

5.7.2019  
EOAK 1165/2018

**Ratkaisija: Apulaisoikeusasiamiehen sijainen Mikko Sarja**

**Esittelijä: Esittelijäneuvos Kaija Tanttinen-Laakkonen**

## **SMA-SAIRAUTTA SAIRASTAVAN LAPSEN LÄÄKEHOITO**

### **1 KANTELU**

Kantelija arvosteli harvinaista neurologista lihassairautta, spinaalista lihasatrofiaa (SMA), sairastavan lapsensa hoitoa Turun yliopistollisessa keskussairaalassa (Tyks).

### **2 SELVITYS**

Kantelun johdosta hankittiin seuraava selvitys:

- 1) Sosiaali- ja terveysalan lupa- ja valvontaviraston (Valvira) lausunto 12.7.2018,
- 2) Varsinais-Suomen sairaanhoitopiirin kuntayhtymän johtajaylilääkäriin --- selvitys 18.6.2018,
- 3) Tyks:n lasten ja nuorten klinikan toimialuejohtajan, ylilääkäri --- selvitys 12.6.2018 ja
- 4) kantelijan lasta koskevat potilasasiakirjat Tyks:sta.

### **3 RATKAISU**

#### **3.1 Asiassa saatu selvitys**

Selvityksen mukaan nusinerseeni-lääkevalmisteen myyntilupaprosessin ollessa vielä kesken vuonna 2017 Tyks:ssa diagnosoitiin kaksi vaikeaoireista SMA-lasta, joiden eliniän ennuste oli vaikeaoireisuuden vuoksi alle yhden vuoden diagnoosin tekemisestä. Koska oli oletettavissa lääkevalmisteen saavan myyntiluvan ja lääke oli osoitettu olevan tehokas juuri vaikeimmissa tautimuodoissa, Tyks:ssa päätettiin, että lapset, joiden voitiin olettaa menehtyvän myyntiluvan käsittelyaikana, mutta jotka voisi potentiaalisesti pelastaa lääkkehoidolla, kuuluivat lääkehoidon piiriin.

Koska muiden SMA-vaikeusasteiden potilaiden hoidossa lääkkeen tehosta oli vasta alustavaa näyttöä eikä Tyks:ssa ollut kaikkea vielä julkaisematonta tietoa, Tyks päätti odottaa lääkkeen käytön aloituksessa kansallista linjausta, jonka tiedettiin olevan tulossa. Lääkkeen saatua myyntiluvan Tyks:lle tuli yhteydenottoja eriasteisista SMA-sairautta sairastavien lasten perheiltä, mutta Tyks päätti ennen lääkehoitojen aloit-

tamista noudattaa sosiaali- ja terveysministeriön kansliapäällikön sairaanhoitopiireille 21.9.2017 lähettämää suositusta odottaa Terveystieteiden tutkimuskeskuksen palveluvalikoimaneuvoston (PALKO) suosituksen valmistumista.

Tyks:ssa oli kuitenkin sisäisellä päätöksellä jo ennen kansliapäällikön kirjettä ehditty sopia, että lääkitys voidaan aloittaa uusille alle 2-vuotiaille vaikeaoireisille SMA-potilaille vitaali-indikaatioin jo ennen suosituksen valmistumista. Tiedossa oli, että nusinerseenin hyödyistä oli eniten näyttöä juuri tämän potilasryhmän osalta. Tyks:ssa päätös lääkityksen rajaamisesta vain vaikeimpiin tautimuotoihin perustui pelkästään siihen lääketieteelliseen näyttöön, joka oli asiantuntijoiden käytävissä kyseisenä ajankohtana.

PALKO:n suosituksen valmistuttua sairaanhoitopiiri aloitti välittömästi neuvottelut lääkeyhtiön kanssa, mikä johti sopimukseen ja lääkityksen aloittamispäätökseen kaikille alle 18-vuotiaille SMA-potilaille. Kantelijan lapselle nusinerseeni-lääkehoito aloitettiin ensimmäisten suomalaisten lasten joukossa heti PALKO:n suosituksen valmistuttua.

