

รายงานฉบับสมบูรณ์

การพัฒนาทางเลือกเชิงนโยบายเพื่อสนับสนุนการตัดสินใจ เบิกจ่ายสำหรับมาตรการที่มีราคาแพงในระบบสุขภาพ ภาครัฐของประเทศไทย

Development of policy options to support reimbursement decision on high-cost health interventions in Thailand's public healthcare system

กุมภาพันธ์ 2567

ทีมวิจัย

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

ดร. พ.ยศ ตีระวัฒน์นนท์ / Yot Teerawattananon, PhD.

Saudamini Vishwanath Dabak

Dian Faradiba

Dr. Dimple Butani

Annapoorna Prakash

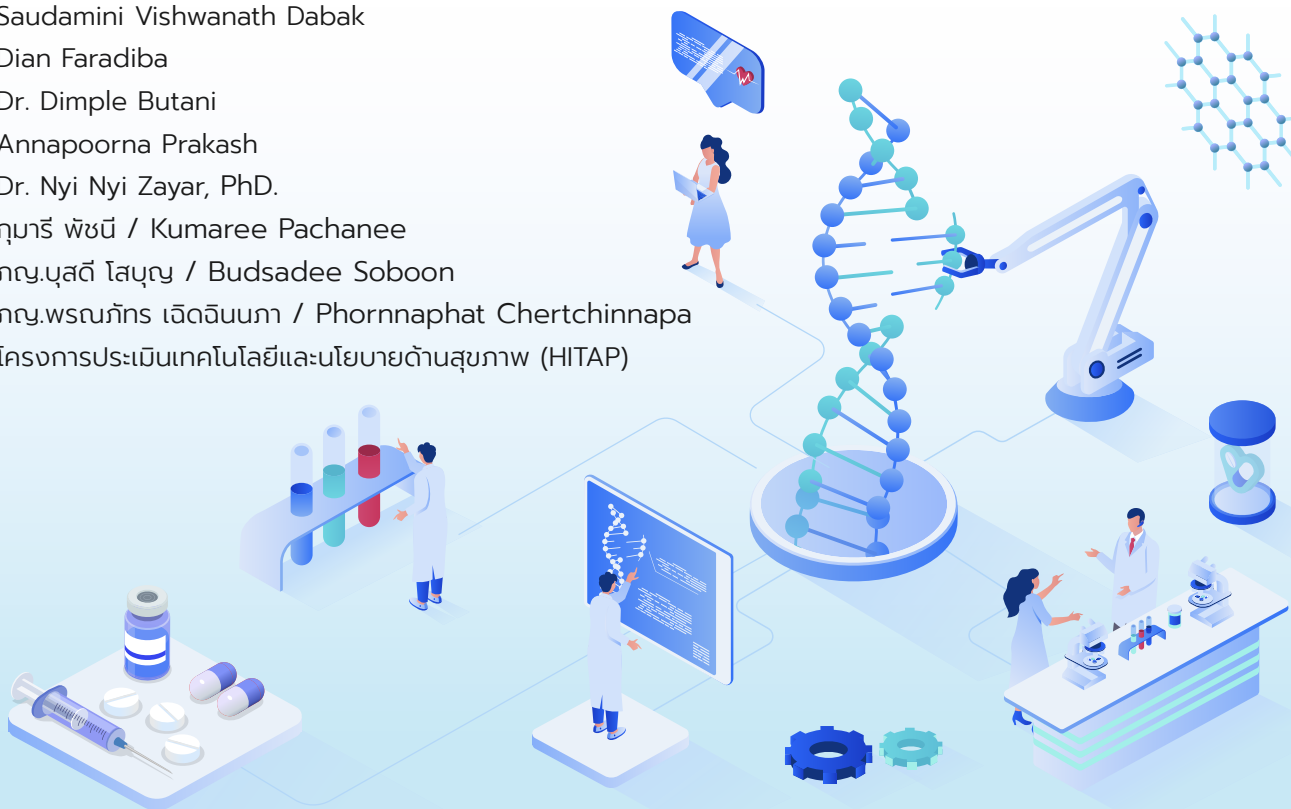
Dr. Nyi Nyi Zayar, PhD.

