

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

SMA Finland ry:n lausunto hakemukseen Evrysdi-lääkevalmisteen uudesta lääkemuodosta (1363/2025)

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 nyt lausunnolla olevaan haettuun Evrysdi-lääkevalmisteen uuteen lääkemuotoon.

LÄÄKEHOIDON MERKITYS SMA:TA SAIRASTAVILLE

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. 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 eniten SMA2- ja SMA3-tyypin potilaita.

SMA ilmenee ja etenee hyvin yksilöllisesti, mutta se on kaikissa vaikeusasteissaan oireiden alkamisen jälkeen jatkuvasti etenevä sairaus. Sairautta ei voi parantaa, mutta lääkeshoidolla 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 mahdollottomaksi 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:han tarkoitetuilla lääkevalmisteilla, kuten Evrysdi, on useissa tutkimuksissa osoitettu olevan hyötyä kaiken ikäisille SMA:ta sairastaville. Mahdollisimman pian sairauden diagnosoinnin jälkeen aloitettu lääkehoito parantaa usein merkittävästi motorisia taitoja ja säästää sairauden vaikeampiakin muotoja sairastavien henkiä. Myös aikuisilla havaittu lääkehoidon aikaansaama sairauden etenemisen pysähtyminen ja mahdollinen voimien ja toimintakyvyn parantuminen ovat erinomaisia tuloksia. Taudin etenemisen pysähtymisen edut voivat olla potilaalle valtavan suuria. Taudin eteneminen SMA-sairaudessa voi näkyä esimerkiksi kävelemisen, itsenäisen syömisen, manuaalipyörätuolin kelauksen, sähköpyörätuolin käytön, puheäänien 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 Finland ry:n keväällä 2025 tekemässä [kyselyssä lääkeshoidosta SMA-aikuisille](#) kaikki (N=25) ilman lääkehoitoa olevat vastaajat 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.

Suomen nykylinjauksen mukaan Suomessa asuvat aikuiset SMA-potilaat eivät saa SMA:han tarkoitettua lääkehoitoa, mikäli sitä ei ole aloitettu heidän ollessaan alle 18-vuotiaita. He ovat sorretussa, epätasa-arvoisessa ja hyvin poikkeavassa tilanteessa verrattuna muihin pohjoismaihin ja Eurooppaan, eikä oikeus terveydenhuoltoon vastaa yleisiä eurooppalaisia hoitolinjauksia. Lääkehoidon yhdenvertaista oikeutta tukevat useat Suomessa voimassa olevat lait, perusoikeudet ja kansainväliset ihmisoikeussopimukset sekä erityisesti YK:n laintasoisesti voimassa oleva vammaisten henkilöiden ihmisoikeussopimus. Nykyisen tilanteen voidaan siis katsoa rikkovan perus- ja ihmisoikeuksia. Olisikin erittäin tärkeää saada kiireesti lääkehoito kaikkien SMA:ta sairastavien hyödynnettäväksi.

TABLETTIMUOTOISEN LÄÄKEVALMISTEEN EDUT VERRATTUNA NESTEMÄISEEN VALMISTEESEEN

Evrysdi-lääkevalmisteen tablettimuoto on otettu käyttöön jo useassa maassa ja kokemukset siitä ovat olleet hyviä. Bioekvivalenssitutkimukset ovat osoittaneet, että uusi 5 mg Evrysdi-tabletti antaa elimistöön saman määrän risdiplaamia kuin vastaava annos nestemäistä oraaliliuosta. Tämä tarkoittaa, että teho ja turvallisuus ovat samat molemmissa annosmuodoissa.

Potilaan kannalta tablettimuoto tuo arkeen usein merkittäväkin helpotusta. Toisin kuin nestemäinen valmiste, tabletti ei vaadi kylmäsäilytystä ja valmistepullon pitämistä tietyssä asennossa. Tämä helpottaa usein aktiivista elämää elävien SMA-lasten, nuorten

ja aikuisten arkea, joka ulottuu aina myös kodin ulkopuolelle. Kylmäsäilytys ja pullon käsittely ovat aiheuttaneet haasteita muun muassa matkustustilanteissa. Pullon pohjalle jää usein myös hukkaan menevää lääkeainetta, sillä kahden pullon sisältöä ei voi sekoittaa keskenään.

SMA:ta sairastavien motivaatio lääkettä kohtaan on jo nyt hyvin korkealla tasolla, mutta tablettimuodon helppous korostaisi sitä todennäköisesti entisestään. SMA Finland ry:n keväällä 2025 tekemä kysely lääkeshoidosta SMA-aikuisille osoitti, että 92 % ilman lääkeshoittoa olevista toivoo saavansa lääketta ja kaikki lääketta jo saavat haluavat jatkaa lääkeshoittoa. Erittäin positiivinen suhtautuminen lääkeshoittoon kuvastaa aikuisten SMA-potilaiden motivaatiota ja tarvetta ylläpitää omaa aktiivista elämäntoimijuuutta, työ- ja toimintakykyä ikäistensä kaltaisesti ja ehkäistä sairauden etenemistä.

Tablettimuoto sopii suurimmalle osalle SMA:ta sairastavista, sillä sen voi tarvittaessa myös liottaa veteen. Nestemäisen lääkevalmisteen säilyminen vaihtoehtona nykyisille lääkkeen saajille ja sen korvattavuuden laajentuminen myös aikuisille SMA-potilaille on kuitenkin tärkeää erityisesti heille, joilla on nielemisvaikeuksia ja käytössä letkuravitsemus.

Me SMA Finland ry:ssä näemme tablettimuotoisen lääkevalmisteen erittäin hyvänä asiana ja toivomme sen korvattavuutta kaiken ikäisille SMA:ta sairastaville. Samalla muistutamme, että Evrysdi-lääkeshoidon laajennushakemuksen (505/2025) käsittely on kestänyt kohtuuttoman kauan. Viivyttely hakemuksen käsittelyssä näkyy suoraan SMA:ta sairastavien aikuisten elämässä ja käsittelyprosessin aikana on jo menetetty toimintakykyä, joka olisi ollut lääkkeellä säästettävissä.

24. tammikuuta 2026

Lassi Murto, puheenjohtaja

SMA Finland ry

Lisätiedot: hallitus@smafinland.fi