Niillä potilailla, joille lääkitys aloitettiin ennen suosituksen valmistumista, oli eri vaiheinen sairaus ja eri aloittamiskäytännöt, joten lääkityksen perusteita ei voida vertailla heidän ja kantelijan lapsen välillä.

### 3.2 Keskeiset oikeusohjeet

#### *Perustuslaki*

Perustuslain 19 §:n 3 momentin mukaan julkisen vallan on turvattava, sen mukaan kuin lailla tarkemmin säädetään, jokaiselle riittävät terveyspalvelut ja edistettävä väestön terveyttä.

Perustuslain 21 §:n mukaan jokaisella on oikeus saada asiansa käsitellyksi asianmukaisesti lain mukaan toimivaltaisessa viranomaisessa.

Perustuslain 22 §:n mukaan julkisen vallan on turvattava perusoikeuksien ja ihmisoikeuksien toteutuminen.

#### *Potilaslaki*

Potilaan asemasta ja oikeuksista annetun lain (785/1992, potilaslaki) 3 §:n mukaan potilaalla on oikeus ilman syrjintää hänen terveydentilansa edellyttämään laadultaan hyvään terveyden- ja sairaanhoitoon. Hänen hoitonsa on järjestettävä ja häntä on kohdeltava siten, ettei hänen ihmisarvoaan loukata eikä että hänen vakaumustaan ja yksityisyyttään kunnioitetaan. Potilaan yksilölliset tarpeet on mahdollisuuksien mukaan otettava hänen hoidossaan ja kohtelussaan huomioon.

Potilaslain 12 §:n mukaan terveydenhuollon ammattihenkilön tulee merkitä potilasasiakirjoihin potilaan hoidon järjestämisen, suunnittelun, toteuttamisen ja seurannan kannalta tarpeelliset tiedot. Potilasasiakirjojen laatimisesta ja säilyttämisestä säädetään tarkemmin sosiaali- ja terveysministeriön asetuksella.

*Potilasasiakirja-asetus* Potilasasiakirjoista annetun sosiaali- ja terveysministeriön asetuksen

(298/2009, potilasasiakirja-asetus) 7 §:n mukaan potilasasiakirjoihin tulee merkitä potilaan hyvän hoidon järjestämisen, suunnittelun, toteuttamisen ja seurannan turvaamiseksi tarpeelliset sekä laajuudeltaan riittävät tiedot.

Potilasasiakirja-asetuksen 9 §:n mukaan kunkin terveydenhuollon toimintayksikön ja itsenäisesti ammattiaan harjoittavan terveydenhuollon ammattihenkilön tulee pitää jokaisesta potilaastaan jatkuvaan muotoon laadittua, aikajärjestyksessä etenevää potilaskertomusta.

Potilasasiakirja-asetuksen 11 §:n mukaan potilaskertomukseen tulee tehdä merkinnät jokaisesta potilaan palvelutapahtumasta. Palvelutapahtumia koskevista tiedoista tulee tarpeellisessa laajuudessa käydä ilmi tulosyy, esitiedot, nykytila, havainnot, tutkimustulokset, ongelmat, taudinmääritys tai terveystilanne, johtopäätökset, hoidon suunnittelu, toteutus ja seuranta, sairauden kulku sekä loppulausunto.

Potilasasiakirja-asetuksen 12 §:n mukaan potilasasiakirjoihin tehtävistä merkinnöistä tulee riittävässä laajuudessa käydä ilmi taudinmäärityksen, valitun hoidon ja tehtyjen hoitoratkaisujen perusteet.

#### *Ammattihenkilölaki*

Terveydenhuollon ammattihenkilöistä annetun lain (559/1994, ammattihenkilölaki) 22 §:n mukaan laillistettu lääkäri päättää potilaan lääketieteellisestä tutkimuksesta, taudinmäärityksestä ja siihen liittyvästä hoidosta.

Ammattihenkilölain 15 §:n mukaan terveydenhuollon ammattihenkilön ammattitoiminnan päämääränä on terveyden ylläpitäminen ja edistäminen, sairauksien ehkäiseminen sekä sairaiden parantaminen ja heidän kärsimystensä lievittäminen. Terveydenhuollon 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 koitua hyöty ja sen mahdolliset haitat. Terveydenhuollon ammattihenkilöllä on velvollisuus ottaa huomioon, mitä potilaan oikeuksista säädetään.

