

รายงานผลการศึกษา

การประเมินความคุ้มค่าและผลกระทบต่อด้านงบประมาณของ
การรักษาผู้ป่วยโกเชร์ด้วยเอนไซม์อิมิกลูเซอเรส
(Cost utility analysis and budget impact analysis
of imiglucerase fortreatment of Gaucher disease patients)

รายงานผลการศึกษา

การประเมินความคุ้มค่าและผลกระทบด้านงบประมาณของการรักษาผู้ป่วยโกเชอร์

ด้วยเอนไซม์อิมิกลูเซอเรส

(Cost utility analysis and budget impact analysis of imiglucerase for treatment of Gaucher disease patients)

โดย

ทพญ.อุษณา ตัณมขยกุล¹

ศ.พญ.ดวงฤดี วัฒนศิริชัยกุล²

นายกิตติพงษ์ อธิบูรณ์บุญ¹

ภญ.พัทธรา ลีฬหรวงศ์¹

ดร.นพ.ยศ ตีระวัฒนานนท์¹

(กรกฎาคม 2555)

โครงการนี้ได้รับทุนสนับสนุนจากสำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (สปสช.)

¹โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ กระทรวงสาธารณสุข

²ภาควิชากุมารเวชศาสตร์ คณะแพทยศาสตร์ โรงพยาบาลรามาธิบดี

กิตติกรรมประกาศ

คณะผู้วิจัยในโครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ (Health Intervention and Technology Assessment Program หรือ HITAP) ขอขอบพระคุณสำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (สปสช.) สำหรับทุนสนับสนุนการดำเนินงานวิจัยในครั้งนี้ อย่างไรก็ตามหน่วยงานผู้เป็นแหล่งทุนมิได้ให้การรับรองเนื้อหา และอาจมีนโยบายหรือความเห็นที่ไม่สอดคล้องกับความเห็นและข้อเสนอแนะที่ปรากฏในรายงานนี้

คณะผู้วิจัยขอขอบพระคุณ ศ.พญ.ดวงฤดี วัฒนศิริชัยกุล คณะแพทยศาสตร์ โรงพยาบาลรามาธิบดี ที่ให้ความอนุเคราะห์ข้อมูลและการติดต่อประสานงานกับผู้เชี่ยวชาญต่างประเทศ รวมถึงให้คำชี้แนะในประเด็นสำคัญที่เป็นประโยชน์ต่อการศึกษา อีกทั้งขอขอบพระคุณ ศ.พญ.พรสวรรค์ วสันต์ ผศ.พญ.อัจฉรา เสถียรกิจการชัย ผศ.นพ.นิธิวัชร วัฒนวิจารณ์ คณะแพทยศาสตร์ ศิริราชพยาบาล ศ.นพ.วรศักดิ์ โชติเลอศักดิ์ คณะแพทยศาสตร์ จุฬาลงกรณ์มหาวิทยาลัย รศ.คลินิก นพ.สุทธิพงษ์ ปังคานนท์ พญ.จุฬาลักษณ์ คุปตานนท์ สถาบันสุขภาพเด็กแห่งชาติมหาราชินี กระทรวงสาธารณสุข ที่อนุเคราะห์ข้อมูลและข้อเสนอแนะที่เป็นประโยชน์ต่อการวิจัย และคณะผู้วิจัยขอขอบพระคุณ คุณวราภรณ์ ขุนอินทร์ คุณทิพวัลย์ วีระทัต คณะแพทยศาสตร์ โรงพยาบาลรามาธิบดีในการติดต่อประสานงานกับผู้ป่วยและญาติ

สุดท้ายนี้ คณะผู้วิจัยขอขอบพระคุณแพทย์ผู้เชี่ยวชาญและผู้แทนจากหน่วยงาน ภาคส่วนต่างๆ ที่มีได้กล่าวถึง ณ ที่นี้ ในความกรุณาให้ข้อมูล รวมถึงข้อคิดเห็นอันเป็นประโยชน์ต่อการวิจัยในครั้งนี้

บทคัดย่อ

วัตถุประสงค์ เพื่อประเมินต้นทุนอรรถประโยชน์และผลกระทบด้านงบประมาณของการรักษาผู้ป่วยที่มีอาการแสดงของโรคโกเชอร์ชนิดที่ 1 ด้วยเอนไซม์ imiglucerase

วิธีการศึกษา วิเคราะห์ต้นทุนอรรถประโยชน์ของการรักษาผู้ป่วยที่มีอาการแสดงทางคลินิกแบบโกเชอร์ชนิดที่ 1 โดยใช้แบบจำลองทางเศรษฐศาสตร์ (Markov model) ในมุมมองของสังคม เพื่อคำนวณอัตราส่วนต้นทุนต่อประสิทธิผลส่วนเพิ่ม (Incremental cost-effectiveness ratio-ICER) ในหน่วยบาทต่อปีสุขภาวะเปรียบเทียบระหว่างการรักษาแบบประคับประคอง กับการใช้เอนไซม์ imiglucerase (Enzyme Replacement Therapy-ERT) ข้อมูลตัวแปรที่ใช้ในแบบจำลองได้มาจากการสัมภาษณ์ผู้ป่วยและญาติ จากฐานข้อมูลผู้ป่วยโกเชอร์ในประเทศได้ทุกวัน การทบทวนเวชระเบียน การทบทวนวรรณกรรม และความเห็นของผู้เชี่ยวชาญ

ผลการศึกษา ในกรณีผู้ป่วยโกเชอร์ชนิดที่ 1 อายุ 2 ปี เมื่อเปรียบเทียบกับการรักษาแบบประคับประคอง การรักษาโดย imiglucerase ช่วยยืดอายุและเพิ่มคุณภาพชีวิต โดยสามารถทำให้ผู้ป่วยมีชีวิตยืนยาวขึ้น 8.98 ปี และมีปีสุขภาวะเพิ่มขึ้น 5.12 ปี คิดเป็นอัตราส่วนต้นทุนประสิทธิผลส่วนเพิ่ม 1,184,128 บาทต่อปีสุขภาวะ ในกรณีผู้ป่วย อายุ 20 ปี การรักษาโดย imiglucerase จะทำให้ผู้ป่วยมีชีวิตยาวขึ้น 3.46 ปี มีปีสุขภาวะเพิ่มขึ้น 2.63 ปีและมีอัตราส่วนต้นทุนประสิทธิผลส่วนเพิ่ม เท่ากับ 6,370,970 บาทต่อปีสุขภาวะ

ภาระด้านงบประมาณสำหรับการให้เอนไซม์ imiglucerase รักษาผู้ป่วยโกเชอร์ที่มีความชุกเป็นผู้ป่วยเด็ก 9 ราย ผู้ป่วยผู้ใหญ่ 5 ราย และที่อุบัติการณ์ผู้ป่วยเด็ก 4 ราย ผู้ป่วยผู้ใหญ่ 1 รายต่อปีจะมีภาระงบประมาณสำหรับการรักษาผู้ป่วยเด็กทั้งหมดในระยะเวลา 5 ปีเป็นมูลค่า 72.6 ล้านบาท ในระยะเวลา 10 ปีเป็นมูลค่า 166.2 ล้านบาท ในระยะเวลา 15 ปีเป็นมูลค่า 332.5 ล้านบาทต่อปี และระยะเวลา 20 ปีเป็นมูลค่า 556.5 ล้านบาท สำหรับภาระงบประมาณของการรักษาผู้ป่วยผู้ใหญ่ด้วยเอนไซม์ imiglucerase ในระยะเวลา 5 ปีจะเป็นมูลค่า 102.5 ล้านบาท ในระยะเวลา 10 ปีจะเป็นมูลค่า 146.0 ล้านบาท ในระยะเวลา 15 ปีจะเป็นมูลค่า 192.4 ล้านบาท ในระยะเวลา 20 ปีจะเป็นมูลค่า 236.4 ล้านบาท

สรุปและอภิปรายผลการศึกษา การรักษาผู้ป่วยโกเชอร์ที่มีอาการแสดงทางคลินิกแบบชนิดที่ 1 ด้วยเอนไซม์ imiglucerase ไม่มีความคุ้มค่าที่ระดับความเต็มใจจ่าย 120,000 บาทต่อปีสุขภาวะเมื่อเปรียบเทียบกับการรักษาแบบประคับประคอง แต่การรักษาด้วย imiglucerase ช่วยยืดอายุและเพิ่มคุณภาพชีวิตให้แก่ผู้ป่วยโกเชอร์ โดยเฉพาะผู้ป่วยเด็ก

การใช้เอนไซม์ imiglucerase ในการรักษาผู้ป่วยโกเชอร์ไม่ได้มีเป้าหมายเพียงรักษาให้ตับ ม้าม มีขนาดปกติเท่านั้น แพทย์ยังเลือกให้เอนไซม์ imiglucerase เพื่อเตรียมสภาพร่างกายของผู้ป่วยให้พร้อมก่อนทำการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือด ซึ่งเป็นวิธีการรักษาที่ทำให้ผู้ป่วยหายขาด การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดแก่ผู้ป่วยโกเชอร์ได้ถูกบรรจุในชุดสิทธิประโยชน์ของระบบหลักประกันสุขภาพถ้วนหน้า ผู้ป่วยที่สามารถรักษาด้วยการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดจึงมีความจำเป็นต้องได้รับเอนไซม์ imiglucerase

Abstract

Objective To analyse cost-utility and budget impact of imiglucerase for treatment of symptomatic Gaucher disease type I patients

Method Cost-utility analysis and budget impact analysis were applied. Using societal perspective, a Markov model was employed to estimate an incremental cost-effectiveness ratio (ICER) in Thai baht (THB) per quality-adjusted life year (QALY) unit. The compared interventions were imiglucerase and good supportive treatment for symptomatic Gaucher disease type I patients. Model input parameters were obtained from interviewing patients and their care givers, reviewing medical records, searching relevant literatures, data from Taiwan Gaucher registry, and experts' opinion.

Results Imiglucerase would likely increase life expectancy and health-related quality of life of symptomatic Gaucher disease type I patients. For patient aged 2 years old, they would be gained 8.98 life years and 5.12 QALYs with an estimated ICER was 1,184,128 THB per QALY compared to patients who received good supportive care. For adult patient aged 20 years old, they would be gained 3.46 life years and 2.63 QALY with an estimated ICER as high as 6,370,970 THB per QALY.

Budget impact of imiglucerase treatment for 9 young Gaucher disease patients with 4 new cases yearly in 5 year period was approximately 72.6 million THB, 10 year period was 166.2 million THB, 15 year period was 332.5 million THB, and 20 years was 556.5 million THB. Whereas estimated budget required for imiglucerase treatment for 5 adult Gaucher disease patients with 1 new case annually in 5, 10, 15, and 20 year period were 102.5, 146.0, 192.4, and 236.4 million THB, respectively.

Conclusion and discussion Imiglucerase for treatment of symptomatic Gaucher disease type I was cost-ineffective in the Thai context at the threshold 120,000 THB per QALY. However, imiglucerase would likely increase life year and QALY of Gaucher disease patients, especially young patients. Moreover, imiglucerase for Gaucher disease treatment is not only alleviating hepatomegaly and splenomegaly, but imiglucerase is also used to prepare patients before a hematopoietic stem cell transplantation (HSCT), a curative treatment of Gaucher disease. Thus, a benefit package of HSCT for Gaucher disease patient, who is eligible for receiving HSCT, needs to consider including imiglucerase treatment.

สารบัญ

กิตติกรรมประกาศ.....	i
บทคัดย่อ.....	ii
Abstract	iii
บทนำ.....	1
ข้อมูลทั่วไป	1
ข้อมูลทางระบาดวิทยา	1
การรักษา	2
วัตถุประสงค์	4
วิธีการศึกษา	5
รูปแบบการศึกษา	5
แบบจำลองทางเศรษฐศาสตร์.....	6
ตัวแปรที่ใช้ในแบบจำลอง.....	7
สมมติฐานที่ใช้ในแบบจำลอง.....	11
การวิเคราะห์ความไม่แน่นอนของผลลัพธ์ (Uncertainty analysis).....	11
การวิเคราะห์ผลกระทบด้านงบประมาณ.....	11
ผลการศึกษา.....	12
ผลการวิเคราะห์ต้นทุนอรรถประโยชน์ของการรักษาผู้ป่วยชนิดที่ 1.....	12
ผลการวิเคราะห์ความไม่แน่นอนของผลลัพธ์ (Uncertainty analysis)	13
ผลกระทบด้านงบประมาณของของการรักษาผู้ป่วยโรคมะเร็งชนิดที่ 1	16
สรุปและอภิปรายผลการศึกษา.....	17
ข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย	18
ผลประโยชน์ทับซ้อน	19
เอกสารอ้างอิง.....	20
ภาคผนวก 1 ความน่าจะเป็นที่จะเสียชีวิตของประชากรไทย.....	23
ภาคผนวก 2 ตารางน้ำหนักเฉลี่ยตามอายุของประชาชนไทย	24
ภาคผนวก 3 แบบสอบถามความเห็นผู้เชี่ยวชาญ.....	28
ภาคผนวก 4 แบบสอบถามเก็บข้อมูลผู้ป่วย.....	30

สารบัญตาราง

ตารางที่ 1	ค่าตัวแปรด้านความน่าจะเป็นของการเปลี่ยนสถานะทางสุขภาพ (ต่อปี).....	7
ตารางที่ 2	ค่าตัวแปรอัตราประโยชน์ของผู้ป่วยโรคโคโรนา.....	8
ตารางที่ 3	ค่าตัวแปรต้นทุน (ต่อปี) แสดงค่าต้นทุนในปี พ.ศ. 2555.....	10
ตารางที่ 4	ภาวะงบประมาณของการรักษาผู้ป่วย GD1	17

สารบัญรูป

รูปที่ 1 แบบจำลองมาร์คอฟของผู้ป่วย GD1	6
รูปที่ 2 Cost-effectiveness plane ของการใช้เอนไซม์ imiglucerase ในการรักษาผู้ป่วย GD1 อายุ 2 ปี	12
รูปที่ 3 Cost-effectiveness plane ของการใช้เอนไซม์ imiglucerase ในการรักษาผู้ป่วย GD1 อายุ 20 ปี	13
รูปที่ 4 ผลการวิเคราะห์ความไม่แน่นอนของผลลัพธ์โดยการวิเคราะห์แบบทางเดียว.....	14
รูปที่ 5 ผลการวิเคราะห์ความไม่แน่นอนของผลลัพธ์โดยการวิเคราะห์แบบความน่าจะเป็น.....	15

บทนำ

ข้อมูลทั่วไป

โรคโกเชอร์ (Gaucher disease-GD) เป็นโรคทางพันธุกรรมหายาก (Rare disease) มีอุบัติการณ์น้อยกว่า 1:100,000 ประชากร [1] โรคโกเชอร์จัดอยู่ในกลุ่มเมตาบอลิกแอลเอสดี (Lysosomal Storage Disease-LSD) เป็นโรคที่ถ่ายทอดทางพันธุกรรมและมีโอกาสเกิดขึ้นได้ 1 ใน 4 ของทุกการตั้งครรภ์ที่พ่อแม่มีพันธุกรรมทำให้ขาดหรือทำให้การทำงานของเอนไซม์กลูโคซีรีโบรซิเดส (glucocerebrosides) บกพร่อง เซลล์ที่ได้รับผลกระทบจากการขาดหรือเอนไซม์กลูโคซีรีโบรซิเดสบกพร่องคือเซลล์มาโครฟาจ (macrophage) ซึ่งทำหน้าที่ในการย่อยสลายของเสีย เช่น เม็ดเลือดแดง เม็ดเลือดขาวที่หมดอายุ ทำให้เซลล์มาโครฟาจมีขนาดใหญ่กว่าปกติ [1] เรียกว่าเซลล์โกเชอร์ เซลล์โกเชอร์สามารถพบได้ที่ ตับ ม้าม สมอง ระบบประสาทส่วนกลาง ไชกระดูก กระดูก ส่งผลให้มีอาการแสดงทางคลินิกได้แก่ ตับโต ม้ามโต ซีด เกล็ดเลือดต่ำ เม็ดเลือดขาวต่ำ กระดูกบาง กระดูกพรุน กระดูกผิดปกติ ซัก และกล้ามเนื้อตาผิดปกติ [2]

โรคโกเชอร์ สามารถแบ่งตามอาการทางคลินิกออกได้เป็น 3 ชนิด ดังนี้ [2-6]

โกเชอร์ชนิดที่ 1 (Gaucher disease type 1-GD1) ผู้ป่วย GD1 มักมีอาการตับโต ม้ามโต ซีด ภาวะเกล็ดเลือดต่ำ ทำให้ช้ำง่าย เลือดออกง่าย หากมีการสะสมไขมันที่กระดูกจะทำให้มีอาการปวดกระดูก กระดูกบางหรือกระดูกพรุน มีโอกาสเกิดโรคตับแข็ง โรคปอด โรคหัวใจ โรคไต และพบว่าอาจมีความสัมพันธ์กับโรคพาร์คินสันด้วย GD1 นี้พบได้ในทุกเพศทุกวัย อาการแสดงของโรคสามารถพบได้ในผู้ป่วยที่มีอายุ 1 ปีขึ้นไป ผู้ป่วย GD1 ที่มีอาการรุนแรงจะเริ่มมีอาการแสดงของโรคในวัยเด็ก ในรายที่มีอาการรุนแรงมากอาจเสียชีวิตก่อนมีอายุครบ 10 ปี สำหรับผู้ป่วย GD1 ที่มีอาการของโรคไม่รุนแรงมักเริ่มมีอาการแสดงเมื่อเป็นผู้ใหญ่และสามารถมีชีวิตรับยาวถึง 60-90 ปีเหมือนคนปกติทั่วไป

โกเชอร์ชนิดที่ 2 (Gaucher disease type 2-GD2) เป็นโรคโกเชอร์ชนิดที่มีอุบัติการณ์ต่ำที่สุดและมีความรุนแรงมากที่สุดเพราะมีอาการเฉียบพลันทางระบบประสาท GD2 อาการทางระบบประสาทที่พบบ่อย ได้แก่ อาการทางระบบประสาทส่วนกลาง ตาเหล่ ซัก พัฒนาการช้า ปัญญาอ่อน ผู้ป่วย มีอาการแสดงของโรคได้ตั้งแต่ผู้ป่วยมีอายุ 1-2 เดือน และมักเสียชีวิตก่อนมีอายุครบ 2-3 ปี

โกเชอร์ชนิดที่ 3 (Gaucher disease type 3-GD3) ผู้ป่วย GD3 นี้จะมีอาการทั้ง GD1 และ GD2 ร่วมกัน กล่าวคือ ตับโต ม้ามโต ซีด เกล็ดเลือดต่ำ ร่วมกับมีอาการเฉียบพลันทางระบบประสาท เช่น ตาเหล่ ซัก ปัญญาอ่อน และพัฒนาการช้า ผู้ป่วย GD3 นี้จะมีอาการแสดงของโรคตั้งแต่อายุ 6-9 เดือน จากนั้นจะมีพัฒนาการทางร่างกายและสติปัญญาหยุดชะงัก และมีพัฒนาการถดถอยลง ผู้ป่วย GD3 มักมีอายุไม่เกิน 30 ปี

