euroopan valtioita siinä, ettei lääkkeitä aloiteta yli 18-vuotiaille. Kyselyssä tuli monessa kohtaa esiin SMA:ta sairastavien kokemus syrjintä ja epäoikeudenmukaisuus tähän liittyen. Avoimissa vastauksissa tuli esiin, että ihmiset seuraavat aktiivisesti muiden maiden tilannetta ja on henkisesti raskasta seurata, kuinka muissa maissa aikuiset hyötyvät lääkkeestä usein merkittävästikin, kun samanaikaisesti joutuu itse kokemaan toimintakyvyn heikkenemistä. Myös monet ulkomailla asuvat suomalaiset SMA-aikuiset saavat lääkettä asuinmaassaan ja ovat viestittäneet sen tuomista hyödyistä.

Erittäin positiivinen suhtautuminen lääkitykseen kuvastaa aikuisten SMA-potilaiden motivaatiota ja tarvetta ylläpitää omaa aktiivista elämäntoimijuutta, työ- ja toimintakykyä ikäistensä kaltaisesti ja ehkäistä sairauden etenemistä.

- **Toiveet lääkityksen vaikutuksista:**

Kaikki lääkkeitä haluavat olivat sitä mieltä, että pienenkin lihasvoiman ja motorisen kyvyn säilyminen on merkityksellistä, vaikka itse lihasvoima ei paranisikaan. Tämä vastaa täysin SMA Euroopan tekemän EUPESMA-2019 tutkimuksen (N=1474) "Understanding European patient expectations towards current therapeutic development in spinal muscular atrophy" tuloksia⁴. Tuossa tutkimuksessa 96,6 % vastaajista piti sairauden sen hetkisen tilan vakauttamista merkityksellisenä hoitotuloksena. SMA Finland ry:n kyselyssä 100 % toivoi lääkkeen parantavan yleistä jaksamista ja 96 % toivoi lääkkeen pysäyttävän sairauden etenemisen. Yli 80 % vastaajista toivoi lääkkeen ylläpitävän tai parantavan erityisesti käsien liikkuvuutta, itsenäistä toimintakykyä, hengitystä ja yskimistä. Myös esimerkiksi sähköpyörätuolilla ajaminen, tietokoneen ja puhelimen käyttö, kirjoittaminen, asennon vaihtaminen sängyssä, meikkaaminen ja hiustenlaitto, hampaiden peseminen, kasvojen lihasten hallinta, pään hallinta, syöminen, juominen ja nieleminen koetaan erittäin tärkeiksi asioiksi, joihin lääkityksellä voitaisiin vaikuttaa. SMA3-typin henkilöillä myös kävelykyvyn säilyminen on

⁴ Understanding European patient expectations towards current therapeutic development in spinal muscular atrophy <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33752935/>

erittäin merkittävä asia omatoimisen arjen kannalta. Kaikki yllämainitut asiat ovat tärkeitä asioita niin työelämän, arjen kuin inhimillisen ja hyvän elämän kannalta.

- **Huoli sairauden etenemisestä:** Lähes kaikki vastaajat olivat huolissaan sairauden etenemisestä ja sen vaikutuksesta heidän kykyynsä elää itsenäisesti ja huolehtia omista vastuistaan. Huoli työn, perhesuhteiden ja elämänhallinnan säilymisestä sairauden

edetessä on erittäin suuri. 96 %:lle vastaajista oli merkityksellistä pienenkin lihasvoiman ja motorisen kyvyn säilyminen, vaikka itse lihasvoima ei paranisikaan. Tämän lisäksi 92 % ilmoitti olevansa huolissaan omasta toimintakyvystään ja itsenäisestä toimijuudestaan sairauden edetessä, jos toimintakyky edelleen heikkenee. Juuri näiden huolien toteutumatta jäämiseen lääkehoidolla voidaan vaikuttaa ja siksi ilman lääkettä oleminen tuntuu aikuisista SMA:ta sairastavista erityisen syrjivältä ja epäoikeudenmukaiselta.

Lisätietoa kyselystä: hallitus@smafinland.fi