กุมารี พัชณี / Kumaree Pachanee

ภญ.บุสดี ไสบุญ / Budsadee Soboon

ภญ.พรณภัทร เจ็ดฉินนภา / Phornnaphat Chertchinnapa

โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ (HITAP)



โครงการนี้ได้รับทุนอุดหนุนจากสถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข (สวรส.)

ความเห็นและข้อเสนอแนะที่ปรากฏในเอกสารนี้เป็นของผู้วิจัย มิใช่ความเห็นของสถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข



รายงานฉบับสมบูรณ์

โครงการวิจัยเรื่อง การพัฒนาทางเลือกเชิงนโยบายเพื่อสนับสนุนการตัดสินใจเบิกจ่ายสำหรับ
มาตรการที่มีราคาแพงในระบบสุขภาพภาครัฐของประเทศไทย

Development of policy options to support reimbursement decision on high-cost
health interventions in Thailand's public healthcare system

ทีมวิจัย

- | | |
|-----------------------------------|--------------|
| 1. รศ. ดร.วรรณฤดี อิศรานุวัฒน์ชัย | ผู้วิจัยหลัก |
| 2. ดร. นพ.ยศ ตีระวัฒนานนท์ | ผู้ร่วมวิจัย |
| 3. Ms. Saudamini Vishwanath Dabak | ผู้ร่วมวิจัย |
| 4. Ms. Dian Faradiba | ผู้ร่วมวิจัย |
| 5. Dr. Dimple Butani | ผู้ร่วมวิจัย |
| 6. Ms. Annapoorna Prakash | ผู้ร่วมวิจัย |
| 7. Dr. Nyi Nyi Zayar | ผู้ร่วมวิจัย |
| 8. นางสาวกুমารี พัทธี | ผู้ร่วมวิจัย |
| 9. ภญ.บุสดี โสบุญ | ผู้ร่วมวิจัย |
| 10. ภญ.พรณภัทร เฉิดฉินนภา | ผู้ร่วมวิจัย |

โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ (HITAP)



โครงการนี้ได้รับทุนอุดหนุนจากสถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข (สวรส.)
ความเห็นและข้อเสนอแนะที่ปรากฏในเอกสารนี้เป็นของผู้วิจัย
มิใช่ความเห็นของสถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข

บทคัดย่อ (ภาษาไทย)

วิทยาศาสตร์มีการพัฒนาอย่างรวดเร็วเพื่อช่วยผู้คน แต่ส่งผลกระทบต่อความยั่งยืนของระบบสาธารณสุขเช่นกัน ปัจจุบันมีมาตรการด้านสุขภาพที่มีราคาแพง เช่น การคัดกรอง ยาราคาแพง และผลิตภัณฑ์การแพทย์ขั้นสูง (advanced therapy medicinal product หรือ ATMP) ซึ่งเป็นยาที่พัฒนาจากยีน เซลล์ และเนื้อเยื่อต่าง ๆ และเป็นแนวทางใหม่ในการรักษาโรค อย่างไรก็ตามการวิจัยและพัฒนาผลิตภัณฑ์ใหม่เหล่านี้มีค่าใช้จ่ายสูง ผู้พัฒนาจึงมีความคาดหวังเกี่ยวกับผลกำไรสูงตามไปด้วย ทำให้คนส่วนใหญ่เข้าถึงมาตรการเหล่านี้อุปสรรคด้านการเงินการคลังดังกล่าวจึงอาจจำกัดการเข้าถึงการรักษาในระบบสาธารณสุขของภาครัฐ โดยเฉพาะในประเทศรายได้ต่ำและรายได้ปานกลาง เช่น ประเทศไทย ความเหลื่อมล้ำด้านสุขภาพอันเกิดจากระดับรายได้ในหลาย ๆ ประเทศ จึงยังคงเป็นประเด็นสำคัญที่เด่นชัดขึ้นในช่วงการระบาดใหญ่ของโรคติดเชื้อไวรัสโคโรนา 2019 ด้วยเหตุนี้กลไกใหม่ ๆ จึงเป็นสิ่งจำเป็นเพื่อสนับสนุนกระบวนการกำหนดนโยบายในปัจจุบันและเพิ่มการเข้าถึงการรักษาที่มีราคาแพง งานวิจัยนี้ดำเนินการโดยความร่วมมือกับผู้มีส่วนได้ส่วนเสียโดยมีวัตถุประสงค์เพื่อศึกษาวิธีการรับมือกับความท้าทายในการให้บริการเบิกจ่ายยาราคาแพงในประเทศไทย การศึกษานี้สามารถช่วยให้คำตอบว่า 1) มาตรการด้านสุขภาพอุบัติใหม่ที่มีราคาแพงมีนิยามอย่างไร 2) สถานการณ์ปัจจุบันเกี่ยวกับการเข้าถึงยาราคาแพงในประเทศไทยเป็นอย่างไร 3) มีวิธีการอย่างไรในการประเมินข้อมูลวิชาการเกี่ยวกับมาตรการด้านสุขภาพที่มีราคาแพง เช่น มีกระบวนการประเมินเฉพาะสำหรับมาตรการด้านสุขภาพที่มีราคาแพงซึ่งต่างจากกระบวนการของมาตรการอื่น ๆ หรือไม่ และกลไกในการเบิกจ่ายลักษณะใดที่เป็นไปได้สำหรับมาตรการด้านสุขภาพที่มีราคาแพง และ 4) กระบวนการ horizon scanning คืออะไร และช่วยให้มีการเข้าถึงยาราคาแพงได้อย่างไร

