

รายงานฉบับสมบูรณ์

กระบวนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อและการจัดลำดับความสำคัญของหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพ เข้าสู่กระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ภายใต้ระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (UCBP 2566)

Topic selection and priority setting processes for including new health technologies and interventions into the UHC benefit package – UCBP 2023

มกราคม 2567

โดย

กุมารี พชณี / Kumaree Pachanee

ชนิดา เอกอัครรุ่งโรจน์ / Chanida Ekakkararungroj

นิชาติ มุสคำ / Nicha Moonkham

เดอริลลินฉวี ประทุมสุวรรณ / Sherilyn Pratumswan

ดร. ภญ.ปฤชชพร ทิ่งแก้ว / Pritaporn Kingkaew, PhD.

รศ. ดร.วรรณฤดี อิศรานุวัฒน์ชัย / Wanrudee Isaranuwatchai, PhD.

โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ

(Health Interventions and Technology Assessment Program: HITAP)



โครงการนี้ได้รับทุนอุดหนุนจากสถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข (สวรส.)
ความเห็นและข้อเสนอแนะที่ปรากฏในเอกสารนี้เป็นของผู้วิจัย
มิใช่ความเห็นของสถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข



รายงานฉบับสมบูรณ์

กระบวนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อและการจัดลำดับความสำคัญของหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพ เข้าสู่กระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ ภายใต้ระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (UCBP 2566)

Topic selection and priority setting processes for including new health technologies and interventions into the UHC benefit package – UCBP 2023

คณะผู้วิจัย

นางสาวกุมารี พัชณี/ Kumaree Pachanee

นางสาวชนิดา เอกอัครรุ่งโรจน์/ Chanida Ekakkararungroj

นางสาวนิชาต์ มุลคำ/ Nicha Moonkham

นางสาวเมอริลินธุ์ ประทุมสุวรรณ/ Sherilyn Pratumswan

ดร. ภาณุ.ปฤษฎพร กิ่งแก้ว/ Pritaporn Kingkaew, PhD.

รศ. ดร.วรรณฤดี อิศรานุวัฒน์ชัย/ Wanrudee Isaranuwatthai, PhD.

โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ

(Health Interventions and Technology Assessment Program)

“โครงการนี้ได้รับทุนอุดหนุนจากสถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข (สวรส.)”
ความเห็นและข้อเสนอแนะที่ปรากฏในเอกสารนี้เป็นของผู้วิจัย

ธันวาคม 2566



รายงานฉบับสมบูรณ์

กระบวนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อและการจัดลำดับความสำคัญของหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพ เข้าสู่กระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ ภายใต้ระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (UCBP 2566)

Topic selection and priority setting processes for including new health technologies and interventions into the UHC benefit package – UCBP 2023

คณะผู้วิจัย

นางสาวกุมารี พัทณี	โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ
นางสาวชนิดา เอกอัครรุ่งโรจน์	โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ
นางสาวนิชาต์ มูลคำ	โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ
นางสาวเมอริลิณณ์ ประทุมสุวรรณ	โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ
ดร. ภาณุ.ปฤษฎัฏพร กิ่งแก้ว	โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ
รศ. ดร.วรรณฤดี อิศรานุกวัฒน์ชัย	โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ

“โครงการนี้ได้รับทุนอุดหนุนจากสถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข (สวรส.)”
ความเห็นและข้อเสนอแนะที่ปรากฏในเอกสารนี้เป็นของผู้วิจัย

ธันวาคม 2566

กิตติกรรมประกาศ

คณะผู้วิจัยขอขอบพระคุณผู้เชี่ยวชาญ นักวิชาการ ผู้มีส่วนได้ส่วนเสียทุกภาคส่วน และสำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (สปสช.) ที่ร่วมในการประชุมและให้ข้อคิดเห็นตลอดกระบวนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อและการจัดลำดับความสำคัญของหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพ เข้าสู่กระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ ภายใต้ระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (UCBP 2566)

สุดท้ายนี้ขอขอบพระคุณสถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข (สวรส.) ผู้สนับสนุนทุนแก่โครงการฯ ทั้งนี้ ผลการศึกษา การตีความ และข้อสรุปที่ได้จากโครงการวิจัยชิ้นนี้ไม่ได้แสดงทัศนะของหน่วยงานผู้ให้ทุนแต่อย่างใด

คณะผู้วิจัย

ธันวาคม 2566

บทสรุปสำหรับผู้บริหาร

ประเทศไทยประกาศใช้พระราชบัญญัติหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ ในปี พ.ศ. 2545 พระราชบัญญัติดังกล่าวมีขึ้นเพื่อจัดให้มีชุดสิทธิประโยชน์ด้านสาธารณสุขที่มีคุณภาพมาตรฐาน และให้บริการครอบคลุมในกลุ่มประชากรกว่าร้อยละ 75 ที่ไม่ได้อยู่ในสิทธิสวัสดิการรักษายาบาลข้าราชการหรือสิทธิประกันสังคม ด้วยสถานะสุขภาพที่เปลี่ยนแปลง และความก้าวหน้าของเทคโนโลยีทางการแพทย์อย่างรวดเร็ว ชุดสิทธิประโยชน์ด้านสาธารณสุขจึงควรได้รับการพัฒนาให้เหมาะสม มีความทันสมัยและพร้อมรองรับสถานการณ์และภัยคุกคามด้านสุขภาพใหม่ๆ ที่อาจเกิดขึ้น ดังนั้น เพื่อให้ประชาชนได้รับบริการสาธารณสุขที่จำเป็นและดำรงชีวิตอย่างมีคุณภาพ กระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ด้านสาธารณสุขจึงมีความสำคัญอย่างยิ่ง

เพื่อสนับสนุนให้เกิดกระบวนการดังกล่าวข้างต้น โครงการวิจัยนี้จึงได้ดำเนินการกระบวนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อและการจัดลำดับความสำคัญของหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพ เข้าสู่กระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ ภายใต้ระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (UCBP 2566) โดยมีวัตถุประสงค์เพื่อคัดเลือกหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพและจัดลำดับความสำคัญเบื้องต้นของหัวข้อ UCBP และหัวข้อปัญหาโรคหายาก (rare disease) ซึ่งการดำเนินงานประยุกต์ใช้ 4 หลักการ ได้แก่ 1) Systematic process คือ มีกระบวนการดำเนินงานที่เป็นระบบและมีรายละเอียดขั้นตอนที่ชัดเจน 2) Transparent process คือ มีการดำเนินงานที่โปร่งใส ตรวจสอบได้ 3) Participatory process คือ การเข้ามามีส่วนร่วมจากทุกภาคส่วน ทุกขั้นตอนในกระบวนการเน้นให้ผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย เครือข่ายทีมวิจัยและนักวิชาการได้เข้ามามีส่วนร่วมในกระบวนการ และ 4) Evidence informed policy development คือ การมีข้อมูลหลักฐานเชิงประจักษ์ในการสนับสนุนเชิงนโยบาย

การดำเนินงานภายใต้โครงการ UCBP 2566 ได้ผลสรุปจากการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อและผ่านจัดลำดับความสำคัญของหัวข้อ UCBP ตามเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ จำนวน 8 หัวข้อ และผลสรุปจากการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อและผ่านการจัดลำดับความสำคัญของหัวข้อโรคหายาก (rare disease) ตามเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก จำนวน 10 หัวข้อ ในขั้นตอนต่อไปหัวข้อ UCBP และหัวข้อโรคหายาก ที่ผ่านการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อและผ่านจัดลำดับความสำคัญ จะเข้าสู่กระบวนการสรรหาทีมวิจัยเพื่อทำการศึกษาวิจัย และผลการศึกษาที่ได้จะใช้ในการพิจารณาและตัดสินใจเชิงนโยบายในการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ ภายใต้ระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติต่อไป

คำสำคัญ ชุดสิทธิประโยชน์, การคัดเลือกหัวข้อ, ระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ, โรคหายาก, ประเทศไทย

Executive summary

The National Health Security Act B.E. 2545 promulgated in November 2002 stipulated the establishment of the National Health Security Office (NHSO) of Thailand to provide universal access to quality health care services at least 75% of the population particularly in the informal sector who are neither Civil Servant Medical Benefit Scheme (CSMBS) nor Social Security Scheme (SSS) beneficiaries. With the rapid changes in health priorities and development of new health technologies, there is an urgent need to continuously update and improve the list of health benefit package to address the new health threats and public health challenges. This system will result in more equitable access to essential and quality health care services to improve health and well-being and better quality of life to all Thai citizens.

To achieve the Universal Health Coverage (UHC) goals in equitable access to essential health care services regardless of individual's income or socioeconomic status, this research program continued a process of priority setting with topic nomination and topic selection through the four key principles of: 1) systematic process; 2) transparency; 3) multi-stakeholder participation; and 4) evidence-informed policy development. Seven groups of key stakeholders including the general population, CSOs and key affected population participated in the topic nomination process and four groups of key stakeholders engaged with the topic selection Working Group.

In fiscal year 2023, 8 topics of the new health technologies and 10 topics of rare disease were selected as the priorities for conducting rapid and full economic evaluation and health technology assessment (HTA) with budget impact analyses. Findings from these reviews will be used as an input for consideration and early review by health economic WG before being sent to research networks so studies related to each topic can be properly studied. Subsequently, when studies are done, the research findings will be used by relevant groups to inform a final decision on the new list of health benefit package of the Thai UHC scheme.

Keywords: health benefit package, topic selection, universal health coverage, rare disease, Thailand

สารบัญ

1. หลักการและเหตุผล.....	1
1.1 การสนับสนุนกระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ.....	1
1.2 การสนับสนุนกระบวนการพัฒนาหัวข้อโรคหายาก.....	3
2. วัตถุประสงค์.....	4
3. การทบทวนวรรณกรรม.....	4
3.1 กระบวนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อและจัดลำดับความสำคัญในต่างประเทศ.....	4
3.2 กระบวนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก.....	8
3.3 ข้อมูลการทบทวนโรคหายากในต่างประเทศ.....	9
4. กรอบแนวคิดการวิจัย (Conceptual framework).....	11
5. ผลการดำเนินงาน.....	12
5.1 หัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพ UCBP ปี 2566.....	12
5.1.1 พิจารณาคัดเลือกหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพและจัดลำดับความสำคัญเบื้องต้นของหัวข้อ UCBP ปี 2566 ตามเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ.....	12
5.1.2 สรุปหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพของหัวข้อ UCBP ที่ผ่านการจัดลำดับความสำคัญเสนอต่อที่ประชุมคณะทำงานคัดเลือกหัวข้อฯ และคณะอนุกรรมการกำหนดประเภทและขอบเขตบริการฯ.....	15
5.2 หัวข้อปัญหาของโรคหายาก.....	19
5.2.1 เกณฑ์การจัดลำดับความสำคัญและการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก.....	19
5.2.2 พิจารณาคัดเลือกหัวข้อปัญหาและจัดลำดับความสำคัญเบื้องต้นของหัวข้อโรคหายาก (rare disease) ตามเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก.....	19
5.2.3 สรุปหัวข้อปัญหาของโรคหายาก ที่ผ่านการจัดลำดับความสำคัญ เสนอต่อที่ประชุมคณะทำงานคัดเลือกหัวข้อฯ หรือคณะทำงานโรคหายากฯ และคณะอนุกรรมการกำหนดประเภทและขอบเขตบริการฯ.....	23
6. สรุปผลการดำเนินงาน.....	26
7. รายการเอกสารแนบ.....	26
8. เอกสารอ้างอิง.....	28

สารบัญตาราง

ตารางที่ 1 ประเภทของเทคโนโลยี คณะกรรมการที่ทำการประเมินฯ และชุดสิทธิประโยชน์ที่เทคโนโลยีจะถูกบรรจุหลังจากได้รับการประเมินแล้ว ⁽⁴⁾	4
ตารางที่ 2 รายงานผลการทบทวนวรรณกรรมของหัวข้อ UCBP ปี 2566.....	14
ตารางที่ 3 สรุปคะแนนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ UCBP ปี 2566.....	16
ตารางที่ 4 รายงานผลการทบทวนวรรณกรรมของหัวข้อโรคหายาก.....	20
ตารางที่ 5 สรุปหัวข้อปัญหาโรคหายากที่เรียงตามลำดับคะแนน	24

สารบัญรูปภาพ

ภาพที่ 1 กรอบการวิจัย.....	12
----------------------------	----

1. หลักการและเหตุผล

ประเทศไทยได้เข้าสู่การมีหลักประกันสุขภาพถ้วนหน้า เมื่อรัฐบาลไทยประกาศเป็นนโยบายในปี พ.ศ. 2544 และรัฐสภาได้ลงมติเห็นชอบร่างพระราชบัญญัติหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ พ.ศ. 2545 ซึ่งมีวัตถุประสงค์ที่สำคัญ คือ เพื่อจัดให้มีระบบบริการสาธารณสุขที่จำเป็นและการดำรงชีวิตอย่างมีคุณภาพของประชาชน โดยมีองค์กรที่มีส่วนร่วมระหว่างภาครัฐและภาคประชาชน คือ สำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ⁽¹⁾ ทำหน้าที่กำกับดูแลเพื่อให้ประชาชนประมาณร้อยละ 75 ของประชากรทั้งประเทศที่ไม่ใช่สิทธิสวัสดิการรักษายาบาลข้าราชการหรือสิทธิประกันสังคม มีสิทธิได้รับบริการสาธารณสุขที่มีมาตรฐานอย่างถ้วนหน้า⁽²⁾

การมีระบบหลักประกันสุขภาพถ้วนหน้า นอกจากจะทำให้การดูแลสุขภาพและการเข้าถึงการรักษาพยาบาลที่จำเป็นมีความครอบคลุมเพิ่มขึ้นแล้ว ยังมีคุณูปการในการลดภาระค่าใช้จ่ายด้านสุขภาพทั้งในระดับครัวเรือนและระดับประเทศ รวมทั้งสร้างความเป็นธรรมในระบบสุขภาพ แต่ในกระบวนการกำหนดประเด็นปัญหาและข้อเสนอเชิงนโยบายที่จะเพิ่มหรือขยายสิทธิประโยชน์นั้น เป็นการพิจารณาตัดสินใจจากคนเพียงกลุ่มเดียวในรูปแบบการอภิปรายภายใน หรือการนำหลักฐานทางวิชาการมาใช้ในกระบวนการตัดสินใจพิจารณาสิทธิประโยชน์ที่มีอยู่ ซึ่งอาจไม่ครอบคลุมมาตรการด้านสุขภาพที่จำเป็นบางอย่าง หรือการกระจายตัวของการให้บริการไม่เพียงพอและไม่เหมาะสม ส่งผลให้เกิดปัญหาการเข้าถึงบริการของประชาชน รวมถึงการเข้าถึงมาตรการด้านสุขภาพบางอย่างที่มีราคาแพงได้