#### *Terveydenhuoltolaki*

Terveydenhuoltolain (1326/2010) 7 §:n mukaan sosiaali- ja terveystieteiden ministeriö ohjaa valtakunnallisten yhtenäisten lääketieteellisten ja hammaslääketieteellisten hoidon perusteiden toteutumista. Ministeriö laatii yhdessä Terveyden ja hyvinvoinnin laitoksen kanssa yhtenäiset hoidon perusteet. Terveyden ja hyvinvoinnin laitos seuraa ja arvioi yhtenäisten hoidon perusteiden toteutumista kunnissa ja sairaanhoitopiirin kuntayhtymissä.

Terveydenhuoltolain 7 a §:n mukaan terveydenhuollon palveluvalikoimaan kuuluvat lääketieteellisesti ja hammaslääketieteellisesti perusteltu sairauksien ennaltaehkäisy, sairauden toteutukseksi tehtävät tutkimukset sekä taudinmääritys, hoito ja kuntoutus (1 mom.).

Palveluvalikoimaan ei kuitenkaan kuulu sellainen terveyden- ja sairaanhoidon toimenpide, tutkimus, hoito ja kuntoutus, johon sisältyy saavutettavan terveyshyödyn kannalta kohtuuttoman suuri riski potilaan hengelle tai terveydelle tai jonka vaikuttavuus on vähäinen ja jonka aiheuttamat kustannukset ovat kohtuuttomat saavutettavissa olevaan terveyshyötyyn ja hoidolliseen arvoon nähden (2 mom.).

Potilasta voidaan tutkia ja hoitaa palveluvalikoimaan kuulumattomalla lääketieteellisellä tai hammaslääketieteellisellä tutkimus- ja hoitomenetelmällä, jos se on potilaan henkeä tai terveyttä vakavasti uhkaavan sairauden tai vamman takia lääketieteellisesti välttämätöntä potilaan terveydentila ja sairauden ennakoitavissa oleva kehitys huomioon ottaen (3 mom.).

Terveydenhuoltolain 78 a §:n mukaan sosiaali- ja terveysministeriön yhteydessä toimii terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto, jonka tehtävänä on seurata ja arvioida terveydenhuollon palveluvalikoimaa sekä antaa suosituksia terveyden- ja sairaanhoidon toimenpiteiden, tutkimusten sekä hoito- ja kuntoutusmenetelmien kuulumisesta palveluvalikoimaan tai rajaamisesta pois palveluvalikoimasta. Suosituksia antaessaan neuvoston tulee ottaa huomioon eri alojen tutkimustieto ja muu näyttö sekä terveydenhuollon eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat.

### 3.3 Tyks:n menettelyn asianmukaisuuden arviointi

#### 3.3.1 Valviran lausunto

Suomessa kesällä 2017 myyntiluvan saaneen nusinerseenivalmisteen Spinrazan valmisteyhteenvedon mukaan hoitopäätöksen nusinerseenin aloituksesta tulee perustua yksilölliseen asiantuntija-arvioon hoidon oletettavista hyödyistä kyseiselle potilaalle. Hyötyjä on arvioitava hoidon mahdollisiin riskeihin nähden. Hoidon jatkamisen tarve tulee tarkistaa säännöllisesti ja arvioida yksilöllisesti potilaan kliinisen tilan sekä hoitovasteen mukaan.

