SMA FINLAND RY
hallitus@smafinland.fi

POTILASJÄRJESTÖLAUSUNTO

Lääkkeiden hintalautakunta
PL 33
00023 Valtioneuvosto
hila.stm@gov.fi

SMA Finland ry:n lausunto hakemukseen Evrysdi-lääkevalmisteen laajennuksesta (505/2025)

SMA Finland ry on spinaalista lihasatrofiaa sairastavien ja heidän läheistensä valtakunnallinen yhdistys. Yhdistyksen tärkeimpänä tehtävänä on edistää SMA:n lääketieteellisten hoitojen saatavuutta Suomessa, erityisesti uusien lääkehoitojen osalta, sekä parantaa potilaiden elämänlaatua tarjoamalla vertaistukea ja tietoa. Suomessa arvioidaan olevan noin 120 SMA:ta sairastavaa henkilöä, joista aikuisia on arviolta 75. SMA Finland on SMA Europen ja Eurordiksen jäsen. SMA Finlandilla ei ole sidonnaisuuksia lääkeyhtiöihin.

Tässä potilasjärjestölausunnossa otamme kantaa ainoastaan nyt lausunnolla olevaan haettuun Evrysdi-lääkevalmisteen laajennukseen tällä hetkellä ilman lääkehoitoa olevien aikuisten SMA:ta sairastavien näkökulmasta.

Perustamme näkemyksemme kansainvälisiin tutkimustuloksiin, muissa maissa asuvien SMA-aikuisten jakamiin kokemuksiin lääkehoidosta sekä kyselyyn, jonka toteutimme huhtikuussa 2025 Suomessa asuville yli 18-vuotiaille SMA:ta sairastaville. 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, joita kaikkia SMA Finland ry ei tavoita.

55 % kyselyyn vastanneista oli 18-39 -vuotiaita, 28 % 40-59 -vuotiaita ja 17 % yli 60-vuotiaita. Nuorimmat vastaajista kuuluvat lääkehoidon piiriin, sillä he ovat olleet alle 18-vuotiaita aloittaessaan lääkehoidon. Ilman lääkehoitoa olevista vastaajista valtaosa, eli 64 % jakautui pääasiassa 30–69 ikävuosiin. Kyselyyn vastanneista 65 % sairasti SMA2-tautimuotoa ja 35 % SMA3-tautimuotoa. Kyselyyn vastanneista 86 %:lla SMA-diagnoosi on vahvistettu geenitestillä. Kyselyn tulokset tarjoavat ainutlaatuisen ja realistisen tilannekuvan Suomessa asuvien spinaalista lihasatrofiaa sairastavien aikuisten ajatuksista lääkehoidosta, arjen toiminnoista sekä työ- ja toimintakyvystä. Samalla se nostaa esiin tärkeitä havaintoja aikuisten SMA-potilaiden asemasta yhteiskunnassa. Analyysi kyselyn tuloksista on tämän lausunnon liitteenä ja SMA Finlandin sivuilla.

SMA Finland ry haluaa painottaa, että arvioitaessa lääkehakemusta on erityistä huomiota kiinnitettävä potentiaalisen potilasryhmän näkemyksiin ja tarpeisiin mahdollisen lääkehoidon vaikutuksista potilaan itsemääräämisoikeuteen ja oikeudesta saada halutessaan yhdenvertaisesti riittäviä terveydenhuollon palveluita, joiksi luetaan myös riittävän tehokas ja vaikuttava lääkehoito. Erityisen välttämätöntä tämä on tilanteessa, jossa kyseessä on hyvin pieni harvinaissairautta poteva potilasryhmä, kuten spinaalista lihasatrofiaa sairastavat.

YLEISTÄ SMA-SAIRAUDESTA

Spinaalinen lihasatrofia (Spinal Muscular Atrophy, SMA) on harvinainen ja perinnöllinen neuromuskulaarisairaus. Sairaus koskettaa noin yhtä vastasyntynyttä 10 000:sta ja on yleisin geneettinen syy imeväiskuolleisuuteen. Suomessa on arviolta noin 120 SMA:ta sairastavaa henkilöä, joista aikuisia on arviolta 75 henkeä. SMA johtuu mutaatiosta SMN1-geenissä (survival motor neuron 1), mikä aiheuttaa SMN-proteiinin puutteen. Tätä proteiinia esiintyy koko kehossa ja se on elintärkeä lihasten ja liikkeen hallinnasta vastaavien hermojen toiminnalle. Ilman SMN-proteiinia hermosolut eivät toimi oikein, mikä johtaa ajan myötä merkittävään lihasheikkouteen.

