

Kokeellista hoitoa koskevien eettisten erityiskysymysten tarkastelua

Kristiina Felt, VTK

Sisältö

Kokeellista hoitoa koskevien eettisten erityiskysymysten tarkastelua	0
1. Mitä kokeellinen hoito on?	1
2. Kokeellista hoitoa koskeva lainsäädäntö	2
2.1 Kansainväliset sopimukset ja julistukset.....	2
2.2 Suomen lainsäädäntö.....	3
3. Kokeellinen hoito käytännössä.....	5
3.1 Kokeellisen hoidon käytäntöjä Yhdysvalloissa ja Euroopassa	5
3.2 Esimerkkejä kokeellisen hoidon valvonnasta Suomessa.....	5
4. Kokeellista hoitoa koskevia eettisiä näkökulmia.....	6
5. Lopuksi	8
Kirjallisuus	9

1. Mitä kokeellinen hoito on?

Kokeellinen hoito on hoitoa, jonka tehosta, vaikuttavuudesta ja haittavaikutuksista ei ole riittävää tai tieteelliset kriteerit täyttävää tutkimusnäyttöä, eikä se kuulu terveydenhoidon hoitokäytäntöihin.

Kokeelliseen hoitoon luetaan hyvin monenlaisia lääketieteellisiä toimenpiteitä. Kokeellista hoitoa on esimerkiksi se, että potilaan hoidossa käytetään markkinoilla olevaa valmistetta, jonka tehoa ei ole tutkittu hoitona potilaan sairauteen. Tätä kutsutaan lääkkeen *off label* -käytöksi. Harvinaissairauksiin liittyvät hoitokokeilut ovat yksi tyypillinen ja keskeinen lääkkeiden *off label* -käytön sovellusalue.

Kokeellisessa hoidossa voidaan myös käyttää lääkkeitä, joiden vaikutuksia vielä tutkitaan johonkin toiseen käyttöindikaatioon tai potilasryhmään. Joskus potilasta, joka ei täytä tutkimuksen sisäänottokriteerejä, hoidetaan kokeellisesti tutkittavalla lääkkeellä kliinisen tutkimusprojektin ulkopuolella.

Kokeellinen hoito ei kuitenkaan rajoitu ainoastaan lääkkeiden poikkeukselliseen käyttöön. Esimerkiksi elintensiirrot ovat alkaneet alun perin kokeellisena hoitona ja vakiintuneet lopulta hoitokäytännön mukaisiksi toimenpiteiksi. Pandemiassa on myös turvaututtu kokeelliseen hoitoon. Tuoreimpana esimerkkinä Ebola-infektioiden hoitokokeilut Länsi-Afrikassa, joiden eettisyyttä Maailman lääkäriliitto puolsi lausunnossaan vuodelta 2014.

Toimenpiteenä kokeellinen hoito asettuu lääketieteellisen tutkimuksen ja vallitsevien hoitokäytäntöjen mukaisen potilaan hoidon välille. Yksi keskeinen lääketieteellisen tutkimuksen ja kokeellisen hoidon välinen ero koskee hoidon päämäärää. Kokeellisessa hoidossa yksittäisen potilaan hoito on toiminnan päämäärä. Lääketieteellisen tutkimuksen tavoite on tutkimustiedon kerääminen, ja siksi tutkimukset suunnitellaan ja arvioidaan huolellisesti ennen niiden aloittamista. Tutkimukseen osallistujat valitaan myös varsin tarkasti. Koehenkilöiden valintaperusteina käytetään muun muassa muuta sairautta ja siihen käytettyä lääkitystä tai henkilön ikää.

Lääketieteellistä ihmisen koskemattomuuteen puuttuvaa tutkimusta säädellään tutkimuslailla (488/1999, laki lääketieteellisestä tutkimuksesta). Suomen lainsäädännössä ei sitä vastoin ole kokeellista hoitoa koskevia erityissäädöksiä vaan sitä koskevat samat säännökset kuin muutakin potilaan hoitoa. Se, että hoitotoimenpiteet ovat kokeellisia ja niiden kohteet ovat potilaana haavoittuvassa asemassa, johtaa kysymään, toteutuvatko potilaan itsemääräämisoikeus ja potilasturvallisuus kokeellisessa hoidossa.

Hoitokokeiluilla on merkittävä osuus lääketieteen kehityksessä, vaikka niiden keskeinen tavoite onkin potilaan hoitaminen. Hyvä esimerkki tästä on Heikki Joensuun 2000-luvun alussa tekemä hoitokokeilu huonoennusteista suolistosyöpää sairastavalle potilaalle toisen syövän hoitoon tarkoitettulla, tuolloin vielä tutkimusvaiheessa olleella lääkkeellä. Onnistuneen kokeilun jälkeen lääkkeen teho suolistosyövän hoidossa osoitettiin kliinisissä lääketutkimuksissa, ja taudin hoito ja ennuste muuttuivat merkittävästi alun perin kokeiluna alkaneen hoidon seurauksena.

Kokeellisessa hoidossa lääkkeen käyttöaihe ja annos määritellään yksilöllisesti. Hoidon toteuttajalla tulee olla käsitys hoidon mahdollisista vaikutuksista ja haitoista, jotta potilasta ei altisteta turhille riskeille. Suomessa lääkäriellä on potilaan hoidon suhteen varsin laaja ammatillinen autonomia. Tämä tarkoittaa, että laillistetulla lääkäriellä on oikeus päättää potilaan tutkimuksesta, taudinmäärityksestä sekä hoidosta, kun hän käyttää yleisesti hyväksytyjä menettelytapoja koulutuksensa mukaisesti. Potilasta on kuitenkin aina hoidettava yhteisymmärryksessä hänen kanssaan. Hoitokokeilu ei välttämättä ole yleisesti hyväksytty menettelytapa, mutta lääkäri voi kokemuksensa pohjalta perustella sen käyttöä potilaan tilanteessa punnitsemalla samalla hoidon hyötyjä ja haittoja.

Joissakin terveydenhuollon yksiköissä on laadittu omia kokeellista hoitoa koskevia ohjeita. Esimerkiksi HUSin sisäisissä ohjeissa korostetaan hyötyjen ja haittojen arvioinnin lisäksi hoidon kustannusten määrittämistä. Jos lääkäri toimii yksityisen terveydenhuollon yksikössä, hoidon ennakoarviointi ja seuranta voivat jäädä hoitavan lääkärin vastuulle. Kokeelliseen hoitoon ei ole valtakunnallista tai alueellista ennakoarviointia kuten lääketieteellisen tutkimuksen hankkeisiin. Lääkäriellä on kuitenkin kaikissa potilaan hoitoa koskevissa päätöksissään ammatillinen vastuu, jota arvioidaan tarvittaessa jälkikäteen.

Kokeellista hoitoa pohditaan tässä selvityksessä nimenomaan terveydenhuollon ammattihenkilön toimintana. Käsittelyn ulkopuolelle rajataan terveydenhuollon ammattihenkilöihin kuulumattomat toimijat ja

terveydenhuollon ulkopuolella annetut hoidot. Selvityksessä pohditaan, suojaako terveydenhuoltojärjestelmämme riittävästi haavoittuvassa asemassa olevaa potilasta hänen saadessaan hoitoa, jonka tehoa tai turvallisuutta ei ole toistaiseksi todennettu. Tähän lukeutuu kokeellinen hoito vielä rekisteröimättömällä lääkkeellä, rekisteröidyn lääkkeen *off label* -käyttö sekä muut potilaan hoitamiseksi tehdyt hoitokokeilut, joista ei ole tutkimusnäyttöä.

Kuinka potilaan oikeudet ja hyvä hoito voidaan toteuttaa kokeellisessa hoidossa parhaalla mahdollisella tavalla? Liian tiukka säätely voi hidastaa uusien hoitokäytäntöjen kehittymistä ja potilaan oikeutta saada terveydentilansa vaatimaa hoitoa erityisesti, jos vallitsevien hoitokäytäntöjen mukaiset toimenpiteet ovat osoittautuneet hyödyttömiksi. Silloin kun potilasta ei voida auttaa hoitokäytäntöjen mukaisella hoidolla, mahdollisuus saada kokeellista hoitoa voidaan myös katsoa potilaan oikeudeksi. Kokeellisen hoidon hyöty siitä apua saavalle yksilölle sekä terveydenhuoltojärjestelmän kehittymiselle on parhaassa tapauksessa merkittävä. Jos säätelyä kiristetään liiaksi tavoitteena tehdä hoitokokeiluista täysin turvallisia, avun saaminen voi vaikeutua ja uusien hoitojen kehitys hidastua.

