

KOKEELLINEN HOITO

Terveydenhuollon antama kokeellinen hoito on hoitoa, jota ei ole hyväksytty osaksi tavanomaista hoitokäytäntöä yleensä sen vuoksi, että sen vaikutuksia ei vielä ole riittävästi tutkittu. Se voi olla markkinoilla olevan lääkkeen käyttämisestä tarkoitukseen tai sellaiselle potilasryhmälle, johon valmistetta ei ole rekisteröity, mutta se voi olla myös muuta kuin lääkehoitoa. Tässä kannanotossa kokeellisella hoidolla tarkoitetaan terveydenhuollon ja terveydenhuollon ammattihenkilöiden antamaa kokeellista hoitoa.

Osa terveydenhuollon nykyisistä menettelytavoista on alkujaan ollut kokeellista hoitoa. Muun muassa elinsiirrot, jotka ovat vakiintuneet hoitokäytännöksi, on aloitettu kokeellisena toimintana. Sitten niiden tueksi on saatu myös tutkimusnäyttöä. Jo käytössä olevia lääkkeitä ja menetelmiä on kokeiltu kliinisisä lääketutkimuksissa sellaisten syöpäpotilasryhmien hoitoon, jotka eivät ole kuuluneet alkuperäiseen tutkimusasetelmaan. Monet vastasyntyneiden tehohoidon lääkkeet on omaksuttu osaksi hoitomenetelmiä kokeellisesta hoidosta saadun näytön perusteella. Kokeellisena aloitettu hoito, jossa hyödynnetään jo markkinoilla olevia lääkkeitä, on tärkeä osa myös yritystä löytää tehokkaita hoitomuotoja harvinaissairauksiin. Ilman kokeellista hoitoa vastasyntyneet ja harvinaissairauksia sairastavat ovat vaarassa jäädä ilman vaikuttavia hoitomuotoja. Muun muassa Euroopan unionissa on laadittu säännöksiä näiden ryhmien hoidon edistämiseen (ks. [lastenlääkeasetus](#) ja [harvinaislääkesäännökset](#)).

Valtakunnallinen sosiaali- ja terveysalan eettinen neuvottelukunta (ETENE) pitää tärkeänä herättää keskustelua kokeellisen hoidon eettisistä kysymyksistä. ETENE päätti siksi ottaa aiheen tarkasteltavaksi. Asiasta on viime aikoina käyty keskustelua lehdistössä ja televisiossa. Kokeellisen hoidon ja lääketieteellisen tutkimuksen rajoja on pohdittu myös Helsingin käräjäoikeudessa vuonna 2014. Kannanottonsa lisäksi ETENE tarjoaa aineistona keskustelun jatkamiseen valtionhallinnon harjoittelijan, VTK Kristiina Feltn aiheesta laatiman raportin, johon on koottu kokeellista hoitoa koskevaa aineistoa sekä tiivistetty ETENEn asiasta käymässä keskustelussa esitetyt näkökohdat.

Kokeellista hoitoa koskeva lainsäädäntö

Suomessa ei ole erityissäännöksiä kokeellisesta hoidosta. Jos kokeellinen hoito on terveydenhuollon toimintaa, sitä koskevat yleiset terveydenhuollon säännökset, joista keskeisimpiä ovat laki terveydenhuollon ammattihenkilöistä (559/1994) sekä laki potilaan asemasta ja oikeuksista (785/1992, myöhemmin potilaslaki). Laissa terveydenhuollon ammattihenkilöistä määritellään tällaisten henkilöiden oikeudet ja vastuu. Sen mukaan terveydenhuollon ammattihenkilön on sovellettava ammattitoiminnassaan yleisesti hyväksytyjä ja kokemusperäisesti perusteltuja menettelytapoja koulutuksensa mukaisesti ja pyrittävä jatkuvasti täydentämään tietoaan ja taitojaan. Henkilön tulee ottaa toiminnassaan huomioon potilaalle menettelystä koituva hyöty ja sen mahdolliset haitat. Potilaslain mukaan potilaalla on oikeus joko suostua hänelle tarjottuun hoitoon tai kieltäytyä siitä. Suostumuksen ja kieltäytymisen perustana on tieto, jonka terveydenhuollon ammattihenkilö on velvollinen antamaan potilaalle. Terveyden ammattihenkilöiden toimintaa valvoo sosiaali- ja terveysalan lupa- ja valvontavirasto Valvira.



Ihmisillä tehtävää lääketieteellistä tutkimusta säätelee laki lääketieteellisestä tutkimuksesta (488/1999). Lain mukaan tutkimuksen on perustuttava tutkimussuunnitelmaan. Tutkimuksessa käytettävän intervention riskeistä ja mahdollisista hyödyistä on laadittava ennakoarvio, ja tutkittavalle on annettava kaikki osallistumis päätökseen vaikuttava tieto. Koetta ei saa aloittaa ennen kuin tutkittava on antanut kirjallisen, tietoon perustuvan suostumuksen osallistumistaan siihen.