Sairaus on ns. neurodegeneratiivinen ja etenevä kaikissa tapauksissa. SMA:sta on olemassa eri vaikeusasteita. Vaikeimmissa tapauksissa oireet alkavat heti syntymästä ja lievimmissäkin tapauksissa jo lapsuudessa. Vaikeusasteita kuvataan tyypeillä SMA1, SMA2 ja SMA3, joista SMA1 on vakavin. Ilman lääkehoitoa SMA1-potilaat eivät yleensä ole eläneet aikuisuuteen, joten Suomessa on tällä hetkellä pääsääntöisesti vain SMA2- ja SMA3-tyypin aikuisia.

SMA ilmenee ja etenee hyvin yksilöllisesti, mutta se on kaikissa vaikeusasteissaan oireiden alkamisen jälkeen jatkuvasti etenevä sairaus. Sairautta ei voi parantaa, mutta lääkehoidolla sairauden etenemistä voidaan hidastaa tai estää se kokonaan. Ilman lääkehoitoa sairaus edetessään heikentää tai vie kokonaan henkilön tahdonalaisten lihasten voiman. Riippuen sairauden vaikeusasteesta se voi vaikeuttaa tai tehdä mahdottomaksi muun muassa kyvyn kävellä, istua, kannatella käsivarsia, päätä tai niskaa. Se vaikeuttaa syömistä, puhumista, nielemistä ja hengittämistä. Pääsääntöisesti sairaus lyhentää elämän pituutta merkittävästi ja voi aiheuttaa paljon inhimillistä kärsimystä. SMA:ta sairastavat aikuiset elävät kuitenkin usein hyvin aktiivista elämää, josta lisää tässä lausunnossa. Se korostaa heidän nykyisen työ- ja toimintakyvyn säilymisen merkitystä.

LÄÄKEVALMISTEEN TARVE JA SEN HYÖDYT SUHTEESSA MUIHIN HOITOVAIHTOEHTOIHIN

Lääkehoidon nykytilanne

SMA:n hoitoon on Suomessa käytössä kolme myyntiluvan saanutta lääkettä: Evrysdi (risdiplaami), Spinraza (nusinerseeni) ja Zolgensma (onasemnogeeniabeparvoveekki). Näiden kaikkien korvattavuuden Suomi on tällä hetkellä rajannut vain alle 18-vuotiaana hoitonsa aloittaviin. Suomessa valtaosa aikuisista SMA-potilaista on siis jäänyt SMA:han tarkoitetun lääkehoidon ulkopuolelle. Lääkettä saavat vain ne aikuiset, joilla lääkehoito on aloitettu heidän ollessaan alle 18-vuotiaita.

SMA Finland toteaa, että Suomen nykylinjauksen mukaan Suomessa asuvat aikuiset SMA-potilaat ovat sorretussa, epätasa-arvoisessa ja hyvin poikkeavassa tilanteessa verrattuna muihin pohjoismaihin ja Eurooppaan, eikä oikeus terveydenhuoltoon vastaa yleisiä eurooppalaisia hoitolinjauksia. Viimeisimmäksi Ruotsi aloitti helmikuussa 2025 Evrysdi-lääkehoidon kaikille SMA-potilaille, ilman ikään liittyviä rajoituksia jättäen Suomen täten ainoaksi pohjoismaaksi, joka ei hoida aikuispotilaita. Evrysdi on otettu kansallisilla päätöksillä korvattavaksi lääkkeeksi laajalti Euroopassa ja suurin osa Euroopan maista hoitaa myös aikuispotilaat. Suomi on poikkeustapaus Euroopassa,

mutta myös laajemmin tarkasteltuna, sillä lääke on käytössä aikuispotilaille myös muun muassa Yhdysvalloissa ja jopa Kiinassa ja Venäjällä.