Keskeinen kokeellisen hoidon säätelyä koskeva vaikeus on se, ettei kokeellista hoitoa voida määrittellä tarkasti. Hoitokokeiluiden sisältö voi vaihdella aina terminaalivaiheessa olevalle potilaalle annettavasta yksilöllisestä syöpähoidosta jo vakiintuneessa käytössä olevan lääkkeen *off label* -käyttöön. Valvonnan tarve kasvaa mitä enemmän toimenpiteen käyttäminen muistuttaa tutkimustoimintaa ja mitä suuremmat ovat kokeilun potilaalle aiheuttamat riskit. Huolimatta siitä, että potilaalle tarjottu hoito on kokeellista, sen tulee olla aina lääketieteellisesti asianmukaista ja kunnioittaa potilaan oikeuksia.

2. Kokeellista hoitoa koskeva lainsäädäntö

2.1 Kansainväliset sopimukset ja julistukset

Euroopan neuvoston biolääketiedettä ja ihmisoikeuksia koskeva yleissopimus (myöhemmin biolääketiedesopimus) on ratifioitu osaksi Suomen lainsäädäntöä helmikuussa 2010.

Biolääketiedesopimuksessa ja sen lisäpöytäkirjoissa, jotka pitävät sisällään erityisalueita täsmentäviä määräyksiä, on asetettu sopimuksen ratifioineelle valtiolle vähimmäisvelvoitteet jättäen tilaa kansallisella tasolla tehtäville lain soveltamispäätöksille. Biolääketiedesopimuksessa keskeisenä tavoitteena on ihmisoikeuksien suojelu lääketieteen ja biologian alalla. Keskeisiä asiakohtia ovat muun muassa ihmisarvon kunnioittaminen, yksilön ensisijaisuus yhteisöön nähden, toimenpiteiden suorittaminen ammatillisten velvoitteiden ja vaatimusten mukaisesti sekä tietoon perustuva suostumus lääketieteellisiin toimenpiteisiin. Sopimuksella säädellään nimenomaan erityyppisiä relaatioita, joissa potilas on osallisena. Tällaisia ovat esimerkiksi potilaan ja lääkärin suhde sekä tutkittavan ja tutkijan suhde.

Biolääketiedesopimuksen 5 artiklassa on otettu kantaa potilaan itsemääräämisoikeuteen. Terveysteen kohdistuva toimenpide voidaan tehdä vain, jos henkilö on antanut suostumuksensa vapaasta tahdostaan ja tietoisena kaikista asiaan vaikuttavista seikoista. Biolääketiedesopimuksen mukaan suostumus voidaan antaa monin tavoin riippuen toimenpiteestä ja hoitotilanteesta. Se voi olla sanallinen, kirjallinen tai implisiittinen. Potilaan tulee voida antaa suostumus vapaasti ilman pakkoa tai suostuttelua. Nimenomainen kirjallinen tai suullinen suostumus on tarpeen invasiivisissa toimenpiteissä, tutkimuksissa tai hoidoissa. Tutkittavan suostumuksen lisäksi lääketieteellisen tutkimuksen edellytyksenä biolääketiedesopimuksen 16 artiklassa muun muassa määrätään, että toimivaltaisen tahon on hyväksyttävä tutkimushanke sen jälkeen, kun sen tieteellisyys, tavoitteen merkitys ja eettisyys on arvioitu riippumattomasti ja monitieteisesti.

Maailman lääkäriliiton Helsingin julistus on ihmiseen kohdistuvan tutkimuksen eettisten periaatteiden perusta. Myös Suomen lääkäriliitto on sitoutunut siinä esitettyihin periaatteisiin. Helsingin julistuksessa esitettyjä periaatteita on kirjattu myös kansallisiin lakeihin, kuten Suomessa tutkimuslakiin. Julistuksen 37 artikla koskee kokeellisia hoitoja. Tässä otetaan kantaa näyttöä vailla olevien toimenpiteiden käyttöön tilanteessa, jossa tunnetut hoitotoimenpiteet potilaan hoitamiseksi on havaittu tehottomiksi. Tällöin lääkäri voi toista asiantuntijaa konsultoituaan ja potilaan tai häntä edustavan henkilön suostumuksella käyttää yksittäisen potilaan hoidossa toimenpiteitä, jotka eivät perustu tieteelliseen näyttöön. Niihin voidaan turvautua, jos niiden käyttö voi lääkärin arvion mukaan tarjota mahdollisuuden pelastaa potilaan hengen, palauttaa tämän terveyden tai vähentää kärsimystä. Näiden toimenpiteiden turvallisuutta ja tehokkuutta on tämän jälkeen arvioitava tieteellisin tutkimuksin, saatu tieto on tallennettava ja saatettava julkisesti saataville, jos se on mahdollista. Maailman lääkäriliiton julistuksen mukaan tämä tiedon tallennus ja julkiseksi

saattaminen on keskeistä kaikissa tapauksissa. Hoitokäytäntöjen kehittymisen ja potilasturvallisuuden kannalta onkin tärkeää, että myös hoitojen toimimattomuus tuodaan esille.

Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksen N:o 726/2004 artiklassa 83 säädetään lääkkeen ”erityisluvallisesta käytöstä”. Erityisluvallista käyttöä voidaan soveltaa potilaisiin, joilla on krooninen tai vakavasti heikentävä tai henkeä uhkaava sairaus ja joita ei voida tyydyttävästi hoitaa luvan saaneilla lääkkeillä. Erityisluvalliseen käyttöön tarkoitettua lääkettä on pitänyt tehdä myyntilupahakemus tai sitä koskevien kliinisten tutkimusten tulisi olla käynnissä. Asetuksessa ei kuitenkaan määritellä toimenpidettä valtuuttavaa tahoja ja erityisluvallinen rekisteröimättömien lääkkeiden käyttö jää kansallisen lainsäädännön piiriin.

2.2 Suomen lainsäädäntö

Suomen lainsäädännössä ei ole kokeellista hoitoa koskevia erityissäädöksiä. Kokeellisia hoitoja koskevat kuitenkin yleisesti terveydenhuollon ammattihenkilöstä annettu laki (559/1994), potilaan asemasta ja oikeuksista annettu laki (785/1992), lääkelain 15 c § (395/1987, lääkelaki) sekä Fimean määräys pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävien lääkkeiden valmistamisesta yksittäiselle potilaalle (Dnro 608/03.01.01/2009).

Terveydenhuollon ammattihenkilölaissa on säädetty, että ammattitoiminnan päämääränä on terveyden ylläpitäminen ja edistäminen, sairauksien ehkäiseminen sekä sairaiden parantaminen ja heidän kärsimystensä lievittäminen. Laillistettu lääkäri päättää potilaan tutkimuksesta, taudinmäärittämisestä ja siihen annettavasta hoidosta. Ammattihenkilön on ammattitoiminnassaan sovellettava yleisesti hyväksytyjä ja kokemusperäisiä perusteltuja menettelytapoja koulutuksensa mukaisesti, jota hänen on pyrittävä jatkuvasti täydentämään. Ammattitoiminnassaan terveydenhuollon ammattihenkilön tulee tasapuolisesti ottaa huomioon ammattitoiminnasta potilaalle koituvat hyödyt ja sen mahdolliset haitat. Lisäksi hänen tulee ottaa huomioon potilaan oikeudet.

Potilaslaki koskee kaikkea potilaan hoitoa. Potilaslain 3 §:ssä säädetään potilaan oikeudesta hänen terveydentilansa edellyttämään terveyden- ja sairaanhoitoon terveydenhuollolla käytettävissä olevien voimavarojen mukaisesti. Potilaslain 5 §:ssä säädetään potilaan tiedonsaantioikeudesta. Potilaalle on annettava tieto hänen terveydentilastaan, hoidon tarkoituksesta ja hoitovaihtoehtoista sekä muista hänen hoitonsa kannalta merkittävistä seikoista. Potilaslain 6 §:ssä on säädetty potilaan itsemääräämisoikeudesta. Potilaslain mukaan potilasta on hoidettava yhteisymmärryksessä hänen kanssaan ja potilaan kieltäytyessä jostain hoitotavasta häntä on mahdollisuuksien mukaan hoidettava, jollain muulla lääketieteellisesti hyväksyttävällä tavalla. Myös Suomen perustuslaissa (731/1999) on säädetty itsemääräämisoikeudesta.