บทคัดย่อ (ภาษาอังกฤษ)

The advancement in science has come a long way to support our community though, at the same time, it has threatened the sustainability of the healthcare system. There are many emerging high-cost health interventions, such as screening, high-cost drugs and advanced therapy medicinal products (ATMPs). These medicines based on genes, cells and tissues offer innovative pathways to treat diseases. However, these advancements do come at high cost of research and development and elevated profit expectations from their developers, making these interventions inaccessible to most people. These financial pressures may limit access to treatments in the public healthcare system especially in low- and middle-income countries such as Thailand. The issue of health inequity based on the income status of countries remains a concern, which has been visible during the COVID-19 pandemic. Consequently, there is a need for innovative mechanisms to support the current decision-making process to enhance better access to these high-cost treatments. In collaboration with stakeholders, this study aims to address challenges in making reimbursement decisions on high-cost medicines in Thailand. Specifically, this research can help answer: 1) how to define emerging high-cost health interventions; 2) what is the current context of access to high-cost medicines in Thailand; 3) how to evaluate evidence on selected high-cost health interventions (e.g. are there specific evaluation process for high-cost health interventions, which differ from other interventions and what reimbursement mechanisms are possible for the selected high-cost health interventions); and 4) what horizon scanning process is and how it can help access to high-cost medicines.

บทสรุปเพื่อการสื่อสารสาธารณะ

ในปัจจุบันมีเทคโนโลยี นวัตกรรมใหม่ และยารักษาโรค ซึ่งหนึ่งในอุปสรรคของการนำเทคโนโลยีสุขภาพดังกล่าวมาใช้คือ ราคาแพง

อย่างไรก็ตาม ในประเทศที่มีรายได้สูงได้วางแนวทางในการสนับสนุนการเข้าถึงยาราคาแพงเหล่านี้ แต่ในประเทศที่กำลังพัฒนา (รวมทั้งประเทศไทย) ต้องเผชิญกับแรงกดดันทางการเงินจึงต้องมีการพัฒนารูปแบบการเข้าถึงการรักษาด้วยยาราคาแพง เพื่อลดความไม่เสมอภาคด้านสุขภาพ

จากการหารือกับผู้มีส่วนได้ส่วนเสียรวมถึงสำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ การศึกษานี้จึงมีวัตถุประสงค์เพื่อทบทวนวรรณกรรมที่เกี่ยวข้อง เพื่อเรียนรู้วิธีการการเข้าถึงการรักษาด้วยยาราคาแพงจาก 6 ประเทศ (สหราชอาณาจักร มาเลเซีย ออสเตรเลีย สาธารณรัฐเกาหลี แคนาดา และสิงคโปร์) เพื่อเป็นข้อมูลสนับสนุนการพัฒนาแนวทางการเข้าถึงยาราคาแพงในบริบทของประเทศไทย