Uusien lääkkeiden käyttöönottoa edeltävät nykyisin yleensä kliiniset lääketutkimukset, joihin Fimea antaa luvan ja joita se valvoo. Eettiset toimikunnat arvioivat etukäteen lääketieteelliset tutkimushankkeet, ja kliinisiä lääketutkimuksia koskevan ennakoarvion tekee TUKIJA, ellei se siirrä arviointia alueelliselle eettiselle toimikunnalle. Tutkimuslupa voidaan myöntää vain tutkimuksille, joille eettinen toimikunta tai TUKIJA antaa myönteisen lausunnon.

Kokeellista hoitoa koskevia erityiskysymyksiä

Kokeellinen hoito ja lääketieteellinen tutkimus muistuttavat paljon toisiaan, erityisesti jos hoidon vaikutuksista kohteena olevalle potilaalle tai potilasryhmälle on vain vähän tietoa. Ne kuitenkin myös poikkeavat toisistaan: kokeellista hoitoa ei toteuteta yleensä minkään tutkimusohjelman mukaisesti, vaan annostus, kesto ja seurantamenetelmät räätälöidään potilaan oireiden ja tilanteen perusteella. Yliopistosairaaloihin on viime vuosina perustettu niin sanottuja hoidon arviointiryhmiä, mutta muuten kokeellista hoitoa ei välttämättä arvioida ennakoilta. Kliiniseen lääketutkimukseen osallistuvalla tutkittavalla poliklinikkakäynnit ja tutkimusvalmiste ovat maksuttomia, kokeelliseen hoitoon osallistuva maksaa itse käyntinsä ja lääkkeensä hoidon toteuttamispaikan mukaan.

Erityisesti yksityisessä terveydenhuollossa on viime vuosina yleistynyt markkinoilla olevien lääkkeiden käyttäminen muihin kuin sairauksiin, joiden hoitamiseen lääke on rekisteröity. Valvira on saanut aikaisempaa enemmän ilmoituksia tällaisista käytännöistä. Selvityksissä on ilmennyt, että potilaat eivät ole aina olleet selvillä hoidon kokeellisesta luonteesta, eikä potilaita ei ole seurattu riittävän huolellisesti ja pitkään mahdollisten haittojen toteamiseksi. Kaikkia potilaita ei ole tutkittu huolellisesti, minkä vuoksi ei ole voitu sulkea pois mahdollisuutta, etteivät oireet johdu sairaustilasta, johon annetulla hoidolla on pyritty vaikuttamaan.

ETENEn kannanotto perustuu aiheen käsittelyyn neuvottelukunnan kokouksissa 2/2015 - 3/2016. ETENE on kuullut asiantuntijoina varatuomari Paula Vartiaista Helsingin yliopistosta, arviointiyli lääkäri Kimmo Mattilaa Helsingin ja Uudenmaan sairaanhoitopiiristä, professori Akseli Hemminkiä Helsingin yliopistosta, tutkimusprofessori Marjukka Mäkelää terveyden ja hyvinvoinnin laitokselta, johtaja Lauri Pelkosta lääkkeiden hintalautakunnasta STMstä sekä ylilääkäri Markus Henrikssonia sosiaali- ja terveysalan lupa- ja valvontavirastosta Valvirasta. Lisäksi neuvottelukunta on tutustunut Kristiina Feltin kokoamiin selvityksiin ja raporttiluonnoksiin.

Kokeellista hoitoa koskevia eettisiä näkökohtia

ETENE kiinnittää huomiota siihen, että kokeellisen hoidon ja lääketieteellisen tutkimuksen välinen raja on häilyvä ja sen määrittelemine on vaikeaa. Kokeellista hoitoa säätelevät pelkästään yleiset terveydenhuollon säännöt ja sitä valvovat terveydenhuollon valvontaviranomaiset. Lääketieteellistä tutkimusta sen sijaan säädellään varsin yksityiskohtaisesti. Se arvioidaan ennakoilta, ja erityisesti kliiniseen lääketutkimukseen kohdistetaan monenlaisia hoidon vaikutusten seurantamekanismeja. Kokeellinen hoito ja lääketieteellinen tutkimus muistuttavat



toisiaan siinä, että hoidon tai kokeen tulos on epävarma, ja riski, että hoidosta on haittaa tai se on tehotonta, on suurempi kuin tavanomaisessa hoidossa. Lääketieteelliseen tutkimukseen osallistuvalla tutkittavalla edellytetään kirjallista, tietoon perustuvaa suostumusta. Vastaavan suostumuksen pyytäminen on ollut käytäntönä myös, jos kokeellista hoitoa on annettu tutkimusvaiheessa olevalla lääkellä. Jos yksityisvastaanotolla potilaan tapaava lääkäri esittää hoidoksi markkinoilla jo olevan lääkkeen käyttämistä kokeellisesti johonkin sellaiseen tarkoitukseen, johon lääkettä ei ole rekisteröity, ei toistaiseksi ole aina pystytty todentamaan, onko potilas tiennyt hoidon kokeellisuudesta, ja millaiseen tietoon potilaan suostumus hoitoon on perustunut.