Itsemääräämisoikeudessa on kyse pohjimmiltaan heikomman suojasta. Potilas katsotaan hoitosuhteessa heikommaksi osapuoleksi erityisesti, jos hänen kykynsä huolehtia itsestään ja oikeuksistaan on puutteellinen. Potilaslaissa ei ole otettu kantaa suostumuksen antotapaan tai sisältöön. Monet hoitotoimenpiteistä kuitenkin edellyttävät kuitenkin potilaan nimenomaista suullista tai kirjallista suostumusta. Tällaisille toimenpiteille on tunnusomaista se, että niissä puututaan voimakkaasti henkilön fyysiseen tai psyykkiseen koskemattomuuteen, tai niistä potilaalle koituvan haitan tilastollinen riski on huomattava. Muun muassa potilaan hoitolinjan valintaa koskevat päätökset ovat tärkeitä hoitopäätöksiä. Potilaalla on potilaslain mukaan oikeus myös kieltäytyä terveydentilansa koskevasta tiedosta ja antaa silti suostumuksensa hoitoon. Lisäksi potilaslakiin kuuluu rajoittamisvaltuus, jonka mukaan potilaalle ei pidä antaa selvitystä jos se vaarantaisi hänen henkensä tai terveytensä.

Läkelain 15 c §:ssä säädetään lääkkeen valmistamisesta yksilölliseen hoitoon. Vastuu yksilöllisesti valmistetun lääkkeen käytöstä potilaan hoidossa kuuluu yksinomaan lääkärille. Säännöksessä on annettu Fimealle valtuutus asettaa tällaista hoitoa koskevia tarkempia määräyksiä. Fimean määräyksessä ei kuitenkaan oteta kantaa siihen, milloin kokeellista hoitoa voidaan käyttää potilaan auttamiseksi.

Lääketieteellisissä tutkimuksissa sovelletaan tutkimuslakia. Tutkimuksesta koituvan hyödyn on aina arvioitava olevan tutkittavalle suurempi kuin tutkimuksesta aiheutuvan haitan. Tutkittavan etua on pidettävä yhteiskunnan ja tieteen etua tärkeämpänä. Tutkittavan edun toteutumisen seuraaminen muodostaa erityisen, tutkimuksen ajan kestävänsä valvontavelvollisuuden. Lääketieteellistä tutkimusta ei saa aloittaa ilman eettisen toimikunnan lausuntoa. Eettisen toimikunnan on lain mukaan esitettävä perusteltu näkemys siitä, onko

tutkimus eettisesti hyväksyttävä, ja tämän lisäksi sen on arvioitava, onko tutkimussuunnitelmassa otettu huomioon lääketieteellistä tutkimusta koskevat säännökset tai määräykset.

Potilaslakiin kirjattu tiedonsaantioikeutta koskeva säännös on toisenlainen kuin tutkimuslain edellyttämä suostumus. Tutkimuslain 6 §:n mukaan ihmiseen kohdistuvaa lääketieteellistä tutkimusta ei saa suorittaa ilman tutkittavan kirjallista tietoon perustuvaa suostumusta. Säännöksestä voidaan poiketa esimerkiksi jos henkilötietojen antaminen on tutkittavan edun vastaista tai jos tutkimuksesta aiheutuu tutkittavalle vain vähäinen rasitus, eikä siitä ole haittaa hänen terveydelleen. Tämä poikkeus ei koske kuitenkaan kliinisiä lääketutkimuksia. Tutkimuslain mukaan tutkittavalle on annettava riittävä selvitys hänen oikeuksistaan, tutkimuksen tarkoituksesta, luonteesta ja siinä käytettävistä menetelmistä. Hänelle on myös annettava riittävä selvitys mahdollisista riskeistä ja haitoista. Tutkittavan on pystyttävä päättämään suostumuksestaan tietoisena tutkimukseen liittyvistä, hänen päätöksentekoonsa vaikuttavista seikoista ja oikeuksistaan. Tutkimuslain ja potilaslain erojen katsotaan johtuvan tutkimuksen ja hoidon eri päämääristä.

Kokeellisiin hoitoihin liittyy myös potilasvahinkolakia (585/1986) ja sairausvakuutuslakia (1335/2004) koskevia oikeudellisia näkökulmia. Potilasvahinkolain mukaan korvausta lääkkeen aiheuttamasta vahingosta korvausta suoritetaan tutkimuksesta, hoidosta tai muusta vastaavasta käsittelystä tai sellaisen laiminlyönnistä edellyttäen, että kokenut terveydenhuollon ammattihenkilö olisi tutkinut, hoitanut tai muutoin käsitellyt potilasta toisin ja siten todennäköisesti välttänyt vahingon, joka potilaalle on aiheutunut. Lisäksi arvioidaan onko potilaalle aiheutunut haitta kohtuuton. Potilasvahinkolain soveltaminen kokeelliseen hoitoon on ongelmallista, koska se on vakiintuneista hoitokäytännöistä poikkeavaa toimintaa, jonka riskejä ei tunneta. Potilasvahingon yhteydessä voidaan kuitenkin arvioida, olisiko kokenut terveydenhuollon ammattihenkilö kuitenkin päätyntä myös kokeelliseen hoitoon.

Sairausvakuutuslain mukaan lääke kuuluu korvauksen piiriin kun sitä käytetään yleisen hoitokäytännön mukaisesti. Lääkkeen myyntilupa ja korvattavuus määräytyy sen mukaan, millaisella käyttöindikaatiolla lääkkeen valmistaja on osoittanut lääkkeen turvallisuuden ja tehon.

Joidenkin vaikeiden ja pitkäaikaisten sairauksien hoidossa käytettävistä lääkkeistä maksetaan peruskorvausta suurempi erityiskorvaus. Erityiskorvausta on mahdollista kuitenkin saada vain sen käyttöindikaation mukaiselle hoidolle, johon myyntilupa on saatu. Jos potilasta hoidetaan markkinoilla olevalla erityiskorvattavalla lääkkeellä mutta poiketen virallisesta käyttöindikaatiosta, se voidaan korvata ainoastaan peruskorvauksen mukaisesti.

Yksityisessä terveydenhuollossa potilas vastaa itse kokeellisen hoidon kustannuksista. Jos kokeellinen hoito toteutetaan julkisen terveydenhuollon yksikössä, se vastaa kokeellisen hoidon kustannuksista siltä osin, kuin se ylittää asiakasmaksun.

Vielä tutkimusvaiheessa olevalla, rekisteröimättömällä lääkkeellä ei ole myyntilupaa. Näin ollen lääkkeellä ei ole hintaa eikä sitä voi markkinoida tai ostaa. Tutkimusvaiheessa olevan lääkkeen käyttö kokeellisessa hoidossa riippuukin lääkkeen valmistajan päätöksestä. Lääkkeen valmistaja vastaa tällöin myös lääkkeen kustannuksista.

Tulevina vuosina joudutaan enenevässä määrin pohtimaan lääkkeiden korvattavuutta yksilöidyissä lääkehoidoissa. Korvausjärjestelmän reagointi uusimpiin tutkimustuloksiin on hidasta. Suomessa on tuomioistuinkäsittelyn seurauksena päädytty korvaamaan Ruotsissa potilaalle annettu harvinaissairauden hoito, josta vasta myöhemmin tuli Suomessa osa hyvää hoitokäytäntöä, mutta joka oli potilaan sairastaessa jo tarjolla useissa Euroopan maissa.

