



<https://printo.it/pediatric-rheumatology/Fl/intro>

## Lääkehoito

Versio 2016

### Johdanto

Tässä artikkelissa esitellään lasten reumasairauksien hoidossa yleisesti käytetyt lääkkeet. Lääkkeen esittely sisältää lyhyen kuvauksen lääkkeestä sekä annoksen ja antotavan, mahdolliset haittavaikutukset ja pääasialliset käyttöaiheet.

### Lääkkeen kuvaus

Lääkkeen kuvaus sisältää yleistiedot lääkkeestä, sen toimintaperiaatteesta ja todennäköisistä haittavaikutuksista.

### Annos ja antotapa

Lääkeannos on tavallisimmin ilmoitettu milligrammoina kilogrammaa kohti vuorokaudessa (mg/kg/vrk) tai milligrammaa kehon pinta-alan neliometriä kohti (mg/m<sup>2</sup>). Lääkkeen antotapa voi olla suun kautta tabletteina, pistoksena ihon alle tai suonensisäisenä infuusiona.

### Haittavaikutukset

Tiedot parhaiten tunnetuista haittavaikutuksista.

### Pääasialliset käyttöaiheet lasten reumasairauksien hoidossa

Luettelo lasten reumasairauksista, joiden hoitoon lääkettä voidaan määrätä. Kun lääkkeellä on virallinen käyttöaihe eli indikaatio lasten sairauden hoidossa, sen tehoa ja turvallisuutta lapsipotilaissa on tutkittu ja valvontaviranomainen, esimerkiksi Euroopan lääkevirasto (EMA, European Medicines Agency) tai Yhdysvaltain lääke- ja elintarvikevirasto (FDA, Food and Drug Administration), on hyväksynyt lääkkeen käytön lapsipotilaiden hoidossa. Joissakin erityistapauksissa lääkäri voi määrätä lapselle lääkettä, jota ei vielä ole virallisesti hyväksytty käytettäväksi lasten reumasairauksien hoidossa.

### Lapsipotilaiden hoitoa koskeva lainsäädäntö, lääkkeen käyttötarkoituksen mukainen ja muu käyttö, lääkehoito

---

## **tulevaisuudessa**

Vielä 15 vuotta sitten kaikkia lastenreuman ja monien muiden lastentautien hoidossa käytettäviä lääkkeitä ei oltu tutkittu asianmukaisesti nimenomaan lapsilla. Käytännössä lääkärit siis määräsivät lääkkeitä omien kokemustensa tai aikuispotilailla tehdyistä tutkimuksista saatujen tulosten perusteella.

Myös lasten reumasairauksien kliinisten tutkimusten suorittaminen oli varsin hankalaa lähinnä siksi, ettei lapsia koskeville tutkimukselle saanut rahoitusta eivätkä lääkeyritykset olleet kiinnostuneita pienistä ja vaatimattomista lastenlääkemarkkinoista. Tilanne kuitenkin muuttui merkittävästi muutama vuosi sitten, kun Yhdysvalloissa hyväksyttiin lastenlääkkeitä koskeva laki (Best Pharmaceuticals for Children Act, BPCA) ja Euroopan parlamentti ja neuvosto antoivat asetuksen lastenlääkkeistä. Uudet säädökset käytännössä pakottivat lääkeyritykset tutkimaan lääkkeiden vaikutuksia myös lapsissa.

