

# OHJELMA

## **17-17.20 TERVETULOA JA AVAUS**

Oyl Mikko Seppänen, HUS Harvinaissairauksien yksikkö

## **17:20 VIRITTÄYTYMINEN PANEELIIN**

Anna-Maria Isola, asianosainen ja tutkija (THL)

## **17.30-18.15 PANEELIKESKUSTELU**

Harvinaissairauden taloudellinen rasitus elämänkaaressa  
Pirkko Justander

## **18.15-18.30 KANSALAISALOITE ASIAKASMAKSUISTA**

Elämää pelastavien hoitojen sarjahoitomaksujen poistaminen (esim. dialyysi/systostaatti)

## **18.30-19.30 KAHVIT**

# KUKA KUUNTELEE HARVINAISESTI SAIRASTA (KÖYHÄÄ)

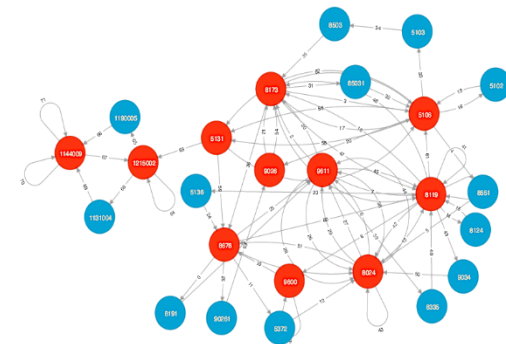
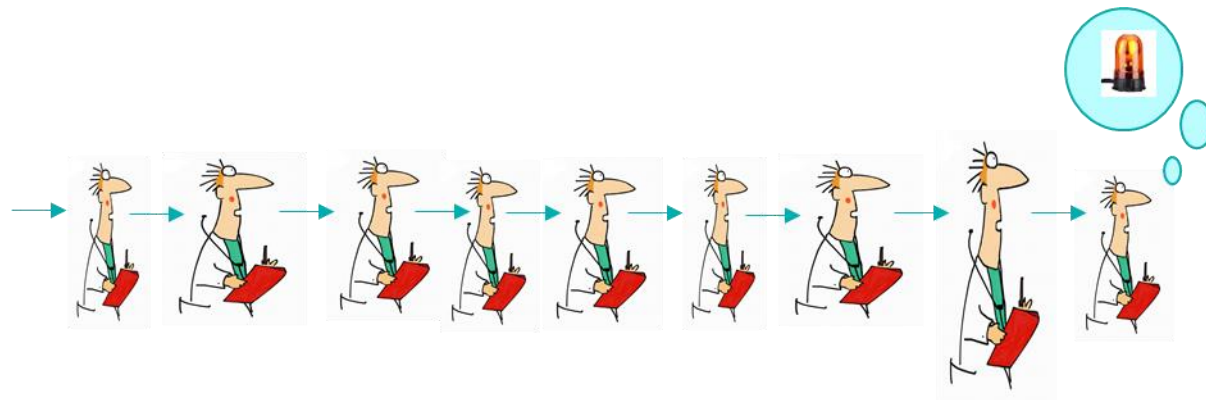
Harvinaisuuden lisätaakka

# KUKA KUUNTELISI KÖYHÄÄ HARVINAISSAIRASTA?

29.1.2019/ oyl Mikko Seppänen, Harvinaissairauksien yksikkö, HUS

# PUBMED-HAUT 1

- **Psychological AND rare disease AND economic\*** :58 artikkelia
  - Yksittäisistä sairauksista jokunen tutkimus, mm. epidermolysis bullosa
  - *Orphanet J Rare Dis* 2017; 2:68  
Australia, lapsipotilaat, päähuomio viivästyneessä diagnoosissa (38% ≥ 6 lääkäriä)
  - Dg-viive: Ahdistus, suvunjatkamisen pelko, frustraatio ja stressi (54%), taudin eteneminen (37%), hoidon viivästyminen ja vääränlainen hoito (10%);  
Empatian ja ymmärryksen puute (16%), vaikka 86.2% sai psyykkistä tukea