ในการศึกษานี้ ทีมวิจัยได้ทำงานร่วมกับผู้มีส่วนได้ส่วนเสียระดับชาติและระดับนานาชาติ เพื่อกำหนดนิยามยาราคาแพง ยาที่มีผลกระทบต่องบประมาณสูง และยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่นที่เหมาะสม โดยศึกษาจากประเทศที่ใช้การประเมินความคุ้มค่าฯ ในกระบวนการพิจารณาเบิกจ่ายยา ได้แก่ อังกฤษ แคนาดา ออสเตรเลีย เกาหลีใต้ และสิงคโปร์ ที่ล้วนมีช่องทางในการให้เบิกจ่ายยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่าฯ ด้วยเงื่อนไขและเกณฑ์ในการพิจารณาที่แตกต่างกัน คณะทำงานจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบายในการนำยาราคาแพงหรือมีข้อจำกัดการเข้าถึงบริการเข้าเป็นสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ มีความเห็นร่วมกันว่ายาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่าฯ หากเป็นยาที่ช่วยชีวิตและเป็นทางเลือกเดียวในการรักษาผู้ป่วย ให้พิจารณาว่ามีความจำเป็น สมควรที่ผู้ป่วยจะเข้าถึงยา โดยไม่ต้องเสียค่าใช้จ่ายเอง

การศึกษานี้ได้เสนอแนวทางที่เป็นไปในการพิจารณายาราคาแพง กล่าวคือ ยาราคาแพงที่มีความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ ควรมีเกณฑ์การพิจารณาเช่นเดียวกับยาบัญชี จ(2) และยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่าฯ ควรให้พิจารณาประเด็นยาช่วยชีวิต ทางเลือกอื่นในการรักษา และความสามารถในการจ่าย เป็นลำดับถัดไป รวมทั้งควรใช้ระบบการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติ ในการพิจารณายาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่าฯ เพื่อให้กระบวนการและนโยบาย มีประสิทธิภาพและสอดคล้องกับยาอื่น ๆ ในชุดสิทธิประโยชน์ และควรนำข้อตกลงเกี่ยวกับการใช้ยา (managed entry agreement (MEAs)) มาใช้เป็นส่วนหนึ่งในการพิจารณายาเข้าบัญชียาราคาแพงที่ไม่คุ้มค่าฯ ก่อนการตัดสินใจ เพื่อช่วยในการบริหารจัดการงบประมาณ และการติดตามและประเมินการใช้ยา

ท้ายนี้ ทีมวิจัยได้ทบทวนและหารือกับผู้มีส่วนได้ส่วนเสียระดับชาติและระดับนานาชาติ พบว่ากระบวนการ "horizon scanning" เป็นกระบวนการที่มีประสิทธิภาพในการเตรียมความพร้อมของประเทศ ไทย เพื่อรับมือกับยาและเทคโนโลยีสุขภาพที่มีราคาแพงที่จะเข้ามาในอนาคต

Executive Summary

วิทยาศาสตร์มีการพัฒนาอย่างรวดเร็วเพื่อช่วยผู้คน แต่ส่งผลกระทบต่อความยั่งยืนของระบบสาธารณสุขเช่นกัน ปัจจุบันมีมาตรการด้านสุขภาพที่มีราคาแพง เช่น การคัดกรอง ยารักษา และผลิตภัณฑ์การแพทย์ขั้นสูง (advanced therapy medicinal product หรือ ATMP) ซึ่งเป็นยาที่พัฒนาจากยีน เซลล์ และเนื้อเยื่อต่าง ๆ และเป็นแนวทางใหม่ในการรักษาโรค อย่างไรก็ตาม การวิจัยและพัฒนาผลิตภัณฑ์ใหม่เหล่านี้มีค่าใช้จ่ายสูง ผู้พัฒนาจึงมีความคาดหวังเกี่ยวกับผลกำไรสูงตามไปด้วย ทำให้คนส่วนใหญ่มักเข้าถึงมาตรการเหล่านี้ อุปสรรคด้านการเงินการคลังดังกล่าวจึงอาจจำกัดการเข้าถึงการรักษาในระบบสาธารณสุขของภาครัฐ โดยเฉพาะในประเทศรายได้ต่ำและรายได้ปานกลาง เช่น ประเทศไทย ความเหลื่อมล้ำด้านสุขภาพอันเกิดจากระดับรายได้เป็นหลาย ๆ ประเทศ จึงยังคงเป็นประเด็นสำคัญที่เด่นชัดขึ้นในช่วงการระบาดใหญ่ของโรคติดเชื้อไวรัสโคโรนา 2019 ด้วยเหตุนี้กลไกใหม่ ๆ จึงเป็นสิ่งจำเป็นเพื่อสนับสนุนกระบวนการกำหนดนโยบายในปัจจุบันและเพิ่มการเข้าถึงการรักษาที่มีราคาแพง งานวิจัยนี้ดำเนินการโดยความร่วมมือกับผู้มีส่วนได้ส่วนเสียและสำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (สปสช.)