ข้อมูลทางระบาดวิทยา

ความชุกของโรคโกเชอร์ในประเทศตะวันตกมีประมาณ 1:40,000-60,000 ราย โดยพบสัดส่วนของ GD1 มากกว่าร้อยละ 90 ของผู้ป่วยโกเชอร์ทั้งหมดและพบความชุกมากในคนที่มีเชื้อสายยิว [2] อย่างไรก็ตาม

สัดส่วนของผู้ป่วย GD1 ในประเทศในทวีปเอเชียมีความแตกต่างจากประเทศตะวันตก โดยจากข้อมูลในประเทศจีน ไต้หวัน และญี่ปุ่น พบว่าในภูมิภาคเอเชียตะวันออกเฉียงใต้มีจำนวนผู้ป่วย GD2 และ GD3 มากกว่า GD1 ซึ่งข้อมูลนี้สอดคล้องกับข้อมูลทางสถิติของไทย สำหรับในประเทศไทยมีการรวบรวมจำนวนผู้ป่วยโกเชอร์ที่มาใช้บริการที่คณะแพทยศาสตร์ศิริราชพยาบาล ระหว่างปี.ศ. 2509-2541 (32 ปี) พบว่ามีผู้ป่วยโกเชอร์ทั้งหมด 20 ราย แบ่งเป็นผู้ป่วย GD1 จำนวน 6 ราย และผู้ป่วย GD2 หรือ GD3 จำนวน 14 ราย ส่วนใหญ่เริ่มมีอาการแสดงในวัยเด็ก ปัจจุบันผู้ป่วยโกเชอร์ในรายงานนี้เสียชีวิตแล้วทุกราย [7]

สำหรับข้อมูลจำนวนผู้ป่วยในปัจจุบัน (ปี 2555) ได้มาจากการสอบถามกุมารเวชพันธุศาสตร์จากโรงพยาบาล 6 แห่ง ประกอบด้วย คณะแพทยศาสตร์ศิริราชพยาบาล โรงพยาบาลรามธิบดี โรงพยาบาลจุฬาลงกรณ์ โรงพยาบาลมหาราชนครเชียงใหม่ โรงพยาบาลศรีนครินทร์ และสถาบันสุขภาพเด็กแห่งชาติมหาราชินี ผู้เชี่ยวชาญด้านกุมารเวชพันธุศาสตร์จากคณะแพทยศาสตร์ ศิริราชพยาบาลได้ให้ข้อมูลจำนวนผู้ป่วยโกเชอร์เมื่อเดือนเมษายน พ.ศ. 2555 ว่ามีผู้ป่วยโกเชอร์เด็กที่อยู่ในการดูแลรักษาของคณะแพทย์จำนวน 4 ราย เสียชีวิตแล้ว 1 ราย ผู้เชี่ยวชาญด้านกุมารเวชพันธุศาสตร์จากคณะแพทยศาสตร์ โรงพยาบาลรามธิบดีให้ข้อมูลว่ามีผู้ป่วยเด็กที่มารับการรักษาอยู่ 2 ราย ในจำนวนผู้ป่วยเด็กทั้งหมดจากทั้ง 2 โรงพยาบาลได้รับการรักษาด้วยเอนไซม์ imiglucerase 3 รายนอกจากนี้ พบว่ามีผู้ป่วยโกเชอร์จำนวนหนึ่งที่ไม่ได้รับการรักษาด้วยเอนไซม์ imiglucerase จากการสอบถามแพทย์ผู้เชี่ยวชาญจากโรงพยาบาลทั้ง 6 แห่งดังกล่าว ในเดือนกรกฎาคม พ.ศ.2555 ได้ข้อมูลว่ามีผู้ป่วยโกเชอร์เด็ก 9 ราย ผู้ป่วยโกเชอร์ผู้ใหญ่ 5 ราย ข้อมูลความชุกของโรคโกเชอร์ในประเทศไทยคาดว่าน่าจะต่ำกว่าความเป็นจริง เพราะมีโอกาสที่ผู้ป่วยโกเชอร์จำนวนหนึ่งไม่ได้รับการตรวจวินิจฉัยโดยแพทย์ผู้เชี่ยวชาญด้านเวชพันธุศาสตร์ อย่างไรก็ตาม ผู้เชี่ยวชาญได้คาดการณ์อุบัติการณ์ของผู้ป่วยโกเชอร์ไว้ว่าในแต่ละปีน่าจะมีผู้ป่วยโกเชอร์ใหม่ปีละ 5 ราย โดยเป็นผู้ป่วยเด็ก 4 ราย ผู้ป่วยผู้ใหญ่ 1 ราย

การรักษา

การรักษาโรคโกเชอร์ได้แก่ การรักษาแบบประคับประคอง การให้เอนไซม์ทดแทน การใช้ยากระตุ้นการทำงานของเอนไซม์ การใช้ยาลดการสะสมของไขมัน การปลูกถ่ายไขกระดูก และการรักษาด้วยยีน [2] ซึ่งมีรายละเอียดดังต่อไปนี้

- 1) **การรักษาแบบประคับประคอง** เป็นการรักษาตามอาการทางคลินิก เช่น การให้เลือด เกล็ดเลือด ยาแก้อักเสบ ฆ่าตัดกล้ามเนื้อตาแก้ไขอาการตาเหล่ เป็นต้น
- 2) **การรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทน (Enzyme Replacement Therapy-ERT)** โดยหยดเอนไซม์เข้าหลอดเลือดดำ ผู้ป่วยต้องได้รับเอนไซม์ทดแทนไปตลอดชีวิต **การรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทนสามารถลดอาการตับโต ม้ามโต ซีดและเกล็ดเลือดต่ำได้** ผู้ป่วยสามารถมีขนาดของตับ ม้าม ภาวะซีด เกล็ดเลือด กลับเข้าสู่ภาวะปกติได้หากได้รับการวินิจฉัยและรักษาอย่างรวดเร็ว

การรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทนนี้มีการศึกษารายงานว่าในระยะยาวนั้นมีผลข้างเคียงต่ำ และไม่ก่อให้เกิดภูมิคุ้มกันต่อเอนไซม์ [8-10] อย่างไรก็ตามผู้ป่วยทุกรายควรได้รับการตรวจหาภูมิคุ้มกันเป็นประจำ แนวทางปฏิบัติการรักษาโรคโกเชอร์ในเด็กของประเทศอังกฤษ แนะนำให้แพทย์ตรวจภูมิคุ้มกันผู้ป่วยก่อนเริ่ม

รักษา [11-13] ภูมิต้านทานต่อเอนไซม์ที่เกิดขึ้นนี้ไม่ทำให้ประสิทธิภาพของเอนไซม์ลดลงจึงไม่ต้องเพิ่มขนาดยาในการรักษา แต่ภูมิต้านทานต่อเอนไซม์นี้อาจทำให้มีโอกาสเกิดปฏิกิริยาภูมิแพ้ขึ้นได้ [14] การรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทนเป็นการรักษามาตรฐานในหลายประเทศซึ่งได้ผลการรักษาในผู้ป่วย GD1 ดีมาก และได้ผลการรักษาดีสำหรับอาการผู้ป่วย GD3 ที่มีอาการน้อยและเริ่มรักษาตั้งแต่เริ่มแสดงอาการหรือยังไม่แสดงอาการ เอนไซม์ที่ใช้ในการรักษา ได้แก่

2.1) *alglucerase* (Ceredase®) ใช้สำหรับรักษาผู้ป่วย GD1 ในรายที่มีอาการของโรครุนแรง แต่เนื่องจากเป็นเอนไซม์ที่สกัดมาจากรกของมนุษย์จึงมีข้อจำกัดเรื่องการเข้ากันได้กับเนื้อเยื่อของผู้ป่วย ผู้ผลิตจึงได้ทำการปรับปรุงสูตรยาเพื่อแก้ไขปัญหาดังกล่าวจนได้เอนไซม์ *imiglucerase* (Cerezyme®) ที่ใช้รักษากันอย่างแพร่หลายในปัจจุบัน

2.2) *imiglucerase* (Cerezyme®) เป็นเอนไซม์เชื่อมต่อหรือเอนไซม์ลูกผสม (recombinant enzyme) ของกลูโคซิรีโบรซิเดส ใช้รักษาผู้ป่วย GD 1 เพื่อรักษาอาการตับโต ม้ามโต ซีด เลือดออกง่ายจากการมีเกล็ดเลือดต่ำ รวมถึงอาการผิดปกติของกระดูก ในบางกรณีเอนไซม์ *imiglucerase* ยังถูกนำไปใช้เพื่อรักษาอาการตับโต ม้ามโต ในผู้ป่วย GD3 ด้วย ขนาดที่ใช้มีตั้งแต่ 2.5 U/kg สัปดาห์ละ 3 ครั้ง จนถึง 60U/kg ทุก 2 สัปดาห์ หรือ 30-120 U/kg เดือนละ 1 ครั้ง ให้เอนไซม์โดยหยดเข้าเส้นเลือดดำนานครั้งละ 2-4 ชั่วโมงขนาดเอนไซม์สามารถปรับลดได้เมื่อผู้ป่วยมีอาการทางคลินิกดีขึ้น เช่น ขนาดของตับม้ามลดลง CBC ปกติ เป็นต้น [14] ราคาเอนไซม์บริจาคมของ *imiglucerase* ที่ขนาดบรรจุ 400 U/vial คือ 57,944 บาท [2, 15]

ในประเทศไทย *imiglucerase* ได้รับอนุญาตจากสำนักงานคณะกรรมการอาหารและยาให้เป็นยาที่สามารถรักษาโรคโกเชร์ได้ตั้งแต่ปี 2552 อย่างไรก็ตาม *imiglucerase* จัดเป็นยานอกบัญชียาหลัก ที่มีเงื่อนไขในการใช้เพื่อเป็นเอนไซม์ทดแทนเพื่อการรักษาระยะยาวสำหรับเด็กและผู้ใหญ่ที่วินิจฉัยว่าเป็น Non-neuropathic Gaucher disease ที่ไม่มีอาการทางระบบประสาท ผู้ป่วยต้องได้รับการวินิจฉัยจากแพทย์ด้านเวชพันธุศาสตร์หรือโลหิตวิทยาว่ามีภาวะซีด เกล็ดเลือดต่ำ ตับโต ม้ามโต ปวดกระดูก กระดูกพรุน กระดูกหัก ตรวจพบลักษณะของเซลล์โกเชร์ที่ไขกระดูก และมีภาวะขาดเอนไซม์กลูโคซิรีโบรซิเดสเอนไซม์จากการตรวจด้วยวิธี enzyme assay [16-19]

2.3) *velaglucerase alfa* (Vpriv®) เป็นเอนไซม์ที่ผ่านการรับรองจากองค์การอาหารและยาของสหรัฐอเมริกาเมื่อปี 2553 โดยมีการศึกษาทางคลินิกในผู้ป่วย GD1 จำนวน 82 รายพบว่าการรักษาด้วยการหยดเอนไซม์ดังกล่าวเข้าหลอดเลือดดำได้ผลที่ดี สำหรับขนาดเอนไซม์ที่แนะนำคือ 60 U/kg ทุก 2 สัปดาห์ ผลจากการศึกษาเปรียบเทียบประสิทธิผลและความปลอดภัยทางคลินิกของ *velaglucerase alfa* ในกลุ่มผู้ป่วย GD1 ที่เคยและไม่เคยได้รับการรักษาด้วย *imiglucerase* พบว่ามีประสิทธิผลทางคลินิกใกล้เคียงกับ *imiglucerase* [20-22] *velaglucerase alfa* มีราคาขายในสหรัฐอเมริกาคือ 1,350 เหรียญสหรัฐหรือประมาณ 41,000 บาท ต่อ 400 U vial อย่างไรก็ตาม เอนไซม์ *velaglucerase alfa* ยังไม่ได้รับอนุญาตจากสำนักงานคณะกรรมการอาหารให้ใช้ได้ในประเทศไทย [17, 18]

2.4) *taliglucerase alfa* เป็นเอนไซม์ที่พัฒนามาจากเซลล์พืช ถูกคิดค้นโดยบริษัท Protalix Biotics ประเทศอิสราเอล ปัจจุบันมีการทดลองประสิทธิผลของยาในระยะ clinical trial phase III พบว่ามีประสิทธิผลของการรักษาที่ดี *taliglucerase alfa* ได้รับการรับรองจากองค์การอาหารและยาของสหรัฐอเมริกาและผ่านการรับรองจาก European Medicines Agency เมื่อต้นปี 2555 เอนไซม์ *taliglucerase alfa* มีจำหน่ายในประเทศอิสราเอล บราซิล และออสเตรเลีย [23, 24] *taliglucerase alfa* ยังไม่ได้ขึ้นทะเบียนบัญชียาในประเทศไทย [17, 18]

- 3) การกระตุ้นการทำงานของเอนไซม์ (Enzyme Enhancement Therapy-EET) เป็นการให้ยาเพิ่มประสิทธิภาพของเอนไซม์กลูโคซิรีโบซิเดสที่ปกติแต่มีจำนวนน้อยให้ทำหน้าที่กำจัดของเสียเพิ่มขึ้น ยาในกลุ่มนี้คือ cheparone
- 4) การลดการสะสมของเสียภายในเซลล์ (Substrate Reduction Therapy-SRT) คือการใช้ยาลดการสะสมของเสียภายในไลโซโซมโดยไปยับยั้งกลไกการทำงานและการสร้างเอนไซม์กลูโคซิรีโบซิเดสที่บกพร่อง ขนาดโมเลกุลของยาเล็กมากจนสามารถผ่านเยื่อหุ้มสมองได้จึงสามารถลดอาการทางสมองและระบบประสาทส่วนกลางได้ ในประเทศอังกฤษใช้ zavesca (Miglustat[®]) รับประทานวันละ 100 mg. วันละ 3 เวลา ในผู้ป่วยโกเชร์ที่มีอาการรุนแรงน้อยถึงปานกลางและใช้ ERT ไม่ได้ผล [25]
- 5) การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือด (Hematopoietic Stem Cell Transplantation-HSCT) วิธีนี้ทำให้ผู้ป่วยหายจากโรคโกเชร์ แต่มีข้อจำกัดในการหาผู้บริจาคที่มีเนื้อเยื่อเข้ากันได้กับผู้ป่วย และยังมีโอกาสที่ร่างกายของผู้ป่วยไม่รับเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดของผู้บริจาค และเสี่ยงต่อการเสียชีวิตร้อยละ 10 ของผู้ป่วยที่เข้ารับการรักษาดังวิธีนี้ทั้งหมด [14] ในต่างประเทศไม่นิยมรักษาผู้ป่วยโกเชร์ด้วยการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือด สำหรับในประเทศไทยมีการประยุกต์ใช้การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดร่วมกับเอนไซม์ทดแทน คือ imiglucerase กับผู้ป่วยประมาณ 1-2 ปี จนสภาพร่างกายของผู้ป่วยพร้อมรับการปลูกถ่ายไขกระดูก ที่ผ่านมามีผู้ป่วยเด็กที่ผ่านการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดสำเร็จแล้วที่คณะแพทยศาสตร์ โรงพยาบาลรามาธิบดี 1 รายและที่คณะแพทยศาสตร์ โรงพยาบาลจุฬาลงกรณ์อีก 1 ราย [3, 14]
- 6) การรักษาด้วยยีน (Gene Therapy) ยังอยู่ในระหว่างการศึกษาประสิทธิผลทางคลินิก

วัตถุประสงค์

1. เพื่อประเมินต้นทุนหรือประโยชน์ของการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทน Imiglucerase ในผู้ป่วยโรคโกเชร์
2. เพื่อประเมินผลกระทบต่อด้านงบประมาณของการรักษาผู้ป่วยโรคโกเชร์

วิธีการศึกษา

รูปแบบการศึกษา

การศึกษานี้เป็นการประเมินต้นทุนอรรถประโยชน์โดยใช้แบบจำลองทางเศรษฐศาสตร์มาร์คอฟ (Markov model) เพื่อคำนวณอัตราส่วนต้นทุนต่อประสิทธิผลส่วนเพิ่ม (Incremental cost-effectiveness ratio-ICER) ในหน่วยบาทต่อปีสุขภาวะโดยใช้มุมมองทางสังคม และการวิเคราะห์ผลกระทบทางด้านภาระทางการเงินการคลัง (Budget impact analysis)

ประชากร/กลุ่มผู้ป่วย

ประชากรหรือกลุ่มผู้ป่วยในการศึกษานี้คือผู้ป่วยโรคโกเชอร์ชนิดที่ 1 (GD1) ซึ่งเป็นชนิดที่สามารถตอบสนองต่อการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทน

ตัวเปรียบเทียบ

เทคโนโลยีทางการแพทย์ที่สนใจในการรักษาคือ การรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทน Imiglucerase ซึ่งเป็นเอนไซม์ในการรักษาโรคโกเชอร์ชนิดเดียวที่ได้รับอนุญาตจากสำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา เปรียบเทียบการรักษาแบบประคับประคอง

ผลลัพธ์ทางสุขภาพ

การศึกษานี้วัดผลลัพธ์ทางสุขภาพในรูปปีสุขภาวะ (Quality-Adjusted Life Year; QALY) โดยคำนวณจากช่วงอายุขัยและคะแนนอรรถประโยชน์ ใช้สูตรคำนวณ ดังนี้

$$QALY = \text{Life expectancy} \times \text{Utility index}$$

กรอบระยะเวลา (Time horizon)

กรอบระยะเวลาในการศึกษานี้เท่ากับระยะเวลาตลอดชีพของผู้ป่วยเพื่อให้มีระยะเวลายาวนานเพียงพอที่จะครอบคลุมต้นทุนและผลลัพธ์ที่เกิดขึ้น

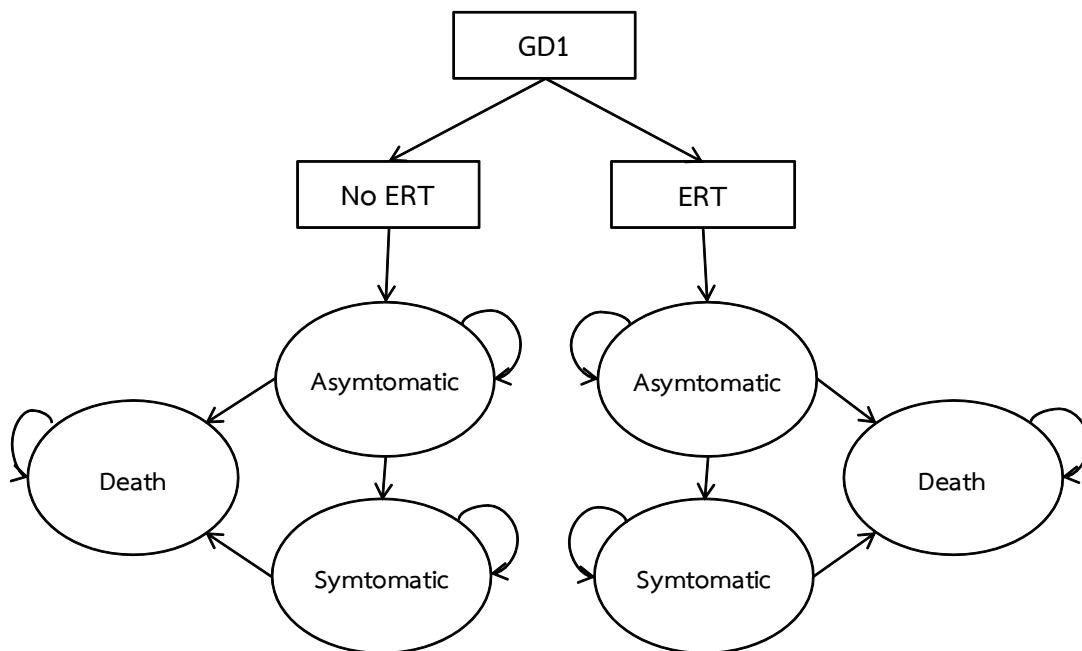
อัตราลด (Discount rate)