ในการดำเนินงานของโครงการวิจัยครั้งนี้ จะดำเนินการใน 2 ส่วน คือ 1) การสนับสนุนกระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ และ 2) การสนับสนุนกระบวนการพัฒนาหัวข้อโรคหายาก

1.1 การสนับสนุนกระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ

เนื่องจากทรัพยากรด้านสุขภาพมีจำกัด การเลือกเทคโนโลยีเข้าสู่ชุดสิทธิประโยชน์ จึงจำเป็นต้องมีกระบวนการทำงานที่เป็นระบบ โปร่งใส และมีหลักฐานทางวิชาการที่เชื่อถือได้ เพื่อให้มีการใช้ทรัพยากรให้มีประสิทธิภาพมากที่สุด โดยกระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ภายใต้ระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ หรือโครงการ UCBP (Universal Coverage Benefit Package) เป็นการทำงานที่เน้นการสนับสนุนกระบวนการเสนอหัวข้อปัญหา การจัดลำดับความสำคัญและการคัดเลือกหัวข้อ โดยเน้นการมีส่วนร่วมจากทุกภาคส่วน เพื่อเข้าสู่กระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ ซึ่งจะพิจารณาเฉพาะเทคโนโลยีด้านสุขภาพที่ไม่ใช่ยา ซึ่งกระบวนการ UCBP ประกอบด้วยหลายขั้นตอน ตั้งแต่การรับฟังความเห็นและข้อเสนอจากผู้มีส่วนได้ส่วนเสียทุกภาคส่วน เพื่อกำหนดประเด็นหัวข้อบริการสุขภาพและ/หรือเทคโนโลยีทางการแพทย์และสาธารณสุข การวิเคราะห์สถานการณ์ปัญหาและความจำเป็นด้านสุขภาพ การรวบรวมข้อมูลและการศึกษาทางวิชาการ รวมทั้งปัจจัยอื่นๆ ที่เกี่ยวข้อง เพื่อนำไปสู่การพัฒนาข้อเสนอเชิงนโยบายเข้าสู่การตัดสินใจในการปรับปรุงหรือขยายสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ ตามความจำเป็นด้านสุขภาพและการดำรงชีวิตของประชาชนผู้มีสิทธิ

ยุทธศาสตร์ที่เกี่ยวข้องกับกระบวนการพัฒนาสิทธิประโยชน์ คือ “ยุทธศาสตร์ประเภทและขอบเขตบริการสาธารณสุขที่จำเป็นต่อสุขภาพและการดำรงชีวิตในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ พ.ศ. 2560-2564” ซึ่งประกอบด้วย 4 ยุทธศาสตร์ 9 ยุทธวิธี เพื่อดำเนินการตามพันธกิจ 4 ประการ คือ

- 1) รวบรวม ประเมินความต้องการประเภทและขอบเขตในการให้บริการสาธารณสุข รวมทั้งยาและเวชภัณฑ์ วัคซีน ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ
- 2) พัฒนาและผลักดันให้เกิดประเภทและขอบเขตฯ ใหม่ที่เหมาะสม และปรับปรุงประเภทและขอบเขตบริการที่มีอยู่แล้วให้เกิดการเข้าถึงมากขึ้น
- 3) ติดตามประเมินผลการดำเนินงาน เพื่อให้ประชาชนเข้าถึงการบริการตามประเภทและขอบเขตภายใต้ระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ
- 4) ร่วมขับเคลื่อนการพัฒนาประเภทและขอบเขตฯ และระบบบริการของ 3 กองทุน คือ สวัสดิการรักษายาบาลข้าราชการ ประกันสังคม และประกันสุขภาพถ้วนหน้า ให้มีความเท่าเทียมกัน

คณะอนุกรรมการพัฒนาสิทธิประโยชน์และระบบบริการ ภายใต้คณะกรรมการหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ⁽²⁾ ได้มอบหมายให้สำนักงานพัฒนานโยบายสุขภาพระหว่างประเทศ (IHPP) และโครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ (HITAP) หน่วยงานภายใต้กระทรวงสาธารณสุข ดำเนินโครงการ “การศึกษาเพื่อพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ภายใต้ระบบหลักประกันสุขภาพถ้วนหน้า” หรือ โครงการ UCBP ระยะ 1 ซึ่งดำเนินการตั้งแต่ปี พ.ศ. 2552-2559 โดยเน้นการวิจัยและพัฒนากระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์อย่างเป็นระบบ ให้ครอบคลุมมาตรการด้านสุขภาพที่จำเป็น ทั้งบริการสร้างเสริมสุขภาพและป้องกันโรค การรักษายาบาลและฟื้นฟูสมรรถภาพที่ประชาชนสามารถเข้าถึงได้ บนพื้นฐานของหลักฐานเชิงวิชาการ และภายใต้การมีส่วนร่วมของผู้มีส่วนได้ส่วนเสียกลุ่มต่างๆ⁽³⁾ เพื่อให้ประชาชนสามารถเข้าถึงบริการด้านสุขภาพที่จำเป็นและมีคุณภาพ ต่อมาในปี พ.ศ. 2560-2562 มีการปรับเปลี่ยนรูปแบบวิธีการดำเนินงานและผู้ดำเนินโครงการ “กระบวนการพัฒนาสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ” หรือโครงการ UCBP ระยะ 2 โดยสำนักพัฒนานโยบายและยุทธศาสตร์ สปสช. (ปัจจุบันเปลี่ยนชื่อเป็น สายงานขับเคลื่อนนโยบายและยุทธศาสตร์) เป็นหน่วยงานหลักในการดำเนินการดังกล่าว ซึ่งจากรายงานการทบทวนกระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ พ.ศ. 2560-2562 พบประเด็นที่สำคัญ สรุปได้ดังนี้

- 1) ลักษณะของหัวข้อปัญหา ที่เสนอเข้ามาจากกลุ่มผู้มีส่วนได้ส่วนเสียยังขาดความชัดเจน ไม่ระบุมาตรการที่ต้องการเสนอ หรือไม่ระบุกลุ่มเป้าหมายและข้อบ่งชี้ ทำให้มีหัวข้อปัญหา ที่ชัดเจนผ่านเข้าสู่กระบวนการประเมินเทคโนโลยีค่อนข้างน้อย
- 2) มีหัวข้อคงค้างที่รอทำการศึกษาวิจัยอยู่จำนวนหนึ่ง เนื่องจากนักวิจัยที่สามารถประเมินมาตรการหรือศึกษาวิจัยให้ครอบคลุมประเด็นตามความต้องการของผู้ตัดสินใจมีจำนวนจำกัด
- 3) งานวิจัยที่ดำเนินการแล้วเสร็จ ยังไม่ครอบคลุมประเด็นที่ผู้กำหนดนโยบายหรือผู้ตัดสินใจต้องการ
- 4) ขาดช่องทางการสื่อสารหรือส่งต่อข้อมูลเกี่ยวกับสถานการณ์การดำเนินงานของโครงการที่เป็นปัจจุบัน

สายงานขับเคลื่อนนโยบายและยุทธศาสตร์ สปสช. ได้เล็งเห็นถึงสถานการณ์จากการดำเนินงานที่ผ่านมาของกระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ฯ อีกทั้งคณะกรรมการหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ ได้กำหนดวิสัยทัศน์ว่า “ทุกคนที่อาศัยอยู่บนแผ่นดินไทย ได้รับความคุ้มครองหลักประกันสุขภาพอย่างถ้วนหน้าด้วยความมั่นใจ” โดยมีเป้าประสงค์ 3 ประการ คือ ประชาชนเข้าถึงบริการ การเงินการคลังมั่นคง และดำรงธรรมาภิบาล⁽¹⁾ ดังนั้น เพื่อให้กระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ สอดคล้องกับวิสัยทัศน์ดังกล่าว จึงมอบหมายให้ HITAP เป็นทีมวิชาการดำเนินโครงการ “กระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ภายใต้ระบบหลักประกัน

สุขภาพแห่งชาติ หรือ โครงการ UCBP เนื่องจาก HITAP เป็นหน่วยงานที่ทำงานวิจัยเกี่ยวกับการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพ (Health Technology Assessment: HTA) ทั้งในประเทศไทยและต่างประเทศ มีประสบการณ์ในการดำเนินงานของโครงการ UCBP ตั้งแต่ พ.ศ. 2552-2559 สามารถประสานระหว่างทีมวิจัยกับผู้กำหนดนโยบาย รวมทั้งกลุ่มผู้มีส่วนได้ส่วนเสียต่างๆ โดยยึดหลักการของความโปร่งใสและความเป็นอิสระทางวิชาการ ทั้งนี้ได้มีการปรับเปลี่ยนวิธีการบริหารจัดการให้มีความเหมาะสมและเข้าถึงกลุ่มผู้มีส่วนได้ส่วนเสียมากยิ่งขึ้น มีการจัดทำสื่อประชาสัมพันธ์เพื่อสร้างความรู้ความเข้าใจเกี่ยวกับรายละเอียดโครงการ และแสดงให้เห็นถึงความสำคัญของการเสนอหัวข้อปัญหา เพื่อให้กระบวนการมีความเป็นระบบ น่าเชื่อถือ โปร่งใส ผ่านการมีส่วนร่วมของผู้มีส่วนได้ส่วนเสียและผู้เชี่ยวชาญตลอดทั้งกระบวนการ

ดังนั้น หากการดำเนินงานของโครงการ UCBP มีความต่อเนื่อง โดยมุ่งเน้นการเข้ามามีส่วนร่วมจากทุกภาคส่วนในการเสนอหัวข้อปัญหา การสร้างความรู้ความเข้าใจเกี่ยวกับการเสนอหัวข้อปัญหา และการจัดทำข้อมูลทางวิชาการประกอบการเสนอหัวข้อ รวมทั้งการจัดประชุมแลกเปลี่ยนเรียนรู้งานวิจัยของโครงการ UCBP เพื่อนำเสนอผลการศึกษาและสร้างการมีส่วนร่วมในการสนับสนุนงานวิจัยที่มีผลโดยตรงต่อนโยบาย จะทำให้เกิดสิทธิประโยชน์ใหม่ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ ที่มีความครอบคลุมและเป็นธรรมสำหรับประชาชน เพื่อให้ประชาชนไทยมีสุขภาพดี ตามที่องค์การอนามัยโลกได้มีมติเรื่องสุขภาพว่า “สิทธิที่จะมีสุขภาพดี เป็นสิทธิขั้นพื้นฐานของสิทธิมนุษยชน” รัฐต้องจัดให้มีระบบบริการสาธารณสุขที่มีคุณภาพและได้มาตรฐาน บนพื้นฐานของความเท่าเทียมและทั่วถึง และตอบสนองความต้องการของประชาชน

1.2 การสนับสนุนกระบวนการพัฒนาหัวข้อโรคหายาก

ในปีพ.ศ. 2565 คณะทำงานพัฒนาระบบบริการและประเภทและขอบเขตบริการสาธารณสุขในการดูแลรักษาโรคหายากฯ มีการกำหนดนิยามของโรคหายากซึ่งรวมถึง Rare case และ Ultra rare และเสนอให้ใช้นิยามเป็นเกณฑ์จัดทำรายการโรคหายากสำหรับประเทศไทย ในปี 2565 โดยมอบหมายให้ สปสช. ประสานราชวิทยาลัยและสมาคม เพื่อเสนอรายชื่อโรคหายากตามเกณฑ์การจัดลำดับความสำคัญฯ พร้อมด้วยหลักฐานเชิงประจักษ์ ไม่เกิน 3 โรคต่อหน่วยงาน ทั้งนี้เพื่อเป็นการเพิ่มช่องทางการเสนอหัวข้อของโรคหายาก ซึ่งที่ผ่านมาหัวข้อของโรคหายากเป็นส่วนหนึ่งในกระบวนการ UCBP โดยการเสนอหัวข้อปัญหาโรคหายากเป็นหัวข้อที่กลุ่มผู้มีส่วนได้ส่วนเสียทั้ง 7 กลุ่ม เสนอรวมเข้ามาในแต่ละปีตามเกณฑ์และเงื่อนไขของการเสนอหัวข้อปัญหา แต่ในขั้นตอนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อจะพิจารณาแยกจากหัวข้อ UCBP เนื่องจากเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อจะแตกต่างกัน

ดังนั้น เพื่อให้การดำเนินงานมีความครอบคลุมหัวข้อโรคหายากมากขึ้นและตรงกับเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ ในปีพ.ศ. 2566 ได้มีการแยกกระบวนการดำเนินงานโรคหายากออกจากกระบวนการ UCBP ซึ่งในขั้นตอนการเสนอหัวข้อ สปสช. ได้ส่งหนังสือขอความเห็นไปยังราชวิทยาลัย/สมาคม 50 แห่งในการเสนอหัวข้อปัญหาโรคหายาก และมีราชวิทยาลัย/สมาคมที่เสนอความเห็นเข้ามา 9 แห่งรวมจำนวน 103 หัวข้อ ซึ่ง สปสช. ได้นำข้อมูลมาพิจารณากลับกรองเบื้องต้นเหลือ 26 หัวข้อที่จะนำเข้าสู่กระบวนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ ซึ่งในการดำเนินงานในปี พ.ศ. 2566 สปสช. ได้มอบหมายให้ทีมโครงการ UCBP จัดกระบวนการพัฒนาหัวข้อโรคหายากขึ้น โดยดำเนินการคู่ขนานกับขั้นตอนการดำเนินงานของกระบวนการ UCBP

2. วัตถุประสงค์

วัตถุประสงค์หลัก: เพื่อสนับสนุนกระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ภายใต้ระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติอย่างต่อเนื่อง ให้เป็นระบบ มีความโปร่งใส เกิดการมีส่วนร่วมจากทุกภาคส่วน อยู่บนพื้นฐานของหลักฐานเชิงวิชาการ และมีความยั่งยืน

วัตถุประสงค์ย่อย:

- 1) เพื่อพิจารณาคัดเลือกหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพและจัดลำดับความสำคัญเบื้องต้นของหัวข้อ UCBP ปี 2566 ตามเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ
- 2) เพื่อพิจารณาคัดเลือกหัวข้อปัญหาและจัดลำดับความสำคัญเบื้องต้นของหัวข้อโรคหายาก (rare disease) ตามเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก
- 3) เพื่อสรุปหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพของหัวข้อ UCBP ที่ผ่านการจัดลำดับความสำคัญเสนอต่อที่ประชุมคณะทำงานคัดเลือกหัวข้อฯ และคณะอนุกรรมการกำหนดประเภทและขอบเขตบริการฯ
- 4) เพื่อสรุปหัวข้อปัญหาของโรคหายาก ที่ผ่านการจัดลำดับความสำคัญ เสนอต่อที่ประชุมคณะทำงานคัดเลือกหัวข้อฯ หรือคณะทำงานโรคหายากฯ และคณะอนุกรรมการกำหนดประเภทและขอบเขตบริการฯ

3. การทบทวนวรรณกรรม

3.1 กระบวนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อและจัดลำดับความสำคัญในต่างประเทศ