การศึกษานี้มีวัตถุประสงค์หลักเพื่อสนับสนุนกลไกในการพัฒนาทางเลือกเชิงนโยบายสำหรับการเบิกจ่ายนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงที่มีอยู่และกำลังเกิดขึ้นใหม่ในประเทศไทย และมีวัตถุประสงค์เฉพาะ ดังต่อไปนี้

1. เพื่อกำหนดนิยามของนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง
2. เพื่อสร้างความเข้าใจเกี่ยวกับบริบทปัจจุบันของการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงในประเทศไทย
3. เพื่ออธิบายกระบวนการทางนโยบายในปัจจุบัน สำหรับการสนับสนุนการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง ในต่างประเทศที่เริ่มมีการใช้นวัตกรรมกลุ่มนี้ (เช่น สหราชอาณาจักร ออสเตรเลีย แคนาดา สิงคโปร์ เกาหลีใต้ และมาเลเซีย)
4. เพื่อเข้าใจกระบวนการ horizon scanning สำหรับการติดตาม วิเคราะห์ และตรวจสอบนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง ที่เป็นนวัตกรรมใหม่ในประเทศไทย
5. เพื่อสรุปทางเลือกเชิงนโยบาย เช่น managed entry agreement หรือข้อตกลงอื่น ๆ ในการเข้าสู่ตลาดเพื่อสนับสนุนการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง
6. เพื่อหารือและเสนอกระบวนการติดตาม ประเมิน และจัดการนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง ในด้านความปลอดภัย มีประสิทธิภาพ/ประสิทธิผล และประสิทธิภาพ

การศึกษานี้มีรูปแบบเป็นแบบผสมวิธี (mixed methods) โดยมีวิธีหลัก 4 วิธี คือ 1) การทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต (scoping review) 2) การทบทวนเอกสารในประเทศ (landscape analysis) 3) ประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในประเทศไทย และ 4) ประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในต่างประเทศ (รวม 6 ประเทศ ได้แก่ ประเทศสหราชอาณาจักร มาเลเซีย ออสเตรเลีย สาธารณรัฐเกาหลี แคนาดา และสิงคโปร์)

สรุปข้อเสนอแนะเชิงนโยบายของกระบวนการพิจารณาวัตกรรมการรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง ดังนี้

1. มีข้อมูลสนับสนุนที่เพียงพอสำหรับการพิจารณาและสนับสนุนงบประมาณของยารักษาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่า สำหรับบรรจุในชุดสิทธิประโยชน์ของประเทศไทย

2. จากการทบทวนวรรณกรรมในต่างประเทศ ควรพิจารณาดำเนินการอย่างเป็นระบบ โปร่งใส และอ้างอิงหลักฐานทางวิชาการ เพื่อความเป็นธรรมและยั่งยืน

3. ความรุนแรงของโรค (เช่น อันตรายถึงชีวิต) และทางเลือกอื่นในการรักษาเป็นเกณฑ์สำคัญในการพิจารณาเพื่อนำยาที่มีราคาแพง ยาที่ไม่มีความคุ้มค่า บรรจุในชุดสิทธิประโยชน์

4. การศึกษานี้ได้กำหนดนิยามของยาราคาแพงและยาช่วยชีวิตที่ไม่มีทางเลือกอื่นในการรักษา ที่สามารถนำไปใช้ในกระบวนการตัดสินใจได้