Kelan tutkimusjaoston vuonna 2015 julkaiseman harvinaissairauksia hoitaville lääkäreille tehdyn kyselytutkimuksen mukaan nykyinen lääkekorvausjärjestelmä ei huomioi riittävästi harvinaissairauksien hoitoa. Harvinaissairaudeksi katsotaan sairaus, jota sairastaa enintään viisi ihmistä 10 000 ihmistä kohti. Vaikka suuri osa harvinaissairauksien hoidossa käytettävistä lääkkeistä korvattiin selvityksen mukaan normaalin käytännön mukaan, joidenkin potilaiden lääkekustannukset voivat silti kasvaa suuriksi sen vuoksi, että harvinaissairauksien hoitamiseen käytetyt lääkkeet ovat harvoin erityiskorvattavia. Kyselytutkimuksessa lääkärit ehdottivat harvinaissairauksien lääkehoidon kehittämiseksi muun muassa yksinkertaisempia korvauskäytäntöjä sekä hoidon keskittämistä ja työnjakoa yliopistosairaaloiden kesken. Harvinaissairauksia koskevan tiedon keräämiseen ehdotettiin muun muassa valtakunnallista sairauskohtaista rekisteriä potilaista ja heidän oireistaan sekä harvinaissairauksien hoitojen vaikutusten dokumentointia.

3. Kokeellinen hoito käytännössä

3.1 Kokeellisen hoidon käytäntöjä Yhdysvalloissa ja Euroopassa

USA:ssa FDA (Food and Drug Administration) antaa luvan sekä seuraa kokeellisten hoitojen kulkua. FDA tarjoaa kattavat kokeellista hoitoa koskevat ohjeet sekä lääkärille että potilaalle. Kokeelliseen hoitoon osallistuminen edellyttää muun muassa kirjallisen suostumuksen potilaalta sekä hyväksynnän institutionaaliselta arviointiryhmältä (Institutional Review Board, IRB). Kokeellisen hoidon tulokset ja haittavaikutukset raportoidaan FDA:lle. Kokeelliseksi hoidoksi katsotaan nimenomaan rekisteröimättömän lääkkeen tai lääketieteellisen laitteen käyttö potilaan hoidossa. On kuitenkin mahdollista, että instituutio, jossa jo rekisteröidyn lääkkeen *off label*-hoitokokeilu tehdään, edellyttää hoitokokeilulle IRB:n arvioinnin tai muuta valvontaa. Syyskuussa 2015 USA:n kahdessakymmenessä osavaltiossa tuli voimaan ”oikeus kokeilla”-lakikokoelma (right to try laws), joka antaa terminaalivaiheessa oleville potilaille mahdollisuuden käyttää rekisteröimättömiä lääkkeitä ilman FDA:n lupaa ja suojaa hoitokokeiluun osallistuvaa lääkärinä ammatillisilta rangaistustoimilta (professional discipline).

Vuonna 2010 julkaistiin selvitys kymmenessä Euroopan unionin jäsenmaassa käytössä olevista kliinisen tutkimuksen ohjeista ja säädöksistä. Suomi ei ollut mukana tutkimuksessa. Tutkimuksessa selvitettiin myös kokeellisen hoidon käytäntöjä (”compassionate use” tai ”expanded access”). Kokeelliseen hoitoon ei luettu mukaan lääkkeen *off label* -käyttöä. Yleisesti ottaen katsottiin, että Euroopan maiden välillä oli kokeellisen hoidon suhteen enemmän eroavaisuuksia kuin yhteneväisyyksiä. Ainoa yhteneväisyys oli, että kaikissa maissa, joissa kokeelliseen hoitoa oli mahdollisuus antaa, vastuu hoidosta oli hoitavalla lääkärillä. Epäselvä raja kokeellisen hoidon ja kliinisen tutkimuksen välillä ja maasta toiseen vaihtelevat säädökset aiheuttavat selvityksen mukaan riskin, että kliinisten lääketutkimusten sijasta kokeellista hoitoasetelmaa käytetään tiedon keräämiseen uusista lääkkeistä. Näin voidaan kiertää kliinisiltä tutkimuksilta vaadittavia edellytyksiä. Kokeellinen hoito koskee yleensä heikoimmassa asemassa olevia, ja sen saatavuuteen kohdistuvat odotukset ovat kasvaneet. Selvityksen johtopäätöksissä todetaan, että potilaan suojeleminen edellyttää kokeellisen hoidon säätelyä, sen edellytyksiä, rajoittamista ja vastuita koskevaa, nykyistä selkeämpää ja informatiivisempaa lainsäädäntöä.

European Group of Ethics in Science and New Technologies -asiantuntijaryhmä suositteli viimeisimmässä kannanotossaan N:o 29 lokakuussa 2015 tarkempia kokeellisia hoitoja koskevia säännöksiä ja perusteli näkemystä sillä, että säännökset muun muassa hoitojen aloittamisen valtuuttavasta tahosta, velvollisuudesta kerätä tietoa, tietoon perustuvasta suostumuksesta sekä eettisestä arviosta vaihtelivat eri jäsenmaissa.

3.2 Esimerkkejä kokeellisen hoidon valvonnasta Suomessa

Heikki Joensuun lääkekokeilu suolistosyöpää sairastavalle potilaalle on hyvä esimerkki hoitokokeilujen eduista yksilön ja lääketieteen kehityksen kannalta. Onnistunut kokeilu johti lääkkeen tehon todistamiseen suolistosyövän hoidossa kliinisin lääketutkimuksin ja lopulta taudin hoidon ja ennusteen muuttumiseen.

Empiiriset hoitokokeilut ovat välttämätön osa lääketiedettä. Varsinkin harvinaissairauksissa uusien lääkkeiden kokeileminen tai lääkkeiden *off label* -käyttö voi olla olennainen osa yrityksiä löytää potilaille toimiva hoito. Jos potilaan diagnoosi on epävarma, myös hoito on kokeilevaa. Lääkärin antaman hoidon on kuitenkin perustuttava näyttöön aina, kun se on mahdollista. Kun hoitokäytännöistä poiketaan, lääkärin on kirjattava perustelut hoitolinjan muuttamisesta ja kuvaus asian esittämisestä potilaalle.

Kokeellisen hoidon hyötyjen rinnalla on pohdittava myös niiden mahdollisia haittoja ja hoidon tehostomuutta. Terveystieteessä hoitomenetelmät perustuvat hoitosuosituksiin, jotka taas perustuvat toisaalta tieteelliseen näyttöön ja toisaalta kokemukseräisiin hoitokäytäntöihin. Tieteelliseen näyttöön perustuva hoito jaotellaan näytön asteen mukaan. Suomessa muun muassa terveyden ja hyvinvoinnin laitoksen alaisuudessa toimiva Finohita arvioi terveydenhuollon menetelmiä. Finohita on sairaanhoitopiirien kanssa käynnistänyt vuonna 2005 uusien menetelmien käyttöönottoa koskevan valtakunnallisen HALO-ohjelman. HALO ohjelma arvioi kattavasti terveydenhuollon menetelmiä diagnosoinnista hoitoon ja kuntoutukseen. Keskeistä on pyrkiä terveydenhuollossa näyttöön perustuviin menetelmiin, joiden vaikuttavuus ja turvallisuus tunnetaan riittävästi ja joiden kustannukset ovat kohtuulliset.

Sosiaali- ja terveystalouden lupa- ja valvontavirastossa Valvirassa on ollut lisääntyvässä määrin arvioitavina hoitopäätöksiä, joita voidaan pitää kokeellisina hoitoina ja joissa on katsottu voivan epäillä potilasturvallisuuden vaarantuneen. Valvira on joutunut rajoittamaan paitsi yksittäisten lääkäreiden kliinistä autonomiaa myös puuttumaan hoitoyhteisön hoitokäytäntöihin.

Valviran toiminnan tarkoitus on valvoa terveydenhuollon ammattihenkilöiden ja yksiköiden toimintaa ja se perustaa päätöksensä selvityksiin, potilasasiakirjoihin sekä asiantuntijoiden arvioihin. Valvira arvioi lääkärin hoitopäätöksiä sille tehtyjen ilmoitusten perusteella jälkikäteen.

Arvioinnissaan Valvira kiinnittää huomiota muun muassa siihen, onko potilaan oikeus yleisesti hyväksytyyn hoitoon turvattu, ovatko tarjotun hoidon toteutus ja seuranta asianmukaisia ja onko potilasta informoitu hoidon kokeellisuudesta.