1) ประเทศออสเตรเลีย

ออสเตรเลีย จัดตั้งระบบหลักประกันสุขภาพถ้วนหน้าที่เรียกว่า เมดิแคร์ (Medicare) โดยแบ่งออกเป็น 2 ประเภท ได้แก่ ชุดสิทธิประโยชน์ด้านบริการทางการแพทย์ (Medicare Benefits Scheme: MBS) และชุดสิทธิประโยชน์ด้านยา (Pharmaceutical Benefit Package: PBS) ซึ่งครอบคลุมยาและวัคซีน โดยการประเมินจะแยกตามประเภทของเทคโนโลยี คณะกรรมการที่รับผิดชอบการประเมินเทคโนโลยีจะแตกต่างกันไป

ตารางที่ 1 ประเภทของเทคโนโลยี คณะกรรมการที่ทำการประเมินฯ และชุดสิทธิประโยชน์ที่เทคโนโลยีจะถูกบรรจุหลังจากได้รับการประเมินแล้ว⁽⁴⁾

ประเภทของเทคโนโลยี	คณะกรรมการที่ทำการประเมินเทคโนโลยี	ชุดสิทธิประโยชน์ที่เกี่ยวข้อง
อุปกรณ์เทียม	PDC*	PL* (เอกซเรย์)
ยาและวัคซีน	PBAC	PBS/NIP*
บริการทางการแพทย์ที่เกี่ยวข้องกับเทคโนโลยี (Medical services associated with technologies)	MSAC	MBS
การทดสอบการวินิจฉัย (Diagnostic tests)	MSAC	MBS

หมายเหตุ * คือ PDC = Protheses and Devices Committee, PL = Protheses List,
PBAC = Pharmaceutical Benefits Advisory Committee, PBS = Pharmaceutical Benefits Scheme,
MSAC = The Medical Services Advisory Committee

การประเมินเทคโนโลยีมีบทบาทสำคัญในการช่วยให้ประชาชนสามารถเข้าถึงบริการและเทคโนโลยีที่จำเป็นทางการแพทย์โดยผ่านทาง MBS และ PBS รวมถึงประกันสุขภาพเอกชน หน่วยงานที่ทำหน้าที่ประเมินเทคโนโลยีและให้ข้อเสนอแนะแก่รัฐบาล ได้แก่ TGA MSAC PBAC และ Protheses List Advisory Committee (PLAC) โดยในแต่ละหน่วยงานใช้กรอบแนวคิดหลักในการประเมินดังนี้

- 1) การประเมินความปลอดภัยและประสิทธิศักร์ (efficacy) ของเทคโนโลยีด้านสุขภาพสำหรับการควบคุมผลิตภัณฑ์ที่ได้รับอนุญาตให้จำหน่ายในประเทศ (market regulation) เพื่อให้แน่ใจว่ายาและผลิตภัณฑ์ต่างๆ นั้นมีการควบคุมคุณภาพ ความปลอดภัย ประสิทธิภาพ มีการใช้ตรงตามวัตถุประสงค์
- 2) การตรวจสอบ ทบทวน และประเมิน (appraisal) ความปลอดภัย ประสิทธิภาพ และความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์เพื่อสนับสนุนการตัดสินใจในด้านต่างๆ เช่น การใช้งบประมาณของรัฐ การขอเงินคืนจากประกันสุขภาพเอกชนกรณีเกี่ยวกับอุปกรณ์เทียมต่างๆ และการติดตามประเมินผลหลังจากยาออกสู่ตลาดแล้ว

กระบวนการประเมินเทคโนโลยีทางสุขภาพในประเทศออสเตรเลีย เริ่มจากการขึ้นทะเบียนยาและผลิตภัณฑ์สุขภาพภายใต้ Therapeutic Goods Administration (TGA) หากได้รับอนุมัติแล้วจึงสามารถออกสู่ท้องตลาด และถูกขึ้นทะเบียนยาที่ Australian Register of Therapeutic Goods (ARTG) โดยบุคคลทั่วไปสามารถเข้าถึงรายการได้ทางเว็บไซต์ของหน่วยงาน จากนั้นจะเป็นการแยกประเภทผลิตภัณฑ์หรือเทคโนโลยีเพื่อการประเมินและนำเข้าสู่ชุดสิทธิประโยชน์ โดยแบ่งเป็นยาและวัคซีน อุปกรณ์ที่จะเพิ่มใน MBS และอุปกรณ์ใหม่ที่อยู่ใน MBS อยู่แล้วแต่ต้องการบรรจุลงในรายการอุปกรณ์เทียมจากประกันสุขภาพของภาคเอกชน ซึ่งจะทำให้สามารถขอเบิกเงินชดเชย (reimbursement) จากโครงการต่างๆ ตัวอย่างเช่น หากจะมีการนำยาเข้า PBS ต้องผ่านการประเมินกับ PBAC ก่อนโดยดำเนินการตามแนวทางที่ได้กำหนดไว้ ส่วนขั้นตอนหลังจากนั้นจะเป็นการติดตามและประเมินผลหลังจากยาออกสู่ท้องตลาดแล้ว^(4, 5)

2) ประเทศแคนาดา

สำหรับการเสนอการรักษาเพื่อประเมินเข้าสู่ชุดสิทธิประโยชน์ในระดับประเทศ คือ การเสนอให้แก่ Canadian Agency for Drug and Technologies in Health (CADTH) ในการประเมินผู้มีสิทธิเสนอหัวข้อตามที่ระบุในคู่มือของ CADTH มี 2 กลุ่ม คือ บริษัทยา (คู่มือใช้คำว่า sponsor) และหน่วยงานดูแลชุดสิทธิประโยชน์ของจังหวัด/ดินแดน⁽⁶⁾ ในส่วนของเทคโนโลยีด้านสุขภาพที่ไม่ใช่ยา เช่น อุปกรณ์ทางการแพทย์ การตรวจวินิจฉัย CADTH ไม่ได้มีกลไกการประเมินที่มีกระบวนการเชื่อมต่อกับกลไกการพิจารณาเข้าสู่ชุดสิทธิประโยชน์ของจังหวัด/ดินแดนโดยตรง แต่มีบริการที่เรียกว่า Health Technology Assessment and Optimal Use โดยเปิดโอกาสให้ประชาชน กลุ่ม หรือองค์กรสามารถเสนอเทคโนโลยีเพื่อขอให้ CADTH จัดทำรายงานการประเมินได้ โดยการกรอกแบบฟอร์มบนเว็บไซต์ของ CADTH ซึ่งกระบวนการการประเมินเทคโนโลยีสุขภาพที่ไม่ใช่ยาของ CADTH ประกอบด้วย 7 ขั้นตอน คือ

1. การคัดเลือกหัวข้อและจัดลำดับความสำคัญ
2. การกำหนดขอบเขตของการประเมิน

3. การวางแผนโครงการประเมิน
4. การศึกษาวิจัย
5. การทบทวน
6. การจัดทำคำแนะนำการใช้ที่เหมาะสม (อาจข้ามขั้นตอนนี้ได้หากไม่จำเป็น)
7. การเผยแพร่ผลการประเมิน

ทั้งนี้ ส่วนการเสนอการรักษาเพื่อเข้ารับการประเมินเข้าสู่ชุดสิทธิประโยชน์ในระดับจังหวัดของ Ontario ตามที่ระบุในคู่มือ คือ บริษัทยา เท่านั้น⁽⁷⁾

3) ประเทศอังกฤษ

อังกฤษ มีระบบประกันสุขภาพในรูปแบบรัฐสวัสดิการ ประชาชนอังกฤษทุกคนมีสิทธิได้รับการดูแลผ่านระบบประกันสุขภาพที่เรียกว่า National Health Service (NHS) ที่ครอบคลุมบริการสุขภาพตามความจำเป็น การประเมินเทคโนโลยีภายใต้โปรแกรม TAP ประกอบไปด้วย 3 ขั้นตอนหลัก⁽⁸⁾ ได้แก่ 1) การส่งหลักฐานวิชาการ 2) การทบทวนหลักฐานวิชาการ และ 3) การประเมินเทคโนโลยี โดยบริษัทเอกชนจะส่งหลักฐานเชิงวิชาการที่เกี่ยวข้องกับเทคโนโลยีที่เสนอให้แก่ NICE จากนั้น NICE จะเชิญคณะที่ปรึกษาหรือผู้เชี่ยวชาญมาให้ข้อคิดเห็นหรือข้อมูลเกี่ยวกับเทคโนโลยีที่อยู่ในการประเมิน แล้วส่งข้อมูลและข้อคิดเห็นให้ Evidence review group (ERG) รวบรวมข้อมูลทั้งหมดและจัดทำรายงานและส่งต่อให้ technical team จัดทำข้อมูลเชิงเทคนิค (technical report) ของการใช้เทคโนโลยีภายใต้ความรับผิดชอบของคณะที่ปรึกษาหรือผู้เชี่ยวชาญมีหน้าที่ให้ข้อคิดเห็นต่อ technical report และส่งต่อข้อมูลให้แก่คณะกรรมการประเมินเทคโนโลยี (Technology Appraisal Committee) พิจารณาข้อมูล/รายงานที่เกี่ยวข้องกับเทคโนโลยีนั้นๆ ทั้งหมด เพื่อตัดสินใจและให้ข้อเสนอแนะต่อ NHS

การพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ภายใต้ระบบ NHS สำหรับเทคโนโลยีหรือการรักษาทางการแพทย์ใหม่ ต้องผ่านการประเมินเทคโนโลยีที่รับผิดชอบโดยหน่วยงาน National Institute for Health and Care Excellence (NICE) ซึ่งทำหน้าที่ประเมินประสิทธิภาพและความคุ้มค่าของเทคโนโลยีด้านสุขภาพ รวมถึงเสนอผลการประเมินต่อ NHS เพื่อพิจารณาให้เพิ่มเทคโนโลยีนั้นๆ ให้เป็นชุดสิทธิประโยชน์ นอกจากนี้ NICE ยังทำหน้าที่ในการจัดทำคู่มือ (Guideline) เพื่อใช้เป็นแนวทางสำหรับการรักษา^(9, 10)

NICE ได้แบ่งการประเมินเทคโนโลยีออกเป็น 5 โปรแกรมตามประเภทของเทคโนโลยีและวัตถุประสงค์ของโปรแกรม ได้แก่

- 1) The Technology Appraisal Programme (TAP)
- 2) The Medical Technologies Evaluation Programme (MTEP)
- 3) The Diagnostics Assessment Programme (DAP)
- 4) The Interventional Procedures Programme (IPP)
- 5) The Medicines and Technologies Programme (MTP)

โดยที่โปรแกรม IPP มุ่งเน้นประเมินประสิทธิภาพและความปลอดภัยของเทคโนโลยี ขณะที่โปรแกรม MTP ประเมินเฉพาะยา ซึ่งทั้ง 2 โปรแกรมข้างต้นไม่อยู่ในขอบเขตของการศึกษา ผู้ทำการศึกษาจึงได้ทบทวนรายละเอียดเฉพาะของโปรแกรม TAP, MTEP, และ DAP เท่านั้น โดยพบว่า มีขั้นตอนหลักในการดำเนินงานที่คล้ายกัน ประกอบด้วย การเสนอและคัดเลือกเทคโนโลยี การประเมินเทคโนโลยี และการตัดสินใจ แตกต่างกันในรายละเอียดของแต่ละโปรแกรม

4) ประเทศสวีเดน

หน่วยงานในระดับภูมิภาคและระดับท้องถิ่นจะเป็นผู้จัดให้มีบริการสาธารณสุขแก่ประชาชน งบประมาณสำหรับจัดสรรบริการสาธารณสุขภายใต้ระบบประกันสุขภาพภาครัฐ จึงมีสัดส่วนหลักมาจากภาษีที่เป็นรายรับของสภามณฑลและเทศบาลเมือง โดยหน่วยงานเหล่านี้มีสิทธิเรียกเก็บภาษีและกำหนดอัตราภาษีภายในพื้นที่ของตนเอง ในขณะที่รัฐบาลกลางสนับสนุนงบประมาณเพียงบางส่วน ดังนั้น ระบบประกันสุขภาพภาครัฐของประเทศสวีเดนจึงไม่มีการกำหนดชุดสิทธิประโยชน์ไว้อย่างชัดเจน แต่จะแตกต่างกันไปตามพื้นที่ที่สภามณฑลเป็นผู้ดูแล อย่างไรก็ตาม สิทธิประโยชน์ในภาพรวมครอบคลุมการบริการผู้ป่วยนอก ผู้ป่วยใน บริการทันตกรรม สุขภาพจิต การดูแลระยะยาว ยาและเวชภัณฑ์

ในกระบวนการพัฒนาสิทธิประโยชน์ ที่เกี่ยวกับบริการสาธารณสุข (กรณีไม่เชี่ยวชาญและเวชภัณฑ์ และบริการทันตกรรม) The Dental and Pharmaceutical Benefits Agency (TLV) จะจัดทำและเผยแพร่รายงานเกี่ยวกับการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพ (health technology assessment; HTA) ของเครื่องมือแพทย์ (Medical device) เพื่อเป็นข้อมูลประกอบการตัดสินใจ (decision making) ของสภามณฑลทั้ง 21 แห่ง ในการจัดให้มีบริการด้วยเครื่องมือแพทย์ที่ผ่านการประเมิน HTA จาก TLV โดยการประเมิน HTA มีขึ้นเพื่อให้บรรลุวัตถุประสงค์ต่างๆ โดย TLV ได้ทำงานร่วมกับสภามณฑลและหน่วยงานอื่นๆ ที่เกี่ยวข้องพัฒนากระบวนการประเมินเครื่องมือแพทย์เพื่อให้สอดคล้องกับนโยบายของรัฐบาล และการประเมิน HTA ของ TLV ประกอบไปด้วย 2 ส่วน ได้แก่

- 1) การประเมินประสิทธิภาพทางคลินิก ค่าใช้จ่าย และการประเมิน cost effectiveness ตลอดจนความไม่แน่นอนในการประเมิน (uncertainty in the assessment)
- 2) ผลกระทบที่เกี่ยวข้องกับจริยธรรม กฎหมาย และหน่วยงานที่เกี่ยวข้อง รวมถึงผลกระทบด้านงบประมาณที่อาจเกิดขึ้นจากการจัดให้มีบริการเครื่องมือแพทย์แก่ประชาชน

การประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพโดย Swedish Agency For Health Technology Assessment of Social Services (SBU) ไม่ได้มีผลหรือการนำไปใช้โดยตรงต่อการพิจารณาพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ภายใต้ระบบประกันสุขภาพภาครัฐของประเทศ แต่สามารถใช้เป็นข้อมูลประกอบการพิจารณาสำหรับผู้กำหนดนโยบาย หรือบุคลากรทางการแพทย์ที่เกี่ยวข้อง⁽¹¹⁾ ซึ่งในการจัดลำดับความสำคัญ หัวข้อปัญหาหรือเทคโนโลยีด้านสุขภาพภายใต้ SBU นั้นการประเมินเทคโนโลยีของ SBU เริ่มต้นที่การรับข้อเสนอหรือโครงร่าง จากกลุ่มผู้มีส่วนได้ส่วนเสียต่างๆ ได้แก่ บุคลากรทำงานด้านสาธารณสุข กลุ่มคนทำงานเพื่อสังคม ผู้บริหารระดับสูงในสภามณฑลหรือสภาเขต หรืออาจได้รับข้อเสนอจากหน่วยงาน เช่น สมาคมผู้เชี่ยวชาญด้านการแพทย์ หน่วยงานอื่นๆ ของรัฐที่ทำงานด้านสาธารณสุข รวมถึงคณะกรรมการบริหารและคณะกรรมการปรึกษาทางวิทยาศาสตร์ภายใน SBU (SBU Scientific Advisory Committees) ส่วนการประเมินเทคโนโลยี/มาตรการด้านสุขภาพ หรือ HTA ของ SBU ใช้เวลาดำเนินการศึกษาวิจัยประมาณ 1-2 ปี ต่อ 1 โครงการ โดยใช้การทบทวนวรรณกรรมอย่างเป็นระบบเป็นเกณฑ์หลักในการดำเนินโครงการ ทั้งนี้ SBU ได้เผยแพร่คู่มือชื่อว่า “Assessment of methods in health care and social services” ซึ่งแจ้งรายละเอียดในแต่ละขั้นตอนของกระบวนการ HTA ที่ดำเนินการวิจัยโดย SBU⁽¹²⁾ การประเมินเทคโนโลยีบางรายการ อาจนำไปใช้อ้างอิงในแนวทางหรือคู่มือระดับประเทศ ที่ประกาศโดยคณะกรรมการสุขภาพและสวัสดิการแห่งชาติ (The National Board of Health and Welfare: NBHW) หรือหน่วยงานที่ดูแลด้านสิทธิประโยชน์ (The Dental and Pharmaceutical Benefits Agency: TLV)⁽¹²⁾ ถึงแม้ว่าสภามณฑลได้มีการจัดตั้งหน่วยงาน HTA ขึ้นภายใน

หน่วยงานเอง เพื่อประเมินประสิทธิภาพของยาหรือเทคโนโลยีในเบื้องต้น ตามการพัฒนาที่รวดเร็วของยาและเทคโนโลยีทางการแพทย์ในปัจจุบัน แต่ SBU ยังคงเป็นหน่วยงานที่น่าเชื่อถือสำหรับการดำเนินงาน HTA ในระดับประเทศ^(13, 14)

3.2 กระบวนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก

1) ข้อมูลทั่วไป

โรคหายาก (rare diseases) คือ โรคที่มีอุบัติการณ์และความชุกในประชากรต่ำ ซึ่งจำกัดความของโรคหายากจะแตกต่างกันไปตามนิยามของแต่ละพื้นที่ สำหรับในสหภาพยุโรปนั้น ได้ให้คำจำกัดความของโรคหายาก ว่าโรคที่มีความชุกของโรค 1 ใน 2,000 คนหรือน้อยกว่า^(15, 16) รายงานขององค์การอนามัยโลก (WHO) ได้ ประมาณการตัวเลขประชาชนที่ป่วยด้วยโรคหายากในประเทศยุโรป 25 ประเทศรวมกัน คาดว่าอาจจะมีถึง 30 ล้านคน คิดเป็นสัดส่วนร้อยละ 6-8 ของประชากรประเทศในยุโรป และคาดว่าตัวเลขที่ประมาณการน่าจะต่ำกว่าความเป็นจริง เนื่องจากหนึ่งในผู้ป่วยจำนวนไม่น้อยที่ป่วยด้วยโรคหายาก แสดงอาการป่วยเหมือนโรคอื่นๆ ทั่วไป จึงไม่ทราบสาเหตุและไม่ได้รับการรักษาที่จำเพาะ ทำให้ไม่ทราบจำนวนผู้ป่วยที่แท้จริง⁽¹⁷⁾

ปัจจุบันโรคหายากสามารถพบได้ถึง 5,000-8,000 โรค และร้อยละ 80 เป็นโรคที่มีสาเหตุมาจากความผิดปกติของพันธุกรรม (genetic disorders) อีกร้อยละ 20 อาจเกิดจากการติดเชื้อ เช่น โรคภูมิคุ้มกันทำลายตนเอง (auto-immune disease) และการได้รับสารพิษที่หายาก (poisonings) ยังมีโรคหายากอีกจำนวนหนึ่งที่ไม่ทราบสาเหตุของการเกิดโรค⁽¹⁷⁾ ทำให้ผู้ป่วยโรคหายากทันทูทุกข์ทรมานทั้งทางร่างกายและจิตใจ คุณภาพชีวิตแย่งลง มีผลกระทบต่อศักยภาพการศึกษา การหารายได้และอาจจะได้รับอันตรายถึงชีวิตหากไม่ได้รับการรักษาที่ถูกต้อง นอกจากนี้โรคหายากยังเป็นโรคที่ก่อให้เกิดผลกระทบต่อครอบครัวของผู้ป่วยอีกด้วย⁽¹⁶⁾

ในปี พ.ศ. 2526 เป็นครั้งแรกที่ประชาชนได้รับรู้เกี่ยวกับปัญหาของผู้ป่วยโรคหายากจากรายงานของคณะกรรมการแห่งชาติเกี่ยวกับโรคหายากของรัฐบาลสหรัฐอเมริกา หรือ The National Commission on Orphan Disease of the US Government ซึ่งจากการพิจารณาของคณะกรรมการผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย ร้อยราย ได้มีการกล่าวถึงประเด็นสำคัญที่เกี่ยวข้องกับการดูแลรักษาผู้ป่วย เช่น การมีข้อมูลของโรคหายากที่จำกัด การหาแหล่งเงินทุนเพื่อการสนับสนุนด้านการวิจัยได้ยาก การพบข้อจำกัดด้านการประกัน สุขภาพที่ไม่สามารถครอบคลุมค่ารักษาพยาบาลได้และการที่ยังคงไม่มีการรักษาผู้ป่วยโรคหายากที่มี ประสิทธิภาพ ต่อมาได้มีการจัดตั้งองค์การเพื่อการวินิจฉัยโรคหายากแห่งชาติ (The National Organization for Rare Disorders: NORD) เพื่อเป็นเครื่องมือในการออกกฎหมายยากำพวด (Orphan Drug Act) และในปี ค.ศ.1986 ได้มีการจัดตั้งกลุ่มความร่วมมือด้านระบบพันธุกรรม (Genetic Alliance) เพื่อเพิ่มขีดความสามารถ ด้านนี้ให้มากยิ่งขึ้น ปัจจุบันนี้ NORD เป็นองค์กรที่มีรายงานข้อมูลพื้นฐานของโรคหายากมากกว่า 1,200 โรค และมีองค์กรที่เข้าร่วมมากกว่า 260 องค์กร⁽¹⁸⁾ ซึ่งอาจกล่าวได้ว่าเป็นองค์กรที่สามารถให้ความช่วยเหลือ ผู้ป่วยโรคหายากในสหรัฐอเมริกาได้เป็นอย่างมาก

ในประเทศไทย จากรายงานของมูลนิธิเพื่อผู้ป่วยโรคหายาก กล่าวว่า มีการพบผู้ป่วยโรคหายากประมาณร้อยละ 5 ของประชากร หรือคิดเป็น 3.5 ล้านคนของประชากรไทย ซึ่งโรคหายาก 5 โรคที่พบมากในประเทศไทย คือ 1) โรคพันธุกรรมแอลเอสดี 2) โรคพราเตอร์-วิลลี 3) โรคกล้ามเนื้อดูเซน 4) โรคแอมโมเนียครั้งในสมอง และ 5) โรคมีกรดในเลือด โรคเหล่านี้จะส่งผลกระทบต่อระบบสมอง หากวินิจฉัยช้า รักษาไม่ทัน อาจทำ

ให้สมองถูกทำลายถาวรและเสียชีวิตได้⁽¹⁹⁾ ปัจจุบันประเทศไทยยังคงขาดแคลนผู้เชี่ยวชาญเกี่ยวกับโรคหายาก ทำให้ผู้ป่วยมีโอกาสที่จะได้รับการวินิจฉัยที่ล่าช้า

3.3 ข้อมูลการทบทวนโรคหายากในต่างประเทศ

1) ประเทศสหรัฐอเมริกา

การบริหารจัดการโรคหายากในประเทศสหรัฐอเมริกา ได้มีคณะทำงานร่วมระหว่าง Food and Drug Administration (FDA) และ National Institutes of Health (NIH) ได้ออกรายงานชื่อว่า “Significant Drugs of Limited Commercial Value” เพื่อเรียกร้องให้มีการจัดทำโครงการเพื่อสนับสนุนการวิจัยและพัฒนาสำหรับโรคที่มีผู้ป่วยจำนวนน้อยซึ่งเป็นยาที่มีผลตอบสนองทางเศรษฐศาสตร์ต่ำ⁽²⁰⁾ และในช่วงเวลาเดียวกัน กลุ่มผู้ป่วยโรคหายากและญาติได้รวมกลุ่มกันเพื่อสนับสนุนการออกกฎหมายที่จะช่วยให้เกิดการพัฒนารักษาโรคหายาก การรวมตัวของกลุ่มดังกล่าวนำไปสู่การจัดตั้งองค์กรที่ชื่อว่า National Organization for Rare Disorders (NORD) ในปีค.ศ. 1983 โดยที่ NORD เป็นองค์กรสำคัญที่เคลื่อนไหวเพื่อสนับสนุนการออกกฎหมาย และการดูแลผู้ป่วยกลุ่มนี้ ซึ่งผลจากการเคลื่อนไหวขององค์กรผู้ป่วยโรคหายากทำให้มีการออกกฎหมายที่สำคัญได้แก่ Orphan Drug Act ในปีค.ศ. 1983, Rare Diseases Act ในปีค.ศ. 2002 และ FDA Safety and Innovation Act ในปีค.ศ. 2012 เป็นต้น⁽²¹⁾ การออกกฎหมายฉบับนี้ ถือได้ว่าเป็นกฎหมายฉบับแรกในโลกที่ถูกออกมาเพื่อที่จะสร้างแรงจูงใจในการวิจัยและพัฒนาสำหรับผู้ป่วยโรคหายาก โดยยาในกลุ่มนี้ถูกเรียกว่า ยากำพร้า (orphan drugs) โดยมาตรการจูงใจให้เกิดการพัฒนาต่อยากำพร้าที่มาจากกฎหมายฉบับนี้ ได้แก่

- ให้สิทธิพิเศษแก่บริษัทผู้ผลิตยาเป็นเวลา 7 ปีในการขายยากำพร้าที่ผลิตขึ้นแต่เพียงผู้เดียว
- สนับสนุนงบประมาณในการพัฒนาผลิตภัณฑ์
- ให้สิทธิพิเศษทางภาษีสำหรับค่าใช้จ่ายบางรายการในขั้นตอนการทำวิจัยทางคลินิกของยากำพร้า
- ยกเว้นค่าธรรมเนียมในการยื่นขออนุมัติยาจากองค์การอาหารและยา
- การให้คำแนะนำแก่ผู้ผลิตเกี่ยวกับการออกแบบการทดลองเพื่อทดสอบความปลอดภัยและประสิทธิผลของยาให้เป็นไปตามมาตรฐาน

กฎหมาย Rare Diseases Act ได้ออกบังคับใช้โดยมีวัตถุประสงค์ 2 ประการหลัก คือ การจัดตั้ง Office of Rare Diseases ภายใต้ NIH อย่างเป็นทางการ และเพื่อเพิ่มการจัดสรรงบประมาณให้แก่การวิจัยและพัฒนาการวินิจฉัยและรักษาโรคหายาก ซึ่ง NIH ได้มีการสร้างเครือข่ายการวิจัยทางคลินิกด้านโรคหายากประกอบด้วย 27 สถาบันและศูนย์ที่ได้รับทุนวิจัยด้านการแพทย์สำหรับโรคหายาก หนึ่งในนั้น คือ National Center for Advancing Translational Sciences (NCATS) ที่ถูกก่อตั้งขึ้นในปีค.ศ. 2012 และเป็นหน่วยงานที่เน้นเกี่ยวกับการดูแลรักษาผู้ป่วยอย่างรวดเร็วมากยิ่งขึ้นโดยมีการดำเนินงานวิจัยร่วมกับหน่วยงานอื่นๆ ที่มีความเกี่ยวข้องกับงานวิจัยด้านโรคหายาก

2) ประเทศญี่ปุ่น

สถานการณ์เกี่ยวกับโรคหายากในประเทศญี่ปุ่น ในปีค.ศ. 2015 พบว่า มีผู้ป่วย 1.5 ล้านคน ที่เบิกเงินค่ารักษาพยาบาลที่ใช้ในการรักษาโรคหายาก ซึ่งในประเทศญี่ปุ่นใช้นิยามว่าเป็นโรคที่มีจำนวนผู้ป่วยน้อยกว่า 50,000 คน โรคหายากถูกจัดอยู่ในกลุ่มโรค “Intractable diseases” หรือ “Nan-Byo” ในภาษาญี่ปุ่น โดยภาวะความผิดปกติแรกที่ถูกรับรองว่าเป็นโรคกลุ่มนี้ คือ Subacute Myelo Optico-Neuropathy (SMON)

ในปี ค.ศ. 1958 ช่วงหลังสงครามโลกครั้งที่ 2⁽²²⁾ ในปีค.ศ.1972 Ministry of Health, Labor and Welfare ได้ดำเนินการตาม National Program on Rare and Intractable Diseases ซึ่งเป็นส่วนหนึ่งของระบบสาธารณสุขญี่ปุ่น ซึ่งถือเป็นโครงการระดับชาติที่เป็นทางการโครงการแรกของโลกที่เกี่ยวข้องกับการจัดการโรคหายาก^(23, 24) โดยยึดหลัก 3 ประการ คือ

- 1) พัฒนากลยุทธ์ในการดูแลและรักษาโรคหายาก
- 2) สร้างระบบการจ่ายค่ารักษาพยาบาลให้แก่ผู้ป่วยโรคหายากอย่างเป็นธรรม
- 3) สร้างความเข้าใจแก่สังคมและสนับสนุนการมีส่วนร่วมในสังคมของผู้ป่วยโรคหายาก