Lääkehoidon tarve ja hoitovaihtoehtojen puute

SMA-aikuispotilailla ei ole saatavilla Suomessa lääkehoitoa, joka korjaisi SMA:n perussyytä eli SMN-proteiinin puutetta. Evrysdi-lääkehoito saa kehon tuottamaan enemmän tätä liikehermoille välttämätöntä proteiinia, minkä ansiosta liikehermot säilyvät toimintakykyisinä ja taudin eteneminen pysähtyy. Hoitamattomana SMA on kaikissa tyypeissä ja kaikenikäisillä potilailla etenevä sairaus: https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4762230/

Taudin etenemisen pysähtymisen edut voivat olla potilaalle valtavan suuria. Taudin eteneminen SMA-sairaudessa voi näkyä esimerkiksi kävelemisen, itsenäisen syömisen, manuaalipyörätuolin kelauksen, sähköpyörätuolin käytön, puheäänen kuuluvuuden, tietokoneen tai puhelimen käytön, asennon vaihdon sängyssä tai pään pystyssä pitämisen hankaloitumisena tai mahdottomaksi muuttumisena. Nämä kaikki vaikuttavat kokonaisvaltaisesti elämänlaatuun, itsenäisyyteen sekä kykyyn osallistua ja vaikuttaa yhteisöön ja yhteiskunnan toimintaan.

SMA Finlandin huhtikuussa 2025 aikuispotilaille tekemän kyselyn 25:stä ilman lääkehoitoa olevasta vastaajasta kaikki olivat sitä mieltä, että pienenkin lihasvoiman ja motorisen kyvyn säilyminen on merkityksellistä, vaikka itse lihasvoima ei paranisikaan. Tämä vastaa täysin SMA Europen tekemän EUPESMA-2019 tutkimuksen (N=1474) “Understanding European patient expectations towards current therapeutic development in spinal muscular atrophy” tuloksia. Tuossa tutkimuksessa 96,6 % vastaajista piti sairauden sen hetkisen tilan vakauttamista merkityksellisenä hoitotuloksena.

Lääkehoidon korvaavia lääkkeettömiä hoitomuotoja ei SMA-potilaille ole, vaan ainoa toimi toimintakyvyn ylläpitämiseen on yleisesti SMA-potilaan omalle vastuulle jäävä yleisen fyysisen aktiivisuuden ylläpitäminen niin pitkälle, kun se on mahdollista. Yhtenä toimintatapana fyysisen aktiivisuuden eli lähinnä liikeratojen ja hengityskapasiteetin tukemisessa voidaan käyttää yksilöllistä fysioterapiaa, joka SMA-potilailla toteutetaan usein Kelan lääkinnällisenä kuntoutuksena. Fysioterapia voi tukea lääkehoitoa, mutta se ei missään tilanteessa korvaa sitä.

Osalla SMA:ta sairastavista on käytössään hengitystukihoito, pääsääntöisesti yöaikaan. Hengitystukihoidon voidaan katsoa olevan ainoa aikuisten käytössä oleva lääketieteellinen hoito, joka ei kuitenkaan korvaa lääkehoitoa. Lääkehoidolla voidaan sen sijaan ehkäistä myös tarvetta hengitystukihoitoon.

Etenevässä sairaudessa ei sairauden perussyyn korjaavaa hoitoa voi korvata millään muilla hoidoilla, koska ne eivät pysty estämään sairauden etenemistä. Sairauden etenemisen pysäyttävä hoito on ylivoimaisesti tärkein. Mitä pidemmällä aikajaksolla asiaa tarkastellaan, sitä suuremmaksi muodostuu ero hoitoa saavan ja ilman hoitoa olevan potilaan terveydessä ja toimintakyvyssä.

Lääkehoidon hyödyt osoittavat tutkimukset

Lääkkeen myyntilupa perustuu kahteen kliiniseen kokeeseen: Firefish ja Sunfish. Firefish-kokeeseen osallistui alle 7 kk ikäisiä vauvoja, jotka sairastivat tyypin 1 SMA:ta. Vuoden lääkehoidon jälkeen vauvojen liikuntakyky oli parantunut ja suurin osa oli elossa tarvitsematta jatkuvaa hengitystukea, mikä on täysin vastoin taudin luonnollista kulkua. Sunfish-kokeeseen puolestaan osallistui 2-25-vuotiaita tyyppien 2 ja 3 SMA-potilaita. Vuoden hoidon jälkeen nähtiin lääkettä saaneiden ryhmässä merkittävää liikuntakyvyn paranemista, kun taas lumeryhmässä nähtiin lievää huononemista.