Valviran viime vuosina arvioimissa, kokeellista hoitoa koskevissa tapauksissa tarkastelun kohteena ovat olleet terveydenhuollon ammattihenkilöstön diagnosoimat, vakiintuneista määräyksistä poikkeavat uudenlaiset taudinkuvat ja niihin tarjottu hoito, potilaan terveydentilan seuraamisen laiminlyöminen, sekä merkittävä poikkeaminen lääketieteellisesti perusteltavissa olevista hoitokäytännöistä. Vaikka potilaan oireet voivat helpottaa lyhyellä aikavälillä, väärän hoidon aiheuttamat pitkän ajan haitat voivat olla merkittäviä. On myös tapauksia, joissa on käynyt ilmi, ettei potilaita ole informoitu asianmukaisesti siitä, että kyseessä on hoitokokeilu ja potilaan suostumusta ei ole dokumentoitu.

Kokeellisen hoidon ja lääketutkimuksen rajaa on jouduttu arvioimaan myös suomalaisessa tuomioistuimessa (Dnro R 13/8233). Tapaus koski potilaiden tarpeisiin yksilöityjä syöpähoitoja olosuhteissa, joissa näyttöön perustuvat hoitomenetelmät oli havaittu tehottomiksi. Tapaukseen ei liittynyt potilasturvallisuuteen tai kliinisiin hoitokäytäntöihin liittyviä ongelmia. Oikeudenkäynnissä arvioitiin, oliko lakia lääketieteellisestä tutkimuksesta rikottu sillä perusteella, että potilaalle tehdyt toimenpiteet oli määritelty kokeelliseksi hoidoksi tilanteessa, jossa lääketieteellisen tutkimuksen tunnusmerkit täyttyivät. Potilaita oli informoitu siitä, että kyseessä on nimenomaan kokeellinen hoito ja heiltä oli pyydetty etukäteen kirjallinen tietoon perustuva suostumus. Potilaiden hoidosta ja sen vaikutuksista julkaistiin jälkikäteen artikkeleita lääketieteellisissä julkaisusarjoissa.

Tapauksessa arvioitiin kokeellista hoitoa ilmiönä paitsi juridiselta kannalta myös terveydenhuollon toimintana. Käräjäoikeus totesi tuomiossaan, ettei kyseessä ollut kliininen lääketutkimus eikä toimintaan siksi tarvittu tutkimuslain edellyttämää eettisen toimikunnan lausuntoa tai Fimean lupaa.

Oikeuden päätöksen mukaan hoidon päämäärä on kokeellisen hoidon ja tutkimuksen keskeinen erotteluperuste. Se, että potilaan hoidosta kertyy tieteellistä tietoa, ei muuta kokeellista hoitoa tieteelliseksi tutkimukseksi. Jos hoidot annetaan nimenomaisesti tieteellisen tiedon kartuttamiseksi joko lääke- tai muussa tutkimuksessa, kyseessä on lääketieteellinen tutkimus. Tutkimus ja hoito eivät käytännössä sulje toisiaan pois ja usein potilaalle tehtävässä interventiossa voidaan nähdä molempien piirteitä. Rekisteritutkimuksessa kokeellisesta hoidosta saatava tieto voidaan kerätä, analysoida ja julkaista tiedeyhteisön arvioitavaksi. Usein retrospektiivisen tutkimuksen näyttöarvo ei kuitenkaan yllä samaan kuin tutkimuksen, jossa tutkimusasetelma on suunniteltu etukäteen. Retrospektiivinen tutkimuskin voi kuitenkin olla tieteellisesti merkityksellistä. Rekisteritutkimus, jossa tietoa kerätään ja analysoidaan retrospektiivisesti, ei kuulu tutkimuslain piiriin.

On ongelmallista antaa kokeellista hoitoa, jos samalla ei edes suunnitella kliinisiä tutkimuksia hoidon hyödyn todistamiseksi tai hoitokokeilun tuloksia ei pyritä julkaisemaan. Hoitokokeilusta ei tulisi tulla vaihtoehtoista hoitokäytäntöä ilman kliinistä tutkimusta, jolla sen teho asianmukaisesti todennetaan. Kokeilusta kertyneen tiedon raportointi, julkaiseminen ja asettaminen tiedeyhteisön arvioitavaksi antaa viitteitä hoidon vaikuttavuudesta ja haitoista ja on keskeistä hoitokäytäntöjen oikeanlaisen kehittymisen kannalta.

4. Kokeellista hoitoa koskevia eettisiä näkökulmia

Kuinka kauas näyttöön perustuvista hoitomenetelmistä voidaan poiketa potilaan edun nimissä? Lääkärin kliininen autonomia perustuu lääkärin professioon, jonka jäsenyys edellyttää sitoutumista ammattieettisiin velvoitteisiin. Profession velvoitteita ovat Suomen lääkäriliiton mukaan oman edun asettaminen toissijaiseksi potilaan etuun nähden, korkean ammattitaidon ylläpitäminen, humanististen arvojen ja sosiaalisen

oikeudenmukaisuuden kunnioittaminen ja edistäminen sekä yleisten lääkärin etiikan periaatteiden noudattaminen. Potilaan tahdon kunnioittaminen on periaatteista keskeisimpiä.

Ammattieettiset velvoitteet ohjaavat myös lääkärin profession mukaista hyvää hoitoa. Lääkärin terveydenhuollon ammattilaisena antaman hoidon on oltava lääkärin ammattieettiseen velvoitteeseen kuuluvan korkean ammattitaidon mukaista. Diagnoosit, joille ei ole lääketieteellistä perustetta ja vaihtoehtojen, ei-lääketieteellisten hoitomuotojen käyttäminen eivät ole osa lääkärin profession määrittämää kliinistä autonomiaa. Mikään tarjottu hoitomuoto ei saa olla sellainen, että siitä on enemmän haittaa kuin hyötyä. Myös hoidon tehottomuus ja katteettomat terveyslupaukset voidaan katsoa haitaksi.

Lääkintäetiikassa voidaan tunnistaa kaksi keskeistä lähestymistapaa potilaan hyvään. Lähestymistavat ilmentävät kahta erilaista moraaliperiaatetta. Hyvän tekemisen mallissa potilaan hyvä määritellään lääketieteen tarjoaman objektiivisen arvoperustan kautta. Potilaan ”hyvä” tai ”paha” oletetaan voitavan määritellä puhtaasti kliinisen käsitteistön avulla kuten pitämällä eliniän pitämistä aina potilaan ”hyvänä”. Autonomian kunnioittamisen mallissa potilaan hyvä määritellään potilaan omista lähtökohdista yksilönä – hänen haluistaan, arvostuksistaan ja toiveistaan. Lääkärin toiminnan esisijainen tehtävä on silloin potilaan autonomisen päätöksenteon edistäminen. Potilaan paras toteutuu kun lääkäri selvittää tälle eri hoitomuotojen haitat ja edut, mutta potilas arvioi itse hoitotoimenpiteen eri puolien merkityksen omien henkilökohtaisten arvostustensa perusteella. Pohdinta oikeudesta kokeelliseen hoitoon on mielenkiintoinen mutta ongelmallinen.

Potilaan itsemääräämisoikeuden toteutuminen on yksi terveydenhuollon keskeisimpiä periaatteita. Potilaan hoidossa itsemääräämisoikeus tarkoittaa suostumista hoitoon tai oikeutta kieltäytyä hoidosta. Sen sijaan potilaalla ei ole oikeutta päättää millaisia hoitoja hänen tulisi saada. Lääkintäetiikassa on pitkälti kysymys vallankäytön etiikasta, asiantuntijavallan käyttämisestä potilaaseen. Luotettavan arvion antaminen toimenpiteestä on potilaan itsemääräämiskyvyn kannalta olennaista. Vain tiedon saaminen antaa potilaalle mahdollisuuden tehdä harkittu päätös ja luo perustan hänen itsemääräämisoikeudelleen. Mitä valistuneempi arvio suunnitellusta hoidosta on – sen oletetusta hyödystä suhteessa haittoihin – sitä paremmin se edistää potilaan mahdollisuutta itsemääräämiseen.