ค่ารักษาพยาบาลของผู้ป่วยโรคหายากจะได้รับการสนับสนุนผ่านระบบหลักประกันสุขภาพประเทศญี่ปุ่นโดยมีที่มาของงบประมาณ คือ ภาครัฐ และประชาชนที่จ่ายเงินซื้อประกันสุขภาพที่จัดโดยรัฐบาลท้องถิ่น จึงใช้ข้อมูลการเบิกจ่ายของผู้ป่วยกลุ่มนี้เป็นทะเบียนผู้ป่วยโรคหายากระดับชาติ โดยผู้ป่วยจะยื่นขอรับการสนับสนุนจากศูนย์บริการสุขภาพในพื้นที่ศูนย์บริการสุขภาพจะส่งต่อข้อมูลนี้ให้กับรัฐบาลท้องถิ่น เพื่อนำข้อมูลเข้าสู่ระบบ ซึ่งยังพบปัญหา คือ รัฐบาลท้องถิ่นในบางพื้นที่ไม่ยอมส่งข้อมูลเข้าสู่ระบบ ซึ่งข้อมูลในระบบทะเบียนจะมีการแลกเปลี่ยนกับเครือข่ายนักวิจัยที่ทำงานวิจัยเกี่ยวกับโรคหายากที่ผ่านการพิจารณาข้อเสนอโครงการวิจัยจาก Ministry of Health, Labor and Welfare แล้ว และหลังจาก Intractable Disease Health Care Act (2015) มีผลทำให้ข้อมูลผู้ป่วยถูกแลกเปลี่ยนระหว่างผู้ให้บริการที่อยู่ในท้องถิ่นเดียวกันได้⁽²⁵⁾

3) ประเทศฟิลิปปินส์

กฎหมายที่เกี่ยวข้องกับโรคหายากของฟิลิปปินส์ฉบับแรก คือ Newborn Screening Act (2004) ซึ่งมีวัตถุประสงค์เพื่อให้มั่นใจว่าเด็กแรกเกิดทุกราย สามารถเข้าถึงการตรวจคัดกรองด้านพันธุกรรมบางอย่างที่สามารถส่งผลให้เด็กแรกเกิดพิการ มีโรคแทรกซ้อนหรือสามารถเสียชีวิตได้หากไม่ได้ตรวจพบก่อนและไม่ได้รับการรักษา และเพื่อที่จะจัดตั้งและรวบรวมระบบการคัดกรองเด็กแรกเกิดสำหรับระบบสาธารณสุข และให้มีการจัดตั้ง Newborn Screening Reference Center เพื่อจัดการฐานข้อมูลการคัดกรองทารกแรกเกิด รวมถึงจัดทำทะเบียนการคัดกรอง และเป็นหน่วยงานวิชาการในการให้ความรู้และพัฒนาศักยภาพศูนย์การคัดกรองทารกแรกเกิดทั่วประเทศ⁽²⁶⁾

นอกจากนั้นยังมี Rare Disease Act (2015) ซึ่งเป็นกฎหมายฉบับแรกเกี่ยวกับโรคหายากโดยตรงในภูมิภาคเอเชียตะวันออกเฉียงใต้ โดยเนื้อหาที่มุ่งการจูงใจให้มีการพัฒนาหรือนำเข้าการรักษาสำหรับโรคหายาก การพัฒนาระบบบริการ และระบบสนับสนุนบริการสำหรับโรคหายาก มีการกำหนดให้ผู้ป่วยโรคหายากมีสถานะ persons with disabilities มีการจัดตั้ง Rare Disease Technical Working Group เพื่อกำหนดว่าโรคใดเป็นโรคหายาก (กำหนดนิยามเบื้องต้นไว้ที่ น้อยกว่า 1 ใน 20,000 คน) และมีการระบุให้ใช้งบประมาณจากภาษีสุราและยาสูบ (sin tax)

4. กรอบแนวคิดการวิจัย (Conceptual framework)

แนวคิดของการดำเนินงานโครงการ UCBP และการดำเนินงานหัวข้อโรคหายาก ได้ปรับใช้ตามหลักการสำคัญของกระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ ประกอบด้วย 4 ส่วน ได้แก่

1) Systematic process คือ มีกระบวนการดำเนินงานที่เป็นระบบและมีรายละเอียดขั้นตอนที่ชัดเจน ซึ่งกระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์เป็นหนึ่งในเครื่องมือที่สำคัญที่จะช่วยพิจารณาคัดเลือกหัวข้อปัญหา ๆ เพื่อนำไปศึกษาวิจัย และการพิจารณาตัดสินใจบรรจุในชุดสิทธิประโยชน์ เพื่อให้ทุกคนสามารถเข้าถึงบริการสุขภาพ และสาธารณสุขได้อย่างถ้วนหน้า การดำเนินงานอย่างเป็นระบบจะช่วยจัดการกับข้อมูลด้านสุขภาพและเทคโนโลยีด้านสุขภาพที่มีความหลากหลายให้มีความชัดเจนและครอบคลุม สามารถนำไปใช้ประโยชน์ได้อย่างมีประสิทธิภาพ และการมีขั้นตอนการดำเนินงานที่ชัดเจนและเป็นระบบ ย่อมแสดงให้เห็นถึงความเที่ยงตรงและความน่าเชื่อถือของข้อมูลที่เกิดจากกระบวนการดังกล่าวได้เช่นกัน

2) Transparent process คือ มีการดำเนินงานที่โปร่งใส ตรวจสอบได้ เนื่องจากกระบวนการ UCBP เป็นกระบวนการที่มีผลต่อการตัดสินใจเชิงนโยบายระดับประเทศ และเป็นการตัดสินใจภายใต้ความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ที่มีผลต่อบุคคลอื่น อีกทั้งยังมีผู้ที่เกี่ยวข้องจากหลายภาคส่วน ผู้ที่มีส่วนได้ส่วนเสียทั้งทางตรงและทางอ้อมที่เข้ามามีส่วนร่วมในกระบวนการ ดังนั้นจึงจำเป็นต้องมีทุกขั้นตอนการดำเนินงานจะต้องมีความโปร่งใสและตรวจสอบได้ มีหลักเกณฑ์การประเมินที่ชัดเจน มีการเปิดเผยข้อมูลข่าวสารที่ถูกต้องอย่างตรงไปตรงมา เพื่อให้ข้อมูลประกอบการตัดสินใจมีความถูกต้อง เหมาะสม และน่าเชื่อถือมากที่สุด

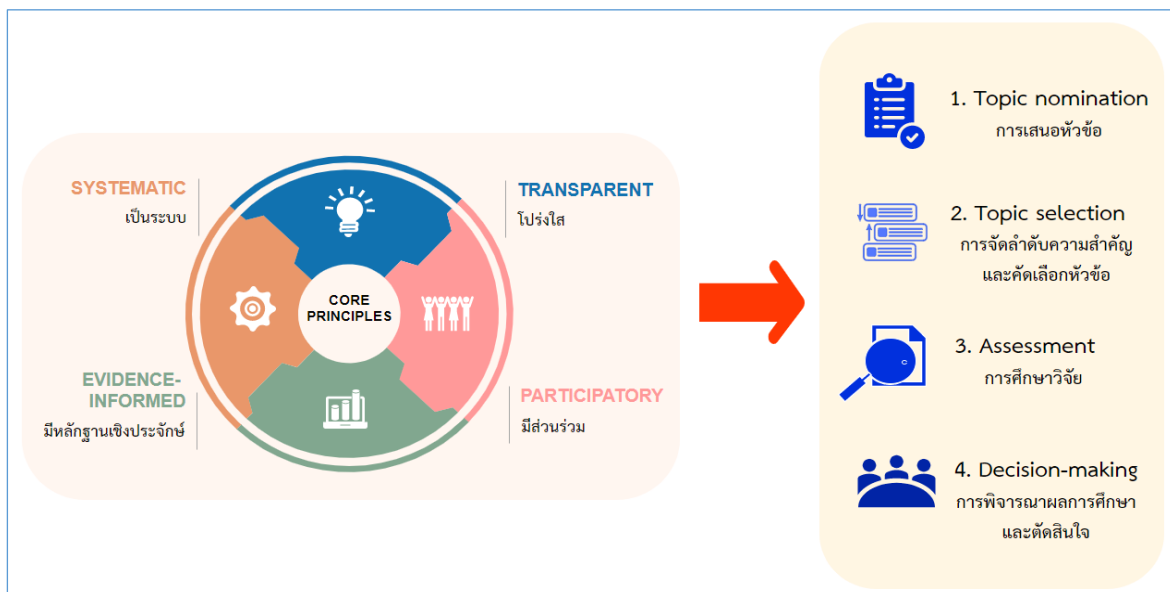
3) Participatory process คือ การเข้ามามีส่วนร่วมจากทุกภาคส่วน ทุกขั้นตอนในกระบวนการพัฒนาสิทธิประโยชน์ เน้นให้ผู้มีส่วนได้ส่วนเสียทั้ง 7 กลุ่ม เครือข่ายที่วิจัยและนักวิชาการได้เข้ามามีส่วนร่วมในกระบวนการ ตั้งแต่การรับรู้ข้อมูลการดำเนินงาน การร่วมเสนอหัวข้อปัญหา การร่วมรับฟังและแสดงความคิดเห็น การทบทวนและจัดทำข้อมูลเชิงวิชาการเพื่อใช้ในกระบวนการตัดสินใจ เพื่อให้เกิดการพัฒนาาระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ หรือ UHC ที่คนไทยทุกคนสามารถเข้าถึงได้ ซึ่งการดำเนินงานภายใต้การมีส่วนร่วมของทุกภาคส่วน จะก่อให้เกิดความเข้าใจและร่วมมือกันดำเนินงานให้บรรลุผล รวมถึงเกิดกระบวนการตัดสินใจที่ยอมรับได้จากทุกฝ่าย ช่วยสร้างความเท่าเทียมและเป็นธรรมในสังคมได้

4) Evidence informed policy development คือ การมีข้อมูลหลักฐานเชิงประจักษ์ในการสนับสนุนนโยบาย ในกระบวนการตัดสินใจคัดเลือกหัวข้อปัญหา หรือการพิจารณาตัดสินใจเลือกเป็นสิทธิประโยชน์ เป็นการตัดสินใจโดยกลุ่มบุคคลที่มีความรู้และประสบการณ์ที่แตกต่างกัน ซึ่งอาจทำให้การตัดสินใจมีความยากลำบากจากความคิดเห็นที่หลากหลาย ดังนั้นการตัดสินใจอย่างมีคุณภาพจะเกิดขึ้นได้ต่อเมื่ออยู่บนพื้นฐานของการใช้ข้อมูลหลักฐานเชิงประจักษ์ที่ผ่านการประเมินว่ามีความชัดเจนและน่าเชื่อถือ นำมาพิจารณาให้ความเห็นร่วมกัน เพื่อให้ได้ทางเลือกสำหรับการตัดสินใจที่เป็นเอกฉันท์

ในการดำเนินงานโครงการ UCBP และกระบวนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก ได้มีการประยุกต์ใช้หลักการดังกล่าวข้างต้น เพื่อสนับสนุนกระบวนการทั้ง 4 ขั้นตอน ซึ่งประกอบด้วย

- 1) การเสนอหัวข้อปัญหา (topic nomination)
- 2) การจัดลำดับความสำคัญและการคัดเลือกหัวข้อปัญหา (topic selection)
- 3) การศึกษาวิจัย (assessment)
- 4) การพิจารณาตัดสินใจ (decision-making)

รายละเอียดกรอบการวิจัยตามภาพที่ 1



ภาพที่ 1 กรอบการวิจัย

5. ผลการดำเนินงาน

5.1 หัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพ UCBP ปี 2566

5.1.1 พิจารณาคัดเลือกหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพและจัดลำดับความสำคัญเบื้องต้นของหัวข้อ UCBP ปี 2566 ตามเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ

ทีมวิจัยตรวจรับหัวข้อปัญหาที่ได้รับมอบจาก สปสช. ของกลุ่มผู้มีส่วนได้ส่วนเสียที่ได้เสนอหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพของหัวข้อ UCBP เพื่อเข้าสู่กระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ ประจำปี 2566 ซึ่งในรอบนี้มีกลุ่มผู้มีส่วนได้ส่วนเสียจำนวน 5 กลุ่มที่เสนอหัวข้อปัญหาเข้ามา คือ กลุ่มผู้กำหนดนโยบาย ผู้เชี่ยวชาญด้านการแพทย์ อุตสาหกรรมเครื่องมือแพทย์ ผู้ป่วย ประชาสังคมและประชาชนทั่วไป และนวัตกรรมทางการแพทย์ ส่วนกลุ่มที่ไม่เสนอหัวข้อเข้ามา คือ กลุ่มคณะกรรมการ/คณะอนุกรรมการ/คณะทำงานที่เกี่ยวข้อง และนักวิชาการด้านสาธารณสุข ซึ่ง สปสช. ได้พิจารณากลับกรองหัวข้อปัญหาและคัดเลือกในเบื้องต้นเหลือจำนวน 10 หัวข้อ

ทีมวิจัยได้จัดทำข้อมูลเบื้องต้นของหัวข้อปัญหา ทั้ง 10 หัวข้อ คือ 1) ชื่อหัวข้อ และชื่อกลุ่มผู้มีส่วนได้ส่วนเสียที่เสนอหัวข้อแต่ละเรื่อง 2) เหตุผลของการเสนอหัวข้อ และ 3) สรุปข้อมูลตามรูปแบบ PICO ซึ่งประกอบด้วย ประชากร (P: Population), เทคโนโลยี/โปรแกรม/บริการทางสุขภาพ (I: Intervention), แนวทางการรักษาเดิม (C: Comparator) และ ผลลัพธ์ที่ต้องการ (O: Outcome) สำหรับนำเสนอต่อที่ประชุมคณะทำงานคัดเลือกหัวข้อเข้าสู่การประเมินความจำเป็นและผลกระทบเพื่อกำหนดประเภทและขอบเขตในการให้บริการสาธารณสุข ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ ครั้งที่ 1 วันที่ 9 มิถุนายน 2566 โดย สปสช. เป็นผู้ดำเนินการจัดประชุม และทีมวิจัยเป็นผู้นำเสนอข้อมูลประกอบแต่ละหัวข้อปัญหา ซึ่งมีมติที่ประชุมคณะทำงานคัดเลือกหัวข้อฯ มอบโครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ (HITAP) จัดหาทีม

วิชาการร่วมทบทวนวรรณกรรมแต่ละหัวข้อ และให้คะแนนตามเกณฑ์การพิจารณา จำนวน 10 หัวข้อ¹ เพื่อนำเข้าพิจารณาในการประชุมครั้งต่อไป

การทบทวนวรรณกรรมตามเกณฑ์การพิจารณา

ทีมวิจัย สรรหาทีมวิชาการรวมทั้งเครือข่ายทีมวิจัยโครงการ UCBP เพื่อร่วมทบทวนวรรณกรรมตามรูปแบบ PICO เกณฑ์การพิจารณาทั้ง 6 เกณฑ์ และเตรียมข้อมูลวิชาการที่เกี่ยวข้องกับหัวข้อปัญหาฯ รวมทั้งให้คะแนนในเบื้องต้นตามเกณฑ์เพื่อใช้ประกอบการพิจารณา โดยจัดประชุมชี้แจงและทำความเข้าใจร่วมกันกับทีมวิชาการ 1 ครั้ง