Yhdysvaltain ja Euroopan unionin lainsäädäntö sekä kaksi kansainvälisesti merkittävää organisaatiota ovat edistäneet lasten reumasairauksien hoidon kehittämistä ja erityisesti uusien lääkkeiden kehittämistä lastenreumaa sairastavien lapsipotilaiden hoitoon. Nämä kaksi organisaatiota ovat PRINTO (Paediatric Rheumatology International Trials Organisation, [www.printo.it](http://www.printo.it)), joka on kansainvälinen, yli 50 jäsenmaan organisaatio, ja pohjoisamerikkalainen Pediatric Rheumatology Collaborative Study Group (PRCSG, [www.prcsg.org](http://www.prcsg.org)). Tutkimuksiin on osallistunut satoja lastenreumaperheitä PRINTOn ja PRCSG:n keskuksissa eri puolilla maailmaa, mikä on mahdollistanut lastenreumapotilaiden hoitamisen nimenomaan lastenreuman hoitoon tarkoitetuilla lääkkeillä. Osa tutkimuksiin osallistuneista lapsista on saanut lumelääkettä (tabletti tai infuusioliuos, joka ei sisällä vaikuttavaa ainetta), minkä avulla on voitu varmistaa, että tutkittavan lääkkeen ottamisesta koituva hyöty on suurempi kuin siitä aiheutuva haitta. Näiden tutkimusten ansiosta nykyään on jo useita, nimenomaan lastenreuman hoitoon hyväksytyjä lääkkeitä. Lääkkeet hyväksyy valvontaviranomainen, esimerkiksi Euroopan lääkevirasto (EMA, European Medicines Agency), Yhdysvaltain lääke- ja elintarvikevirasto (FDA, Food and Drug Administration) tai jokin kansallinen taho, joka tarkastaa kliinisissä kokeissa saadut tulokset ja voi sen jälkeen myöntää lääkeyrityksille luvan ilmoittaa lääkkeen pakkausselosteessa, että lääke on tehokas ja turvallinen lapsipotilaiden hoidossa.

Lastenreuman hoitoon hyväksytyjä lääkkeitä ovat esimerkiksi

---

metotreksaatti, etanersepti, adalimumabi, abatasepti, tosilitsumabi ja kanakinumabi.

Parhaillaan on käynnissä useita lääketutkimuksia, ja lääkäri saattaakin pyytää hoidettavaa lasta osallistumaan tutkimukseen.

Hyväksytyjen lääkkeiden lisäksi on myös sellaisia lääkkeitä, joita ei ole virallisesti hyväksytty käytettäväksi lastenreuman hoidossa. Tällaisia ovat esimerkiksi useat tulehduskipuläkkeet, atsatiopriini, syklosporiini, anakinra ja infliksimabi. Joissakin erityistapauksissa lääkäri saattaa ehdottaa tällaisen lääkkeen käyttöä muussa kuin lääkkeen varsinaisessa käyttötarkoituksessa erityisesti, ellei muuta hoitoa ole käytettävissä.

### **Hoitoon sitoutuminen**

Potilaan hyvinvointi pitkällä ja lyhyellä aikavälillä edellyttää, että hän sitoutuu hoitoon.

Hoitoon sitoutuminen tarkoittaa, että lääkärin antamia hoito-ohjeita noudatetaan. Hoito saattaa sisältää säännöllisen lääkehoidon lisäksi seurantakäyntejä, fysioterapiaa, laboratoriotarkastuksia jne. Nämä kaikki yhdessä muodostavat hoidon kokonaissuunnitelman, jonka tavoitteena on pitää tauti hallinnassa, vahvistaa lapsen kehoa ja ylläpitää lapsen terveyttä. Lääkäri määrää, miten usein ja kuinka paljon lääkettä otetaan, jotta lapsen elimistössä olisi koko ajan riittävästi lääkettä. Ellei näitä ohjeita noudateta, lääkkeen pitoisuus lapsen elimistössä saattaa laskea liian alhaiseksi ja lapsen oireet saattavat pahentua. Jotta oireet eivät pahenisi, on tärkeää huolehtia, että lapselle annetaan pistokset ja suun kautta otettavat lääkkeet säännöllisesti.

Yleisin syy hoidon epäonnistumiseen on se, ettei hoito-ohjeita ole noudatettu. Todennäköisyys sille, että lapsen oireet saadaan hallintaan, on merkittävästi suurempi silloin, kun kaikkia lääkärin ja muun hoitotiimin ohjeita noudatetaan tarkasti. Monivaiheisten hoito-ohjeiden noudattaminen saattaa olla rasittavaa vanhemmille tai lapsen huoltajille. Heidän vastuullaan on kuitenkin huolehtia siitä, että lapsi pysyy mahdollisimman terveenä. Valitettavasti hoito-ohjeiden noudattamatta jättäminen yleistyy lapsen iän karttuessa (erityisesti murrosikässä). Teini-ikäiset eivät tahdo kokea itseään potilaiksi ja laiminlyövät hankalia hoitoja, minkä seurauksena oireet pahenevat. Tämä on varsin tavallista juuri murrosikässä. Hoito-ohjeiden noudattaminen on tehokkain keino pitää oireet kurissa ja huolehtia elämänlaadun säilymisestä.