Itsemääräämisoikeuden kannalta on olennaista, että henkilöllä on mahdollisuus saada ja hän myös kykenee ymmärtämään tiedon, jonka varassa hän tekee itseään koskevan valistuneen päätöksen. Itsemääräämiseen kuuluu, että yksilö voi päättää itseään koskevissa asioissa toimia oman arviointikykynsä mukaisesti. Itsemääräämisoikeuteen kuuluu myös vastaava muita moraalisia toimijoita koskeva velvollisuus noudattaa henkilön tahtoa. Pätevää hoitosopimusta ei voida laatia, jos potilas ei ole kompetentti. Pohjimmiltaan kompetenssi on aina suhteellinen. Kompetenssin on kuitenkin oltava riittävää, jotta yksilöä voidaan pitää itsemääräävänä henkilönä.

Kokeellisessa hoidossa tietoon perustuva suostumus edellyttää, että potilas ymmärtää hoidon vaikutusten ja hyödyn arvioinnin perustuvan puutteelliseen näyttöön ja myös sisältävän tuntemattoman suuruisen riskin siitä hänelle aiheutuvista haitoista. On eettisesti vaikea kysymys kuinka kompetentti potilas on mahdollisesti terveyttä tai henkeä uhkaavassa tilanteessa arvioimaan kokeellisten hoitojen hänelle aiheuttaman riskin suuruutta. Kysymys liittyy myös lääkärin etiikkaan. Voiko lääkäriillä olla velvollisuutta suositella potilaalle hoitoa, jonka hyödystä tai haitoista hänellä on puutteellista näyttöä? Toisaalta, onko potilaalla oikeus ottaa riski, jos hän on sen tietoon perustuen punninnut?

Yksilön itsemääräämisoikeudessa on pohjimmiltaan kysymys ihmisarvon kunnioittamisesta. Ihmisarvo on Euroopan neuvoston biolääketiedesopimuksen keskeisiä lähtökohtia ja käsitteenä kaikkien muiden yleissopimuksen arvojen perusta. Se on keskeinen lääketieteellistä tutkimusta säätelevissä artikloissa, joissa ihmisarvon periaatteesta johdetaan muun muassa ihmisen ensisijaisuus tieteen ja yhteiskunnan intresseihin nähden. Itsemääräämisoikeuden toteutumisen kannalta on myös ongelmallista, jos ulkopuoliset tekijät alkavat vaikuttaa lääkärin ja potilaan hoitosuhteeseen. Ulkopuolinen tekijä voi olla esimerkiksi lääkeyhtiön intressi vaikuttaa potilaan hoidolliseen tutkimukseen toivossa saada tutkimustietoa ja lopulta taloudellista hyötyä. Myös lääkäriillä saattaa olla intressi aloittaa jokin hoito ja hänen pyrkimyksensä saattaa vaikuttaa hänen antamansa informaation vääristymiseen. Mikäli ulkopuoliset tekijät vaikuttavat lääkärin ja potilaan luottamukselliseen suhteeseen, hyvä hoito ei välttämättä toteudu.

Potilaan kannalta on tärkeää, ettei terveydentilan parantumisen mahdollisuudesta anneta epärealistista arviota, ja hoidon haittavaikutukset kaikkineen esitetään potilaalle realistisesti. Potilas saattaa korostaa

joitain haittavaikutuksia sekä kokea niiden vaikuttavan elämäänsä rajoittavasti toisin kuin miten lääkäri ne arvioi. Päätöksen tulisi siksi heijastaa potilaan omaa arviota siitä, mitä hän pitää itsellensä parhaana ratkaisuna. Ongelma ei koske ainoastaan kokeellisia hoitoja, mutta kokeellisissa hoidoissa toimenpiteen hyötyjen ja haittojen punnitseminen on vaikeampaa ja potilaan ottama riski ennalta tuntematon. Pahimmassa tapauksessa potilas saattaa viettää viimeiset viikkonsa kärsien hyödyttömästä hoidosta. Olennainen kysymys potilaan kannalta voi siksi olla myös, milloin hoidon kokeilu ei ole enää tarkoituksenmukaista vaan olisi omiaan vain lisäämään potilaan kärsimystä. Jossain tapauksissa pitää arvioida, onko hyvä palliatiivinen hoito parempi vaihtoehto kuin kokeellinen hoito.

Koska kyse on hoidosta eikä tutkimuksesta, potilaalla on potilaslain mukainen oikeus kieltäytyä vastaanottamasta toimenpidettä koskevaa tietoa. Toteutuuko heikomman suoja kokeellisessa hoidossa, jos potilas kieltäytyy toimenpidettä koskevasta informaatiosta? Sekä biolääketiedesopimus että Maailman lääkäriiliiton Helsingin julistus edellyttävät kokeellisessa hoidossa potilaalta tietoon perustuvaa suostumusta. Myös potilaslakiin on kirjattu, että merkittävässä hoitotoimenpiteissä potilaan suostumuksen tulee olla eksplisiittinen.

Suomen eduskunnan oikeusasiamies on antanut kaksi päätöstä vuosina 2012 ja 2013 (Dnro 1918/4/11 ja Dnro 3603/2/13) lääkkeen käytöstä *off label* -muodossa ja potilaan itsemääräämisoikeudesta, kun potilasta hoidetaan kokeellisesti. Päätökset koskevat useissa Suomen sairaanhoitopiireissä *off label* -hoitona käytettävän Avastinin käyttöä myyntiluvan omaavan Lucentisin sijasta silmänpohjan nesteisen ikärappeuman hoitoon. Avastinin käyttö on ollut osa vallitsevaa hoitokäytäntöä, koska sen kustannusvaikuttavuus on huomattavasti suurempi kuin myyntiluvallisen ja kalliimman Lucentiksen. Lääkevalmistaja ei ole hakenut Avastinille hoidon mukaista myyntilupaa, vaikka lääkkeen turvallisuuden ja vaikuttavuuden tutkimuksissa havaittu olevan samaa luokkaa kuin myyntiluvan saaneella lääkkeellä. Joulukuussa 2015 sosiaali- ja terveysministeriön yhteydessä toimiva palveluvalikoimaneuvosto on suosittanut Avastinin *off label* -hoitokäytännön ottamista julkisesti rahoitettuun terveydenhuollon palveluvalikoimaan.

Eduskunnan oikeusasiamiehen kannanoton mukaan vastuu hoidosta ja lääkärin velvollisuus tiedon antamiseen potilaalle korostuvat, kun lääkettä määrätään ohi sen hyväksytyyn käyttötarkoitukseen. Oikeusasiamies perustaa päätöksensä potilaslakiin ja sitä koskevaan hallituksen esitykseen (HE 185/1991). Hoidon luvallisuus riippuu potilaan suostumuksesta, ja potilaan tahdosta on varmistuttava epäselvissä tapauksissa, useista hoitovaihtoehdoista valittaessa sekä jos potilaan hoitoon liittyy erityisiä vaaratekijöitä. Lääkärin määrätessä lääkettä sairauden hoitoon, joka ei ole lääkkeen käyttöindikaation mukainen, potilaalle on selvitettävä tilanne ja hoidolliset syyt, miksi kyseiseen hoitoratkaisuun ollaan päätyvässä. Eduskunnan oikeusasiamies edellytti, että jos potilaalle määrätään Avastinia silmänpohjan nesteisen ikärappeuman hoidon kohdalla sekä potilaalle annettavan selvityksen että hänen antamansa suostumuksen on oltava kirjallisia. Mikäli potilas kieltäytyy Avastin lääkkeen *off label* -käytöstä, hänelle tulee tarjota myyntiluvan saanutta lääkettä.

Mitä lähemmäksi lääketieteellistä tutkimusta kokeellinen hoito toimenpiteenä tulee ja mitä suuremmiksi potilaalle koituvat riskit kasvavat, sitä tärkeämpää olisi noudattaa lääketieteellisessä tutkimuksessa sovellettavia eettisiä periaatteita myös kokeellisessa hoidossa. Lääkärillä on potilaaseen nähden paitsi asiantuntijavaltaa myös valtaa päättää, kuinka resursseja käytetään potilaan hyväksi. Lääkärin eettinen velvollisuus käyttää tätä valtaa potilaan parhaaksi mutta myös siten, että potilaan itsemääräämisoikeus toteutuu mahdollisimman täysimääräisesti.