เกณฑ์การพิจารณาทั้ง 6 เกณฑ์ ได้แก่

1. จำนวนผู้ได้รับผลกระทบจากโรคหรือปัญหาสุขภาพ (size of the population affected by the disease)
2. ความรุนแรงของโรคหรือปัญหาสุขภาพ (severity of disease)
3. ประสิทธิภาพของเทคโนโลยีด้านสุขภาพ (effectiveness of health intervention)
4. ความแตกต่างในทางปฏิบัติ (variation in practice)
5. ผลกระทบทางเศรษฐกิจของครัวเรือน (economic impact on household expenditure)
6. ความเป็นธรรมและประเด็นทางสังคมและจริยธรรม (equity/ethical and social implication)

รายละเอียดเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ ตามเอกสารแนบ 1

ทีมวิชาการจะเลือกหัวข้อปัญหาฯ ทั้ง 10 หัวข้อ ตามความรู้ความเชี่ยวชาญ โดยทีมวิจัยมีการจัดประชุมเพื่อชี้แจงและทำความเข้าใจเกี่ยวกับรูปแบบของการทบทวนวรรณกรรมเพื่อให้ทีมวิชาการเข้าใจตรงกัน

รายงานผลการทบทวนวรรณกรรมของหัวข้อปัญหาฯ ปี 2566 รายละเอียด ตามเอกสารแนบ 2-11 และสรุปใน ตารางที่ 2

¹ รายงานการประชุมคณะทำงานคัดเลือกหัวข้อและจัดลำดับความสำคัญเข้าสู่การประเมินความจำเป็นและผลกระทบ เพื่อกำหนดประเภทและขอบเขตในการให้บริการสาธารณสุขครั้งที่ 1/2566 วันที่ 9 มิถุนายน 2566

ตารางที่ 2 รายงานผลการทบทวนวรรณกรรมของหัวข้อ UCBP ปี 2566

ที่	ชื่อหัวข้อ	ชื่อผู้ทบทวน
1	การตรวจวินิจฉัยจุดกำเนิดการชักด้วยการใส่ขั้วไฟฟ้า สำหรับผู้ป่วยลมชักต่อเนื่องยากันชัก	รศ. ดร. พญ.ธัญญรัตน์ อโนทัยสินทวี
2	การป้องกันการติดเชื้อในผู้ป่วยที่ได้รับการรักษาด้วยอุปกรณ์กระตุ้นไฟฟ้าหัวใจชนิดฝัง (CIEDs) ด้วยซองตาข่ายลดการติดเชื้อเคลือบยาปฏิชีวนะแบบย่อยสลายได้เอง (Absorbable Antibacterial Envelope)	ผศ. ดร. ภาณุ.สุรัชดา ชนโสภณ
3	การใช้อินซูลินปั๊ม (Insulin Pump) ในผู้ป่วยเบาหวานชนิดที่ 1	นางสาวพรอมา ราชศรี และ ภญ.สุธาสิณี คำหลวง
4	การรักษาผู้ป่วยโรคหัวใจเต้นผิดปกติชนิดเต้นช้า ด้วยเครื่องช่วยการเต้นของหัวใจถาวรแบบไร้สายชนิดกระตุ้นหัวใจแบบวัดสัญญาณสองห้อง (Transcatheter pacing system with AV Synchrony) และเครื่องช่วยการเต้นของหัวใจถาวรแบบไร้สาย ชนิดกระตุ้นหัวใจห้องเดียว ปรับอัตราการเต้นอัตโนมัติ (Single chamber transcatheter pacing system Leadless pacemaker)	ผศ.ดร.ภญ.กฤษณี สระมณี
5	การรักษาผู้ป่วยโรคหัวใจเต้นสั่นระริก (Atrial Fibrillation) ด้วยสายสวนหัวใจเพื่อการรักษาโรคหัวใจเต้นผิดจังหวะ ชนิดการจี้ด้วยอุณหภูมิ ต่ำกว่าจุดเยือกแข็ง (Cryoablation) และ ด้วย Left atrial appendage (LAA) occlusion device	รศ. ภก.วิระพล ภิบาลย์
6	อุปกรณ์ข้อไหล่เทียมแบบกลับด้าน (Reverse shoulder arthroplasty)	ภก.ศักดิ์โชติ เพชรสม นายณภดล พิมสาร ภญ.สุธาสิณี คำหลวง
7	การฟื้นฟูการทรงตัวและป้องกันการหกล้มของผู้สูงอายุ ผ่านโครงการ “สูงวัยไม่ล้ม” “สูงวัยล้มเป็น” และอื่นๆ ที่มีการศึกษาทดลองไว้แล้ว	ผศ. ดร. พญ.ศิรินาถ ตงศิริ
8	การใช้สายสวนลิ้นประสาทอัตโนมัติบริเวณหลอดเลือดแดงไต สำหรับผู้ป่วยโรคความดันโลหิตสูงที่ต่อการรักษาด้วยยา	พญ.ฐิติภรณ์ ตวงรัตนานนท์
9	เครื่องกระตุ้นหัวใจแบบสายกระตุ้นหัวใจอยู่ใต้ผิวหนัง (subcutaneous implantable defibrillator) เพื่อรักษาหัวใจห้องล่างเต้นเร็วผิดจังหวะพร้อมสายกระตุ้นหัวใจ	นายธนกิตต์ อธิบัติ ภญ.นิธิเจน กิตติรัชกุล
10	การฉายรังสีโปรตอนในผู้ป่วยโรคมะเร็งกลุ่มอวัยวะที่อยู่ใกล้อวัยวะสำคัญตามคำแนะนำ เปรียบกับวิธี photon แบบฉายรังสีร่วมฟิสิกส์ และปรับความเข้มข้น	น.ส.เบญจมาพร เอี่ยมสกุล และ น.ส.วิลารรณ ล้วนคงสมจิตร

การประชุมของนักวิชาการเพื่อเตรียมนำเสนอผลการทบทวนวรรณกรรม

เมื่อที่มิวิชาการทบทวนวรรณกรรมแล้วเสร็จ ทีมวิจัยได้จัดประชุมนักวิชาการเพื่อข้อมนำเสนอผลการทบทวนวรรณกรรม ในวันที่ 7 สิงหาคม 2566 เป็นการประชุมออนไลน์ผ่านโปรแกรม Zoom โดยมีวัตถุประสงค์ เพื่อเตรียความพร้อมของทีมวิชาการ และเพื่อตรวจสอบความถูกต้องและครบถ้วนของข้อมูลที่ได้จากการทบทวนวรรณกรรม โดยในปี 2566 นี้ มีหัวข้อปัญหา ที่เข้าสู่กระบวนการทบทวนวรรณกรรมจำนวน 10 หัวข้อ และมีที่มิวิชาการจำนวน 15 ท่านดำเนินการทบทวนเอกสารวิชาการทั้งไทยและต่างประเทศ

ในการประชุมครั้งนี้ ทีมวิชาการที่ทบทวนวรรณกรรมแต่ละหัวข้อปัญหา ได้นำเสนอข้อมูลหัวข้อละไม่เกิน 5 นาที และที่ประชุมอภิปรายร่วมกันไม่เกินหัวข้อละ 5 นาที ทั้งนี้ได้มีผู้เสนอหัวข้อปัญหา จากทุกภาคส่วน รวมทั้งผู้เชี่ยวชาญแต่ละด้านเข้าร่วมรับฟังและอภิปรายในการประชุมครั้งนี้ด้วย

รายละเอียดการประชุมของนักวิชาการเพื่อเตรียมนำเสนอผลการทบทวนวรรณกรรมฯ จะนำเสนอ ดังนี้

1) วาระการประชุม

รายละเอียดวาระการประชุมตาม *เอกสารแนบ 12*

2) รายงานการประชุม

ประกอบด้วย รายชื่อผู้เข้าร่วมประชุม ประเด็นการอภิปราย และมติที่ประชุม

รายละเอียดรายงานการประชุมตาม *เอกสารแนบ 13*

3) รายละเอียดการนำเสนอแต่ละหัวข้อ

รายละเอียดประกอบการนำเสนอแต่ละหัวข้อตาม *เอกสารแนบ 14-23*

4) เอกสารประกอบการประชุมอื่นๆ

ไฟล์ภาพและเสียงการประชุม

รายละเอียดไฟล์ภาพและเสียงการประชุมตาม *เอกสารแนบ 24*

หมายเหตุ ตาม พ.ร.บ. คุ้มครองข้อมูลส่วนบุคคล พ.ศ. 2562 (PDPA) ห้ามเผยแพร่ไฟล์ภาพและเสียงการประชุม ดังกล่าว

5.1.2 สรุปหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพของหัวข้อ UCBP ที่ผ่านการจัดลำดับความสำคัญ เสนอต่อที่ประชุมคณะทำงานคัดเลือกหัวข้อฯ และคณะอนุกรรมการกำหนดประเภทและขอบเขตบริการฯ

ทีมวิจัยรวบรวมข้อมูลผลการทบทวนวรรณกรรมหัวข้อ UCBP ของที่มิวิชาการและเครือข่ายวิจัย ที่ปรับแก้ไขตามข้อคิดเห็นของที่ประชุมนักวิชาการเพื่อเตรียมนำเสนอผลการทบทวนวรรณกรรม โดยนำเสนอผลการทบทวนวรรณกรรม ต่อที่ประชุมคณะทำงานคัดเลือกหัวข้อฯ เข้าสู่การประเมินความจำเป็นและผลกระทบเพื่อกำหนดประเภทและขอบเขตในการให้บริการสาธารณสุข ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ ครั้งที่ 2 วันที่ 30 สิงหาคม 2566 โดยทีม สปสช. เป็นผู้ดำเนินการจัดประชุม และที่มิวิชาการที่ร่วมทบทวนวรรณกรรมเป็นผู้นำเสนอข้อมูลประกอบแต่ละหัวข้อปัญหา

รายละเอียดประกอบการนำเสนอตาม *เอกสารแนบ 25*

มติที่ประชุมพิจารณาปรับคะแนนใหม่ รายละเอียดตามตารางที่ 3

ตารางที่ 3 สรุปคะแนนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ UCBP ปี 2566

ที่	ชื่อหัวข้อ	เกณฑ์ 1	เกณฑ์ 2	เกณฑ์ 3	เกณฑ์ 4	เกณฑ์ 5	เกณฑ์ 6	คะแนนรวม
1	การตรวจวินิจฉัยจุดกำเนิดการชักด้วยการใส่ขั้วไฟฟ้า สำหรับผู้ป่วยลมชักติดต่อยากันชัก	3	5	5	1	5	3	22
2	การฉายรังสีโปรตอนในผู้ป่วย โรคมะเร็งกลุ่มอวัยวะที่อยู่ใกล้ อวัยวะสำคัญตามคำแนะนำ เปรียบกับวิธี photon แบบฉาย รังสีร่วมพิกัด และปรับความเข้มข้น	1	4-5	3	3	5	2	18-19
3	การรักษาผู้ป่วยโรคหัวใจเต้น ผิดปกติด้วยเครื่องช่วยการเต้น ของหัวใจถาวรแบบไร้สายชนิดกระตุ้นหัวใจแบบวัดสัญญาณ สองห้อง (Transcatheter pacing system with AV Synchrony) และ เครื่องช่วย การเต้นของหัวใจถาวรแบบไร้สาย ชนิดกระตุ้นหัวใจห้องเดียว ปรับอัตราการเต้นอัตโนมัติ (Single chamber transcatheter pacing system Leadless pacemaker	1-2	5	4 (AV) 2 (VR)	1	5	1-2	17-19 (AV) 15-17 (VR)
4	การรักษาผู้ป่วยโรคหัวใจเต้นสั่นระริก (Atrial Fibrillation) ด้วยสายสวนหัวใจเพื่อการรักษา โรคหัวใจเต้นผิดจังหวะชนิดการจี้ด้วยอุณหภูมิต่ำกว่าจุดเยือกแข็ง (Cryoablation) และ ด้วย Left atrial appendage (LAA) occlusion device	1-2	5	4	1	5	1-2	17-19
5	การใช้อินซูลินปั๊ม (Insulin Pump) ในผู้ป่วยเบาหวานชนิดที่ 1	2	5	3	1	5	1	17

ที่	ชื่อหัวข้อ	เกณฑ์ 1	เกณฑ์ 2	เกณฑ์ 3	เกณฑ์ 4	เกณฑ์ 5	เกณฑ์ 6	คะแนนรวม
6	เครื่องกระตุ้นหัวใจแบบสาย กระตุกหัวใจอยู่ใต้ผิวหนัง (subcutaneous implantable defibrillator) เพื่อรักษาหัวใจห้องล่างเต้นเร็วผิดปกติจังหวะพร้อม สายกระตุ้นหัวใจ	1	3-5	3	1	5	2	15-17
7	อุปกรณ์ข้อไหล่เทียมแบบกลับ ด้าน (Reverse shoulder arthroplasty)	3	4	2	1	5	1	16
8	การใช้สายสวนจี้เส้นประสาท อีตโนมัตติบริเวณหลอดเลือดแดงไต สำหรับผู้ป่วยโรคความดันโลหิตสูงที่ต้องได้รับการรักษาด้วยยา*	3	4	1	1	5	1	15
9	การฟื้นฟูการทรงตัวและป้องกัน การหกล้มของผู้สูงอายุผ่านโครงการ “สูงวัยไม่ล้ม” “สูงวัย ล้มเป็น” และอื่น ๆ ที่มี การศึกษาทดลองไว้แล้ว	4	5	1-2	1	1	1	13-14
10	การป้องกันการติดเชื้อในผู้ป่วยที่ได้รับการรักษาด้วยอุปกรณ์กระตุ้นไฟฟ้าหัวใจชนิดฝัง (CIEDs) ด้วยซองตาข่ายลดการ ติดเชื้อ เคลือบยาปฏิชีวนะแบบ ย่อยสลายได้เอง (Absorbable Antibacterial Envelope)*	1	2	2	1	2	2	10

ที่มา รายงานการประชุมคณะกรรมการคัดเลือกหัวข้อและจัดลำดับความสำคัญเข้าสู่การประเมินความจำเป็นและผลกระทบเพื่อกำหนดประเภทและขอบเขตในการให้บริการสาธารณสุข ครั้งที่ 2/2566 วันที่ 30 สิงหาคม 2566

* คือ หัวข้อที่ไม่ต้องนำไปประเมินความคุ้มค่า จำนวน 2 หัวข้อ ดังนี้

1. การป้องกันการติดเชื้อในผู้ป่วยที่ได้รับการรักษาด้วยอุปกรณ์กระตุ้นไฟฟ้าหัวใจชนิดฝัง (CIEDs) ด้วยซองตาข่ายลดการติดเชื้อเคลือบยาปฏิชีวนะแบบย่อยสลายได้เอง (Absorbable Antibacterial Envelope) เนื่องจากซองตาข่ายไม่มีประสิทธิผลเมื่อเทียบกับการรักษาโดยไม่มีซองตาข่าย
2. การใช้สายสวนจี้เส้นประสาทอัตโนมัติบริเวณหลอดเลือดแดงไต สำหรับผู้ป่วยโรคความดันโลหิตสูงที่ดื้อต่อการรักษาด้วยยา เนื่องจากไม่พบหลักฐานเรื่องความแตกต่างของประสิทธิผลเทคโนโลยีด้านสุขภาพของการใช้สายสวนจี้เส้นประสาทอัตโนมัติบริเวณหลอดเลือดแดงไต เปรียบเทียบกับการรักษาด้วยยา