Valvira toteaa, että kun potilaat kesällä 2017 alkoivat ottaa yhteyttä Tyks:aan ja pyysivät nusinerseenihoidon aloitusta, terveydenhuollon ammattihenkilöiden käytettävissä oli varsin vähän tietoa nusinerseenin hyödyistä ja haitoista yksilöllisten hoitopäätösten tekemisen tueksi. Käytettävissä ei ollut kokemusta eikä tietoa siitä, miten yksilöllinen arvio hoidon aloituksesta piti tehdä, ja toisaalta tiedossa oli vain osan potilaista hyötyvän hoidosta, jolla oli myös potentiaalisia riskejä. Hoitopäätöksen tueksi ei ollut myöskään käytettävissä mitään kansallisia tai kansainvälisiä suosituksia. Tiedossa oli lääkkeen osoitetun olevan tehokas erityisesti vaikeimmissa tautimuodoissa ja PALKO:n olevan valmistelemassa suositusta nusinerseenin käytöstä SMA-potilaiden hoidossa. Tästä syystä Tyks teki sisäisen päätöksen siitä, että lääkitys voitaisiin aloittaa PALKO:n suositusta odotellessa henkeä pelastavana hoitona sille potilasryhmälle, jolle hoidon tehosta tiedettiin olevan eniten näyttöä eli uusille alle 2-vuotiaille vaikeaoireisille SMA-potilaille.

Sosiaali- ja terveysministeriön kansliapäällikön sairaanhoitopiireille lähettämän kirjeen saavuttua Tyks pidättäytyi kirjeen suosituksen mukaisesti uusien hoitojen aloittamisesta ennen PALKO:n suosituksen valmistumista. Suosituksen valmistuttua sairaanhoitopiiri aloitti hintaneuvottelut ja pääsi nopeasti sopimukseen lääkkeen myyjän kanssa, minkä jälkeen lääkitys aloitettiin suosituksen mukaisille potilasryhmille.

Valviran mukaan Tyks:n toiminta oli asianmukaista, kun se omalla sisäisellä päätöksellään päätti ohjeistaa terveydenhuollon ammattihenkilöidensä toimintaa siinä tilanteessa, kun nusinerseenihoidon osalta hoitopäätösten tekeminen oli vaikeaa siitä käytettävissä olevan tiedon vähäisyyden ja yleisten hoitosuosituksen puutteen takia. Tyks:n tekemä päätös siitä, että lääkitys siinä vaiheessa kohdennettaisiin vain tietynlaisille SMA-potilaille, tehtiin lääketieteellisin perustein ja oli siten asianmukainen. PALKO:n suosituksen valmistuttua nusinerseenihoitojen aloitus toteutettiin Tyks:ssa suosituksen kriteereissä määritellyille potilaille. Muille lääkityksen aloittaminen ei PALKO:n kattavien selvitysten ja tarkan harkinnan perusteella ollut lääketieteellisesti perusteltua.

Valvira toteaa, että PALKO:n tehtävänä on terveydenhuollon palveluvalikoiman kokonaisuuden määrittely ja arviointi. Palveluvalikoiman kokonaisuuden määrittely yhdenmukaistaa julkisten terveyspalveluiden tarjontaa ja siten edistää yhdenvertaisuutta maan eri osien välillä. Valvira katsoo Tyks:n toiminnan olleen asianmukaista, kun SMA-potilaiden hoitopäätökset tehtiin PALKO:n suositusta noudattaen ja viiveettä.

Valviran mukaan kantelijan lapsella on potilasasiakirjojen perusteella todettu SMA 2 -tauti, joka ei kuulu SMA:n vaikeimpiin tautimuotoihin. Hän oli käynyt Tyks:ssa lastenneurologian ja perinnöllisyyslääkärin arviossa keväällä 2016, joten hänen sairautensa tyyppi ja vaikeusaste olivat tarkoin tiedossa, kun nusinerseenihoitojen aloituksen harkinta tuli ajankohtaiseksi vuonna 2017. Perinnöllisyyslääkärin vuonna 2016 tekemän arvion mukaan kantelijan lapsen sairaus edusti tyypillistä SMA 2 -tautia, jossa taudinkulku useimmiten tasaantuu ensimmäisten 2–3 ikävuoden jälkeen, eikä useimmilla potilailla tapahdu sen jälkeen etenemistä jopa vuosikymmeniin. Lapsen taudinkulusta oli myös kevään 2016 jälkeen käytettävissä tarkkoja tietoja Tyks:n lastenortopedisessä yksikössä 3 kuukauden välein toistuneiden hoitokäyntien pohjalta.