Molempien myyntilupatutkimukseen osallistuneiden potilaiden hoitoa jatkettiin ja seurattiin yhteensä 5 vuoden ajan. Firefish-tutkimusta jatkaneessa SMA1-potilaiden seurantatutkimuksessa potilaat säilyivät pääsääntöisesti elossa ja heidän toimintakykynsä parantui edelleen. Sunfish-tutkimusta jatkaneessa SMA2- ja SMA3-potilaiden seurantatutkimuksessa havaittiin yleisen toimintakyvyn säilymistä ja käsien toimintakyvyn paranemista: 5 vuoden hoidon jälkeen potilaiden MFM32-pisteet olivat samat kuin hoidon alkaessa, RULM-pisteet olivat n. 2 pistettä hoidon alkuajankohtaa paremmat ja HFMSE-pisteet olivat 1 pisteen alkuajankohtaa huonommat. Hoitovasteen merkityksen ymmärtää vertaamalla tuloksia luonnolliseen taudinkulkuun: vastaavalla potilasjoukolla olisivat MFM32-pisteet laskeneet 8 pistettä 5 vuoden aikana. Potilaat olivat tutkimuksen päättyessä 7-30-vuotiaita.

Jewelfish-kokeessa havaittiin 1-60 -vuotiailla potilailla SMA-taudissa puuttuvan SMN-proteiinin tason kaksinkertaistuneen ja toimintakyvyn stabiloituneen, mitkä molemmat säilyivät kahden vuoden seurannan ajan.

Evrysdi-hoito on täten osoittanut olevansa tehokas kaikissa SMA-tyypeissä ja kaikissa ikäryhmissä, myös pitkäaikaisesti tarkasteltuna. Kaikissa tutkimuksissa lääke todettiin turvalliseksi.

Tutkimustulokset lähteineen: https://smafinland.fi/evrysdi/

Rajauksen keinotekoisuus

Edellä esitetyistä tutkimuksista vain osa tehtiin aikuisilla. Kaikkien muidenkin tutkimusten tulokset kuitenkin tukevat lääkkeen hyötyjä myös aikuisilla, koska kaikilla SMA:ta sairastavilla on ikään katsomatta oireiden syynä SMN-proteiinin puute, jota lääkehoito korjaa. Hoidon rajaaminen lapsiin ja nuoriin on nähdäksemme täysin keinotekoinen, eikä sitä voi lääketieteellisesti perustella. Näemmekin, että lääkehoidon tulisi olla tautikohtainen, eikä potilasryhmäkohtainen. Näinhän onkin asianlaita lähes kaikilla lääkkeillä.

LÄÄKEVALMISTEEN KÄYTTÖTAVAN EDUT

Suomessa on käytössä kaikkiaan kolme SMA:n hoitoon tarkoitettua lääkettä, joiden kaikkien korvattavuus on Suomessa rajattu alle 18-vuotiaana hoidon aloittaviin. Kaikista kolmesta lääkkeestä juuri Evrysdi on aikuispotilaille sopivin vaihtoehto, sillä se annostellaan suun kautta. Tämä annostelutapa on potilaalle helpompi kuin esimerkiksi

lannepistona sairaalassa annettavan Spinrazan. Monilla SMA-potilailla on skolioosin takia tehty selkärangan luudutusleikkaus, mikä vaikeuttaa osaltaan lannepiston antamista ja voi etenkin vanhemmilla SMA-potilailla tehdä sen mahdottomaksi. Leikkaussaliolosuhteissa sairaalassa annettu lääkehoito on myös terveystaloudellisia kustannuksia aiheuttava antotapa, mikä lisäksi aiheuttaa potilaalle hoidon saamiseen liittyvää inhimillistä kärsimystä, epämukavuutta ja kipua, jotka voidaan välttää toteuttamalla lääkehoito suun kautta annettavalla Evrysdi-lääkehoidolla.

Suun kautta annettava lääkehoito ei myöskään rajoita arkielämää, työssäkäyntiä, opiskelua tai vastuutehtäviä, joita SMA:ta sairastavilla aikuisilla on paljon. Siihen ei myöskään tarvita erityisiä terveydenhuollon ammattilaisen toimenpiteitä lääkkeen annon ja annostelun toteutuksessa. Se lisää potilaan itsemääräämisoikeutta lääkehoidon toteuttamisessa, mikä motivoi entisestään SMA-potilaiden kokonaisvaltaista hoitoa ja kuntoutusta. Lääke voidaan tarvittaessa annostella myös PEG-letkun tai nenä-mahaletkun kautta, mikä antaa laajemmat mahdollisuudet annostelulle, eikä rajaa myöskään nielemisvaikeuksista kärsiviä potilaita hoidon ulkopuolelle.