5. Lopuksi

ETENE käsitteli kokeellista hoitoa kokouksissaan vuosina 2015 ja 2016. Neuvottelukunnan keskusteluissa korostuivat muun muassa kysymys hyvän tekemisen ja vahingon välttämisen periaatteiden ja toisaalta potilaan itsemääräämisoikeuden toteutumisesta. Lisäksi ETENE pohti myös hoitokokeilujen kustantamista koskevia priorisointiongelmia. Hoitokokeilut voivat olla kalliita, minkä vuoksi on pohdittava hoidon kustannuksia ja maksajaa.

Hoitokokeiluita säännellään yleisesti potilaan hoitoa koskevissa laeissa. Kokeellinen hoito muistuttaa toimintana lääketieteellistä tutkimusta muun muassa silloin, kun kokeellisessa hoidossa käytetään rekisteröimätöntä lääkettä. Kuinka pitkälle kokeellisessa hoidossa pitäisi noudattaa lääketieteellistä

tutkimusta koskevia periaatteita? Potilaan itsemääräämisoikeuden toteutuminen edellyttäisi tietoon perustuvaa nimenomaista suostumusta, joka olisi vähintään dokumentoitu, mieluiten kirjallinen.

Kokeelliseksi katsottavan hoidon määrääminen tavanomaisen hoitosuosituksen mukaisen hoidon tapaan sotii eettisiä periaatteita vastaan. Jos hoidosta ei ole olemassa tieteellistä näyttöä ja se poikkeaa hoitokäytännöistä, on lääkärin eettinen velvollisuus seurata potilaan vointia riittävän tiheästi ja pitkään mahdollisten haittojen toteamiseksi. Myös hoidon tehottomuus voidaan katsoa hoidon haitaksi. Jos hoidosta ei ole tutkimusnäyttöä, lääkärin tulisi kaikin tavoin pyrkiä siihen että tutkimusta tehtäisiin. Lääkäri voi tehdä tämän joko julkaisemalla omat havaintonsa, keräämällä kaiken tarpeellisen tiedon, informoimalla toiminnastaan alan toimijoita tai toimimalla muutenkin siten, että hoito joko saataisiin myös muiden potilaiden käyttöön tai osoitetaan tehottomaksi. Silloin hoito tällä kyseisellä lääkkeellä tai menetelmällä lopetettaisiin.

Yksittäisen lääkärin ei välttämättä ole helppo arvioida, milloin kokeellisesta hoidosta pitäisi siirtyä tutkimusasetelmaan. Tutkimuksen aloittamisen viivästyminen saattaa vaarantaa potilasturvallisuuden, mutta myös viivästyttää vaikuttavan lääkkeen omaksumista sitä tarvitsevien käyttöön. Vain tutkimusasetelmassa voidaan arvioida hoidon todellinen hyöty. ETENESSä pohdittiin siksi, voisiko jokin ulkopuolinen riippumaton tahon arvioida hoitoja jo ennalta ja monitoroida hoitojen vaikutuksia. Tällainen tahon voisi tarvittaessa myös ottaa kantaa myös siihen milloin kokeellista hoitoa olisi syytä jatkaa tutkimusasetelmassa.

Yliopistosairaaloihin on viime vuosina perustettu menetelmänarviointiryhmiä, jotka arvioivat myös sairaaloissa tehtäviä kokeellisia hoitoja. Yksityissektorilla ei ole vastaavia ryhmiä. Eettiset toimikunnat arvioivat ennalta lääketieteellisiä tutkimushankkeita, eikä niillä ole toimintavaltuuksia eikä välttämättä osaamista ja voimavaroja arvioida eikä varsinkaan monitoroida hoitoa.

Ilmoitusmenettely saattaisi olla lupamenettelyä kevyempi tapa seurata tarvittaessa kokeellisia hoitoja. ETENEn keskustelussa korostettiin, ettei seurannasta saisi tulla hoitoa tai hoitokäytäntöjen kehittymistä hidastavaa, byrokraattista ja kankeaa prosessia. Potilaat ovat heterogeeninen ryhmä ja toisinaan potilaan hyvään hoitoon voi liittyä lääketieteen luonteen takia myös monia kokeellisia elementtejä. Todetut ongelmat antavat kuitenkin perusteen yhtenäistä käytäntöä ja valtakunnallista seuranta. Ilmoitusmenettely mahdollistaisi seurannan ja tiedonkeruun hoitokokeiluista, mikä olisi etu hoitokäytäntöjen mielekkäälle kehittämiselle.

Potilaalle annettava tieto hoidosta, sen mahdollisista riskeistä ja odotettavissa olevista hyödyistä on välttämätön, jotta potilaan itsemääräämisoikeus toteutuu. Potilaan ja myös hoitoa antavan terveydenhuollon ammattihenkilön oikeusturvan toteutumisen kannalta kirjallinen tiedote ja nimenomainen suostumus ovat myös suositeltavia. Kirjaukset ovat tärkeitä myös, jos kokeellisen hoidon turvallisuutta joudutaan jälkikäteen arvioimaan.

Kirjallisuus

ETENE (Valtakunnallinen terveydenhuollon eettinen neuvottelukunta) (2002) Eettisyyttä terveydenhuoltoon.

Valtakunnallinen terveydenhuollon eettinen neuvottelukunta 1998-2002. Haettu 16.10.2015 osoitteesta <http://etene.fi/documents/1429646/1559094/ETENE-julkaisu+5+Eettisyytt%C3%A4+terveydenhuoltoon+-+Valtakunnallinen+terveydenhuollon+eettinen+neuvottelukunta+1998-2002.pdf/a920bd99-1822-41fb-910b-46be558e031b>

Launis, Veikko (2007) *Moniarvoinen terveys*. Areopagus: Turku.

Launis, Veikko (2013) ”Lääkintä- ja hoitoetiikan peruseriaatteet.” Teoksessa: Suomen lääkäriliitto: *Lääkärin etiikka*. 7. painos. Esa Print Oy: Lahti. Haettu 7.10.2015 osoitteesta: https://www.laakariliitto.fi/site/assets/files/1273/laakarini_etiikka_2013.pdf

Lötjönen, Salla (2004) *Lääketieteellinen tutkimus ihmisillä*. Hakapaino Oy: Helsinki.

Pahlman, Irma (2006) *Potilaan itsemääräämisoikeus*. Edita: Helsinki.

- Pasternack, Amos & Samuli Saarni (2007) *Professio - lääkäri ja yhteiskunta*. Teoksessa *Lääkäriksi*. Toim. Pasternack, Amos ym. Helsinki: Kustannus Oy Duodecim.
- Pelkonen, Risto & Pekka Louhiala (2007) *Etiikka on keskustelua lääkärin työn arjessa*. Teoksessa *Lääkäriksi*. Toim. Pasternack, Amos ym. Helsinki: Kustannus Oy Duodecim.
- Vartiainen, Paula (2010) *Kolmen kopl ja kokeelliset hoidot - oikeudellinen analyysi potilaslain, tutkimuslain, ja lääkelain välisistä suhteista ja niiden soveltumisesta kokeellisiin hoitoihin*. Helsinki: Helsingin yliopisto.

Artikkelit

- Kylliäinen, Leena (2015) ”Väärin tehty ihme.” *Suomen kuvalehti* 3/2015. 30 - 36.
- Joensuu, Heikki ym. (2001) “Effect of the tyrosine kinase inhibitor STI571 in a patient with a metastatic gastrointestinal stromal tumor.” *The new England journal of medicine*, Vol.344, No.14. 1052-1056.
- Lehtonen, Lasse & Klaus, Nyblin (2015) ”Kokeellinen hoito Suomen lainsäädännössä.” *Suomen lääkärilehti* 41/2015. 2702 - 2706.
- Rubin, Rita (2015) “Experts critical of America's right-to-try drug laws.” *The Lancet*, Volume 386, Issue 10001, 1325 – 1326. Haettu 28.02.2016 osoitteesta:
<http://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736%2815%2900393-1/fulltext?rss%3Dyes>
- Whitfield, Kate ym. (2010) “Compassionate use of interventions: results of a European clinical research infrastructures Network (ECRIN) survey of ten European countries.” *Trials* 2010, 11:104 Haettu 7.10.2015 osoitteesta: <http://www.trialsjournal.com/content/11/1/104>