- **Productivity loss AND rare diseases\*** :19 artikkelia
  - Kustannukset osin yhteiskunnalle
  - Yksittäisistä sairauksista jokunen tutkimus, mm. lastenreuma
  - *BMC Musculoskelet Disord* 2016;17:32  
Vuodessa (2012): tuottavuuden lasku 8 715€, muut kulut 8 323€  
Eläköityminen, tukihoidot, lääkitys, potilaskäynnit, testit
- **Marginalization AND rare disease(e)\*** : 7 artikkelia
  - “The rarity of these diseases produces the basic condition of marginalization that these patient advocacy organizations confront when seeking to generate research” Social Studies of Science 2011 41:31–57
- **Socioeconomi\* AND rare diseases\*** : 90 artikkelia
  - **1 tuoreehko yleinen katsausartikkeli:**  
Angelis A et al. *Health Policy* 2015;119:964-79

- Fokus sairaudessa, ei sairaassa ja vain taloudellisissa vaikutuksissa
- 2015 mennessä: vain 77 tutkimusta, joista 51 joko kystinen fibroosi (29) tai hemofilia (22)
- Elämänkaaren kustannukset: 4 sairautta
- Vuosittaiset kustannukset: 5 sairautta
- Datat saatavuus: sidoksissa lääkehoidon saatavuuteen... (<10% harvinaissairauksia)
- Tässä siten kirjallisuudesta:
  - Kystinen fibroosi, Duchennen lihasatrofia, fragiili X, hemofilia, lastenreuma, mukopolysakkaridoosi, skleroderma, Prader-Willin oireyhtymä (PWS), histiosytoosi ja epidermolysis bullosa

**Table 3**  
Direct, indirect and total costs related to the ten study RDs (€, 2010).

Disease	Total cost (€, 2010)		Indirect costs (€, 2010)	Direct medical costs (€, 2010)	Proportion of direct costs (per patient, annual)		
	Lifetime	Per patient, annual	Per patient, annual (% of direct cost)	Per patient, annual	Drugs	Equipment, devices, aids	Inpatient care
CF	287,591–1,907,384 [15,38–41]	16,307–394,518 <sup>a</sup> [42]	8,814–21,075 (60–94%) [43–45]	7,108–51,551 <sup>b</sup> [14,15,40,41,46–50]	9–57% [14,15,50–61]	n/a	15–81% [15,50–61]
DMD	541,593 [65]	n/a	n/a	1,983 [66]	n/a	67–83% [66]	n/a
FXS	546,112–980,057 [70]	n/a	n/a	>31,050 [68]	19% (of OOP) [71]	n/a	n/a
HAE	133,024–258,025 <sup>c</sup> [72]	1,101–178,796 [73,74]	836 (2.8%)–37,582 (88%) [73–75]	1,042–745,376 [73,76–82]	33–100% [73–76,78–82,85–89]	<1%	1–64% [73–75,79,80,88,89]
JIA	n/a	4,143–29,613 [93,95,96]	142 (6%)–1,870 (86%) [22,93–96,98]	2,202–27,603 [93,95–98]	7–54% [93–99]	3% [96]	22–40% [95–96,98]
MPS	n/a	n/a	n/a	130,451–474,885 (drug only) [28,101]	n/a	n/a	n/a
SCL	n/a	12,032–14,133 [30,104,105]	6,742–11,357(127–216%) [30,103,105]	3,858–4,926 [30,105]	12–31% [30–105]	0–4% [30–105]	28–82% [30,105]
PWS	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
HIS	n/a	49,947 [34]	14,842 (64%) [34]	23,066 [34]	2% [34]	3% <sup>d</sup> [34]	1% [34]
EB	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a

Source: The authors.

Notes. CF, Cystic Fibrosis; DMD, Duchene Muscular Dystrophy; FXS, Fragile X Syndrome; HAE, Haemophilia; JIA, Juvenile Idiopathic Arthritis; MPS, Mucopolysaccharidosis; SCL, Scleroderma; PWS, Prader-Willi Syndrome; HIS, Hystiocytosis; EB, Epidermolysis Bullosa.