SMA Finland ry:n toteuttamassa kyselyssä kaikki lääkettä jo saavat (N=4) olivat valinneet Evrysdin juuri sen helpon annostelun mukaan. Evrysdi myös kiinnosti ilman lääkettä olevia (N=25) ja 83 % vastaajista toivoi saavansa juuri sitä. Loput 17 % eivät olleet vielä muodostaneet kantaansa.

Lääkkeettömään hoitoon verrattuna lääkevalmiste tuottaa erittäin merkittävän hyödyn, koska sillä voidaan pysäyttää taudin eteneminen ja jopa palauttaa menetettyä toimintakykyä. Näin ollen Evrysdi-lääkkeelle on huutava tarve aikuisten SMA-potilaiden hoidossa.

TAUDIN ETENEMISEN PYSÄYTTÄVÄN LÄÄKEHOIDON VAIKUTUKSET MERKITTÄVIÄ POTILAIDEN TYÖ-JA TOIMINTAKYVYN KANNALTA

Nykyisen toimintakyvyn säilyminen tärkeää

SMA Finland ry:n tekemän kyselyn tulosten mukaan 100 % lääkettä jo saavista aikuisista (eli alle 18-vuotiaana lääkehoidon aloittaneista) koki hyötyneensä lääkkeestä paljon. Kaikilla lääkettä saavilla oli Evrysdi-lääkevalmiste. He kaikki kokivat yleisen jaksamisen lisääntyneen lääkkeen myötä ja lääke oli pysäyttänyt kaikilla myös sairauden etenemisen. Tärkeimpiä hyötyjä lääkkeestä oli ollut itsenäisen toimintakyvyn, pään kannattelukyvyn, käsien liikkuvuuden ja hienomotoriikan, tasapainon, puhumisen ja yskimisen parantuminen. Nämä kaikki ovat toimintakyvyn kannalta hyvin merkittäviä. Esimerkiksi 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. Samoja asioita ilman lääkettä olevat odottivat saavansa lääkkeeltä. 96 % toivoo lääkkeen pysäyttävän sairauden etenemisen. Osalla SMA:ta sairastavista aikuisista itsenäinen toimintakyky on vielä hyvä ja sairauden pysähtymisellä voidaan selvästi vähentää muun muassa vammaispalveluiden tarvetta tulevaisuudessa. Toimintakyvyn hyvänä pysyminen voi vähentää myös SMA:n aiheuttamia liitännäissairauksia.

SMA-aikuisilla keskimääräistä korkeampi koulutustausta ja työelämäosallisuus

SMA:ta sairastavilla aikuisilla on keskimääräistä korkeampi koulutustausta ja työelämäosallisuus. SMA Finlandin kyselystä kävi ilmi, että 67 %:lla vastaajista koulutustasona oli alempi tai ylempi korkeakoulututkinto tai he opiskelivat parhaillaan tutkintoa. 28 %:lla vastaajista oli ylempi korkeakoulututkinto. 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 %. Kyselyyn vastanneilla SMA-potilailla on siis poikkeavan korkea työllisyysaste suhteessa yleiseen vammaisten työllisyysasteeseen. Tämä kertoo, että valtaosa SMA-aikuisista elää hyvin aktiivista elämää ja heillä on aktiivinen rooli yhteiskunnassa. Korkea koulutus- ja työelämäosallisuuden aste nostaa esille lääkehoidon poikkeuksellisen tärkeyden ja perusteet lääkehoidon saamiselle SMA-potilaiden työkyvyn ylläpitämiseksi ja sairauden etenemisen ehkäisemiseksi.