Virallisaineisto

- ETENE (Valtakunnallinen terveydenhuollon eettinen neuvottelukunta) (2015). Kokousmuistio 1/2015. Helsinki: Sosiaali- ja terveysministeriö. Haettu 07.09.2015 osoitteesta
http://etene.fi/documents/1429646/1558982/kokousmuistio1_2015.pdf/1e7bf0be-9958-44a5-9aba-6e43118d643f
- ETENE (Valtakunnallinen terveydenhuollon eettinen neuvottelukunta) (2015). Kokousmuistio 2/2015. Helsinki: Sosiaali- ja terveysministeriö. Haettu 07.09.2015 osoitteesta
http://etene.fi/documents/1429646/1558982/kokousmuistio2_2015.pdf/178058c4-1cd5-4c7a-9423-01394c5e19d0
- ETENE (Valtakunnallinen terveydenhuollon eettinen neuvottelukunta) (2015). Kokousmuistio 3/2015. Helsinki: Sosiaali- ja terveysministeriö. Haettu 07.09.2015 osoitteesta
http://etene.fi/documents/1429646/1558982/kokousmuistio3_2015.pdf/fa11babb-014d-4b32-9364-0b75cbce1b60
- ETENE (Valtakunnallinen terveydenhuollon eettinen neuvottelukunta) (2015). Kokousmuistio 4/2015. Helsinki: Sosiaali- ja terveysministeriö. Haettu 25.02.2016 osoitteesta:
https://etene.fi/documents/1429646/1558982/kokousmuistio4_2015.pdf/d7be8787-98ae-4946-b39e-ab3a91539ad8
- ETENE (Valtakunnallinen terveydenhuollon eettinen neuvottelukunta) (2015). Kokousmuistio 5/2015. Helsinki: Sosiaali- ja terveysministeriö. Haettu 25.02.2016 osoitteesta:
https://etene.fi/documents/1429646/1558982/kokousmuistio5_2015.pdf/541283ef-1612-4a74-9b80-77a923ba5e8f
- ETENE (Valtakunnallinen terveydenhuollon eettinen neuvottelukunta) (2015). Kokousmuistio 6/2015. Helsinki: Sosiaali- ja terveysministeriö. Haettu 25.02.2016 osoitteesta:
https://etene.fi/documents/1429646/1558982/kokousmuistio6_2015.pdf/037c1b72-06d4-47d6-9464-0a69a965248e

- ETENE (Valtakunnallinen terveydenhuollon eettinen neuvottelukunta) (2016). Kokousmuistio 1/2016. Helsinki: Sosiaali- ja terveysministeriö. Haettu 25.02.2016 osoitteesta:
https://etene.fi/documents/1429646/2056861/ETENE_p%C3%B6yt%C3%A4kirja_1_2016_28.1.2016.pdf/9aa768a9-9579-4ba5-b8e2-e9af92787550
- Eduskunnan oikeusasiamiehen ratkaisu 17.12.2012, Dnro 1918/4/11.
- Eduskunnan oikeusasiamiehen ratkaisu 09.09.2013, Dnro 3603/2/13.
- Fimean määräys 4.12.2009, 3/2009 Dnro 608/03.01.01/2009. Pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävien lääkkeiden valmistaminen yksittäiselle potilaalle.
- Euroopan neuvoston ihmisoikeuksia ja biolääketiedettä koskeva yleissopimus (ETS 164). Tasavallan presidentin asetus ihmisoikeuksien ja ihmisarvon suojaamiseksi biologian ja lääketieteen alalla tehdyn yleissopimuksen sekä siihen liittyvien ihmisten toisintamisen kieltämisestä ja ihmisalkuperää olevien elinten ja kudosten siirroista tehtyjen lisäpöytäkirjojen lainsäädännön alaan kuuluvien määräysten voimaansaattamisesta annetun lain voimaantulosta. Valtiosopimus 24/2010.
http://www.finlex.fi/fi/sopimukset/sopsteksti/2010/20100024/20100024_1
- Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EY) N:o 726/2004, 31.03.2004, ihmisille ja eläimille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista yhteisön lupa- ja valvontamenettelyistä ja Euroopan lääkeviraston perustamisesta.
<http://eur-lex.europa.eu/legal-content/FI/TXT/?uri=CELEX%3A32004R0726>
- European Medicines Agency: Guideline on Compassionate Use of Medicinal Products, Pursuant to Article 83 of Regulation (EC) No 726/2004. Haettu 20.11.2015 osoitteesta:
http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Regulatory_and_procedural_guideline/2009/10/WC500004075.pdf
- HE 185/1991. Hallituksen esitys eduskunnalle laiksi potilaan asemasta ja oikeuksista.
https://www.eduskunta.fi/FI/vaski/HallituksenEsitys/Documents/he_185+1991.pdf
- Helsingin käräjäoikeuden tuomio 2.10.2014, Dnro R 13/8233.
- Korkeimman hallinto-oikeuden päätös 21.2.2013, taltio 637.
- L10.4.1987/395. Lääkelaki. Valtion säädöstietopankki Finlex.
<https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/1987/19870395>
- L 25.7.1986/585. Potilasvahinkolaki. Valtion säädöstietopankki Finlex.
<https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/1986/19860585>
- L17.8.1992/785. Laki potilaan asemasta ja oikeuksista. Valtion säädöstietopankki Finlex.
<https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/1992/19920785>
- L 28.6.1994/559. Laki terveydenhuollon ammattihenkilöistä. Valtion säädöstietopankki Finlex.
<https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/1994/19940559>
- L 9.4.1999/488 Laki lääketieteellisestä tutkimuksesta. Valtion säädöstietopankki Finlex.
<https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/1999/19990488>
- L 21.12.2004/1335 Sairausvakuutuslaki. Valtion säädöstietopankki Finlex.
<https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/2004/20041224>
- L 30.12.2010/1326. Terveydenhuoltolaki. Valtion säädöstietopankki Finlex.
<https://www.finlex.fi/fi/laki/ajantasa/2010/20101326>
- Lehtonen, Lasse 7.8.2014 Lausunto Helsingin käräjäoikeudelle.
- PALKO (Palveluvalikoimaneuvosto) (2015) Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvoston suositus 12/2015. Silmänpohjan koston ikärappeuman hoito silmänsisäisellä bevasitsumabilla kuuluu Suomen julkisesti rahoitettuun terveydenhuollon palveluvalikoimaan.

Muut lähteet

- EGE (The European Group on Ethics in Science and New Technologies) (2015). Opinion n°29 - 13/10/2015 Ethics of New Health Technologies and Citizen Participation. Haettu 2.03.2016 osoitteesta: https://ec.europa.eu/research/ege/pdf/opinion-29_ege.pdf#view=fit&pagemode=none
- FDA (U.S. Food and Drug Administration): Learn About Expanded Access and Other Treatment Options. Haettu 25.01.2016 osoitteesta: <http://www.fda.gov/ForPatients/Other/>
- FDA (U.S. Food and Drug Administration): "Off-Label" and Investigational Use Of Marketed Drugs, Biologics, and Medical Devices - Information Sheet. Haettu 30.03.2016 osoitteesta: <http://www.fda.gov/RegulatoryInformation/Guidances/ucm126486.htm>
- Halo-ohjelmaopas 4/2014. Terveystieteiden tutkimuskeskus ja hyvinvoinnin tutkimuskeskus. Haettu 25.01.2016 osoitteesta: http://www.thl.fi/attachments/halo/HALO-ohjelmaopas_huhtikuu_2014.pdf
- Kuoppala Jaana & Ulla Härkönen (2005) Biologiset lääkkeet silmänpohjan kostean ikärappeuman hoidossa. Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea, 2015.
- Maailman lääkäriliiton Helsingin julistus. <http://www.laakariliitto.fi/etiikka>
- Saastamoinen, Leena K. ym. (2015) Lääkkeiden ja ravintovalmisteiden käyttö harvinaisten sairauksien hoidossa: Kysely harvinaissairaita hoitaville lääkäreille. Kela: Työpapereita 76/2015. Haettu 28.12.2015 osoitteesta: <https://helda.helsinki.fi/bitstream/handle/10138/155626/Tyopapereita76.pdf?sequence=10>
- World Medical Association (2016) WMA Resolution on Unproven Therapy and the Ebola Virus. Haettu 19.01.2016 osoitteesta: <http://www.wma.net/en/30publications/10policies/HB-E-2015-1.pdf>