การศึกษานี้ใช้อัตราลดร้อยละ 3 ทั้งต้นทุนและผลลัพธ์ทางสุขภาพ ในการปรับมูลค่าของต้นทุนและผลลัพธ์ในอนาคตให้เป็นค่าในปัจจุบันตามคำแนะนำของคู่มือการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพสำหรับประเทศไทย [26]

แบบจำลองทางเศรษฐศาสตร์

แบบจำลองมาร์คอฟ (Markov model) เปรียบเทียบทางเลือกในการรักษาผู้ป่วย GD1 ในสองทางเลือกคือ ทางเลือกที่ 1 ไม่ให้การรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทน หรือผู้ป่วยที่ได้รับการรักษาแบบประคับประคอง (Basecase) และทางเลือกที่ 2 รักษาด้วยเอนไซม์ทดแทน ในแบบจำลองโดยผู้ป่วยทุกรายจะเริ่มด้วยสถานทางสุขภาพ (Health state) Asymptomatic ในระหว่างปีผู้ป่วย Asymptomatic มีโอกาสคงอยู่ในสถานะ Asymptomatic เหมือนเดิม (ลูกศรวน) หรือเปลี่ยนไปเป็นผู้ป่วย Symptomatic (ลูกศรไป symptomatic) หรือมีโอกาสที่ผู้ป่วย Asymptomatic จะเสียชีวิตจากโรคโกเชอร์หรือโรคอื่นเช่นเดียวกับประชากรทั่วไป (ลูกศรไป death) สำหรับผู้ป่วยที่อยู่ในสถานะ Symptomatic ผู้ป่วยคงอยู่ในสถานะ Symptomatic เหมือนเดิม (ลูกศรวน) หรือมีโอกาสเสียชีวิตเนื่องจากโรคโกเชอร์หรือสาเหตุอื่น (ลูกศรไป death) โดยผู้ป่วย Symptomatic ไม่มีโอกาสที่จะกลับไปเปลี่ยนเป็นผู้ป่วย Asymptomatic โดยแต่ละรอบมีระยะเวลา (cycle length) รอบละ 1 ปี การดำเนินของโรคจะมีการเปลี่ยนจากสถานะสุขภาพหนึ่งไปสู่สถานะสุขภาพหนึ่งจนกระทั่งผู้ป่วยในแบบจำลองเสียชีวิตทั้งหมด สำหรับผู้ป่วย GD1 ที่มี Symptomatic ในการศึกษาที่กำหนดให้ผู้ป่วยดังกล่าวมีอาการเหมือนผู้ป่วย GD3 โดยข้อมูลที่ใช้แทนผู้ป่วย Symptomatic ในการศึกษาเป็นข้อมูลของผู้ป่วย GD3

การวิเคราะห์ศึกษาจะแบ่งการวิเคราะห์ตามอายุของผู้ป่วย เป็น 2 กรณี คือ กรณีผู้ป่วยเด็ก และกรณีผู้ป่วยผู้ใหญ่ ในผู้ป่วยเด็กจะใช้ผู้ป่วยอายุ 2 ปี ในการวิเคราะห์ข้อมูล เพราะจากข้อมูลผู้ป่วย 7 ราย ที่คณะแพทยศาสตร์ โรงพยาบาลรามาธิบดี ส่วนใหญ่เริ่มมีอาการที่อายุ 2 ปี กรณีผู้ป่วยผู้ใหญ่จะใช้อายุ 20 ปีในการวิเคราะห์



รูปที่ 1 แบบจำลองมาร์คอฟของผู้ป่วย GD1

ตัวแปรที่ใช้ในแบบจำลอง

1. ตัวแปรด้านความน่าจะเป็นของการเปลี่ยนสถานะสุขภาพ (Transitional probability)

ตัวแปรความน่าจะเป็นในการพยากรณ์การดำเนินของโรคตั้งแต่ผู้ป่วยที่เริ่มป่วยเป็นโรคโกเชอร์จนกระทั่งเสียชีวิตได้มาจากการวิเคราะห์ข้อมูลรายบุคคลที่รวบรวมมาจากการทบทวนเวชระเบียนของผู้ป่วยโกเชอร์ในประเทศไทยที่มารับการรักษาที่ภาควิชากุมารเวชศาสตร์ คณะแพทยศาสตร์ โรงพยาบาลรามาธิบดี ตั้งแต่ปี 2533 รายงานการศึกษาทางระบาดวิทยา ของผู้ป่วยโกเชอร์ที่ทำการศึกษาในประเทศฟิลิปปินส์ และฐานข้อมูลผู้ป่วยโกเชอร์ของประเทศไต้หวัน ซึ่งมีจำนวนรวมทั้งหมด 30 ราย

จำนวนผู้ป่วยแบ่งตามชนิดของโรคโกเชอร์และการรักษาออกเป็น 4 กลุ่ม ดังนี้

- ผู้ป่วย Asymptomatic ที่รักษาแบบประคับประคอง จำนวน 4 ราย ระยะเวลาในการติดตาม 3-3.5 ปี
- ผู้ป่วย Asymptomatic ที่ได้รับการรักษา จำนวน 17 ราย ระยะเวลาในการติดตาม 1.66-12.8 ปี
- ผู้ป่วย Symptomatic ที่ได้รับเฉพาะการรักษาแบบประคับประคอง จำนวน 5 ราย ระยะเวลาในการติดตาม 2.1-8.6 ปี
- ผู้ป่วย Symptomatic ที่เคยได้รับการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทนจำนวน 4 ราย ระยะเวลาในการติดตาม 0.8-6.0 ปี

ซึ่งมีรายละเอียดเกี่ยวกับวันที่ได้รับการวินิจฉัยว่าเป็นโรค การรักษาที่ได้รับ วันที่ติดตามครั้งล่าสุด และสถานะสุขภาพครั้งล่าสุด ทำให้คณะผู้วิจัยสามารถคำนวณความน่าจะเป็นที่จะเสียชีวิตรายปีของผู้ป่วยแต่ละกลุ่มย่อย ในกรณีที่ไม่มีผู้ป่วยเสียชีวิตคณะผู้วิจัยได้ใช้ความเห็นจากแพทย์ผู้เชี่ยวชาญ สำหรับรายละเอียดของตัวแปรด้านความน่าจะเป็นของการเปลี่ยนสถานะทางสุขภาพที่ใช้ในแบบจำลองแสดงอยู่ในตารางที่ 1

ตารางที่ 1 ค่าตัวแปรด้านความน่าจะเป็นของการเปลี่ยนสถานะทางสุขภาพ (ต่อปี)

ตัวแปร	รูปแบบการกระจาย	ค่าเฉลี่ย	ค่าความคลาดเคลื่อนมาตรฐาน	อ้างอิง
ความน่าจะเป็นของการเสียชีวิตของผู้ป่วย Asymptomatic ที่รักษาแบบประคับประคอง	เบต้า	0.075	0.057	เวชระเบียนผู้ป่วยไทย, ฐานข้อมูลผู้ป่วยโกเชอร์ไต้หวัน, [27, 28]
ความน่าจะเป็นของการเสียชีวิตของผู้ป่วย Asymptomatic ที่ได้รับการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทน	เบต้า	0.00	0.00	เวชระเบียนผู้ป่วยไทย, ฐานข้อมูลผู้ป่วยโกเชอร์ไต้หวัน, [28, 29]
ความน่าจะเป็นของการเสียชีวิตของผู้ป่วย Symptomatic ที่รักษาแบบประคับประคอง	เบต้า	0.096	0.129	ความเห็นผู้เชี่ยวชาญ
ความน่าจะเป็นของการเสียชีวิตของผู้ป่วย Symptomatic ที่เคยได้รับการรักษาด้วย	เบต้า	0.041	0.054	ความเห็นผู้เชี่ยวชาญ

ตัวแปร	รูปแบบการกระจาย	ค่าเฉลี่ย	ค่าความคลาดเคลื่อนมาตรฐาน	อ้างอิง
เอนไซม์ทดแทน				
ความน่าจะเป็นของการเกิดอาการแสดงทางระบบประสาท	เบต้า	0.004	0.001	[29]

ความน่าจะเป็นในการเสียชีวิตของผู้ป่วยจะถูกนำไปรวมกับความน่าจะเป็นที่จะเสียชีวิตด้วยโรคอื่นของประชากรไทยซึ่งแปลงค่ามาจากตารางชีพตามกลุ่มอายุของประชากรไทยตามสถิติล่าสุดขององค์การอนามัยโลก [30] (ภาคผนวก 1)

ตัวแปรด้านอรรถประโยชน์

เนื่องจากข้อมูลด้านอรรถประโยชน์ที่เก็บมาจากผู้ป่วยและญาติเพียง 3 ครอบครัวนั้น ไม่ครอบคลุมกลุ่มผู้ป่วยย่อยทั้ง 4 กลุ่มตามที่คณะผู้วิจัยได้กำหนดไว้ คณะผู้วิจัยจึงใช้ค่าอรรถประโยชน์จากความเห็นของผู้เชี่ยวชาญที่ตอบแบบสำรวจกลับมา 3 ท่านจากจำนวนผู้เชี่ยวชาญที่ได้รับแบบสอบถาม 6 ท่าน (ภาคผนวก 3) แล้วนำมาคำนวณหาค่าเฉลี่ยและค่าความคลาดเคลื่อนของผู้ป่วยโรคโกเชอร์ ทั้ง 4 กลุ่ม ดังแสดงในตารางที่ 2

ตารางที่ 2 ค่าตัวแปรอรรถประโยชน์ของผู้ป่วยโรคโกเชอร์

ตัวแปร	รูปแบบการกระจาย	ค่าเฉลี่ย	ค่าความคลาดเคลื่อนมาตรฐาน	อ้างอิง
ค่าอรรถประโยชน์ของผู้ป่วย Asymptomatic ที่รักษาแบบประคับประคอง	เบต้า	0.600	0.173	ผู้เชี่ยวชาญ
ค่าอรรถประโยชน์ของผู้ป่วย Asymptomatic ที่ได้รับการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทน	เบต้า	0.733	0.058	ผู้เชี่ยวชาญ
ค่าอรรถประโยชน์ของผู้ป่วย Symptomatic ที่รักษาแบบประคับประคอง	เบต้า	0.633	0.115	ผู้เชี่ยวชาญ
ค่าอรรถประโยชน์ของผู้ป่วย Symptomatic ที่ได้รับการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทน	เบต้า	0.667	0.058	ผู้เชี่ยวชาญ

ตัวแปรด้านต้นทุน

ตัวแปรด้านต้นทุนใช้มุมมองทางสังคม ซึ่งประกอบด้วยต้นทุนทางตรงที่เกี่ยวกับการแพทย์ (Direct medical cost) ต้นทุนทางตรงที่ไม่เกี่ยวกับการแพทย์ (Direct non-medical cost) และต้นทุนทางอ้อมที่ไม่เกี่ยวกับการแพทย์ (Indirect non-medical cost) สำหรับต้นทุนทางอ้อมที่เกี่ยวกับการแพทย์ (Indirect medical cost) ซึ่งหมายถึงต้นทุนที่เกิดขึ้นจากการรักษา co-morbidity จากการที่ผู้ป่วยมีชีวิตอยู่ยาวนานขึ้น

ไม่ได้ถูกนำมารวมไว้ในการศึกษา และแม้ว่าจะมีรายงานว่าผู้ป่วยโกเชอร์มีโอกาสเกิดโรคมะเร็งเม็ดเลือดขาวมัลติเพิลไมโยมา (Multiple myeloma) และการเกิดโรคพาร์กินสัน (Parkinson's disease) มากกว่าประชากรทั่วไป [1, 31-34] แต่หลักฐานที่มีอยู่ในปัจจุบันไม่สามารถสรุปได้ว่ามะเร็งเม็ดเลือดขาวมัลติเพิลไมโยมาและโรคพาร์กินสันเป็น co-morbidity ของผู้ป่วยโกเชอร์ [35] คณะผู้วิจัยจึงพิจารณาไม่รวมต้นทุนที่เกี่ยวกับการรักษาโรคทั้ง 2 อย่างในการศึกษานี้ ต้นทุนที่ใช้ในการศึกษานี้เป็นต้นทุนหน่วยบาทต่อปี

ต้นทุนทางตรงที่เกี่ยวกับการแพทย์ (Direct medical cost) ประกอบด้วยต้นทุนหลักคือ ต้นทุนค่าเอนไซม์ Imiglucerase (Cerezyme®) อ้างอิงจากราคาบริจาคให้กับผู้ป่วยที่คณะแพทยศาสตร์ ศิริราชพยาบาล และคณะแพทยศาสตร์โรงพยาบาลรามาธิบดี มีค่าเท่ากับ 56,074 ต่อหนึ่งหน่วยบรรจุที่ 400 enzyme units (U) โดยปริมาณการได้รับยานี้คือจะมีความผันแปรกับน้ำหนักตัวของผู้ป่วย ผู้ป่วยที่ได้รับการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทนจะต้องได้รับเอนไซม์เท่ากับ 60 U ต่อผู้ป่วยน้ำหนัก 1 กิโลกรัม โดยหากคำนวณจากผู้ป่วยเด็กที่มีน้ำหนัก 10 กิโลกรัม การให้เอนไซม์ทดแทนจะมีต้นทุนถึง 2,186,880 บาท/ปี (218,689 บาท/ปี/ผู้ป่วยน้ำหนัก 1 กิโลกรัม) (ตารางที่ 3)

ต้นทุนทางตรงทางการแพทย์อื่นๆ (ที่ไม่ใช่ค่าเอนไซม์) ได้มาจากการฐานข้อมูลสำนักงานกลางสารสนเทศบริการสุขภาพ กระทรวงสาธารณสุข¹ การทบทวนเวชระเบียนของผู้ป่วยที่คณะแพทยศาสตร์โรงพยาบาลรามาธิบดี โดยจากการวิเคราะห์พบว่า ต้นทุนทางตรงทางการแพทย์สำหรับผู้ป่วย Asymptomatic ที่ได้รับเอนไซม์ทดแทน มีค่าเท่ากับ 65,929 บาทในปีที่ 1 และ 41,556 บาท/ปี สำหรับการรักษาตั้งแต่ปีที่ 2 เป็นต้นไป ผู้ป่วย Asymptomatic ที่รักษาแบบประคับประคอง มีค่าเท่ากับ 44,337 บาทในปีที่ 1 และ 41,556 บาท/ปี สำหรับการรักษาตั้งแต่ปีที่ 2 เป็นต้นไป ผู้ป่วย Symptomatic ทั้งที่ได้รับเอนไซม์และได้รับการรักษาแบบประคองประคองมีค่าเท่ากับ 169,626 บาทในปีที่ 1 และ 164,643 บาท/ปี สำหรับการรักษาตั้งแต่ปีที่ 2 เป็นต้นไป นอกจากนี้ ยังพบว่ามีต้นทุนยาและสารอื่นๆ ที่ขึ้นกับน้ำหนักตัวของผู้ป่วยซึ่งมีค่าเท่ากับ 2,666 บาท/ปี/น้ำหนักผู้ป่วย 1 กิโลกรัมในผู้ป่วย Asymptomatic ที่ได้รับเอนไซม์ทดแทน ต้นทุนเท่ากับ 5,332 บาท/ปี/น้ำหนักผู้ป่วย 1 กิโลกรัมในผู้ป่วย Asymptomatic ที่รักษาแบบประคับประคองและเท่ากับ 10,273 บาท/ปี/น้ำหนักผู้ป่วย 1 กิโลกรัมในผู้ป่วย Symptomatic ตามลำดับ (ตารางที่ 3)

สำหรับต้นทุนทางตรงที่ไม่ใช่ทางการแพทย์ และต้นทุนทางอ้อมได้มาจากการสัมภาษณ์ผู้ป่วยและญาติ โดยพบว่าต้นทุนทางตรงที่ไม่ใช่ทางการแพทย์จะมีค่าเท่ากับ 38,514 บาท/ปี และ 627 บาท/ปี สำหรับผู้ป่วยที่ได้รับเอนไซม์ทดแทน และผู้ป่วยที่ไม่ได้รับเอนไซม์ทดแทน ตามลำดับ สำหรับต้นทุนทางอ้อมหรือต้นทุนการสูญเสียผลิตภาพของญาติและผู้ป่วยมีค่าเท่ากับ 3,842 บาท/ปี และ 204 บาท/ปี สำหรับผู้ป่วยที่ได้รับเอนไซม์และผู้ป่วยที่ไม่ได้รับเอนไซม์ ตามลำดับ (ตารางที่ 3)

¹ เลือกเฉพาะผู้ป่วยที่มีรหัสวินิจฉัยโรคหลักเป็น E752 ซึ่งเป็นรหัสวินิจฉัยโรคกลุ่ม Sphingolipidosis ที่รวมโรคฟาเบอรี (Fabry) โรคโกเชอร์ (Gaucher) โรคคราบเบย์ (Krabbe) โรคนิแมนพิก (Niemann-Pick) โรคเมตาโครมาติกลิวโคติสโทรฟี (Metachromatic leukodystrophy) โรคขาดเอนไซม์ซัลฟาเตส (Sulfatase deficiency) จากนั้นเลือกเฉพาะผู้ป่วยที่มีรหัสวินิจฉัยโรครองที่เกี่ยวข้องกับอาการตับโต ม้ามโต ตับม้ามโต ซีด เกล็ดเลือดต่ำ ชัก ตาเหล่ กระดูกบาง กระดูกพรุน ซึ่งมีรหัสวินิจฉัยโรครอง ได้แก่ D638 D649 D731 E46 E835 G318 G403 G404 H527 I278 J189 K130 K402 L309 Q359 R251 R042 R568 Z138 Z518 Z519