SMA-aikuisilla on vahva elämänhallinta, aktiivisuus ja vastuunkanto

SMA:ta sairastavilla on myös tärkeitä perherooleja ja yhteiskunnallisia rooleja. Toimintakyvyn säilymisellä on suuri merkitys myös sille, että nykyiset roolit perhe- ja ystäväpiireissä sekä luottamustoimissa voivat jatkua. Vastaajista 31,0 % elää avo- tai avioliitossa. 28 %:lla vastaajista on joko lapsia tai henkilöitä, joiden huollosta he vastaavat. Kyselyyn vastanneista 38 % ilmoitti olevansa luottamustoimissa ja 88 % ilmoitti harrastavansa aktiivisesti vapaa-ajalla tai olevansa muutoin aktiivinen. Omaehtoinen aktiivisuus eri toimissa 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 tasa-arvoisia vastuunkantajia. 86 % kyselyyn vastanneista myös toimii itse työnantajina henkilökohtaisille avustajilleen. Tämä malli mahdollistaa itsenäisyyden ja osallistumisen yhteiskuntaan. Samalla se työllistää merkittävän määrän henkilöitä.

Potilaiden motivaatio omaan hoitoon on suuri

92 % ilman lääkehoitoa olevista toivoo saavansa lääkettä ja kaikki lääkettä jo saavat haluavat jatkaa lääkehoitoaan. Erittäin positiivinen suhtautuminen lääkehoitoon kuvastaa aikuisten SMA-potilaiden motivaatiota ja tarvetta ylläpitää omaa aktiivista elämäntoimijuutta, työ- ja toimintakykyä ikäistensä kaltaisesti ja ehkäistä sairauden etenemistä. Vastaajat olivat huolissaan omasta toimintakyvystään ja itsenäisestä toimijuudestaan sairauden edetessä. 79 % oli myös huolissaan kyvystään huolehtia vastuutehtävistä työelämässä, luottamustoimissa, toisen ihmisen huoltajana jne., mikäli toimintakyky heikkenee. Sairauden eteneminen huolestuttaa ja lääkkeellä se voisi olla pysäytettävissä. Siksi potilaat kokevat erityisen raskaaksi seurata, kuinka muissa maissa aikuiset hyötyvät lääkkeestä usein merkittävästikin, kun he samanaikaisesti joutuvat kokemaan toimintakyvyn heikkenemistä. Myös monet ulkomailla asuvat suomalaiset SMA-aikuiset saavat lääkettä asuinmaassaan ja ovat viestittäneet sen tuomista hyödyistä.

SMA etenee hyvin yksilöllisesti ja myös vanhemmilla SMA-potilailla voi olla paljon säilyttämisen arvoista toimintakykyä jäljellä. Siksi nykyinen ikärajaus tuntuu erityisen epäoikeudenmukaiselta.

Tämän lausunnon iitteenä olevan adressin avulla SMA:ta sairastavat aikuiset haluavat tuoda esiin aktiivista elämäänsä ja lääkehoidon merkitystä sen jatkumiseksi.

LÄÄKEHOIDOTTA JÄÄMINEN LOUKKAA AIKUISTEN SMA-POTILAIDEN PERUS- JA IHMISOIKEUKSIA

Jokaisella ihmisellä on oikeus saada tarvitsemansa terveydenhuolto ilman syrjintää. Oikeutta turvaavat sekä Suomen perustuslaki että kansainväliset ihmisoikeussopimukset. Yhdenvertainen oikeus terveydenhuoltoon on perusoikeus, joka sitoo julkista valtaa. Kaikilla on oikeus saada tarvitsemansa hoitoa ilman perusteetonta syrjintää terveydentilan perusteella.

Voimassa oleva ikärajaus lääkehoidolle on perusoikeudellisesti ongelmallinen

Perustuslain 6 §:n perusteella säädetään kansalaisten yhdenvertaisuudesta lain edessä. Tämä perusoikeus koskee myös aikuisia SMA-potilaita. Heitä ei saa asettaa ilman hyväksyttävää syytä eri asemaan iän, vammaisuuden tai terveydentilaan liittyvän syyn perusteella. Edelleen perustuslain 19 § edellyttää julkista valtaa turvaamaan oikeuden riittäviin ja tarpeen mukaisiin terveyspalveluihin, ilman syrjintää. Lääkehoidon osalta tämä tarkoittaa oikeutta samanlaatuiseen ja saavutettavaan, tarpeen mukaiseen hoitoon. Julkisella vallalla on velvollisuus turvata jokaisen oikeus tähän oikeusturvaan perustuslain 21 §:n perusteella sekä 22 §:n perusteella perus- ja ihmisoikeuksien toteutuminen. Potilaita on lisäksi kohdeltava ihmisarvoa kunnioittaen ja yksilöllisesti. Hoidon on perustuttava hyväksyttyyn hoitokäytäntöön ja lääketieteelliseen tietoon. Tästä on säädetty laissa potilaan asemasta ja oikeuksista (785/1992).