<sup>a</sup> Depending on age, range limits are for 0–9 and 30–39 years [42].

<sup>b</sup> Patients with *P. aeruginosa* infection can incur >2–3× higher costs [15,48].

<sup>c</sup> In the Mexican setting, using 5% discount rate.

<sup>d</sup> One-time expense and therefore not included in annual direct cost. The 3.3% is total aids (€1,715) divided by total direct cost plus total aids (€49,947 + €1,715).



- Prof Juho Saari
  - ”On selvää, että meidän turvaverkko vuotaa... järjestelmä **toimii hyvin niin kauan kuin ihmisellä on yksi ongelma, kuten vaikkapa sairaus tai työttömyys... useampi ongelma peräkkäin, järjestelmä alkaa heittelehtimään.**”
  - ”Uskotaan, että ihminen parantaa toimintaansa, kun tehdään jokin yksi asia...ongelmat ovat kasaantuneet. Ihmisen kyky vastata taloudellisiin kannustimiin on erilainen tilanteessa, jossa arkea kuormittaa niukkuus, ahdistus ja sopeutuminen elämäntilanteeseen... Suomessa ollaan heikkoja kokonaisvaltaisten palveluketjujen tuottamisessa... että ne toisivat elämään myönteisiä siirtymiä parempaan... kun on ollut kanveesissa liian monta kertaa, kyky nousta heikentyy koko ajan”
- Nuorisolääkäri Milla Halonen
  - ”Energiaa ei kuluisi selviytymistaisteluun niukkuutta vastaan, vaan jäisi enemmän tärkeisiin asioihin, rakastamiseen ja läsnäoloon”

HS 8. tammikuuta 2019

## Toivottomuus ajaa köyhän ahdinkoon

**N**iukkuudessa eläminen, vähävaraisuus ja köyhyys voivat nujertaa toimintakyvyn ja tulevaisuuden näkymät niin rajusti, että ihminen alkaa tosissaan hautoa itsemurhaa keinona vapautua taakastaan. Näin voimakas toivottomuuden tunne sekä myös viha ja raivo yhteiskuntaa kohtaan nousivat esiin, kun HS kysyi lehden lukijoilta kokemuksia köyhyydestä (HS 6.1.). Kyselyyn vastasi noin 4 000 lukijaa.

Osa vastaajista kertoi myös sopeutuneensa taloudellisesti niukkaan elämäänsä luovuuden avulla. Jotkut olivat löytäneet kestävästä elämästä. Taloudellinen niukkuus ei välttämättä nujerra ihmistä myöskään silloin, jos se on väliaikaista ja edessä on näkemä paremmasta tulevaisuudesta. Näin voi olla esimerkiksi opiskelijoilla.

Kysely kertoo osaltaan siitä, miten erilaisia ihmisten elämäntilanteet ja henkilökohtaiset voimavarat voivat olla myös vähävaraisuudesta selviämiseen.

**K**öyhyyttä voidaan mitata hyvin monin tavoin, ja rahan puute on vain yksi mittari. Tilastollinen köyhyysraja on 60 prosenttia kansallisesta mediaanitulosta. Tämän rajan alle jää Suomessa jo lähes 700 000 ihmistä. Määrä on kasvanut aiemmista vuosikymmenistä. EU:n tilastojen mukaan Suomessa noin 800 000 ihmistä elää köyhyys- tai syrjäytymisriskissä.

Tuloerot Suomessa kasvoivat 1990-luvulla mutta eivät merkittävästi sen jälkeen. Suomi on edelleen kansainvälisesti verrattuna hyvin tasaisten tuloerojen maa, joka on vain sadassa vuodessa noussut hyvin köyhästä agraariyhteiskunnasta maailman rikkaimpien joukkoon. Perusturvan varassa elävien ihmisten tulotaso on kuitenkin jäänyt jälkeen muusta tulokehityksestä.