ตารางที่ 3 ค่าตัวแปรต้นทุน (ต่อปี) แสดงค่าต้นทุนในปี พ.ศ. 2555

ตัวแปร	รูปแบบการกระจาย	ค่าเฉลี่ย	ค่าความคลาดเคลื่อนมาตรฐาน	อ้างอิง
ต้นทุนทางตรงทางการแพทย์				
ผู้ป่วย Asymptomatic ที่ได้รับการรักษาด้วย ERT				
ต้นทุนเอนไซม์ (ต่อผู้ป่วยน้ำหนัก 1 กิโลกรัม)	แกมมา	218,689	-	ราคาบริจาค ¹
ต้นทุนทางตรงทางการแพทย์ปีที่ 1	แกมมา	65,929	-	ฐานข้อมูล รพ.
ต้นทุนทางตรงทางการแพทย์ ปีที่ 2 เป็นต้นไป	แกมมา	41,556	-	ฐานข้อมูล รพ.
ต้นทุนทางตรงทางการแพทย์อื่นๆ ที่ขึ้นกับน้ำหนักผู้ป่วย (ต่อผู้ป่วยน้ำหนัก 1 กิโลกรัม)	แกมมา	2,666	-	ฐานข้อมูล รพ.
ผู้ป่วย Asymptomatic ที่รักษาแบบประคับประคอง				
ต้นทุนทางตรงทางการแพทย์ปีที่ 1	แกมมา	44,337	-	ฐานข้อมูล รพ.
ต้นทุนทางตรงทางการแพทย์ ปีที่ 2 เป็นต้นไป	แกมมา	41,556	-	ฐานข้อมูล รพ.
ต้นทุนทางตรงทางการแพทย์อื่นๆ ที่ขึ้นกับน้ำหนักผู้ป่วย (ต่อผู้ป่วยน้ำหนัก 1 กิโลกรัม)	แกมมา	5,332	-	ฐานข้อมูล รพ.
ผู้ป่วย Symptomatic				
ต้นทุนทางตรงทางการแพทย์ปีที่ 1	แกมมา	169,626	-	ฐานข้อมูล รพ.
ต้นทุนทางตรงทางการแพทย์ ปีที่ 2 เป็นต้นไป	แกมมา	164,643	-	ฐานข้อมูล รพ.
ต้นทุนทางตรงทางการแพทย์อื่นๆ ที่ขึ้นกับน้ำหนักผู้ป่วย (ต่อผู้ป่วยน้ำหนัก 1 กิโลกรัม)	แกมมา	10,273	-	ฐานข้อมูล รพ.
ต้นทุนทางตรงที่ไม่ใช่ทางการแพทย์ (ค่าเดินทาง อาหาร ที่พัก)				
ต้นทุนทางตรงที่ไม่ใช่ทางการแพทย์ของผู้ป่วยที่ได้รับการรักษาด้วย ERT	แกมมา	38,514	10,399	สัมภาษณ์
ต้นทุนทางตรงที่ไม่ใช่ทางการแพทย์ของผู้ป่วยที่ไม่ได้รับการรักษาด้วย ERT	แกมมา	627	627	สัมภาษณ์
ต้นทุนทางอ้อม				
ต้นทุนการสูญเสียผลิตภาพของญาติและผู้ป่วยที่ไม่ได้รับการรักษาด้วย ERT	แกมมา	3,842	1,921	สัมภาษณ์
ต้นทุนการสูญเสียผลิตภาพของญาติและผู้ป่วยที่ไม่ได้รับการรักษาด้วย ERT	แกมมา	204	204	สัมภาษณ์

¹ ราคาเอนไซม์ Imiglucerase บริจาคไม่รวมภาษีสำหรับหนึ่งหน่วยบรรจุที่ 400 enzyme units (U) เท่ากับ 56,074 ข้อมูลสำรวจจากคณะแพทยศาสตร์ ศิริราชพยาบาล และคณะแพทยศาสตร์โรงพยาบาลรามาธิบดี

สมมติฐานที่ใช้ในแบบจำลอง

1. ผู้ป่วย GD1 ได้รับเอนไซม์ทดแทน imiglucerase ขนาด 60 u/kg ทุก 2 สัปดาห์ไปตลอดชีวิต
2. ต้นทุนยา สารให้ทางหลอดเลือดดำ การตรวจทางห้องปฏิบัติการและหัตถการของผู้ป่วย Symptomatic ERT เท่ากับต้นทุนของผู้ป่วย Symptomatic noERT เพราะเมื่อมีอาการแสดงทางคลินิกแล้วผู้ป่วยจะไม่ได้รับเอนไซม์ imiglucerase ต่อ
3. อรรถประโยชน์ของผู้ป่วยในแต่ละช่วงอายุและอาการรุนแรงของโรคไม่แตกต่างกัน

การวิเคราะห์ความไม่แน่นอนของผลลัพธ์ (Uncertainty analysis)

การวิเคราะห์ความไม่แน่นอนของผลลัพธ์ในการศึกษานี้ใช้วิธีการวิเคราะห์ความไวแบบทางเดียว (One-way sensitivity analysis) และการวิเคราะห์ความไวแบบความน่าจะเป็น (Probabilistic sensitivity analysis) เพื่อจัดการกับความไม่แน่นอนของตัวแปรต่าง ๆ ที่ใช้ในแบบจำลอง

1. การวิเคราะห์ความไวแบบทางเดียว (One-way sensitivity analysis)

เป็นการวิเคราะห์ความไม่แน่นอนของผลลัพธ์โดยทำการทดสอบค่าตัวแปรทีละตัว โดยกำหนดให้ตัวแปรอื่นมีค่าคงที่ โดยตัวแปรที่มีค่าความคาดเคลื่อนมาตรฐานกำหนดค่าขอบบนและขอบล่างของตัวแปรให้มีค่าอยู่ในช่วงค่าความเชื่อมั่น 95% ซึ่งประกอบด้วย ต้นทุนทางตรงทางที่ไม่ใช่ทางการแพทย์ ต้นทุนการสูญเสียผลิตภาพของญาติและผู้ป่วย อรรถประโยชน์ผู้ป่วย สำหรับตัวแปรที่ไม่มีค่าคลาดเคลื่อนมาตรฐานกำหนดให้มีการเปลี่ยนแปลงอยู่ในช่วงที่กำหนดดังนี้ อัตราลดของต้นทุนและผลลัพธ์ เท่ากับร้อยละ 0 - 6 ต้นทุนเอนไซม์ Imiglucerase เท่ากับลดลงและเพิ่มขึ้นร้อยละ 30

2. การวิเคราะห์ความไวแบบความน่าจะเป็น (Probabilistic sensitivity analysis)

เป็นการวิเคราะห์ความไม่แน่นอนของผลลัพธ์โดยทำการปรับค่าตัวแปรที่สำคัญทั้งหมดพร้อม ๆ กัน ด้วยการทำ Monte Carlo simulation ในโปรแกรม Microsoft Excel[®] โดยกำหนดให้คอมพิวเตอร์สุ่มค่าตัวแปรที่ใช้ในแบบจำลองตามประเภทของการแจกแจงของข้อมูลซ้ำ ๆ เป็นจำนวน 1,000 ครั้ง แล้วนำผลลัพธ์ทั้งหมดมาหาค่าความน่าจะเป็นที่แต่ละทางเลือกจะมีความคุ้มค่าที่ระดับความเต็มใจจ่ายของสังคมซึ่งมีค่าเท่ากับ 120,000 บาทต่อปีสุขภาพ

การวิเคราะห์ผลกระทบด้านงบประมาณ

ผลกระทบด้านงบประมาณคำนวณจากต้นทุนในมุมมองรัฐบาลและจำนวนผู้ป่วยสะสมในแต่ละปี จำนวนผู้ป่วยสะสมคือจำนวนความชุกรวมกับผู้ป่วยใหม่รายปี โดยจากการสอบถามผู้เชี่ยวชาญด้านเวชพันธุศาสตร์จากโรงพยาบาล 6 แห่ง¹ พบว่าความชุกหรือจำนวนผู้ป่วยในปัจจุบันเท่ากับ 14 รายโดยเป็น เด็ก 9 ราย ผู้ใหญ่ 5 ราย และผู้เชี่ยวชาญได้คาดการณ์อุบัติการณ์ในแต่ละปีไว้เท่ากับ 5 ราย โดยเป็นเด็ก 4 ราย และ

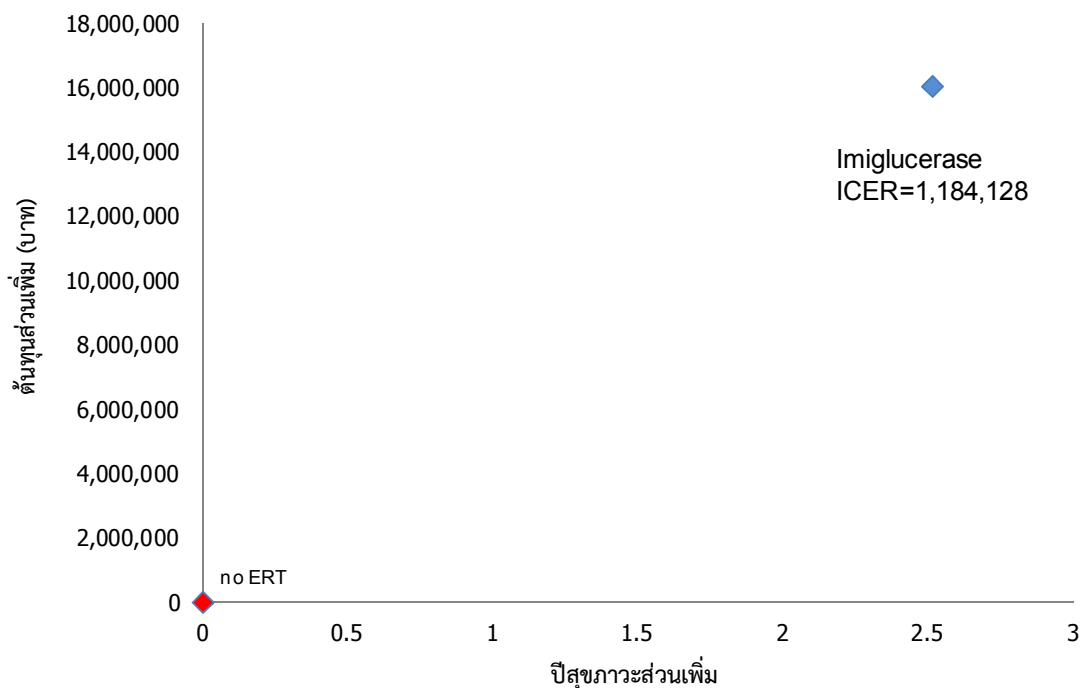
¹ คณะแพทยศาสตร์ศิริราชพยาบาล โรงพยาบาลรามธิบดี โรงพยาบาลจุฬาลงกรณ์ โรงพยาบาลมหาราชนครเชียงใหม่ โรงพยาบาลศรีนครินทร์ และสถาบันสุขภาพเด็กแห่งชาติมหาราชินี

ผู้ใหญ่ 1 ราย ในการศึกษานี้จะทำการคำนวณภาระงบประมาณของการรักษาผู้ป่วยที่มีอาการแสดงทางคลินิกแบบ GD1 ด้วยเอนไซม์ imiglucerase ในผู้ป่วยเด็กและผู้ใหญ่ เปรียบเทียบกับภาระงบประมาณของการรักษาแบบประคับประคอง ผลกระทบด้านงบประมาณจะคำนวณเป็นมูลค่ารวมจนถึงปีที่ 5 10 15 และ 20 ปี พร้อมส่วนต่างระหว่างการรักษาด้วยเอนไซม์ imiglucerase กับการรักษาประคับประคอง และค่าเฉลี่ยรายปี

ผลการศึกษา

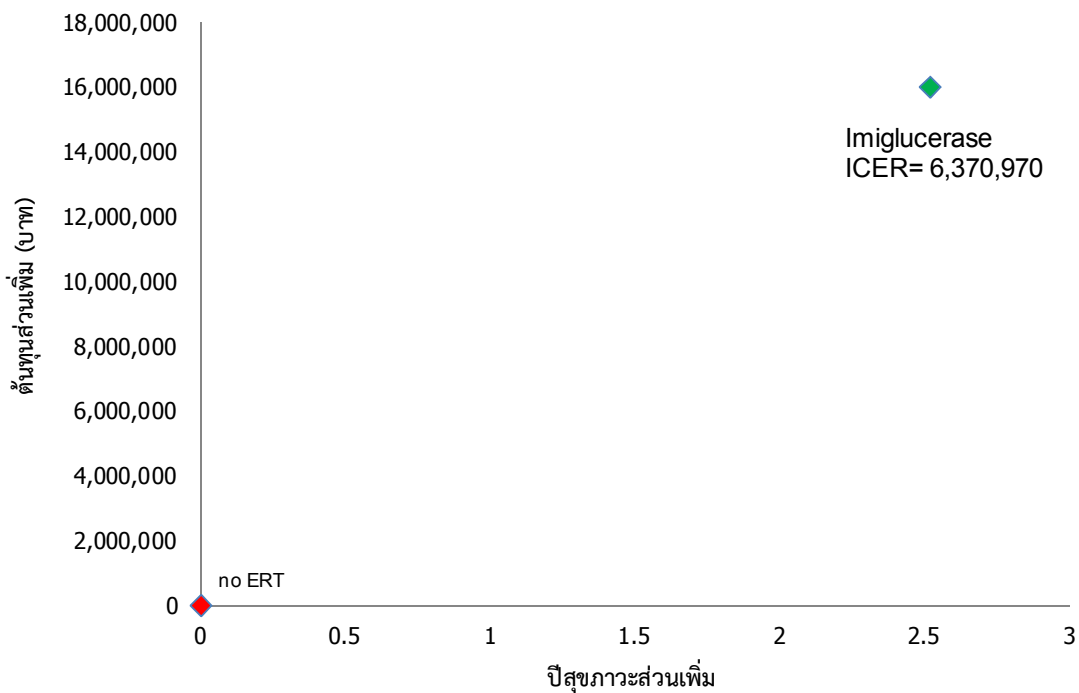
ผลการวิเคราะห์ต้นทุนอรรถประโยชน์ของการรักษาผู้ป่วยชนิดที่ 1

จากการวิเคราะห์เปรียบเทียบกับการรักษาแบบประคับประคองพบว่า การรักษาผู้ป่วย GD1 อายุ 2 ปี ด้วยเอนไซม์ imiglucerase มีต้นทุนในมุมมองทางสังคมที่เพิ่มขึ้นเท่ากับ 5,895,767 บาท จำนวนปีที่มีชีวิตยืนยาวขึ้น 8.89 ปี และมีปีสุขภาวะที่เพิ่มขึ้น 5.12 ปีสุขภาวะ ดังนั้นอัตราส่วนต้นทุนต่อประสิทธิผลส่วนเพิ่ม (ICER) มีค่าเท่ากับ 1,184,128 บาทต่อปีสุขภาวะ (รูปที่ 2)



รูปที่ 2 Cost-effectiveness plane ของการใช้เอนไซม์ imiglucerase ในการรักษาผู้ป่วย GD1 อายุ 2 ปี

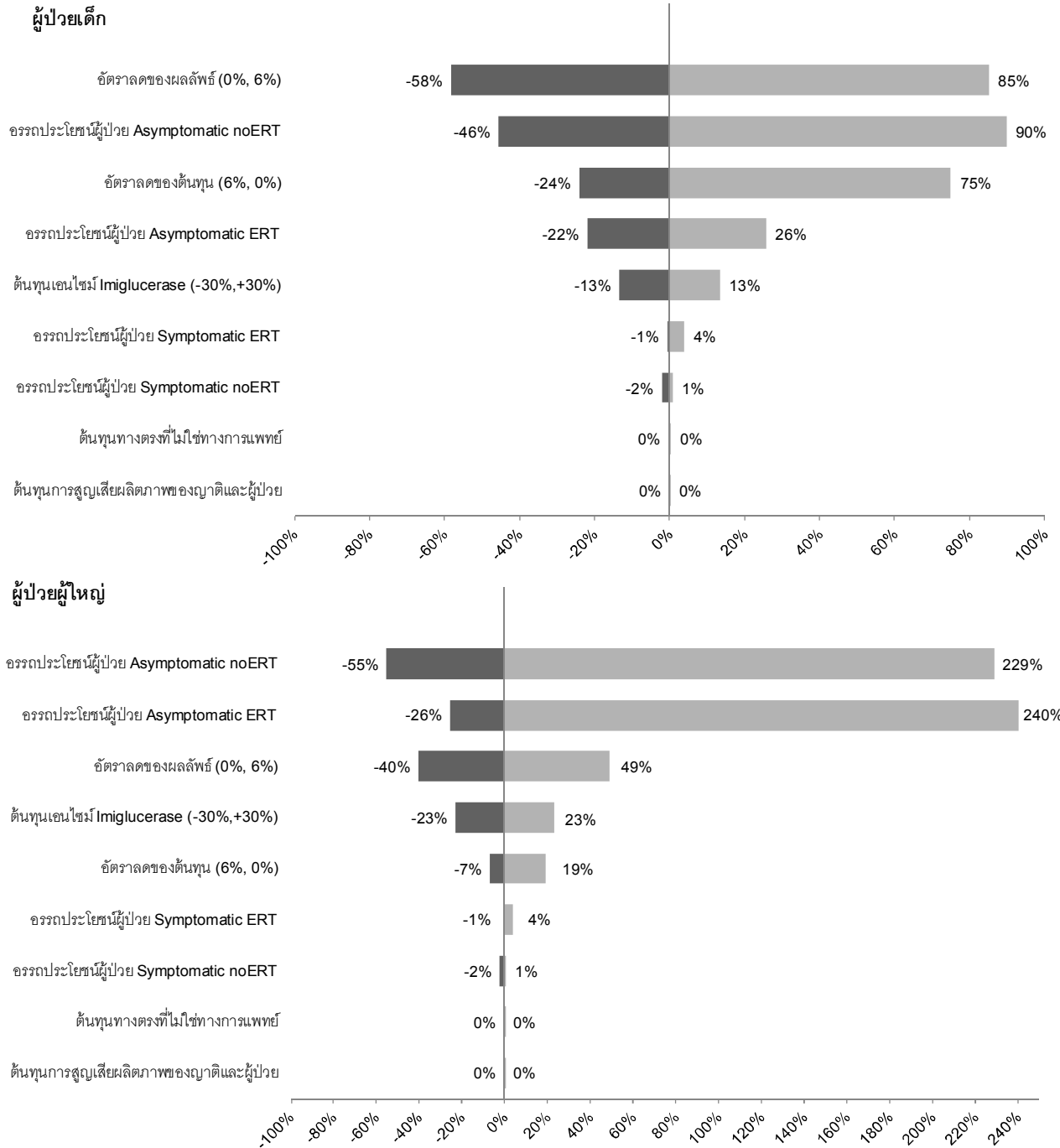
จากการวิเคราะห์เปรียบเทียบกับการรักษาแบบประคับประคองพบว่า การรักษาผู้ป่วย GD1 อายุ 20 ปี ด้วยเอนไซม์ imiglucerase มีต้นทุนในมุมมองทางสังคมที่เพิ่มขึ้นเท่ากับ 16,018,114 บาท จำนวนปีที่มีชีวิตยืนยาวขึ้น 3.46 ปี และมีปีสุขภาวะที่เพิ่มขึ้น 2.63 ปีสุขภาวะ ดังนั้นอัตราส่วนต้นทุนต่อประสิทธิผลส่วนเพิ่ม (ICER) มีค่าเท่ากับ 6,370,970 บาทต่อปีสุขภาวะ (รูปที่ 3)