Näin ollen esimerkiksi nyt olemassa oleva erottelu lääkehoidon saamiselle iän perusteella tulee arvioida sen hyväksyttävyyden ja oikeasuhtaisuuden mukaisesti perusoikeuksien valossa. Tällä hetkellä voimassa oleva viranomaisohjeistus rajaa yhdenvertaista oikeutta riittävään terveydenhuoltoon, mitä voitaneen tulkita perusoikeuksien rajoittamiseksi.

Perustuslakivaliokunta on useissa lausunnoissaan (esim. PeVL 44/2010 vp, PeVL 31/2013 vp) toistuvasti korostanut, että ikäperusteinen syrjintä terveydenhuollossa on perusoikeusloukkaus, ellei sille ole erityisen painavaa ja hyväksyttävää perustetta. Perustuslain 6 §:n 2 momentti kieltää syrjinnän iän perusteella, ja perustuslakivaliokunta on pitänyt tiukasti kiinni tästä periaatteesta. (10.10.2024 | Hallituksen esitykset | Finlex, 8.12.2020 | Hallituksen esitykset | Finlex). ikärajojen asettaminen terveydenhuollossa on perusoikeusherkkää ja edellyttää erityisen painavaa ja hyväksyttävää perustetta. Tällaisia perusteita voivat olla esimerkiksi hoidon tehokkuus, potilasturvallisuus tai hoidon saatavuus, mutta ne eivät saa perustua pelkästään hallinnollisiin tai taloudellisiin syihin. (9.10.2023 | Hallituksen esitykset | Finlex).

Evrysdi-lääkevalmiste on lukuisilla kansainvälisillä tutkimuksilla todettu olevan lääkehoitona tehokas ja potilasturvallinen. SMA vaikuttaa radikaalisti sairastuneen ihmisen mahdollisuuksiin itsenäisyyteen ja sitä kautta itsemääräämisoikeuden

toteutumiseen. Itsemääräämisoikeuden rajoittuminen puolestaan vaikuttaa välittömästi perusoikeuksien toteutumiseen. Perusoikeuksia voidaan rajoittaa vain tietyin laissa säädetyin tiukoin edellytyksin. Rajoitusten tulee aina olla perusteltuja, oikeasuhtaisia ja lainmukaisia ja ne eivät koskaan voi perustua viranomaisen antamiin ohjeistuksiin, linjauksiin tai päätöksiin. Mahdollisen rajoituksen on oltava välttämätön tavoitteen saavuttamiseksi eikä se saa mennä pidemmälle kuin on tarpeen. Myöskään rajoitettavan perusoikeuden ydinaluetta ei saa rajoittaa.

Tilanne on perusoikeusnäkökulmasta katsottuna ongelmallinen. Nyt asetettu ikäraja lääkehoidolle rajaa kategorisesti aikuiset SMA-potilaat lääkehoidon ulkopuolelle. Tehokkaalla lääkehoidolla voidaan lisätä potilaan terveydentilaa ja toimintakykyä, mikä vaikuttaa välittömästi myös kykyyn hallita omia perusoikeuksiaan, kuten itsemääräämisoikeutta, yhdenvertaisuutta, oikeutta työhön, toimeentuloon ja opiskeluun jne. Näin ollen lääkehoidon arvioinnissa on kiinnitettävä erityisesti huomiota lääkehoidon perusoikeusherkkään luonteeseen.

YK:n vammaisten henkilöiden oikeuksia koskeva yleissopimus velvoittaa yhdenvertaiseen terveydenhuoltoon

Suomi on ratifioinut YK:n vammaisten henkilöiden oikeuksia koskevan yleissopimuksen (CRPD, Convention on the Rights of Persons with Disabilities) vuonna 2016. Yleissopimus on laintasoisesti voimassa ja osa oikeusjärjestelmäämme. Se velvoittaa Suomen viranomaisia varmistamaan, että säädettävät lait, käytänteet ja viranomaisohjeistukset ovat yleissopimuksen velvoitteiden mukaisia. Sopimus takaa vammaisille henkilöille yhdenvertaisen oikeuden terveydenhuoltoon muiden kanssa.