5. สปสช. ควรจัดสรร “กองทุนยาราคาแพง (high-cost drug fund (HCDF)) หรือบัญชียา จ(3)” ด้วยกรอบวงเงินสำหรับสนับสนุนที่ 500 ล้านบาทต่อปีในช่วงสามปีแรก โดยทำเป็นโครงการนำร่อง

6. เนื่องจากทรัพยากรด้านสุขภาพมีจำกัด จึงควรกำหนดเพดาน ICER สูงสุดที่ยอมรับได้สำหรับยาที่มีความจำเป็นและไม่คุ้มค่า สำหรับบรรจุในบัญชียาหลักแห่งชาติ

7. สปสช. ควรนำกระบวนการพิจารณาของบัญชียาหลักแห่งชาติมาใช้เป็นส่วนหนึ่งของกลไกการตัดสินใจสำหรับ HCDF และควรมีกระบวนการที่ชัดเจนภายใต้การพัฒนาของบัญชียาหลักในการเสนอชื่อรายการยาราคาแพง ซึ่งจะแตกต่างจากยาบัญชีย้อยอื่น ๆ ของบัญชียาหลักๆ

8. ควรมีการติดตามและประเมินผลอย่างใกล้ชิดด้านผลกระทบเชิงบวกและเชิงลบของ HCDF เพื่อใช้เป็นข้อมูลในการพัฒนาการดำเนินงานในอนาคต

9. หากประเทศไทยต้องการเพิ่มการเข้าถึงยาราคาแพงโดยใช้ MEA ควรนำ MEA มาปรับใช้หลังจากการประเมินความคุ้มค่าร่วมกับเกณฑ์การพิจารณาอื่น ๆ

สำหรับกระบวนการ horizon scanning ที่มวิจัยมีข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย ดังนี้

1. ผู้กำหนดนโยบายควรให้ความสนใจและสนับสนุนงบประมาณในการจัดตั้ง horizon scanning unit เพราะผลลัพธ์จากกระบวนการ horizon scanning ใช้เป็นข้อมูลให้ผู้กำหนดนโยบายของประเทศไทยในการเตรียมความพร้อมหรือรับมือกับเทคโนโลยีใหม่หรือยาที่จะเข้ามาในอนาคต

2. ควรพิจารณากำหนดขอบเขตของหัวข้อที่จะศึกษาในระยะเริ่มต้นให้ชัดเจน สอดคล้องกับความต้องการของผู้มีส่วนได้ส่วนเสียทุกภาคส่วน

3. การจัดตั้ง horizon scanning unit จะประสบความสำเร็จสูงสุดได้ต้องได้รับความร่วมมือระหว่างทุกฝ่ายที่เกี่ยวข้อง ได้แก่ ระบบประกันสุขภาพ กระทรวงสาธารณสุขและโรงพยาบาล หน่วยงานประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพ สถาบันวิจัยและนักวิจัย ภาคอุตสาหกรรมและภาคเอกชน สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา (อย.) และประชาชน

4. เมื่อริเริ่มจัดตั้ง horizon scanning unit ควรมีการกำกับติดตามและประเมินผลการดำเนินงานเป็นระยะ ๆ

5. ควรประชาสัมพันธ์กระบวนการและข้อมูลที่ได้จาก horizon scanning เพื่อให้ทุกภาคส่วน นำข้อมูลที่ได้ไปใช้ให้เกิดประโยชน์สูงสุด