Vauraassa ja hyvinvoivassa maassa kuten Suomessa köyhyys on myös suhteellista, koska ihmiset vertaavat omaa tulotasoaan ja pärjäämistään muihin. Muun muassa professori Juho Saari on kyselytutkimuksissaan osoittanut, että kaikki suomalaiset eivät enää koe olevansa samassa veneessä. Merkittäviä yhteiskunnallisia jakolinjoja on paitsi varallisuudessa myös poliittisessa vallassa, koulutuksessa ja terveydessä. Terveysongelmat kasaantuvat vähän koulutetuille ja pienituloisille.

Kaikkein huono-osaisimmat eivät välttämättä vastaa kyselyihin, koska heillä ei ole voimia tai mahdollisuuksia. Tutkijat ovat haastatelleet asunnottomia, oikeuspsykiatrin potilaita tai huumeidenkäyttäjää esimerkiksi tukiasunnoissa tai leipäjonossa. Hyväosaiset suomalaiset eivät välttämättä omassa arjessaan edes kohtaa näitä ihmisiä.

**P**ohjoismaisen hyvinvointiyhteiskunnan perusajatus on ollut mahdollisuuksien tasa-arvo lähtökohdista riippumatta. Vaikeistakin kotiloista lapsi ja nuori on voinut kouluttautua ja rakentaa itselleen hyvän elämän. Ongelmien kasaantuessa joillakin on paremmat henkiset voimavarat selviytyä kuin toisilla, mutta jossakin vaiheessa jaksaminen voi loppua keneltä tahansa.

Jos arjesta selviytyminen vie kaikki voimavarat, myös osallisuus yhteiskunnassa kapenee. Luottamus poliittiseen järjestelmään horjuu, jos hyvinvointivaltion turvaverkko pettää juuri silloin, kun sitä eniten tarvitsee. Toivottomuudessa ja osattomuudessa voi myös kytä yhteiskunnallisen radikalisoitumisen riski. Siksi sosiaali- ja terveyspalveluja ja sosiaaliturvaa pitäisi uudistaa niin, että ne vastaavat heikoimmassa asemassa olevien ihmisten tarpeisiin ja auttavat heitä myös ulos köyhyydestä.

  
**Selviytyminen  
vie kaikki  
voimavarat.**

# HARVINAISSAIRAAN TAAKKA

## Köyhä harvinaispotilas

- niukkuus nakertaa itsetuntoa
- häpeä
- riittämättömyys
- sosiaalinen eristäytyneisyys
- "vain menoerä valtion kukkarossa"



## Lääkäri

- sairauskeskeinen ajattelu
  - varhainen diagnoosi
  - (lääke)hoito ja tutkimus
- lääketieteellisesti vaativan potilaan hoidon muut ulottuvuudet?
  - edes masennus?
  - moniammatillisuus?
- potilaan muun auttamisen resurssit?

## Harvinaispotilas

### varhainen diagnoosi

- arjen sujuvuus?
- perheen taakka
  - vanhemmat
  - sisarukset
- yksinäisyys
  - koko perhe?
- parinmuodostus?
- seksuaaliterveys?
- itseohjautuvuus?
- tarvittavat avut ja tuet?
- taloudellinen tilanne?
- sairauden tilanne?
- kuntoutustarve?
- psykiatrisen tuen tarve?
- hoidon jatkuvuus
  - aikuisuuteen?
  - vanhuuteen?
- QoL/PROM?

## Kela

- toimintakykyyn perustuvat arviot

## Vammaispalvelut

- toimintakykyyn perustuvat arviot

## Sosiaalitoimi

- maksukykyyn perustuvat arviot

## Julkinen terveydenhuolto

- tehokkuus (avoth)
- terveyshyöty, QALY
- kannattavuus
- kansalaisten yhdenvertaisuus

## Kolmas sektori

- tehokkuus
- terveyshyöty/€
- kannattavuus
- (voitto)



# YHTEINEN KULKUSUUNTA - KAIKEN KESKELLÄ POTILAS