ETENEn mukaan kokeellinen hoito on osa hoidon kehittämistä erityisesti pienten potilasryhmien tarpeisiin. On kuitenkin muistettava, että kokeellisesta hoidosta saatu tieto on epävarmempaa kuin tutkimusasetelmasta saatu tieto. Kokeellisesta hoidosta olisi tämän vuoksi pyrittävä siirtymään tutkimusasetelmaan, jossa lääkkeen vaikutusta voidaan mitata ja verrata toisenlaista hoitoa saavien ryhmään.

Jos tieto hoidon hyödyistä ja erityisesti sen haitoista on puutteellista, potilasta hoitavalla terveydenhuollon ammattihenkilöllä on eettinen velvoite seurata potilaan vointia tarkemmin kuin antaessaan tavanomaiseen hoitokäytäntöön perustuvaa hoitoa. Tämä vastaa lääketieteellistä tutkimusta toteuttavan ammattihenkilön velvoitetta turvata tutkimuspotilaan edun toteutumisen muun muassa monitoroimalla potilaan vointia ja huolehtimalla hyötyjen ja haittojen raportoinnista.

ETENEn ehdotukset

ETENE ehdottaa, että Suomessa otettaisiin käyttöön kokeellista hoitoa koskeva ilmoitusmenettely, jolla hoidon toteuttaja ilmoittaisi valtakunnalliselle viranomaiselle kokeellisesta, hoitokäytännöstä poikkeavasta hoidosta. Ilmoitusta ei kuitenkaan tarvittaisi yksittäisen potilaan hoidosta.

Ilmoitusmenettely antaisi hoitoa valvovalle elimelle mahdollisuuden seurata hoidon toteuttamista ja sen vaikutuksia. Ilmoitusmenettelyyn voitaisiin sisällyttää myös toteuttajan velvoite monitoroida hoidon vaikutuksia, mikäli hoito jatkuu pitkään ja erityisesti mikäli hoitoa annetaan useammalle henkilölle. Jos hoidosta ei ole tutkittua tietoa, valvovalla viranomaisella olisi mahdollisuus ehdottaa hoidon toteuttajalle suunnitelman tekemistä siitä, miten hoidon vaikutusta voitaisiin paremmin arvioida, rohkaista tutkimussuunnitelman laatimiseen ja varsinaisen tutkimuksen toteuttamiseen. Kokeellisia hoitoja valvova kansallinen viranomainen voisi myös seurata, että hoidon tulokset tulevat julkisiksi.

Ehdotettu menettely voisi auttaa siirtämään painopistettä valvonnasta ongelmien ennakointiin. Se edistäisi tiedon keräämistä hoitojen vaikutuksista ja vaikuttavista hoidoista, rohkaisisi koeasetelmien laajentamista tutkimukseksi ja ehkäisisi vaikutusta vailla olevien ja haitallisten hoitojen käyttöä terveydenhuollossa.

Potilaan oikeus itsemääräämiseen toteutuu potilaalle annettavan tiedon ja tietoon perustuvan suostumuksen kautta. ETENE suosittelee kirjallisen tiedotteen ja tietoon perustuvan nimenomaisen kirjallisen tai vähintäänkin dokumentoidun suostumuksen käyttämistä kaikessa kokeellisessa hoidossa. Suostumusasiakirjojen pohjalta voidaan myös jälkikäteen arvioida, onko potilaan saama tieto hoidon kokeellisuudesta ollut riittävän selkeää.



Lääketieteen kehittyessä hoitoa suunnataan enenevästi esimerkiksi yksittäisten potilaiden perintötekijäprofiilin mukaisesti. Jo nyt on esimerkkejä syöpäsairauksien hoidoista, jotka on suunnattu ainoastaan potilaille, joilla on tietty perintötekijämuutos. Uusien hoitojen kehittäminen harvinaissairauksia sairastaville perustuu nykyään mutta todennäköisesti myös vastaisuudessa kokeellisille hoidoille. On tärkeää rohkaista terveydenhuollon ammattihenkilöstöä hoitokokeiluihin, joiden pohjalta voidaan löytää vaikuttavia hoitoja. Hoidon korvausjärjestelmiä pitäisi jatkossa kehittää niin, että ne voivat turvata potilaiden oikeuden heidän tarpeitaan vastaavaan vaikuttavaan hoitoon.

Neuvottelukunnan puolesta

Puheenjohtaja

Jaana Hallamaa

Pääsihteeri

Ritva Halila

Jakelu

STM

sosiaali- ja terveysministeri, perhe- ja peruspalveluministeri

STM/STO/Tepa ja AHE

STM/Viestintä

Eduskunta kirjaamo ja sosiaali- ja terveysvaliokunta

Eduskunnan oikeusasiamies

Valvira

Yliopistosairaalat/arviointiylilääkärit

Sairaanhoitopiirien eettiset toimikunnat, TUKIJA

Suomen Lääkäriliitto

Suomalainen Lääkäriseura Duodecim