รูปที่ 3 Cost-effectiveness plane ของการใช้เอนไซม์ imiglucerase ในการรักษาผู้ป่วย GD1 อายุ 20 ปี

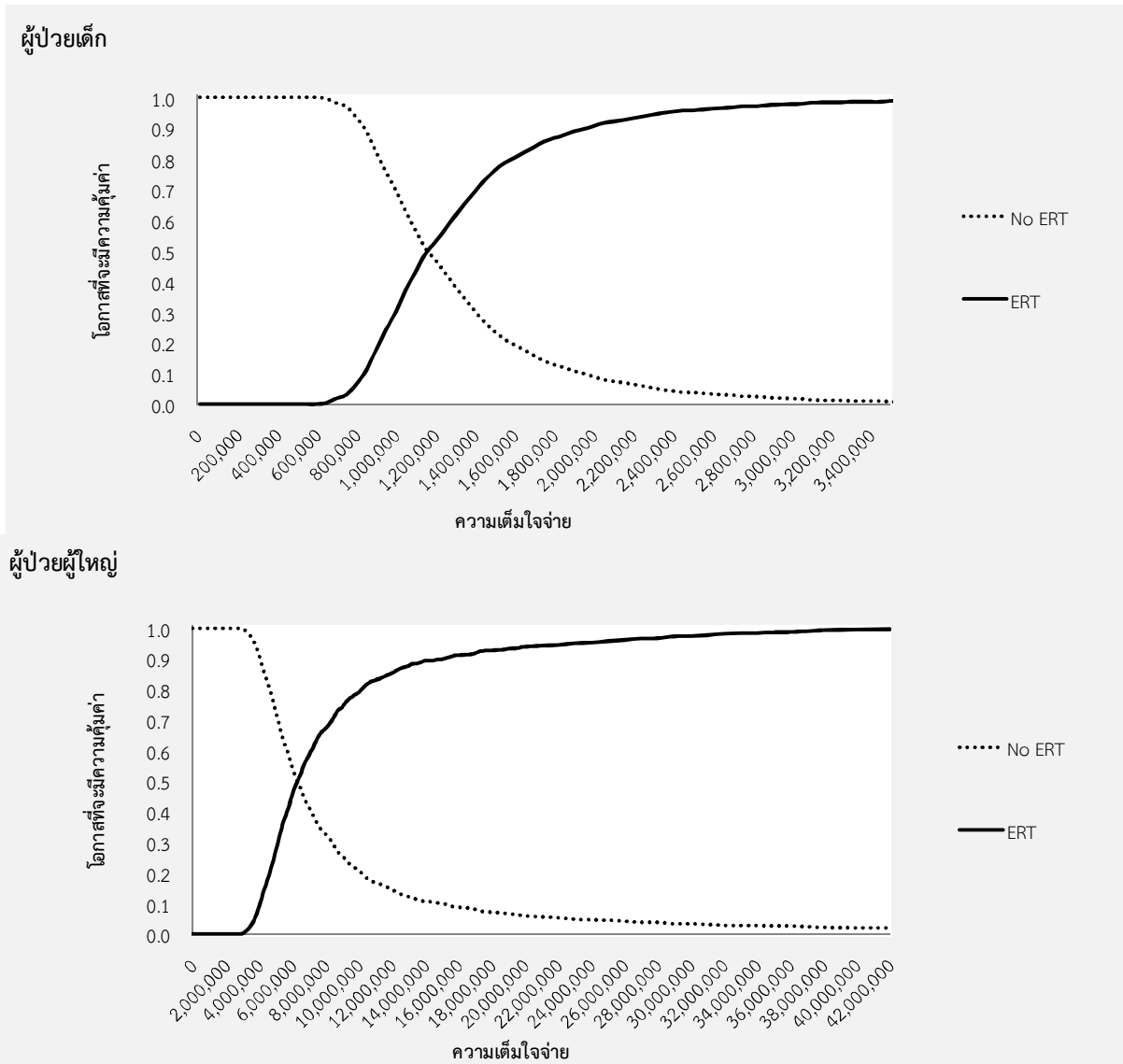
ผลการวิเคราะห์ความไม่แน่นอนของผลลัพธ์ (Uncertainty analysis)

รูปที่ 4 แสดงผลการวิเคราะห์ความไวแบบทางเดียวของการใช้เอนไซม์ imiglucerase ในการรักษาผู้ป่วยเด็กและผู้ใหญ่ โดยเปลี่ยนค่าตัวแปรครั้งละหนึ่งตัวแปรพบว่า ในกรณีผู้ป่วยเด็กตัวแปรที่มีผลต่อค่า ICER มากที่สุดคือ อัตราลดของผลลัพธ์ รองลงมาคือ ค่าอรรถประโยชน์ของผู้ป่วย Asymptomatic ที่ได้รับการรักษาแบบประคับประคอง (noERT) และอัตราลดของต้นทุน ตามลำดับ สำหรับกรณีผู้ป่วยผู้ใหญ่ ตัวแปรที่มีผลต่อค่า ICER มากที่สุดคือ ค่าอรรถประโยชน์ของผู้ป่วย Asymptomatic ที่ได้รับการรักษาแบบประคับประคอง (noERT) รองลงมาคือ ค่าอรรถประโยชน์ของผู้ป่วย Asymptomatic ที่ได้รับเอนไซม์ทดแทน (ERT) และอัตราลดของผลลัพธ์ ตามลำดับ



รูปที่ 4 ผลการวิเคราะห์ความไม่แน่นอนของผลลัพธ์โดยการวิเคราะห์แบบทางเดียว

โดย Tornado diagram แสดงอัตราการเปลี่ยนแปลงของค่า ICER จาก base-case



รูปที่ 5 ผลการวิเคราะห์ความไม่แน่นอนของผลลัพธ์โดยการวิเคราะห์แบบความน่าจะเป็น

กราฟแสดงแสดงความสัมพันธ์ระหว่างความเต็มใจจ่ายต่อปีสุขภาพกับโอกาสเกิดความคุ้มค่าของการให้เอนไซม์และการรักษาแบบประคับประคองในผู้ป่วยเด็กและผู้ป่วยผู้ใหญ่

รูปที่ 5 แสดงผลการวิเคราะห์ความไม่แน่นอนของผลลัพธ์ด้วยการผันแปรค่าตัวแปรในแบบจำลองพร้อมกันทุกตัวแปร เพื่อเปรียบเทียบความน่าจะเป็นที่ทางเลือกในการรักษาผู้ป่วย GD1 จะมีความคุ้มค่าระหว่างการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทน (ERT) กับการรักษาแบบประคับประคอง (no ERT) ในผู้ป่วยเด็กและผู้ป่วยผู้ใหญ่ ที่ระดับความเต็มใจจ่ายของสังคมต่างๆ พบว่าหากพิจารณาที่เกณฑ์การตัดสินใจของประเทศไทย ที่ระดับความเต็มใจจ่ายเท่ากับ 120,000 บาทต่อปีสุขภาพ ทั้งผู้ป่วย GD1 เด็กและผู้ใหญ่ การรักษาด้วย

เอนไซม์ทดแทนไม่มีโอกาสที่จะเป็นทางเลือกที่คุ้มค่า ในขณะที่การรักษาแบบประคับประคองมีโอกาที่จะเป็นทางเลือกที่คุ้มค่าร้อยละ 100 โดยการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทนจะมีโอกาสเป็นทางเลือกที่มีความคุ้มค่ามากกว่าการรักษาแบบประคับประคองในการรักษาผู้ป่วย GD1 เด็ก ที่ระดับความเต็มใจจ่ายมากกว่า 1,150,000 บาทต่อปีสุขภาพ และในผู้ป่วย GD1 ผู้ใหญ่ ที่ระดับความเต็มใจจ่ายมากกว่า 6,300,000 บาทต่อปีสุขภาพ

ผลกระทบด้านงบประมาณของของการรักษาผู้ป่วยโรคโกเชอร์ชนิดที่ 1

จากข้อมูลที่ได้จากการสอบถามแพทย์ผู้เชี่ยวชาญจากโรงพยาบาล 6 แห่ง ในเดือนกรกฎาคม 2555 พบว่าในปัจจุบันมีผู้ป่วยโกเชอร์เด็ก 9 ราย ผู้ป่วยโกเชอร์ผู้ใหญ่ 5 รายผู้เชี่ยวชาญได้คาดการณ์อุบัติการณ์ของผู้ป่วยโกเชอร์ไว้ว่าในแต่ละปีน่าจะมีผู้ป่วยโกเชอร์ใหม่ปีละ 5 ราย เป็นผู้ป่วยเด็ก 4 ราย ผู้ป่วยผู้ใหญ่ 1 ราย ผลกระทบด้านงบประมาณคำนวณจากต้นทุนในมุมมองสังคม เป็นช่วงระยะเวลาต่างๆโดยคำนวณแยกเป็นกลุ่มผู้ป่วย GD1 เด็กและผู้ป่วย GD1 ผู้ใหญ่ ดังตารางที่ 4

ภาระงบประมาณของการรักษาแบบประคับประคองแก่ผู้ป่วยเด็กที่เกิดขึ้นภายในระยะเวลา 5 ปีคิดเป็น 35.3 ล้านบาท ระยะเวลา 10 ปีเป็น 107.3 ล้านบาท ระยะเวลา 15 ปีเป็น 213.6 ล้านบาท ระยะเวลา 20 ปีเป็น 342.6 ล้านบาท ส่วนการรักษาผู้ป่วยเด็กด้วยเอนไซม์ imiglucerase จะมีภาระงบประมาณที่เกิดขึ้นภายในระยะเวลา 5 ปีคิดเป็น 72.6 ล้านบาท ระยะเวลา 10 ปีเป็น 166.2 ล้านบาท ระยะเวลา 15 ปีเป็น 332.5 ล้านบาท ระยะเวลา 20 ปีจะมีต้นทุน 556.5 ล้านบาท คิดเป็นภาระด้านงบประมาณที่เพิ่มขึ้นภายในระยะเวลา 5 ปี 37.2 ล้านบาท เฉลี่ย 7.4 ล้านบาทต่อปีระยะเวลา 10 ปี 58.9 ล้านบาท เฉลี่ย 5.8 ล้านบาทต่อปี ระยะเวลา 15 ปี 118.8 ล้านบาท เฉลี่ย 7.9 ล้านบาทต่อปี และระยะเวลา 20 ปี 213.9 ล้านบาท เฉลี่ย 10.7 ล้านบาทต่อปีตามลำดับ

ภาระงบประมาณของการรักษาแบบประคับประคองแก่ผู้ป่วยผู้ใหญ่ที่เกิดขึ้นภายในระยะเวลา 5 ปีคิดเป็น 19.6 ล้านบาท ระยะเวลา 10 ปีเป็น 44.2 ล้านบาท ระยะเวลา 15 ปีเป็น 71.3 ล้านบาท ระยะเวลา 20 ปีเป็น 101.7 ล้านบาท ส่วนการรักษาผู้ป่วยผู้ใหญ่ด้วยเอนไซม์ imiglucerase จะมีภาระงบประมาณที่เกิดขึ้นภายในระยะเวลา 5 ปีคิดเป็น 102.5 ล้านบาท ระยะเวลา 10 ปีเป็น 146.0 ล้านบาท ระยะเวลา 15 ปีเป็น 192.4 ล้านบาท ระยะเวลา 20 ปีเป็น 236.4 ล้านบาท คิดเป็นภาระด้านงบประมาณที่เพิ่มขึ้นภายในระยะเวลา 5 ปี 82.9 ล้านบาท เฉลี่ย 16.6 ล้านบาทต่อปี ระยะเวลา 10 ปี 101.8 ล้านบาท เฉลี่ย 10.2 ล้านบาทต่อปี ระยะเวลา 15 ปี 121.1 ล้านบาท เฉลี่ย 8.1 ล้านบาทต่อปี และระยะเวลา 20 ปี 134.7 ล้านบาท เฉลี่ย 6.7 ล้านบาทต่อปี

ภาระงบประมาณของการรักษาแบบประคับประคองแก่ผู้ป่วยทั้งหมดที่เกิดขึ้นภายในระยะเวลา 5 ปีคิดเป็น 54.9 ล้านบาท ระยะเวลา 10 ปีเป็น 151.5 ล้านบาท ระยะเวลา 15 ปีเป็น 285 ล้านบาท ระยะเวลา 20 ปีเป็น 444.3 ล้านบาท ส่วนการรักษาผู้ป่วยทั้งหมดด้วยเอนไซม์ imiglucerase จะมีภาระงบประมาณที่เกิดขึ้นภายในระยะเวลา 5 ปีคิดเป็น 175.0 ล้านบาท ระยะเวลา 10 ปีเป็น 312.2 ล้านบาท ระยะเวลา 15 ปี

เป็น 524.9 ล้านบาท ระยะเวลา 20 ปีเป็น 793.0 ล้านบาท คิดเป็นภาระด้านงบประมาณที่เพิ่มขึ้นภายในระยะเวลา 5 ปี 120.1 ล้านบาท เฉลี่ย 24 ล้านบาทต่อปี ระยะเวลา 10 ปี 160.7 ล้านบาท เฉลี่ย 16.1 ล้านบาทต่อปี ระยะเวลา 15 ปี 239.9 ล้านบาท เฉลี่ย 16.0 ล้านบาทต่อปี และระยะเวลา 20 ปี 348.6 ล้านบาท เฉลี่ย 17.4 ล้านบาทต่อปี

ตารางที่ 4 ภาระงบประมาณของการรักษาผู้ป่วย GD1

ปีที่	ภาระงบประมาณ (ล้านบาท)			
	ผู้ป่วยเด็กอายุที่เริ่มรักษา 2 ปี		ผู้ป่วยผู้ใหญ่อายุที่เริ่มรักษา 20 ปี	
	การรักษาแบบ ประคับประคอง	Imiglucerase	การรักษาแบบ ประคับประคอง	Imiglucerase
1	3.02	36.33	2.80	75.32
2	9.04	42.76	6.64	81.21
3	16.41	50.84	10.75	87.73
4	25.15	60.70	15.07	94.85
5	35.34	72.57	19.60	102.50
10	107.30	166.22	44.18	145.99
15	213.65	332.49	71.33	192.38
20	342.60	556.52	101.74	236.43
ส่วนต่างภาระงบประมาณปีที่ 5		37.24		56.30
ส่วนต่างภาระงบประมาณปีที่ 10		58.92		72.28
ส่วนต่างภาระงบประมาณปีที่ 15		118.85		89.36
ส่วนต่างภาระงบประมาณปีที่ 20		213.92		101.80

สรุปและอภิปรายผลการศึกษา

เมื่อพิจารณาความเต็มใจจ่ายของสังคมต่อปีสุขภาพะที่มีค่าเท่ากับ 1 เท่าของรายได้ต่อหัวประชาชาติ หรือประมาณ 120,000 บาทต่อปีสุขภาพะ การรักษาผู้ป่วยโรคโกเชอร์ชนิดที่ 1 (GD1) ด้วยเอนไซม์ทดแทน imiglucerase ไม่มีความคุ้มค่าทั้งในผู้ป่วยเด็กและผู้ป่วยผู้ใหญ่ และจากการวิเคราะห์ภาระงบประมาณ พบว่า การรักษาผู้ป่วยเด็กด้วยเอนไซม์ทดแทนจะมีภาระงบประมาณที่เกิดขึ้นภายในระยะเวลา 5 ปีประมาณ 70 ล้านบาท และเพิ่มขึ้นอีกประมาณ 100 ล้านบาทในปีที่ 10 ส่วนภาระงบประมาณของการรักษาผู้ป่วยผู้ใหญ่ด้วยเอนไซม์ทดแทนจะมีภาระงบประมาณที่เกิดขึ้นภายในระยะเวลา 5 ปีประมาณ 100 ล้านบาท และเพิ่มขึ้นอีกประมาณ 50 ล้านบาทในปีที่ 10 โดยมีส่วนต่างของงบประมาณเมื่อเทียบกับการรักษาแบบประคับประคองประมาณ 100-120 ล้านบาท ในช่วงปีงบประมาณที่ 5-10

จากการทบทวนวรรณกรรมที่ศึกษาเรื่องความคุ้มค่าของการรักษาผู้ป่วยโรคโกเชอร์ด้วยเอนไซม์ทดแทน พบว่าการศึกษาที่ผ่านมาทั้งหมดทำในประเทศพัฒนาแล้วคือ ประเทศอังกฤษ 3 การศึกษา [2, 36, 37] และ สหรัฐอเมริกา 1 การศึกษา [38] โดยการศึกษาทั้งหมดเป็นการวิเคราะห์ต้นทุนอรรถประโยชน์ และการศึกษาทั้งหมดใช้ตัวเปรียบเทียบคือการไม่ให้เอนไซม์ทดแทน การศึกษาส่วนใหญ่ไม่ได้รายงานถึงมุมมองที่ใช้ในการวิเคราะห์ มีเพียงหนึ่งการศึกษาที่รายงานว่าใช้มุมมองของผู้ให้บริการ [37] การศึกษาทั้งหมดพบว่าอัตราส่วนต้นทุนประสิทธิผลส่วนเพิ่มของการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทนมีค่าที่สูงเมื่อเปรียบเทียบกับระดับรายได้ ประชาชาติเฉลี่ยต่อหัวของประเทศนั้นๆ การศึกษาของ Connock และคณะ [2] ในประเทศอังกฤษ พบว่าอัตราส่วนต้นทุนประสิทธิผลส่วนเพิ่มเท่ากับ 700,000-875,000 ดอลลาร์สหรัฐต่อปีสุขภาพขณะที่ในปีดังกล่าวรายได้ประชาชาติเฉลี่ยต่อหัวของประเทศอังกฤษเท่ากับ 41,780 ดอลลาร์สหรัฐ

การศึกษานี้ยังมีข้อจำกัดกล่าวคือ 1) ยังไม่หลักฐานข้อมูลประสิทธิภาพของการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทน ที่เป็นการศึกษาทางคลินิกแบบ randomized controlled trial ซึ่งเป็นหลักฐานทางวิชาการที่มีความน่าเชื่อถือ อย่างไรก็ตามการศึกษานี้ได้รวบรวมข้อมูลที่มีอยู่จากหลายแหล่งเพื่อคาดประมาณผลลัพธ์ของการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทนกับผู้ป่วย 2) จำนวนผู้ป่วยที่มีอยู่มีจำนวนน้อยอาจไม่สามารถเป็นตัวอย่างเป็นตัวแทนที่ดีของผู้ป่วยทั้งหมด อย่างไรก็ตามจากการสอบถามความคิดเห็นของผู้เชี่ยวชาญด้านเวชพันธุศาสตร์ จำนวนผู้ป่วยในการศึกษานี้มีความใกล้เคียงกับจำนวนประชากรผู้ป่วยทั้งหมด 3) ไม่สามารถเก็บข้อมูลอรรถประโยชน์ซึ่งสามารถสะท้อนคุณภาพชีวิตของผู้ป่วยจากผู้ป่วยโดยตรงได้ อย่างไรก็ตามการใช้ความเห็นผู้เชี่ยวชาญสามารถใช้แทนข้อมูลที่ไม่สามารถเก็บมาได้ นอกจากนี้จากการวิเคราะห์ความไม่แน่นอนของผลลัพธ์แบบทางเดียวได้มีการวิเคราะห์ความไวของข้อมูลด้านอรรถประโยชน์ของผู้ป่วย ซึ่งแม้จะพบว่ามีความไวที่สูงต่อผลลัพธ์แต่ไม่ได้อยู่ในระดับที่จะเปลี่ยนแปลงข้อสรุปของการศึกษาได้