Yhdenvertaisesta oikeudesta terveydenhuoltoon on säädetty sopimuksen 25:ssa artiklassa. Artiklan perusteella vammaisilla henkilöillä on oikeus nauttia parhaasta mahdollisesta terveydentilasta ilman syrjintää vammaisuuden perusteella. Tämän toteuttamiseksi sopimusvaltiot sitoutuvat muun muassa tarjoamaan vammaisille henkilöille saman laajuiset ja -laatuiset ilmaiset tai kohtuuhintaiset terveyspalvelut sekä edistämään terveyspalveluja. Terveydenhuoltopalveluja tulee järjestää erityisesti tarpeisiin, jotka johtuvat vammaisuudesta, joita vammaiset henkilöt tarvitsevat erityisesti vammaisuutensa vuoksi, mukaan lukien varhainen tunnistaminen ja puuttuminen tarvittaessa, sekä palvelut, joilla pyritään minimoimaan ja estämään uusia vammoja. Tämä tarkoittaa myös ennaltaehkäiseviä terveydenhuollon palveluita, joiksi voidaan lukea myös lääkehoito. Oikeus terveydenhuoltoon tulee turvata ilman syrjintää.

Perus- ja ihmisoikeudellinen yhteenveto

Hoitojen kuulumisesta julkisin varoin järjestettyyn terveydenhuoltoon säädetään Terveydenhuoltolain 7 a §:ssä. Pykälän sisältö voidaan hoitojen osalta kirjoittaa yksinkertaistaen seuraavasti: Kaikki lääketieteellisesti perustellut hoidot, joiden riski-hyötysuhde on potilaan kannalta edullinen pois lukien ne kalliit hoidot, joiden vaikuttavuus on vähäinen, kuuluvat julkisesti rahoitettuun terveydenhuoltoon.

Lääketieteellinen perusteltavuus ja edullinen riski-hyötysuhde tulee ilmi Evrysdin myyntiluvan myöntämisperusteissa. Kliinisten tutkimusten perusteella voidaan todeta, että Evrysdi-lääkehoidon todennäköisin vaikutus myös SMA:ta sairastavilla aikuisilla olisi vähintään taudin etenemisen pysähtyminen. SMA on erittäin vaikeasti vammauttava ja henkeä uhkaava sairaus, joten taudin etenemisen pysäyttämistä ei

voida mitenkään pitää vähäisenä vaikutuksena. SMA:n lääkehoitojen ja tämän kyseisen lääkevalmisteen on kuuluttava terveydenhuollon palveluvalikoimaan ja täten korvattaviin lääkkeisiin.

Perustuslakivaliokunnan linjausten mukaan ikäperusteinen syrjintä terveydenhuollossa on sallittua vain, jos sille on erityisen painava ja hyväksyttävä peruste, kuten hoidon tehokkuus tai potilasturvallisuus. Pelkkä hallinnollinen tai taloudellinen syy ei riitä oikeuttamaan ikärajoja. Tällöin on tärkeää, että sääntely on oikeasuhtaista ja perusteltua, eikä se johda epäoikeudenmukaiseen erotteluun potilaiden välillä. (9.10.2023 | Hallituksen esitykset | Finlex)

CRPD taasen velvoittaa Suomea varmistamaan, että terveyspalvelut ovat syrjimättömiä, saavutettavia ja yhdenvertaisia ja että vammaisten henkilöiden kokemukset ja tarpeet otetaan huomioon palvelujen suunnittelussa. Lisäksi sopimus velvoittaa varmistamaan, että kansallisesti voimassa olevat lainsäädökset ja käytännöt vastaavat CRPD:n vaatimuksia.

Perustuslain 19 §:n mukaan julkisen vallan on turvattava jokaiselle riittävät terveyspalvelut. Palvelujen riittävyyttä arvioitaessa voidaan lähtökohtana pitää sellaista palvelujen tasoa, joka luo jokaiselle ihmiselle edellytykset toimia yhteiskunnan täysivaltaisena jäsenenä.

14. toukokuuta 2025

Lassi Murto, puheenjohtaja

SMA Finland ry

Lisätiedot: hallitus@smafinland.fi

Liite 1: SMA-aikuisten adressi

Liite 2: SMA Finlandin tekemän kyselyn tulosten analyysi