Valvira toteaa, että kantelijan lapsen potilasasiakirjoihin kirjattujen tietojen perusteella hän ei kuulunut siihen potilasryhmään, jolle Tyks oli ennen PALKO:n suosituksen valmistumista tekemässään päätöksessä ohjeistanut aloittamaan nusinerseenihoidon. PALKO:n suosituksen valmistuttua Tyks:n lastenneurologisessa yksikössä arvioitiin lapsen kuuluvan niihin potilaisiin, joille hoito suositeltiin aloitettavaksi. Lastenneurologisen arvion sekä kantelijan lapsen ja kantelijan kanssa käytyjen keskusteluiden jälkeen tehtiin hoidon aloituspäätös.

Valviran mukaan kantelijan lapsen hoito Tyks:ssa oli asianmukaista. Häntä koskevat nusinerseenihoidon aloitusta koskevat hoitopäätökset

tehtiin lääketieteellisin perustein ja noudattaen Tyks:n omaa hoito-ohjetta ja sittemmin PALKO:n suositusta. Valvira toteaa kuitenkin, että lapsen potilasasiakirjoihin olisi ollut aiheellista kirjata selkeämmin nusinerseenihoidon aloituksesta pidättäytymisen lääketieteelliset perusteet vuonna 2017.

Valvira toteaa, että Tyks:n vuonna 2017 tekemä nusinerseenihoitojen aloitusta sen erityisvastuualueella koskenut sisäinen päätös oli asianmukainen ja lääketieteellisin perustein tehty. Päätös ei asettanut Tyks:n erityisvastuualueen SMA-potilaita eriarvoiseen asemaan toisiinsa nähden.

### 3.3.2 Kannanotto

Minulla ei ole syytä laillisuusvalvojana kyseenalaistaa Valviran lääketieteellisessä asiantuntijalausunnossa esitettyjä perusteltuja käsityksiä.

Valviran lausunnon ja saadun selvityksen perusteella en ole voinut todeta Tyks:n menetelleen kantelijan lapsen nusinerseenihoidon aloittamisessa tai nusinerseenihoidon aloittamista koskevassa sisäisessä päätöksenteossa virheellisesti.

Potilasasiakirja-asetuksen 12 §:n mukaan potilasasiakirjoihin tehtävistä merkinnöistä tulee riittävässä laajuudessa käydä ilmi taudinmäärityksen, valitun hoidon ja tehtyjen hoitoratkaisujen perusteet. Totean, että kantelijan lapsen potilasasiakirjoihin olisi tullut kirjata tapahtunutta selkeämmin nusinerseenihoidon aloituksesta pidättäytymisen lääketieteelliset perusteet vuonna 2017.

Potilasasiakirjojen laatimista koskevat potilasasiakirja-asetuksen säännökset ovat käsitykseni mukaan selkeät, yksiselitteiset ja täsmälliset. Näiden säännösten noudattamisella turvataan perustuslain 21 §:n mukaisen oikeusturvaa koskevan perusoikeuden ja perustuslain 19 §:n 3 momentissa perusoikeuksina turvattujen riittävien terveystalveluiden toteutumista.

Valvira toteaa, että PALKO:n tehtävänä on terveydenhuollon palveluvalikoiman kokonaisuuden määrittely ja arviointi. Terveydenhuoltolain 78 a §:n mukaan PALKO:n tehtävänä on antaa *suosituksia* terveyden- ja sairaanhoidon toimenpiteiden, tutkimusten sekä hoito- ja kuntoutusmenetelmien kuulumisesta palveluvalikoimaan tai rajaamisesta pois palveluvalikoimasta. Totean, että suosituksia ei voida pitää julkista terveydenhuoltoa sitovina päätöksen luonteisina kannanottoina.

## 4 TOIMENPITEET

Saatan edellä kohdassa 3.3.2 esittämäni käsityksen potilasasiakirjojen potilasasiakirja-asetuksen mukaisesta laatimisesta Tyks:n lasten ja nuorten klinikan tietoon.

Tässä tarkoituksessa lähetän jäljennöksen tästä päätöksestäni toimialuejohtajalle ---.

Muihin toimenpiteisiin kantelu ei anna aihetta.

Apulaisoikeusasiamiehen sijainen

Mikko Sarja

Esittelijäneuvos

Kaija Tanttinen-Laakkonen