ข้อมูลในหลายๆ ด้านยังมีข้อจำกัดและมีส่วนหนึ่งที่ตั้งอยู่บนสมมติฐาน อย่างไรก็ตาม นักวิจัยเชื่อว่าข้อมูลที่ใช้นั้นเป็นข้อมูลที่มีอยู่เป็นที่ดีที่สุดสำหรับปัจจุบัน นอกจากนี้การศึกษานี้ได้มีการวิเคราะห์ความไม่แน่นอนแบบความน่าจะเป็นเพื่อพิจารณาผลกระทบของข้อมูลทั้งหมดที่ใช้ต่อผลการศึกษา ซึ่งจากการวิเคราะห์ได้แสดงให้เห็นว่าโอกาสที่ข้อสรุปของการศึกษามีโอกาสที่จะเปลี่ยนแปลงได้น้อยมาก

ข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย

แม้ว่าการรักษาผู้ป่วยที่มีอาการแสดงของโกเชอร์ชนิดที่ 1 ด้วยเอนไซม์ทดแทน imiglucerase ไม่มีความคุ้มค่า แต่การรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทน imiglucerase สามารถช่วยยืดชีวิตและเพิ่มคุณภาพชีวิตให้แก่ผู้ป่วย โดยเฉพาะผู้ป่วยเด็ก เอนไซม์ทดแทน imiglucerase ยังมีความจำเป็นสำหรับผู้ป่วยโกเชอร์ที่จะเข้าสู่กระบวนการการรักษาด้วยการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดซึ่งเป็นวิธีการรักษาที่ทำให้หายขาดได้ โดยการรักษาด้วยการปลูกถ่ายไขกระดูกสำหรับผู้ป่วยโรคโกเชอร์ชนิดที่ 1 ได้ถูกบรรจุอยู่ในชุดสิทธิประโยชน์ภายใต้หลักประกันสุขภาพแห่งชาติ นอกจากนี้ เนื่องจากค่าเอนไซม์ทดแทนมีราคาสูงมาก การเจ็บป่วยจากโรคโกเชอร์สามารถทำให้ครอบครัวผู้ป่วยเกิดภาวะล้มละลายจากการเจ็บป่วย หรือ Catastrophic illness ได้

จากปัจจัยข้างต้น การพิจารณาบรรจุเอนไซม์ทดแทน imiglucerase ในบัญชียาหลักแห่งชาติเพื่อให้ผู้ป่วยได้เข้าถึงทางเลือกที่มีประสิทธิผลดีกว่าการรักษาแบบประคับประคองจึงมีความจำเป็น ทั้งนี้ หากมีการพิจารณาบรรจุเอนไซม์ทดแทน imiglucerase ไว้ในบัญชียาหลักแห่งชาติ ควรพิจารณาให้มีความสำคัญกับผู้ป่วยโรคโกเชอร์ชนิดที่ 1 ที่จะเข้าสู่กระบวนการการรักษาด้วยการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดเป็นลำดับต้น และให้มีการเจรจาต่อรองราคากับผู้ผลิตและจัดจำหน่ายเอนไซม์เพื่อให้ภาระค่าใช้จ่ายทั้งหมดของระบบหลักประกันสุขภาพทั้ง 3 กองทุนสามารถจ่ายได้

ผลประโยชน์ทับซ้อน

คณะผู้วิจัยไม่มีผลประโยชน์จากภายนอกหรือผลประโยชน์ส่วนตน ที่ส่งอิทธิพลต่องานวิจัยที่ได้รับมอบหมาย ทั้งในผลประโยชน์ทางการเงิน หน้าที่ และประโยชน์ทางวิชาชีพ

เอกสารอ้างอิง

1. Mehta, A., *Epidemiology and natural history of Gaucher's disease*. European Journal of International Medicine, 2006. 17: p. s2-s5.
2. Connock M, B.A., Frew E., Fry-Smith A., Juarez-Garcia A., McCabe C., et al., *The clinical effectiveness and cost-effectiveness of enzyme replacement therapy for Gaucher's disease: a systematic review*. 2006, Health Technology Assessment. p. 3-5.
3. ดวงฤดี วัฒนศิริชัยกุล, โรคโกเชร์, in เอกสารประกอบการเสวนาประจำปีครั้งที่ 1 “ทางออกในการช่วยเหลือผู้ป่วยโรคพันธุกรรมเมตาบอลิกแอลเอสดี” 23 เมษายน 2553: กรุงเทพฯ.
4. P. Suwannarat, S.K., D. Wattanasirichaigoon, L. Ngiwsara, J.R.K. Cairns, J. Svasti, A. Visudtibhan, S. Pangkanon, *Molecular characterization of type 3 (neuronopathic) Gaucher disease in Thai patient*. Blood Cells, Molecules, and Disease, 2007. 39: p. 348-352.
5. P. Deegan, D.H., A. Mehta, T.M. Cox, *UK national guideline for adult Gaucher disease*. April 2005.
6. Charrow, J., et al., *Recommendations on diagnosis, evaluation, and monitoring*. ARCH Intern Med, 1998. 158: p. 1754-1760.
7. Vorawarn S Tanphaichitr, V.S., Chularatana mahasandana, Prasit Sachapong, Gavivann Veerakul, Suthida Kankirawatana, Pornsawan Wasant, *Gaucher's disease: thirty-two years experience at Siriraj hospital*. Southeast Asian Journal of Tropical Medicine and Public Health, 1999. 30(supplement): p. 143-7.
8. Starzyk, K., et al., *The long-term international safety experience of imiglucerase therapy for Gaucher disease*. Molecular Genetics and Metabolism, 2006. 90: p. 157-163.
9. Anderson, H., et al., *Eight-year clinical outcomes of long-term enzyme replacement therapy for 884 children with Gaucher disease type 1*. American Academy of Pediatrics, 2008. 122(6): p. 1182-1190.
10. Elstein, D. and A. Zimran, *Review of the safety and efficacy of imiglucerase treatment of Gaucher disease*. Biologics Targets & Therapy, 2009. 3: p. 407-417.
11. Santé., H.A.d. *Guide for doctors: long-term conditions- Gaucher disease-national diagnosis and treatment protocol* Jan 2007 [cited 2012 4 March]; Available from: http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/ven_gaucher_web.pdf.
12. European Medicine Agency. *Scientific discussion for the approval of cerezyme* 2005 [cited 2012 4 March]; Available from: http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/EPAR_-_Scientific_Discussion/human/000157/WC500024109.pdf.
13. A. Vellodi, et al., *Guidelines for the management of paediatric Gaucher disease in the United Kingdom*. 2005, NHS.
14. ดวงฤดี วัฒนศิริชัยกุล, สรุปสถานการณ์เกี่ยวกับโรคพันธุกรรมเมตาบอลิกแอลเอสดี ในประเทศไทย. เอกสารประกอบการเสวนาประจำปีครั้งที่ 1 “ทางออกในการช่วยเหลือผู้ป่วยโรคพันธุกรรมเมตาบอลิกแอลเอสดี”. 27 เมษายน 2553.
15. M.J. Abramowicz, et al. *Guidelines for diagnosis, treatment and monitoring of Gaucher's disease*. 2004 [cited 2012 4 March]; Available from: http://www.lysomed.be/practical/documents/Gaucher%20guidelines_final.pdf.
16. Parashar, U.D., et al., *Rotavirus and severe childhood diarrhea*. Emerg Infect Dis, 2006. 12(2): p. 304-6.

17. คณะกรรมการแห่งชาติด้านยา. บัญชียาหลักแห่งชาติ. 2551 [cited 2555 8 มกราคม]; Available from: <http://www2.fda.moph.go.th/consumer/drug/dcenter.asp>.
18. บัญชียาหลักแห่งชาติ. 2551 [cited 2555 8 มกราคม]; Available from: <http://www2.fda.moph.go.th/consumer/drug/dcenter.asp>.
19. ศูนย์ข้อมูลข่าวสารด้านเวชภัณฑ์ กระทรวงสาธารณสุข. รายการยาใหม่/ยาชีววัตถุใหม่ ที่ได้รับการขึ้นทะเบียนแบบมีเงื่อนไข (NC)/(NBC). 30 กันยายน 2553 [cited 2012 10 กรกฎาคม]; Available from: http://wwwapp1.fda.moph.go.th/drug/zone_service/files/con_Sep%2053.pdf
20. Shire. *Shire's VPRIV® (velaglucerase alfa for injection) Shows Significant Improvement in Gaucher-Related Bone Disease.* [cited 2012 10 June]; Available from: <http://www.shire.com/shireplc/en/investors/investorsnews/irshirenews?id=608>.
21. Pharmaceutical Benefit Advisory Committee. *Public Summary Document on the Velaglucerase alfa, powder for IV infusion, 400 units in 4 mL, VPRIV®* [cited 2012 1 May]; Available from: [http://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/Content/366876C5108CBDEACA2579BC002DF04/\\$File/Velaglucerase%20alfa%20VPRIV%20Shire%20PSD%202011-11%20FINAL.pdf](http://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/Content/366876C5108CBDEACA2579BC002DF04/$File/Velaglucerase%20alfa%20VPRIV%20Shire%20PSD%202011-11%20FINAL.pdf).
22. European Medicines Agency. *Assessment report for VPRIV.* [cited 2012 1 May]; Available from: http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/EPAR_-_Public_assessment_report/human/001249/WC500096489.pdf.
23. Protalix. *Taliglucerase alfa.* 2012 [cited 2012 1 May]; Available from: <http://www.protalix.com/product-development/taliglucerase-alfa.asp>.
24. *FDA accepts Protalix taliglucerase alfa NDA resubmission for review.* 2012 [cited 2012 1 May]; Available from: <http://www.news-medical.net/news/20110817/FDA-accepts-Protalix-taliglucerase-alfa-NDA-resubmission-for-review.aspx>.
25. TM. Cox and et al., *The role of the iminosugar N-butyldeoxynojirimycin (miglustat) in the management of type I (non-neuronopathic) Gaucher disease: a position statement.* J Inherit Metab Dis, 2003. 26(6): p. 513-26.
26. อุษา ฉายเกตุแก้ว, et al., *คู่มือการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพสำหรับประเทศไทย.* 2552, นนทบุรี.
27. Mary Anne D. Chiong, et al., *Gaucher disease in six Filipino children: a case series.* ACTA Medica Philippin, 2008. 42(2): p. 11-18.
28. Mary Anne d. Chiong and Catherine Lynn T. Silao, *Genotype-phenotype correlations in Filipino patients with type 3 Gaucher disease.* ACTA Medica Philippin, 2011. 45(4): p. 1-5.
29. Neal J.Weinreb, et al., *Life expectancy in Gaucher disease type 1.* American journal of hematology, 2008. 83: p. 896-900.
30. WHO. *Life table of Thai general population.* Global Health Observatory Data Repository 2009 [cited 2012 20 June]; Available from: <http://apps.who.int/ghodata/?vid=720#>.
31. Judith Aharon-Peretz, Hanna Rosenbaum, and R. Gershoni-Baruch, *Mutations in the glucocerebrosidase gene and Parkinson's disease in Ashkenazi Jews.* The New England Journal of Medicine, 2004. 351: p. 1972-1977.
32. Ari Zimrana, et al., *Incidence of malignancies among patients with type I Gaucher disease from a single referral clinic.* Blood Cells, Molecules, and Diseases, 2005 34: p. 197 - 200.
33. Ruth Gershoni-Baruch, Judith Aharon-Peretz, and Hanna Rosenbaum, *Corresponding letter to editors and authors of The Glucocerebrosidase gene and Parkinson's disease in Ashkenazi Jews.* New England Journal of Medicine, 2005. 352;7: p. 728-731.

34. Barry E. Rosenbloom, et al., *Gaucher disease and cancer incidence: a study from the Gaucher Registry*. Blood Journal, 2005. 105: p. 4569-4572.
35. Francis Y.M. Choy and Tessa N. Campbell, *Gaucher Disease and Cancer: Concept and Controversy*. International Journal of Cell Biology, 2011: p. 1-6.
36. Hallam L and B. J., *Ceredase in the treatment of type 1 Gaucher's disease*. 1996.
37. West Midlands Health Technology Assessment Collaboration, *Clinical and cost-effectiveness of enzyme replacement therapy for Gaucher's disease. A rapid review*. 2004, University of Birmingham.
38. Beutler, E. and A.M. Garber, *Alglucerase for Gaucher's disease: dose, costs and benefits*. Pharmacoeconomics, 1994. 5(6): p. 453-9.
39. กองโภชนาการ กรมอนามัย, รายงานการสำรวจภาวะอาหารและโภชนาการของประเทศไทย ครั้งที่ 5 พ.ศ.2546 2546, กระทรวงสาธารณสุข: นนทบุรี.

ภาคผนวก 1 ความน่าจะเป็นที่จะเสียชีวิตของประชากรไทย

ตารางชีพประชากรไทย พ.ศ. 2552 แสดงความน่าจะเป็นที่จะเสียชีวิตของประชากรไทยซึ่งแปลงค่ามาจากตารางชีพตามกลุ่มอายุของประชากรไทยตามสถิติล่าสุดขององค์การอนามัยโลก [30]

กลุ่มอายุ	อัตราตายจำเพาะ
<1	0.01215
1-4	0.00038
5-9	0.00058
10-14	0.00061
15-19	0.0015
20-24	0.00183
25-29	0.00258
30-34	0.00342
35-39	0.00408
40-44	0.00498
45-49	0.00631
50-54	0.0088
55-59	0.01243
60-64	0.01742
65-69	0.02649
70-74	0.04311
75-79	0.0691
80-84	0.13246
85-89	0.22913
90-94	0.35708
95-99	0.50254
100+	0.63691

ภาคผนวก 2 ตารางน้ำหนักเฉลี่ยตามอายุของประชาชนไทย

ข้อมูลจาก รายงานการสำรวจภาวะอาหารและโภชนาการของประเทศไทย ครั้งที่ 5 พ.ศ.2546 กองโภชนาการ กรมอนามัย

[39]

อายุ (ปี)	จำนวนคนชาย	ชาย	จำนวนคนหญิง	หญิง	ค่าเฉลี่ย	ส่วนเบี่ยงเบนมาตรฐาน	จำนวนคนรวม	ค่าความคลาดเคลื่อน
0	255	7	256	6.4	6.700	0.424	511	0.019
1	195	10.19	166	9.82	10.005	0.262	361	0.014
2	231	12.54	201	12.09	12.315	0.318	432	0.015
3	212	14.35	189	14.03	14.190	0.226	401	0.011
4	204	15.66	216	15.01	15.335	0.460	420	0.022
5	182	16.82	190	16.95	16.885	0.092	372	0.005
6	152	19.27	157	19.73	19.500	0.325	309	0.019
7	124	21.9	159	21.02	21.460	0.622	283	0.037
8	136	23.78	168	23.06	23.420	0.509	304	0.029
9	151	27.12	125	26.84	26.980	0.198	276	0.012
10	145	28.54	143	32.1	30.320	2.517	288	0.148
11	119	33.08	146	36.23	34.655	2.227	265	0.137
12	103	38.39	121	39.61	39.000	0.863	224	0.058
13	83	43.49	69	42.76	43.125	0.516	152	0.042
14	71	45.2	82	46.95	46.075	1.237	153	0.100
15	33	52.08	54	46.33	49.205	4.066	87	0.436
16	20	53.27	44	47.04	50.155	4.405	64	0.551
17	20	58.94	45	48.32	53.630	7.509	65	0.931
18	16	59.9	27	50.23	55.065	6.838	43	1.043
19	19	59.44	46	53.36	56.400	4.299	65	0.533
20	19	59.44	46	53.36	56.400	4.299	65	0.533
21	19	59.44	46	53.36	56.400	4.299	65	0.533
22	19	59.44	46	53.36	56.400	4.299	65	0.533
23	19	59.44	46	53.36	56.400	4.299	65	0.533
24	19	59.44	46	53.36	56.400	4.299	65	0.533
25	34	60.67	81	54.32	57.495	4.490	114	0.420
26	34	60.67	81	54.32	57.495	4.490	114	0.420
27	34	60.67	81	54.32	57.495	4.490	114	0.420
28	34	60.67	81	54.32	57.495	4.490	114	0.420
29	34	60.67	81	54.32	57.495	4.490	114	0.420
30	51	61.32	103	57.32	59.320	2.828	154	0.228
31	51	61.32	103	57.32	59.320	2.828	154	0.228
32	51	61.32	103	57.32	59.320	2.828	154	0.228
33	51	61.32	103	57.32	59.320	2.828	154	0.228
34	51	61.32	103	57.32	59.320	2.828	154	0.228

อายุ (ปี)	จำนวนคนชาย	ชาย	จำนวนคนหญิง	หญิง	ค่าเฉลี่ย	ส่วนเบี่ยงเบนมาตรฐาน	จำนวนคนรวม	ค่าความคลาดเคลื่อน
0	255	7	256	6.4	6.700	0.424	511	0.019
1	195	10.19	166	9.82	10.005	0.262	361	0.014
2	231	12.54	201	12.09	12.315	0.318	432	0.015
3	212	14.35	189	14.03	14.190	0.226	401	0.011
4	204	15.66	216	15.01	15.335	0.460	420	0.022
5	182	16.82	190	16.95	16.885	0.092	372	0.005
6	152	19.27	157	19.73	19.500	0.325	309	0.019
7	124	21.9	159	21.02	21.460	0.622	283	0.037
8	136	23.78	168	23.06	23.420	0.509	304	0.029
9	151	27.12	125	26.84	26.980	0.198	276	0.012
10	145	28.54	143	32.1	30.320	2.517	288	0.148
11	119	33.08	146	36.23	34.655	2.227	265	0.137
12	103	38.39	121	39.61	39.000	0.863	224	0.058
13	83	43.49	69	42.76	43.125	0.516	152	0.042
14	71	45.2	82	46.95	46.075	1.237	153	0.100
35	50	61.27	87	58.14	59.705	2.213	137	0.189
36	50	61.27	87	58.14	59.705	2.213	137	0.189
37	50	61.27	87	58.14	59.705	2.213	137	0.189
38	50	61.27	87	58.14	59.705	2.213	137	0.189
39	50	61.27	87	58.14	59.705	2.213	137	0.189
40	40	61.8	74	59.69	60.745	1.492	114	0.140
41	40	61.8	74	59.69	60.745	1.492	114	0.140
42	40	61.8	74	59.69	60.745	1.492	114	0.140
43	40	61.8	74	59.69	60.745	1.492	114	0.140
44	40	61.8	74	59.69	60.745	1.492	114	0.140
45	29	61.39	55	58.21	59.800	2.249	83	0.246
46	29	61.39	55	58.21	59.800	2.249	83	0.246
47	29	61.39	55	58.21	59.800	2.249	83	0.246
48	29	61.39	55	58.21	59.800	2.249	83	0.246
49	29	61.39	55	58.21	59.800	2.249	83	0.246
50	31	60.4	50	58.85	59.625	1.096	82	0.121
51	31	60.4	50	58.85	59.625	1.096	82	0.121
52	31	60.4	50	58.85	59.625	1.096	82	0.121
53	31	60.4	50	58.85	59.625	1.096	82	0.121
54	31	60.4	50	58.85	59.625	1.096	82	0.121
55	29	59.06	39	54.52	56.790	3.210	69	0.387
56	29	59.06	39	54.52	56.790	3.210	69	0.387
57	29	59.06	39	54.52	56.790	3.210	69	0.387
58	29	59.06	39	54.52	56.790	3.210	69	0.387