มติที่ประชุม เห็นชอบการจัดลำดับความสำคัญของข้อเสนอหัวข้อปัญหา/เทคโนโลยีสุขภาพเพื่อการประเมินความจำเป็นและผลกระทบเพื่อกำหนดประเภทและขอบเขตในการให้บริการสาธารณสุข ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ ประจำปี 2566 และเสนอต่อคณะกรรมการกำหนดประเภทและขอบเขตฯ เพื่อพิจารณาต่อไป

5.2 หัวข้อปัญหาของโรคหายาก

การดำเนินงานของโรคหายาก (rare disease) ที่มิวิจัยได้ดำเนินการใน 3 กิจกรรมหลัก คือ 1) การทบทวนวรรณกรรมทั้งไทยและต่างประเทศเกี่ยวกับโรคหายาก ตามที่ได้นำเสนอในข้อ 3.2 2) การจัดทำเกณฑ์การพิจารณาหัวข้อโรคหายาก เพื่อสนับสนุนการดำเนินงานพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ภายใต้ระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ และ 3) การจัดทำข้อมูลเบื้องต้นเพื่อสนับสนุนกระบวนการคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก

5.2.1 เกณฑ์การจัดลำดับความสำคัญและการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก

เกณฑ์การจัดลำดับความสำคัญและการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก ใช้สำหรับการคัดเลือกหัวข้อเข้าสู่กระบวนการศึกษาวิจัย โดยหลักการทั่วไปของการพิจารณาให้คะแนนตามเกณฑ์การจัดลำดับความสำคัญหัวข้อโรคหายากเข้าสู่การประเมินฯ ให้พิจารณาเป็นภาพรวมทั้งระบบการดูแลรักษาผู้ป่วยโรคหายาก กล่าวคือ ครอบคลุมทั้งบริการและเทคโนโลยีสำหรับการป้องกันโรค การตรวจวินิจฉัยและยืนยันโรค การรักษาและ/หรือฟื้นฟูสุขภาพ เพื่อให้สอดคล้องกับหลักการพัฒนาสิทธิประโยชน์สำหรับโรคหายากที่มุ่งเน้นการให้บริการผู้ป่วยอย่างทั่วถึงและครบวงจร

เกณฑ์การจัดลำดับความสำคัญและการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ ประกอบด้วย 5 ประเด็น ดังนี้

1. ความรุนแรงของโรค
2. ประสิทธิภาพของเทคโนโลยี
3. ความพร้อมของบริการ
4. สิทธิสวัสดิการรักษาและการเข้าถึงบริการ
5. ผลกระทบทางเศรษฐกิจครัวเรือน

รายละเอียดเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก ตามเอกสารแนบ 26

เกณฑ์การพิจารณาหัวข้อโรคหายากดังกล่าวข้างต้น ได้ผ่านความเห็นชอบจากคณะกรรมการกำหนดประเภทและขอบเขตในการให้บริการสาธารณสุข ครั้งที่ 3/2566 เมื่อวันที่ 26 มิถุนายน 2566 เพื่อใช้ในการทบทวนข้อมูลและพิจารณาคัดเลือกหัวข้อปัญหาของโรคหายาก

5.2.2 พิจารณาคัดเลือกหัวข้อปัญหาและจัดลำดับความสำคัญเบื้องต้นของหัวข้อโรคหายาก (rare disease) ตามเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก

ทีมวิจัยตรวจรับหัวข้อปัญหาของโรคหายาก ที่ได้รับมอบจาก สปสช. ซึ่ง สปสช. ได้พิจารณากลับกรองหัวข้อปัญหาของโรคหายากและคัดเลือกในเบื้องต้นเหลือ 26 หัวข้อ และทีมวิจัยได้จัดทำข้อมูลเบื้องต้นของหัวข้อปัญหา ทั้ง 26 หัวข้อ คือ 1) ชื่อหัวข้อ และ 2) สรุปข้อมูลตามรูปแบบ PICO ซึ่งประกอบด้วย ประชากร (P: Population), เทคโนโลยี/โปรแกรม/บริการทางสุขภาพ (I: Intervention), แนวทางการรักษาเดิม (C: Comparator) และ ผลลัพธ์ที่ต้องการ (O: Outcome) สำหรับนำเสนอต่อที่ประชุมคณะทำงานพัฒนาระบบบริหารจัดการโรคหายาก ครั้งที่ 1 วันที่ 10 มีนาคม 2566 โดย สปสช. เป็นผู้ดำเนินการจัดประชุม และทีมวิจัยเป็นผู้นำเสนอข้อมูลประกอบแต่ละหัวข้อปัญหา

มติที่ประชุมคณะกรรมการพัฒนาระบบบริหารจัดการโรคหายาก มอบโครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ (HITAP) จัดหาทีมวิชาการร่วมทบทวนวรรณกรรมหัวข้อปัญหาโรคหายาก และให้คะแนนตามเกณฑ์ จำนวน 26 หัวข้อ² เพื่อนำเข้าพิจารณาในการประชุมครั้งต่อไป

การทบทวนวรรณกรรมตามเกณฑ์การพิจารณา

ทีมวิจัย สรรหาทีมวิชาการรวมทั้งเครือข่ายทีมวิจัยโครงการ UCBP เพื่อร่วมทบทวนวรรณกรรมหัวข้อปัญหาของโรคหายาก ตามรูปแบบ PICO เกณฑ์การพิจารณาทั้ง 5 เกณฑ์ และเตรียมข้อมูลวิชาการที่เกี่ยวข้องกับหัวข้อปัญหา รวมทั้งให้คะแนนในเบื้องต้นตามเกณฑ์เพื่อใช้ประกอบการพิจารณา โดยจัดประชุมชี้แจงและทำความเข้าใจร่วมกันกับทีมวิชาการ 1 ครั้ง โดยทีมวิชาการจะเลือกหัวข้อโรคหายาก ทั้ง 26 หัวข้อ ตามความรู้ความเชี่ยวชาญ โดยทีมวิจัยมีการจัดประชุมเพื่อชี้แจงและทำความเข้าใจเกี่ยวกับรูปแบบของการทบทวนวรรณกรรมเพื่อให้ทีมวิชาการเข้าใจตรงกัน

รายงานผลการทบทวนวรรณกรรมหัวข้อปัญหาของโรคหายาก รายละเอียด ตามเอกสารแนบ 27-52 และสรุปใน ตารางที่ 4

ตารางที่ 4 รายงานผลการทบทวนวรรณกรรมของหัวข้อโรคหายาก

ที่	ชื่อหัวข้อ	ชื่อผู้ทบทวน
1	Acquired hemophilia A	ภญ.สุธาสินี คำหลวง และ Miss Kinanti Khansa Chavarina
2	Amyloidosis	คุณจิราธร สุตะวงศ์ และ คุณวิลาสินี สำเนียง
3	Hyper eosinophilic Syndrome	ผศ. ภก.ปวิช พากฎิพัทธ์
4	Idiopathic inflammatory myopathy (juvenile dermatomyositis, dermatomyositis, juvenile polymyositis, polymyositis, immune mediated necrotizing myopathy, inclusion body myositis, overlap myositis)	ผศ.ทิภาดา สามสีทอง
5	Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis	ผศ. ดร. นพ.อุดมศักดิ์ แซ่โง้ว
6	การตรวจวินิจฉัยเพื่อป้องกันการเกิดซ้ำของกลุ่มทารกที่มีความผิดปกติทางโครงสร้างของโครโมโซม	รศ. ดร. พญ.ภัทรวลัย ตลิ่งจิตร
7	X-linked hypophosphataemia	รศ. ดร. ภญ.อัญชลี เพิ่มสุวรรณ
8	โรคลมชักไม่ตอบสนองต่อยาต้านชักในทารก (Drug resistance epilepsy)	ผศ. ดร. ภญ.ณัฐธิญา คำผล
9	โรคแฟเบรย์ (Fabry Disease)	ดร. ทพญ.ปิยดา แก้วเขียว

² รายงานการประชุมคณะกรรมการพัฒนาระบบการบริหารจัดการโรคหายาก ครั้งที่ 1/2566 วันที่ 10 มีนาคม 2566

ที่	ชื่อหัวข้อ	ชื่อผู้ทบทวน
10	โรคหลอดเลือดอักเสบแอนติบอดีรุนแรง (Severe Anti-neutrophil cytoplasmic autoantibody (ANCA)-associated vasculitis; AAV)	ผศ. พญ.กนกพร สุขโต
11	Primary immunodeficiency Disorder (โรคภูมิคุ้มกันบกพร่องปฐมภูมิ) (ยา IVIG)	ภก.ศักดิโชติ เพชรสม และ ภญ.พรณภัทร เฉิดฉินนภา
12	Idiopathic pulmonary hypertension (IPAH) particularly in children	คุณมันตา กรกฏ และ คุณอธิพร เรืองทวีป
13	Niemann-Pick type C	รศ. ดร. ภญ.มนตรีรัตน์ ถาวรเจริญทรัพย์
14	ภาวะพิการแต่กำเนิดซ้ำซ้อน/ออทิสซึม/ความบกพร่องทางเซาว์ ปัญญาที่มีสาเหตุจากการขาดหายหรือเกินขนาดเล็กของชิ้นส่วน โครโมโซม (multiple anomalies, autism, intellectual disability caused by microdeletion/microduplication of chromosome)	คุณนิธิกร จันทร์แดง และ คุณธนกิตต์ อธิบัติ
15	Autoinflammatory diseases	ดร. ภญ.พรชนก ศรีมงคล
16	Pulmonary alveolar proteinosis (PAP)	ภญ.โชติกา สุวรรณพานิช และ คุณศวัส ขำประเสริฐ
17	Eosinophilic granulomatosis with polyangiitis	ผศ. ดร. ภญ.ศิตาพร ยังคง
18	Usher syndrome	ภญ.ปานทิพย์ จันทมา และ คุณชนิตา เอกอัครรุ่งโรจน์
19	Autoimmune inner ear disease (AIED)	ภญ.ปานทิพย์ จันทมา และ คุณชนิตา เอกอัครรุ่งโรจน์
20	Rare hereditary hemolytic anemias other than thalassemia and G6PD deficiency : RBC membrane disorders, RBC enzyme deficiencies, KLF1-related hemolytic anemia, other rare hereditary hemolytic anemias	ดร. ภญ.วนรัตน์ อนุสรณ์เสงี่ยม
21	Pendred Syndrome	ภญ.บุสดี โสบุญ และ นสภ.กรกช พรเสมอภาค
22	Budd-Chiari syndrome	ดร.นภดล พิมสาร และ คุณมานิต สิทธิมาตร
23	Thromboangiitis obliterans (Buerger's disease)	ดร. ภญ.อารีรัตน์ ลีละธนาฤกษ์
24	Idiopathic portal hypertension	ภญ.ชิตววรรณ พูนศิริ Miss Annapoorna Prakash
25	โรคโกเชอร์ (Gaucher)*	ภญ.วรัญญา รัตน์วิภาพงษ์ และ

ที่	ชื่อหัวข้อ	ชื่อผู้ทบทวน
		คุณกิตติศักดิ์ ศรีปุย
26	โรคมัลติเพิลสเคอโรสิส (Multiple sclerosis; MS) หรือ เอ็มเอส*	คุณธนกร เจริญกิตติวุฒ และ ภญ.ฉมลวรรณ ดุลสัมพันธ์

* หัวข้อลำดับที่ 25-26 ที่ประชุมพิจารณาตัดออกเนื่องจาก เป็นหัวข้อที่กำลังศึกษาวิจัย และอีกหัวข้อเป็นยาได้ถูกบรรจุในบัญชียาหลักแห่งชาติแล้ว จึงเหลือหัวข้อที่พิจารณาจัดลำดับความสำคัญ 24 หัวข้อ

การประชุมของนักวิชาการเพื่อเตรียมนำเสนอผลการทบทวนวรรณกรรมหัวข้อโรคหายาก

เมื่อทีมวิชาการทบทวนวรรณกรรมแล้วเสร็จ ทีมวิจัยได้จัดประชุมนักวิชาการเพื่อเตรียมนำเสนอผลการทบทวนวรรณกรรมหัวข้อปัญหาของโรคหายาก ในวันที่ 29 สิงหาคม 2566 เป็นการประชุมออนไลน์ผ่านโปรแกรม Zoom โดยมีวัตถุประสงค์เพื่อเตรียมความพร้อมของทีมวิชาการ และเพื่อตรวจสอบความถูกต้องและครบถ้วนของข้อมูลที่ได้จากการทบทวนวรรณกรรม โดยมีทีมวิชาการจำนวน 39 ท่าน ดำเนินการทบทวนเอกสารวิชาการทั้งไทยและต่างประเทศ ของหัวข้อโรคหายาก จำนวน 26 เรื่อง ซึ่งในการประชุมครั้งนี้ ทีมวิชาการที่ทบทวนวรรณกรรมแต่ละหัวข้อปัญหา ได้นำเสนอข้อมูลหัวข้อละไม่เกิน 5 นาที และอภิปรายร่วมกันไม่เกินหัวข้อละ 5 นาที ทั้งนี้ได้มีผู้เสนอหัวข้อปัญหา จากคณะทำงานโรคหายากฯ และผู้เชี่ยวชาญด้านโรคหายาก เข้าร่วมรับฟังและอภิปรายในการประชุมครั้งนี้ด้วย

รายละเอียดการประชุมของนักวิชาการเพื่อเตรียมนำเสนอผลการทบทวนวรรณกรรมหัวข้อปัญหาของโรคหายาก จะนำเสนอ ดังนี้

1) วาระการประชุม

รายละเอียดวาระการประชุมตาม *เอกสารแนบ 53*

2) รายงานการประชุม

ประกอบด้วย รายชื่อผู้เข้าร่วมประชุม ประเด็นการอภิปราย และมติที่ประชุม

รายละเอียดรายงานการประชุมตาม *เอกสารแนบ 54*

3) รายละเอียดการนำเสนอแต่ละหัวข้อ

รายละเอียดประกอบการนำเสนอแต่ละหัวข้อตาม *เอกสารแนบ 55-80*

4) เอกสารประกอบการประชุมอื่นๆ

ไฟล์ภาพและเสียงการประชุม

รายละเอียดไฟล์ภาพและเสียงการประชุมตาม *เอกสารแนบ 81*

หมายเหตุ ตาม พ.ร.บ. คุ้มครองข้อมูลส่วนบุคคล พ.ศ. 2562 (PDPA) ห้ามเผยแพร่ไฟล์ภาพและเสียงการประชุม ดังกล่าว

5.2.3 สรุปหัวข้อปัญหาของโรคหายาก ที่ผ่านการจัดลำดับความสำคัญ เสนอต่อที่ประชุม คณะทำงานคัดเลือกหัวข้อฯ หรือคณะทำงานโรคหายากฯ และคณะกรรมการกำหนดประเภทและขอบเขตบริการฯ