อายุ (ปี)	จำนวนคนชาย	ชาย	จำนวนคนหญิง	หญิง	ค่าเฉลี่ย	ส่วนเบี่ยงเบนมาตรฐาน	จำนวนคนรวม	ค่าความคลาดเคลื่อน
0	255	7	256	6.4	6.700	0.424	511	0.019
1	195	10.19	166	9.82	10.005	0.262	361	0.014
2	231	12.54	201	12.09	12.315	0.318	432	0.015
3	212	14.35	189	14.03	14.190	0.226	401	0.011
4	204	15.66	216	15.01	15.335	0.460	420	0.022
5	182	16.82	190	16.95	16.885	0.092	372	0.005
6	152	19.27	157	19.73	19.500	0.325	309	0.019
7	124	21.9	159	21.02	21.460	0.622	283	0.037
8	136	23.78	168	23.06	23.420	0.509	304	0.029
9	151	27.12	125	26.84	26.980	0.198	276	0.012
10	145	28.54	143	32.1	30.320	2.517	288	0.148
11	119	33.08	146	36.23	34.655	2.227	265	0.137
12	103	38.39	121	39.61	39.000	0.863	224	0.058
13	83	43.49	69	42.76	43.125	0.516	152	0.042
14	71	45.2	82	46.95	46.075	1.237	153	0.100
59	29	59.06	39	54.52	56.790	3.210	69	0.387
60	45	58.89	56	52.69	55.790	4.384	101	0.437
61	45	58.89	56	52.69	55.790	4.384	101	0.437
62	45	58.89	56	52.69	55.790	4.384	101	0.437
63	45	58.89	56	52.69	55.790	4.384	101	0.437
64	45	58.89	56	52.69	55.790	4.384	101	0.437
65	38	56.78	48	51.79	54.285	3.528	86	0.380
66	38	56.78	48	51.79	54.285	3.528	86	0.380
67	38	56.78	48	51.79	54.285	3.528	86	0.380
68	38	56.78	48	51.79	54.285	3.528	86	0.380
69	38	56.78	48	51.79	54.285	3.528	86	0.380
70	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
71	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
72	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
73	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
74	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
75	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
76	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
77	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
78	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
79	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
80	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
81	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
82	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380

อายุ (ปี)	จำนวนคนชาย	ชาย	จำนวนคนหญิง	หญิง	ค่าเฉลี่ย	ส่วนเบี่ยงเบนมาตรฐาน	จำนวนคนรวม	ค่าความคลาดเคลื่อน
0	255	7	256	6.4	6.700	0.424	511	0.019
1	195	10.19	166	9.82	10.005	0.262	361	0.014
2	231	12.54	201	12.09	12.315	0.318	432	0.015
3	212	14.35	189	14.03	14.190	0.226	401	0.011
4	204	15.66	216	15.01	15.335	0.460	420	0.022
5	182	16.82	190	16.95	16.885	0.092	372	0.005
6	152	19.27	157	19.73	19.500	0.325	309	0.019
7	124	21.9	159	21.02	21.460	0.622	283	0.037
8	136	23.78	168	23.06	23.420	0.509	304	0.029
9	151	27.12	125	26.84	26.980	0.198	276	0.012
10	145	28.54	143	32.1	30.320	2.517	288	0.148
11	119	33.08	146	36.23	34.655	2.227	265	0.137
12	103	38.39	121	39.61	39.000	0.863	224	0.058
13	83	43.49	69	42.76	43.125	0.516	152	0.042
14	71	45.2	82	46.95	46.075	1.237	153	0.100
83	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
84	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
85	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
86	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
87	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
88	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
89	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
90	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
91	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
92	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
93	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
94	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
95	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
96	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
97	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
98	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
99	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380
100	26	52.34	36	48.12	50.230	2.984	62	0.380

ภาคผนวก 3 แบบสอบถามความเห็นผู้เชี่ยวชาญ

หมวดที่ 1 อายุขัยของผู้ป่วยภายหลังการวินิจฉัยและรักษา

1) จากประสบการณ์ของท่าน ท่านคิดว่าผู้ป่วย GD type 3 ที่ไม่ได้รับการรักษาด้วย ERT (GD3 no ERT) จะมีชีวิตอยู่ได้นานกี่ปีนับตั้งแต่วันที่วินิจฉัยว่าเป็นโรค

1.1 ผู้ป่วย GD3 no ERT รายที่มีอายุยืนมากที่สุด..... ปี นับตั้งแต่วันที่วินิจฉัยว่าเป็นโรค

1.2 ผู้ป่วย GD3 no ERT รายที่มีอายุสั้นที่สุด.....ปี นับตั้งแต่วันที่วินิจฉัยว่าเป็นโรค

1.3 ผู้ป่วย GD3 no ERT โดยเฉลี่ย (ส่วนใหญ่)ปี นับตั้งแต่วันที่วินิจฉัยว่าเป็นโรค

2) จากประสบการณ์ของท่าน ท่านคิดว่าผู้ป่วย GD3 ที่ได้รับการรักษาด้วย ERT (GD3 ERT) จะมีชีวิตอยู่ได้นานกี่ปีนับตั้งแต่วันที่วินิจฉัยว่าเป็นโรค

2.1 ผู้ป่วย GD3 ERT รายที่มีอายุยืนมากที่สุด..... ปี นับตั้งแต่วันที่วินิจฉัยว่าเป็นโรค

2.2 ผู้ป่วย GD3 ERT รายที่มีอายุสั้นที่สุด.....ปี นับตั้งแต่วันที่วินิจฉัยว่าเป็นโรค

2.3 ผู้ป่วย GD3 ERT โดยเฉลี่ย (ส่วนใหญ่)ปี นับตั้งแต่วันที่วินิจฉัยว่าเป็นโรค

หมวดที่ 2 คุณภาพชีวิตของผู้ป่วย

คุณภาพชีวิต หมายถึง การมีชีวิตที่สมบูรณ์ทั้งร่างกายและจิตใจ สามารถดำรงชีวิตอย่างมีความสุข ถ้าคะแนนคุณภาพชีวิตมีค่าได้ตั้งแต่ 0-100 โดยที่ 0 มีคุณภาพชีวิตเท่ากับเสียชีวิต และ 100 มีค่าเท่ากับคุณภาพชีวิตที่มีสุขภาพสมบูรณ์ดี เพื่อช่วยให้ท่านประมาณค่าคะแนนคุณภาพชีวิตของผู้ป่วย GD

ในการนี้ที่มิวิจัยขอนำผลการศึกษาค่าคุณภาพชีวิตของผู้ป่วยเด็กไทยที่เจ็บป่วยด้วยภาวะต่าง ๆ เพื่อใช้ประกอบในการพิจารณา

ภาวะความเจ็บป่วย	คะแนนคุณภาพชีวิต
เยื่อหุ้มสมองอักเสบ(meningitis)	49
ติดเชื้อแบคทีเรียในกระแสเลือด (bacteremia)	48
ปอดบวม (pneumonia)	55
หูอักเสบเฉียบพลัน (acute otitis media)	52
หูหนวก (hearing loss)	36
ลมชัก (epilepsy)	67

3) ท่านคิดว่า คะแนนคุณภาพชีวิตของผู้ป่วย GD type 1 ที่ไม่ได้รับการรักษาด้วย ERT (GD1 no ERT) มีค่าประมาณเท่าไร (มีค่าได้ตั้งแต่ 0-100)

- 3.1 กรณีผู้ป่วย GD1 no ERT ที่มีอาการรุนแรงน้อย มีคะแนนคุณภาพชีวิต
- 3.2 กรณีผู้ป่วย GD1 no ERT ส่วนใหญ่ มีคะแนนคุณภาพชีวิต
- 3.3 กรณีผู้ป่วย GD1 no ERT ที่มีอาการรุนแรงมาก มีคะแนนคุณภาพชีวิต
- 4) ท่านคิดว่า คะแนนคุณภาพชีวิตของผู้ป่วย GD1 ที่ได้รับการรักษาด้วย ERT (GD1 ERT) มีค่าประมาณเท่าไร (มีค่าได้ตั้งแต่ 0-100)
- 4.1 กรณีผู้ป่วย GD1 ERT ที่มีอาการรุนแรงน้อย มีคะแนนคุณภาพชีวิต
- 4.2 กรณีผู้ป่วย GD1 ERT ส่วนใหญ่ มีคะแนนคุณภาพชีวิต
- 4.3 กรณีผู้ป่วย GD1 ERT ที่มีอาการรุนแรงมาก มีคะแนนคุณภาพชีวิต
- 5) ท่านคิดว่า คะแนนคุณภาพชีวิตของผู้ป่วย GD type 3 ที่ไม่ได้รับการรักษาด้วย ERT (GD3 no ERT) มีค่าประมาณเท่าไร (มีค่าได้ตั้งแต่ 0-100)
- 5.1 กรณีผู้ป่วย GD3 no ERT ที่มีอาการรุนแรงน้อย มีคะแนนคุณภาพชีวิต
- 5.2 กรณีผู้ป่วย GD3 no ERT ส่วนใหญ่ มีคะแนนคุณภาพชีวิต
- 5.3 กรณีผู้ป่วย GD3 no ERT ที่มีอาการรุนแรงมาก มีคะแนนคุณภาพชีวิต
- 6) ท่านคิดว่า คะแนนคุณภาพชีวิตของผู้ป่วย GD3 ที่ได้รับการรักษาด้วย ERT (GD3 ERT) มีค่าประมาณเท่าไร (มีค่าได้ตั้งแต่ 0-100)
- 6.1 กรณีผู้ป่วย GD3 ERT ที่มีอาการรุนแรงน้อย มีคะแนนคุณภาพชีวิต
- 6.2 กรณีผู้ป่วย GD3 ERT ส่วนใหญ่ มีคะแนนคุณภาพชีวิต
- 6.3 กรณีผู้ป่วย GD3 ERT ที่มีอาการรุนแรงมาก มีคะแนนคุณภาพชีวิต

ภาคผนวก 4 แบบสอบถามเก็บข้อมูลผู้ป่วย

โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ

Health Intervention and Technology Assessment Program (HITAP)

การประเมินความคุ้มค่าและผลกระทบด้านงบประมาณของการรักษาผู้ป่วยโรคโกเชอร์ (Gaucher disease)

ภายใต้โครงการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติ

แบบสอบถาม ผู้ป่วย หรือผู้ดูแลผู้ป่วยโรคโกเชอร์ชนิดที่ 1 และ 3

คำชี้แจง

งานวิจัยนี้มีวัตถุประสงค์เพื่อศึกษาความคุ้มค่าและผลกระทบด้านงบประมาณของการรักษาผู้ป่วยโรคโกเชอร์ชนิดที่ 1 และ 3 แบบสอบถามประกอบด้วย 3 ส่วน ได้แก่ ส่วนที่ 1 ข้อมูลทั่วไปของผู้ป่วย หรือผู้ดูแล ส่วนที่ 2 คุณภาพชีวิต และส่วนที่ 3 ต้นทุนที่เกี่ยวข้องกับการรักษาพยาบาล ข้อมูลที่ได้รับจะเป็นประโยชน์อย่างยิ่งต่อการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติ

วัน/เดือน/ปี.....ที่ให้ข้อมูล

ส่วนที่ 1 ข้อมูลทั่วไป

การแนะนำตัว (สำหรับนักวิจัย)

สวัสดีครับ/ค่ะ ผม/ดิฉันชื่อ มาจากกระทรวงสาธารณสุข วันนี้จะขออนุญาตสัมภาษณ์เกี่ยวกับการรับการรักษาโรคโกเชอร์ของบุตรหลานที่อยู่ในความดูแลของท่าน ซึ่งประสบการณ์ตรงของครอบครัวท่านจะเป็นข้อมูลที่เป็นประโยชน์ต่อการพิจารณาบรรจุเอนไซม์ที่รักษาในบัญชียาหลักแห่งชาติ โดยผู้วิจัยจะนำข้อมูลจากท่านไปนำเสนอในภาพรวมเท่านั้น ส่วนชื่อและรายละเอียดอื่นๆ ที่สามารถเชื่อมโยงถึงตัวท่านและบุคคลในครอบครัวจะถูกเก็บเป็นความลับ

ข้อมูลทั่วไปของผู้ป่วย

(ผู้ป่วยที่มีอายุมากกว่า 15 ปีขึ้นไป)

1. ปัจจุบัน อายุของผู้ป่วย.....ปี ศึกษาอยู่ชั้น
2. เพศของผู้ป่วย
() 1. ชาย () 2. หญิง
3. ผู้ป่วยมีพี่หรือน้องจำนวนกี่คน
() 1. ไม่มีพี่น้อง (ข้ามไปคำถามข้อ12) () 2. มี โปรดระบุ พี่.....คนและ/หรือน้อง.....คน
4. ผู้ป่วยมีพี่หรือน้องที่เป็นโรคโกเชอร์หรือไม่
() 1. ไม่มี () 2. มี โปรดระบุ พี่.....คนและ/หรือน้อง.....คน

5. ผู้ป่วยได้รับการรักษาโรคโคเฮอร์เป็นระยะเวลาานานกี่ปี กี่เดือน?.....

6. ปัจจุบันผู้ป่วยใช้สิทธิใดในการรักษาพยาบาล (สิทธิหลัก 1สิทธิ)

() 1. ข้าราชการ / รัฐวิสาหกิจ () 2. ประกันสุขภาพถ้วนหน้า (บัตรทอง)

() 3. ประกันสังคม () 4. จ่ายเอง / ไม่มีสิทธิใด ๆ

() 5. ประกันสุขภาพเอกชน / ประกันชีวิต () 6. อื่น ๆ โปรดระบุ.....

7. ผู้ป่วยใช้เวลาในการเข้ารับการรักษาประมาณวันละกี่ชั่วโมง สัปดาห์ละกี่วัน? มีผู้อื่นช่วยในการดูแลหรือเป็นเพื่อนผู้ป่วยในการเข้ารับการรักษาหรือไม่?

.....

.....

.....

.....

8. ปัจจุบันสมาชิกในครอบครัวของท่านมีรายได้รวมกันประมาณเดือนละกี่บาท บาท/เดือน

ข้อมูลทั่วไปของผู้ดูแลหลัก

(ผู้ดูแลหลักที่เหมาะสมที่สุดในการให้สัมภาษณ์ คือ ผู้ปกครองที่ตัดสินใจหรือร่วมตัดสินใจในกระบวนการดูแลรักษาผู้ป่วย ตั้งแต่เริ่มต้น)

1. โปรดระบุความสัมพันธ์ระหว่างท่านและผู้ป่วย.....

2. ที่อยู่ปัจจุบัน จังหวัด.....

() 1. ในเขตเทศบาล () 2. นอกเขตเทศบาล

3. ปัจจุบันท่านมีอายุ ปี

4. ปัจจุบันท่านประกอบอาชีพอะไร

() 1. เกษตรกรรม / ประมง () 2. ค้าขาย

() 3. รับจ้างทั่วไป () 4. ข้าราชการ / พนักงานราชการ / ลูกจ้างหน่วยงานรัฐ

() 5. พนักงานรัฐวิสาหกิจ () 6. พนักงานบริษัท / ลูกจ้างบริษัทเอกชน

() 7. ธุรกิจส่วนตัว () 8. นักเรียน / นักศึกษา

() 9. แม่บ้าน / พ่อบ้าน () 10. เกษียณ

() 11. ไม่ได้ประกอบอาชีพ () 12. อื่น ๆ โปรดระบุ

5. ระดับการศึกษา (หรือกำลังศึกษา)

- () 1. ต่ำกว่าประถมศึกษา () 2. ประถมศึกษา
() 3. มัธยมศึกษา / เทียบเท่า () 4. อนุปริญญา
() 5. ปริญญาตรี () 6. สูงกว่าปริญญาตรี

6. สมาชิกในครอบครัวมีใครบ้าง

.....

.....

ข้อมูลทั่วไปของผู้ป่วยที่อยู่ในการดูแล

7. ปัจจุบัน อายุของผู้ป่วย.....ปี ศึกษาอยู่ชั้น

8. เพศของผู้ป่วย

- () 1. ชาย () 2. หญิง

9. ผู้ป่วยมีพี่หรือน้องจำนวนกี่คน

- () 1. ไม่มีพี่น้อง (ข้ามไปคำถามข้อ12) () 2. มี โปรดระบุ พี่.....คนและ/หรือน้อง.....คน

10. ผู้ป่วยมีพี่หรือน้องที่เป็นโรคโกเชอร์หรือไม่

- () 1. ไม่มี () 2. มี โปรดระบุ พี่.....คนและ/หรือน้อง.....คน

11. ผู้ป่วยได้รับการรักษาโรคโกเชอร์เป็นระยะเวลาานานกี่ปี กี่เดือน?

12. ปัจจุบันผู้ป่วยใช้สิทธิใดในการรักษาพยาบาล (สิทธิหลัก 1สิทธิ)

- () 1. ข้าราชการ / รัฐวิสาหกิจ () 2. ประกันสุขภาพถ้วนหน้า (บัตรทอง)
() 3. ประกันสังคม () 4. จ่ายเอง / ไม่มีสิทธิใด ๆ
() 5. ประกันสุขภาพเอกชน / ประกันชีวิต () 6. อื่น ๆโปรดระบุ.....

13. ท่านให้การดูแลผู้ป่วยประมาณวันละกี่ชั่วโมง สัปดาห์ละกี่วัน? มีผู้อื่นช่วยในการดูแลผู้ป่วยหรือไม่?

.....

.....

.....

14. ปัจจุบันสมาชิกในครอบครัวของผู้ป่วยมีรายได้รวมกันประมาณเดือนละกี่บาท บาท/เดือน

ส่วนที่ 2 คุณภาพชีวิต

กรุณาทำเครื่องหมาย ✓ ในช่อง ของคำถามแต่ละข้อที่ตรงกับภาวะสุขภาพของท่านในวันนี้มากที่สุด

1. การเคลื่อนไหว

- 1. ข้าพเจ้าไม่มีปัญหาในการเดิน
- 2. ข้าพเจ้ามีปัญหาในการเดินบ้าง
- 3. ข้าพเจ้าไม่สามารถไปไหนได้ และจำเป็นต้องอยู่บนเตียง

2. การดูแลตนเอง

- 1. ข้าพเจ้าไม่มีปัญหาในการดูแลตนเอง
- 2. ข้าพเจ้ามีปัญหาในการอาบน้ำหรือการแต่งตัวบ้าง
- 3. ข้าพเจ้าไม่สามารถอาบน้ำหรือแต่งตัวด้วยตนเองได้

3. กิจกรรมที่ทำเป็นประจำ (เช่น การทำงาน, การเรียนหนังสือ, การทำงานบ้าน การทำกิจกรรมในครอบครัว หรือ การทำกิจกรรมยามว่าง)

- 1. ข้าพเจ้าไม่มีปัญหาในการทำกิจกรรมที่ทำเป็นประจำ
- 2. ข้าพเจ้ามีปัญหาในการทำกิจกรรมที่ทำเป็นประจำอยู่บ้าง
- 3. ข้าพเจ้าไม่สามารถทำกิจกรรมที่ทำเป็นประจำได้

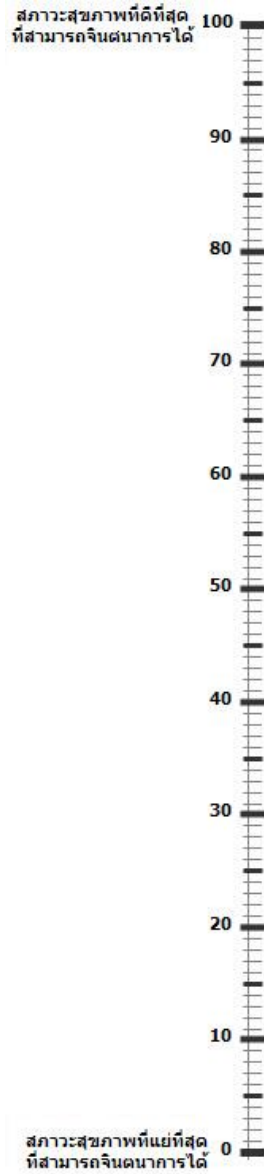
4. ความเจ็บปวด/ความไม่สบาย

- 1. ข้าพเจ้าไม่มีอาการเจ็บปวดหรืออาการไม่สบาย
- 2. ข้าพเจ้ามีอาการเจ็บปวดหรืออาการไม่สบายปานกลาง
- 3. ข้าพเจ้ามีอาการเจ็บปวดหรืออาการไม่สบายมากที่สุด

5. ความวิตกกังวล/ ความซึมเศร้า

- 1. ข้าพเจ้าไม่รู้สึกรู้สีกวิตกกังวลหรือซึมเศร้า
- 2. ข้าพเจ้ารู้สึกรู้สีกวิตกกังวลหรือซึมเศร้าปานกลาง
- 3. ข้าพเจ้ารู้สึกรู้สีกวิตกกังวลหรือซึมเศร้ามากที่สุด

แบบประเมินภาวะสุขภาพของท่านในวันนี้ เราได้จัดทำไม้บรรทัดวัดระดับสุขภาพขึ้น เริ่มตั้งแต่ระดับ 0 ถึง 100 โดย 0 หมายถึงภาวะสุขภาพที่แย่ที่สุดตามความคิดของท่าน (เสียชีวิต) 100 หมายถึงภาวะสุขภาพที่ดีที่สุดตามความคิดของท่าน ขอให้ท่านกา ✕ บนไม้บรรทัดตรงระดับคะแนนสุขภาพของท่านในวันนี้ และกรุณาระบุระดับคะแนนเป็นตัวเลขไว้ข้าง ๆ



ส่วนที่ 3 ค่าใช้จ่ายในการเข้ารับการรักษาพยาบาล

คำถามต่อไปนี้ให้ ผู้ป่วย หรือ ผู้ดูแลผู้ป่วย ประมาณค่าใช้จ่ายในการเข้ารับการรักษาพยาบาลโรคโคโรน่าส่วนเพิ่มจากสิทธิสวัสดิการรักษพยาบาล หรือค่าใช้จ่ายปกติ

กรณีรักษาแบบผู้ป่วยใน

1. ค่าเดินทางไป-กลับของผู้ป่วยโดยเฉลี่ย บาท/ครั้ง (กรณีเดินทางไป-กลับพร้อมญาติ/ผู้ดูแล ให้คิดค่าเฉลี่ยต่อคน)
2. การดูแลผู้ป่วยที่โรงพยาบาลของญาติ/ผู้ดูแลที่มาดูแลผู้ป่วยระหว่างนอนโรงพยาบาล
 - 2.1 ญาติ/ผู้ดูแลคนที่ (หลัก) อายุ..... ปี เพศ.....
 - 2.1.1 ความถี่ในการดูแล () ทุกวัน () วันเว้นวัน () สัปดาห์ละ..... วัน
 - 2.1.2 ระยะเวลาที่ใช้ต่อวัน () มากกว่าครึ่งวันหรือเต็มวัน () ครึ่งวัน หรือน้อยกว่าครึ่งวัน
 - 2.1.3 ค่าเดินทางไป-กลับโรงพยาบาลโดยเฉลี่ยต่อครั้ง..... บาท
 - 2.1.4 จำนวนครั้งที่ไป-กลับ (ไปและกลับ นับเป็นหนึ่งครั้ง) ครั้ง
 - 2.1.5 การประกอบอาชีพ () ไม่ได้ทำงาน เพราะต้องดูแลผู้ป่วย
() หยุดงานชั่วคราว สูญเสียรายได้เฉลี่ยบาท/ครั้งที่มาดูแลผู้ป่วยที่โรงพยาบาล
() ไม่ขาดงาน
3. ค่าอาหารส่วนที่เพิ่มขึ้นจากชีวิตปกติของผู้ป่วยที่มารับการรักษาที่โรงพยาบาล เท่ากับ บาท/วัน
4. ค่าอาหารส่วนที่เพิ่มขึ้นของญาติ/ผู้ดูแลที่พาผู้ป่วยมารับการรักษาที่โรงพยาบาลเท่ากับ..... บาท/วัน

กรณีรักษาแบบผู้ป่วยนอก

1. การเดินทางไป-กลับโรงพยาบาล
 - () ผู้ป่วยมาคนเดียว ค่าเดินทางของผู้ป่วยรวม บาท/ครั้ง (ไปและกลับ)
 - () ผู้ป่วยมีญาติ/ผู้ดูแลมาด้วย ค่าเดินทางพร้อมกันรวม.....บาท/ครั้ง
ค่าเดินทางแยก ผู้ป่วย..... บาท/ครั้ง (ไปและกลับ)
ญาติ/ผู้ดูแล..... บาท/ครั้ง (ไปและกลับ)
2. การขาดงานเนื่องจากการมารับการรักษาที่โรงพยาบาล
ผู้ป่วย () ไม่ได้ทำงาน เพราะต้องมารับการรักษาที่โรงพยาบาล
 - () หยุดงานชั่วคราว สูญเสียรายได้เฉลี่ย บาท/ครั้งที่มาดูแลผู้ป่วยที่โรงพยาบาล
 - () ไม่ขาดงาน

3. ระยะเวลาที่ใช้ในการมาพบแพทย์ที่โรงพยาบาลในแต่ละครั้ง (รวมระยะเวลาเดินทางไป-กลับ)

() ครึ่งวัน หรือน้อยกว่าครึ่งวัน () มากกว่าครึ่งวัน หรือเต็มวัน () มากกว่าหนึ่งวัน
4. ค่าอาหารส่วนที่เพิ่มขึ้นจากชีวิตปกติของผู้ป่วยที่มารับการรักษาที่โรงพยาบาลเท่ากับ บาท/วัน
5. ค่าอาหารส่วนที่เพิ่มขึ้นจากชีวิตปกติของญาติ/ผู้ดูแลที่พาผู้ป่วยมารับการรักษาที่โรงพยาบาลเท่ากับ บาท/วัน
6. ในการมารับการรักษาที่โรงพยาบาล ผู้ป่วยต้องจ่ายค่าที่พักหรือไม่

() ไม่มีการค้างคืน () ค้างคืนแต่ไม่ต้องจ่ายที่พัก จำนวน คืน

() ค้างคืน และจ่ายที่พัก จำนวน คืน ค่าที่พักประมาณ บาท/คืน
7. ในการมารับการรักษา ญาติต้องเสียค่าที่พักหรือไม่

() ไม่มีการค้างคืน () ค้างคืนแต่ไม่ต้องจ่ายที่พัก จำนวน คืน

() ค้างคืน และจ่ายที่พักร่วมกับผู้ป่วย จำนวน คืน ค่าที่พักประมาณ บาท/คืน

() ค้างคืน และจ่ายที่พักแยกกับผู้ป่วย จำนวน คืน ค่าที่พักประมาณ บาท/คืน

ต้นทุนที่เกิดกับผู้ป่วยและญาตินอกโรงพยาบาล

1. หลังจากมารับการรักษาในโรงพยาบาล ผู้ป่วยเคยมีอาการป่วยจนต้องได้รับการดูแลเป็นพิเศษที่บ้านหรือหยุดงานหรือไม่

() ไม่เคย () เคย มีระยะเวลาที่หยุดงานเพราะป่วยจำนวน วัน โดยที่มีญาติคอยดูแล วัน
2. หลังจากรับการรักษาพยาบาล ต้องมีการปรับเปลี่ยนสภาพที่บ้านเพื่อให้สะดวกต่อการดำรงชีวิตประจำวันของผู้ป่วย หรือซื้ออุปกรณ์พิเศษ เพื่อลดปัญหาจากการป่วยหรือไม่

() ไม่

() มี ซื้อสิ่งอำนวยความสะดวก เช่น เตียงนอน เก้าอี้ ไม้เท้า ฯลฯ รวมเป็นเงินจำนวน บาท

() มี การปรับเปลี่ยนสภาพภายในบ้าน เช่น ต่อเติมบ้าน เปลี่ยนบันได เพิ่มราวจับบันได เพิ่มราวจับในห้องน้ำ เปลี่ยนพื้นบ้าน ฯลฯ รวมเป็นเงินจำนวน บาท
3. หลังการเข้ารับการรักษาพยาบาลที่โรงพยาบาล มีการจ้างผู้ดูแลที่บ้านหรือไม่ เช่น พยาบาลพิเศษ ผู้ดูแลผู้ป่วย

() ไม่มีการจ้าง () มีการจ้าง เป็นเงินเฉลี่ย..... บาท/เดือน
4. นอกเหนือจากผู้ป่วยมารับการรักษาที่โรงพยาบาลนี้แล้ว ยังไปรับการรักษาจากแหล่งอื่นร่วมด้วยหรือไม่

() ไม่

() รักษาที่โรงพยาบาลหรือคลินิกอื่น ชื่อ.....

เสียค่าใช้จ่ายเป็นจำนวนเงิน..... บาท/ปี

- () ซื้อมาจากร้านขายยา เสียค่าใช้จ่ายเป็นจำนวนเงิน บาท/ปี
- () ซื้อมาแผนโบราณ หรือสมุนไพร เสียค่าใช้จ่ายเป็นจำนวนเงิน..... บาท/ปี
- () ซื้อมาอาหารเสริม อาหารทางการแพทย์อื่น ๆ ที่หาซื้อเองนอกโรงพยาบาล
เสียค่าใช้จ่ายเป็นจำนวนเงิน..... บาท/ปี
- () อื่น ๆ โปรดระบุ เสียค่าใช้จ่ายเป็นจำนวนเงิน.....
บาท/ปี

ต้นทุนทางตรงทางการแพทย์ในโรงพยาบาล

แบบบันทึกข้อมูลทางคลินิกและทรัพยากรต้นทุนทางตรงทางการแพทย์ในโรงพยาบาล (ผู้ป่วยโรคโคโรน่า ชนิดที่ 1 และ 3)



HN: โรงพยาบาล:


เพศ: () 1.ชาย () 2.หญิง วัน/เดือน/ปี (พ.ศ.) เกิด:/...../.....

แพทย์/เจ้าหน้าที่ ประสานงาน: ผู้เก็บข้อมูล.....

	D	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10	11	12	13	14	15	16	17	18	19	20	21	22	23	24	25	26	27	28	29	30	31
M																																
1																																
2																																
3																																
4																																
5																																
6																																
7																																
8																																
9																																
10																																
11																																
12																																

Remark

Symbol:  Start Date  Admitted

จำนวน ___ ครั้ง  Death

D

D/C

จำนวน ___ ครั้ง

F

F/U

จำนวน ___ ครั้ง

แบบบันทึกข้อมูลทางคลินิกและทรัพยากรต้นทุนทางตรงทางการแพทย์ในโรงพยาบาล:

HN.....

วัน/ เดือน/ ปี (พ.ศ.) เกิด:/...../.....

เพศ () 1.ชาย () 2.หญิง

() 1.ประกันสุขภาพถ้วนหน้า () 2.เบิกได้ (ข้าราชการ/ รัฐวิสาหกิจ) () 3.ประกันสังคม

() 4.ชำระเงินเอง () 5.ประกันสุขภาพเอกชน () 6.อื่นๆ ระบุ.....

วัน/ เดือน/ ปี (พ.ศ.) ที่ได้รับยาครั้งแรก:/...../.....

โรคที่ได้รับการวินิจฉัย

() 1. โภชน์ชนิดที่ 1

() 2. โภชน์ชนิดที่ 3

() 3. โรคร่วมอื่นๆ.....

ยาที่ได้รับ (เฉพาะยาที่เกี่ยวข้องกับโรคที่ได้รับการวินิจฉัย)

	ชื่อยา/เวชภัณฑ์ และขนาด	จำนวน/หน่วย	วิธีใช้
1			
2			
3			
4			
5			
6			
7			
8			
9			
10			

รายการหักถดถาวร

- () ระบุ.....เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ระบุ.....เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ระบุ.....เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ระบุ.....เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ระบุ.....เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง

รายการอื่น ๆ

- () ค่าห้องพักในโรงพยาบาล (IPD)..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ค่าห้องพักในหอผู้ป่วยวิกฤติ (ICU).....บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ค่าอาหารในรายการของโรงพยาบาล (IPD).....บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ค่าจ้างพยาบาลดูแลพิเศษ ราคา..... บาท/วัน จำนวน..... ครั้ง
- () อื่นๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () อื่นๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () อื่นๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () อื่นๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง

ยาและเวชภัณฑ์

	ชื่อยา/เวชภัณฑ์ และขนาด	จำนวน/หน่วย	วิธีใช้
1			
2			
3			
4			
5			
6			
7			
8			
9			
10			

ข้อมูลการเสียชีวิตของผู้ป่วย

HN:.....

วัน/ เดือน/ ปี (พ.ศ.) ที่ผู้ป่วยเสียชีวิต...../...../.....

สาเหตุของการเสียชีวิต:.....

ข้อมูลการจำหน่ายผู้ป่วย (Discharge)

HN.....

วัน/ เดือน/ ปี (พ.ศ.) ที่ผู้ป่วยออกจากโรงพยาบาล...../...../.....

สภาวะของผู้ป่วย

() หายเป็นปกติ

() ยังมีอาการตีบม้ามโต

() ยังมีอาการเกล็ดเลือดต่ำ

() ยังมีอาการฟกช้ำง่าย เลือดออกง่าย

() ยังมีอาการทางระบบประสาทส่วนกลาง เช่น ตาเหล่ ชัก

() ยังมีอาการแพ้เอนไซม์/ยา (ระบุ).....

() อื่น ๆ (ระบุ).....

ยา/ เวชภัณฑ์ ที่ได้รับ

	ชื่อยา/เวชภัณฑ์ และขนาด	จำนวน/หน่วย	วิธีใช้
1			
2			
3			
4			
5			
6			
7			
8			
9			
10			

ข้อมูลการติดตามการรักษาผู้ป่วย (Follow up)

HN.....

รายการรักษาพยาบาล (ต่อ 1 ครั้ง)

- () ค่าธรรมเนียมบริการทางการแพทย์..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ค่าธรรมเนียมทำเวชระเบียน / ค่าทำบัตร บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ค่าธรรมเนียมอื่น ๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ค่าธรรมเนียมอื่น ๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ค่าธรรมเนียมอื่น ๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ค่าธรรมเนียมอื่น ๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง

รายการตรวจทางห้องปฏิบัติการ

- () serum urea..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () serum glucose บาท จำนวน..... ครั้ง
- () bicarbonate..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () CBC..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () electrolyte..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () SGOT..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () SGPT..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () alkaline phosphatase..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () อื่นๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () อื่นๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () อื่นๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () อื่นๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง

รายการหัตถการ

- () ระบุ.....เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ระบุ.....เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ระบุ.....เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ระบุ.....เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง

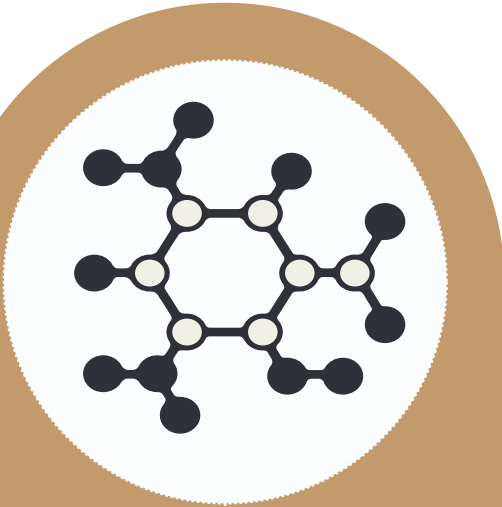
รายการอื่น ๆ

- () ค่าห้องพักในโรงพยาบาล (IPD)..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ค่าห้องพักในหอผู้ป่วยวิกฤติ (ICU)..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ค่าอาหารในรายการของโรงพยาบาล (IPD)..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () ค่าจ้างพยาบาลดูแลพิเศษ ราคา..... บาท/วัน จำนวน..... ครั้ง
- () อื่นๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง

- () อื่นๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () อื่นๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () อื่นๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง
- () อื่นๆ (ระบุ)เป็นเงิน..... บาท จำนวน..... ครั้ง

ยาและเวชภัณฑ์

	ชื่อยา/เวชภัณฑ์ และขนาด	จำนวน/หน่วย	วิธีใช้
1			
2			
3			
4			
5			
6			
7			
8			
9			
10			



โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ

ชั้น 6 อาคาร 6 กรมอนามัย กระทรวงสาธารณสุข

ถ.ติวานนท์ อ.เมือง จ.นนทบุรี 11000

โทรศัพท์ 02-590-4549, 02-590-4374-5 โทรสาร 02-590-4369

www.hitap.net E-mail: hitap@hitap.net