ทีมวิจัยรวบรวมข้อมูลผลการทบทวนวรรณกรรมหัวข้อปัญหาของโรคหายาก ของทีมวิชาการและเครือข่ายวิจัย ที่ปรับแก้ไขตามข้อคิดเห็นของที่ประชุมนักวิชาการเพื่อเตรียมนำเสนอผลการทบทวนวรรณกรรม โดยนำเสนอผลการทบทวนวรรณกรรมต่อที่ประชุมคณะทำงานโรคหายาก ครั้งที่ 2 วันที่ 11 กันยายน 2566 โดยทีม สปสช. เป็นผู้ดำเนินการจัดประชุม และทีมวิชาการที่ร่วมทบทวนวรรณกรรมเป็นผู้ นำเสนอข้อมูลประกอบแต่ละหัวข้อปัญหาในรูปแบบ VDO นำเสนอหัวข้อละไม่เกิน 5 นาที

รายละเอียดประกอบการนำเสนอตาม เอกสารแนบ 82-84

ที่ประชุมฯ พิจารณาและให้ข้อคิดเห็นต่อหัวข้อปัญหาโรคหายาก ดังนี้

- 1) หัวข้อปัญหาโรคหายากที่เสนอเข้าสู่กระบวนการพัฒนาสิทธิประโยชน์สำหรับโรคหายาก 10 หัวข้อ
- 2) แนวทางการดำเนินการสำหรับหัวข้อปัญหาโรคหายาก 14 หัวข้อ โดยให้นำมาพิจารณาใหม่ในปีถัดไป
- 3) ส่งคืนหัวข้อที่มียาได้ถูกบรรจุในบัญชียาหลักแห่งชาติ 1 หัวข้อ และหัวข้อที่กำลังศึกษาวิจัย 1 หัวข้อ
- 4) มอบ สปสช. เสนอคณะกรรมการกำหนดประเภทและขอบเขตในการให้บริการ สาธารณสุขต่อไป

รายละเอียดการเรียงลำดับหัวข้อ ดังตารางที่ 5

ตารางที่ 5 สรุปหัวข้อปัญหาโรคหายากที่เรียงตามลำดับคะแนน

ลำดับ	10 หัวข้อ ที่มีลำดับคะแนนสูงสุด		14 หัวข้อ ที่มีลำดับคะแนนรองลงมา	
	ชื่อหัวข้อ	คะแนน	ชื่อหัวข้อ	คะแนน
1	Acquired hemophilia A	22	Primary immunodeficiency Disorder (โรคภูมิคุ้มกันบกพร่องปฐมภูมิ) (ยา IVIG)	17
2	Amyloidosis	21	Idiopathic pulmonary hypertension (IPAH) particularly in children	17
3	Hypereosinophilic Syndrome	21	Niemann-Pick type C	17
4	Idiopathic inflammatory myopathy (juvenile dermatomyositis, dermatomyositis, juvenile polymyositis, polymyositis, immune mediated necrotizing myopathy, inclusion body myositis, overlap myositis)	21	ภาวะพิการแต่กำเนิดซ้ำซ้อน/ออทิสซึม/ความบกพร่องทางเชาวน์ปัญญาที่มีสาเหตุจากการขาดหายหรือเกินขนาดเล็กน้อยของชิ้นส่วนโครโมโซม (multiple anomalies, autism, intellectual disability caused by microdeletion/microduplication of chromosome)	17
5	Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis	20	Autoinflammatory diseases	17
6	การตรวจวินิจฉัยเพื่อป้องกันการเกิดซ้ำของกลุ่มทารกที่มีความผิดปกติทางโครงสร้างของโครโมโซม	20	Pulmonary alveolar proteinosis (PAP)	17
7	X-linked hypophosphataemia	19	Eosinophilic granulomatosis with polyangiitis	16
8	โรคลมชักไม่ตอบสนองต่อยาชักในทารก (Drug resistance epilepsy)	19	Usher syndrome	16
9	โรคแฟเบรย์ (Fabry Disease)	18	Autoimmune inner ear disease (AIED)	15
10	โรคหลอดเลือดอักเสบแอนติบอดีรุนแรง (Severe Anti-neutrophil cytoplasmic autoantibody (ANCA)-associated vasculitis; AAV)	18	Rare hereditary hemolytic anemias other than thalassemia and G6PD deficiency : RBC membrane disorders, RBC enzyme deficiencies, KLF1-related hemolytic anemia, other rare hereditary hemolytic anemias	15

ลำดับ	10 หัวข้อ ที่มีลำดับคะแนนสูงสุด		14 หัวข้อ ที่มีลำดับคะแนนรองลงมา	
	ชื่อหัวข้อ	คะแนน	ชื่อหัวข้อ	คะแนน
11			Pendred Syndrome	15
12			Budd-Chiari syndrome	14
13			Thromboangiitis obliterans (Buerger's disease)	13
14			Idiopathic portal hypertension	9

ที่มา รายงานการประชุมคณะทำงานพัฒนาระบบการดูแลรักษาโรคหายาก ครั้งที่ 2/2566 วันที่ 11 กันยายน 2566

6. สรุปผลการดำเนินงาน

การดำเนินงานโครงการ UCBP ปี 2566 และการดำเนินงานหัวข้อโรคหายาก ผลการพิจารณาจัดลำดับความสำคัญและการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อฯ ของทั้งสองประเภทดังกล่าว ได้ผ่านการพิจารณาอนุมัติจากที่ประชุมคณะกรรมการกำหนดประเภทและขอบเขตบริการฯ ให้ สปสช. ส่งต่อแหล่งทุนเพื่อประกาศหาทีมวิจัยเพื่อทำการศึกษาวิจัยต่อไป ซึ่งสรุปหัวข้อทั้งสองประเภทที่ผ่านการพิจารณา คือ

1) หัวข้อ UCBP 66 ผ่านการพิจารณาเข้าสู่กระบวนการศึกษาวิจัยจำนวน 8 หัวข้อ รายละเอียดตามตารางที่ 3

2) หัวข้อปัญหาโรคหายาก ให้พิจารณาเข้าสู่กระบวนการศึกษาในหัวข้อที่มีลำดับคะแนนสูงสุด 10 อันดับแรก รายละเอียดตามตารางที่ 5 ส่วนหัวข้อที่มีลำดับถัดไปให้พิจารณานำเข้ากระบวนการพิจารณาคัดเลือกหัวข้ออีกครั้งในปีถัดไป

การดำเนินงานตลอดทั้งกระบวนการ ทีมวิจัยเน้นการเข้ามามีส่วนร่วมจากทุกภาคส่วนในทุกขั้นตอน เพื่อให้การดำเนินงานมีความเป็นระบบและโปร่งใส ผู้เสนอหัวข้อมีความเข้าใจเกี่ยวกับรูปแบบและข้อมูลที่ใช้ประกอบการเสนอหัวข้อปัญหา เครือข่ายทีมวิจัยและนักวิชาการ ได้มีโอกาสร่วมแลกเปลี่ยนเรียนรู้กระบวนการทบทวนวรรณกรรม และการศึกษาวิจัยถือเป็นการสร้างทีมสร้างเครือข่ายทีมวิจัยโครงการ UCBP ให้มีความเข้มแข็งเพิ่มมากขึ้น

7. รายการเอกสารแนบ

ข้อมูลรายละเอียดของเอกสารแนบที่เกี่ยวข้อง โดยสรุปดังนี้

หัวข้อหลัก	หัวข้อย่อย	เอกสารประกอบ
พิจารณาคัดเลือกหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพและจัดลำดับความสำคัญเบื้องต้นของหัวข้อ UCBP ปี 2566 ตามเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ	การทบทวนวรรณกรรมตามเกณฑ์การพิจารณา - เกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ - รายงานผลการทบทวนวรรณกรรมของหัวข้อปัญหาฯ ปี 2566	เอกสารแนบ 1 เอกสารแนบ 2-11
	การประชุมของนักวิชาการเพื่อเตรียมนำเสนอผลการทบทวนวรรณกรรมฯ - วาระการประชุม - รายงานการประชุม - รายละเอียดการนำเสนอแต่ละหัวข้อ - เอกสารประกอบการประชุมอื่นๆ	เอกสารแนบ 12 เอกสารแนบ 13 เอกสารแนบ 14-23 เอกสารแนบ 24
สรุปหัวข้อปัญหาและ/หรือเทคโนโลยีสุขภาพของหัวข้อ UCBP ที่ผ่านการจัดลำดับความสำคัญ เสนอต่อที่ประชุมคณะทำงานคัดเลือกหัวข้อฯ และ	รายละเอียดประกอบการนำเสนอ	เอกสารแนบ 25

หัวข้อหลัก	หัวข้อย่อย	เอกสารประกอบ
คณะอนุกรรมการกำหนดประเภทและขอบเขตบริการฯ		
เกณฑ์การจัดลำดับความสำคัญและการพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก	- เกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก	เอกสารแนบ 26
พิจารณาคัดเลือกหัวข้อปัญหาและจัดลำดับความสำคัญเบื้องต้นของหัวข้อโรคหายาก (rare disease) ตามเกณฑ์การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อโรคหายาก	การทบทวนวรรณกรรมตามเกณฑ์การพิจารณา - รายงานผลการทบทวนวรรณกรรมหัวข้อโรคหายาก	เอกสารแนบ 27-52
	การประชุมของนักวิชาการเพื่อเตรียมนำเสนอผลการทบทวนวรรณกรรมฯ หัวข้อโรคหายาก - วาระการประชุม - รายงานการประชุม - รายละเอียดการนำเสนอแต่ละหัวข้อ - เอกสารประกอบการประชุมอื่นๆ	เอกสารแนบ 53 เอกสารแนบ 54 เอกสารแนบ 55-80 เอกสารแนบ 81
สรุปหัวข้อปัญหาของโรคหายาก ที่ผ่านการจัดลำดับความสำคัญ เสนอต่อที่ประชุมคณะทำงานคัดเลือกหัวข้อฯ หรือคณะทำงานโรคหายากฯ และคณะอนุกรรมการกำหนดประเภทและขอบเขตบริการฯ	รายละเอียดประกอบการนำเสนอ	เอกสารแนบ 82-84

8. เอกสารอ้างอิง

1. สำนักพัฒนานโยบายและยุทธศาสตร์, สปสช. ยุทธศาสตร์การพัฒนาระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ ฉบับที่ 4 (พ.ศ.2560-2564) ฉบับทบทวน พ.ศ.2562 คณะกรรมการหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ 2561.
2. รายงานการสาธารณสุขไทย ปี 2551 - 2553. บทที่ 14 การสร้างหลักประกันสุขภาพถ้วนหน้าในประเทศไทย. สำนักนโยบายและยุทธศาสตร์ กระทรวงสาธารณสุข. โรงพิมพ์องค์การสงเคราะห์ทหารผ่านศึก. 2554 (หน้า 465-484).
3. สำนักงานพัฒนานโยบายสุขภาพระหว่างประเทศ (IHPP), (HITAP) โ. โครงการศึกษาเพื่อพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ภายใต้ระบบหลักประกันสุขภาพถ้วนหน้า ฉบับที่ 1. นนทบุรี: บริษัท เดอะ กราฟิโก ซิสเต็มส์ จำกัด 2554.
4. Department of Health and Ageing. Review of Health Technology Assessment in Australia. 2009 December 2009.
5. Department of Health. Health Technology Assessment (HTA) 2017 [updated 27 February 2017]. Available from: <https://www1.health.gov.au/internet/hta/publishing.nsf/Content/home-1>
6. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. Procedures for the CADTH Common Drug Review and Interim Plasma Protein Product Review. 2020 25 June 2020. 2020.
7. Ontario Public Drug Programs. Ontario Guidelines for Drug Submission and Evaluation. 2016.
8. National Institute for Health and Care Excellence. Guide to the processes of technology appraisal. 2018.
9. Ruth Thorlby. International Health Care System Profiles; England: The commonwealth fund; 2020 [updated June 5, 2020. Available from: <https://www.commonwealthfund.org/international-health-policy-center/countries/england>. [
10. Smith PC CK. Should countries set an explicit health benefits package? the case of the English National health service. Value in Health. 2017;20(1):60-6.
11. Med Tech Reimbursement Consulting. Ongoing medical technology and IVD-related HTA projects at Swedish SBU [Internet]2017 26 May 2017. Available from: <https://mtrconsult.com/news/ongoing-medical-technology-and-ivd-related-hta-projects-swedish-sbu>.
12. Swedish Agency For Health Technology Assessment of Social Services. Assessment of methods in health care and social services. 2018.
13. Malin Blixt, Björn Södergård, Sanna Hiort, Caroline Nilsson, and Nathalie Eckard. Final report: Economic evaluation of medical devices. 2015.
14. Shah SMB, Barron A, Klinger C, Wright JS. A regulatory governance perspective on Health Technology Assessment (HTA) in Sweden. Health policy. 2014;116(1):27-36.
15. Rode J. Rare Diseases: understanding this Public Health Priority. 2005.

16. Schieppati A, Henter J-I, Daina E, Aperia A. Why rare diseases are an important medical and social issue. *The Lancet*. 2008;371(9629):2039-41.
17. de Vrueth R, Baekelandt E, de Haan J. Background Paper 6.19 Rare Diseases. 2013.
18. National Organization for Rare Disorders. NORD (National Organization for Rare Disorders). [cited 10 August 2017]; Available from: <https://rarediseases.org/>.
19. Online M. เปิด 5 โรคหายากในไทย ส่งผลต่อสมอง รักษาเข้าถึงชั้นตาย!! [updated 14 November 2016; cited 8 August 2017]; Available from: <http://www.manager.co.th/gol/ViewNews.aspx?NewsID=9590000113855>.
20. Interagency Task Force. Significant Drugs of Limited Commercial Value. 1979.
21. NORD. Major milestones driving progress on behalf of rare disease patients. [cited 18 September 2017]; Available from: <https://rarediseases.org/web-content/uploads/2014/12/NORD-TimeLine.pdf>.
22. Kanatani Y, Tomita N, Sato Y, Eto A, Omoe H, Mizushima H. National registry of designated intractable diseases in Japan: present status and future prospects. *Neurologia medico-chirurgica*. 2017;57(1):1-7.
23. Nishimura Y, editor. Current situation regarding NANBYO policy in Japan. The VIII International Conference on Rare Diseases and Orphan Drugs (ICORD); 2013; St. Petersburg, Russia: Istituto Superiore di Sanità.
24. Y N. Current situation regarding NANBYO policy in Japan. In: Taruscio D SS, editor. RARE DISEASES AND ORPHAN DRUGS An International Journal of Public Health: Istituto Superiore di SanitàPrint; 2014.
25. Tang Q, Song P, Chen Y. Measures to combat rare diseases and promote orphan drug development in Japan: Government-funded special biomedical research programs to enhance basic and applied research. *Expert Opinion on Orphan Drugs*. 2016;4(6):613-9.
26. Newborn Screening Act of 2004, (2004).