สารบัญ

1. ชื่อโครงการ	1
2. ระยะเวลาโครงการ	1
3. คำแนะนำการอ่านรายงานฉบับนี้.....	1
4. ที่มาและความสำคัญ.....	1
4.1 กรอบแนวคิดการศึกษา	2
4.2 ระเบียบวิธีวิจัย	3
5. วัตถุประสงค์ของการศึกษา	5
6. รายงานผลการศึกษาดำเนินการตามวัตถุประสงค์.....	5
6.1 วัตถุประสงค์ที่ 1 เพื่อกำหนดนิยามของนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง และวัตถุประสงค์ที่ 2 เพื่อสร้างความเข้าใจเกี่ยวกับบริบทปัจจุบันของการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงในประเทศไทย.....	5
6.1.1 บทคัดย่อ (abstract)	5
6.1.2 ระเบียบวิธีวิจัย (methods overview)	6
6.1.3 สรุปผลการศึกษา (summary of results)	7
6.1.4 สรุปข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย (policy recommendation)	20
6.2 วัตถุประสงค์ที่ 3 เพื่ออธิบายกระบวนการทางนโยบายในปัจจุบันสำหรับการสนับสนุนการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงในต่างประเทศที่เริ่มมีการใช้นวัตกรรมกลุ่มนี้ และวัตถุประสงค์ที่ 6 เพื่อหารือและเสนอกระบวนการติดตาม ประเมิน และจัดการนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงในด้านความปลอดภัย มีประสิทธิภาพ/ประสิทธิผล และประสิทธิภาพ	21
6.2.1 บทคัดย่อ (abstract)	21
6.2.2 ระเบียบวิธีวิจัย (methods overview)	22
6.2.3 สรุปผลการศึกษา (summary of results)	23
6.2.4 สรุปข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย (policy recommendation)	25
6.3 วัตถุประสงค์ที่ 4 เพื่อเข้าใจกระบวนการ horizon scanning สำหรับการติดตาม วิเคราะห์ และตรวจสอบนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงที่เป็นนวัตกรรมใหม่ในประเทศไทย	25
6.3.1 บทคัดย่อ (abstract)	25
6.3.2 สรุประเบียบวิธีวิจัย (methods overview)	26
6.3.3 สรุปผลการศึกษา (summary of results)	26
6.3.4 สรุปข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย (policy recommendation)	32
6.4 วัตถุประสงค์ที่ 5 เพื่อสรุปทางเลือกเชิงนโยบาย เช่น managed entry agreement หรือข้อตกลงอื่น ๆ ในการเข้าสู่ตลาดเพื่อสนับสนุนการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง	32
6.4.1 บทคัดย่อ (abstract)	32
6.4.2 สรุประเบียบวิธีวิจัย (methods overview)	32

6.4.3 สรุปผลการศึกษา (summary of results)	33
6.4.4 สรุปข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย (policy recommendation)	34
7. เอกสารอ้างอิง	35
8. ภาคผนวก.....	38
8.1 เกณฑ์การพิจารณาพิเศษของคณะกรรมการพัฒนาปัญญาหลักแห่งชาติ	38
8.2 แนวคำถามการสัมภาษณ์เชิงลึก	41
8.3 แนวคำถามการสัมภาษณ์แบบกึ่งโครงสร้าง (semi-structured interview)	42
8.4 สรุปประชุมเพื่อนำเสนอผลการศึกษาโครงการวิจัย.....	44
8.5 รายงาน horizon scanning ฉบับภาษาไทย	52
8.6 หนังสือรับรองจริยธรรมการวิจัยในมนุษย์	69
8.7 Policy brief	70

สารบัญรูปร่างภาพ

รูปที่ 1	กรอบแนวคิดเชิงระบบเรื่องการเข้าถึงยา ⁽⁶⁾	3
รูปที่ 2	หน่วยที่ควรใช้ในการกำหนดนิยามยาราคาแพง	9
รูปที่ 3	มูลค่าที่ควรใช้ในการกำหนดนิยามยาราคาแพง	10
รูปที่ 4	การพิจารณาเฉพาะยาที่ยืดชีวิตได้	10
รูปที่ 5	พิจารณาขอบเขตของระยะเวลา	11
รูปที่ 6	ข้อพิจารณาอื่น ๆ.....	11
รูปที่ 7	ทางเลือกเพื่อกำหนดนิยาม ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่น	12
รูปที่ 8	การกำหนดกรอบวงเงินงบประมาณต่อปี สำหรับสนับสนุนยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่า	13
รูปที่ 9	การกำหนดกรอบวงเงินเพื่อสนับสนุนการเข้าถึงยาราคาแพง	13
รูปที่ 10	ขั้นตอนการเสนอยาแม่แรง 43 รายการ.....	17
รูปที่ 11	แนวทางการกำหนดเกณฑ์พิจารณายาราคาแพงของประเทศไทย	20
รูปที่ 12	กระบวนการ horizon scanning จาก EuroScan International Network	27
รูปที่ 13	ผลการสำรวจวัตถุประสงค์การนำ horizon scanning ไปใช้.....	29

สารบัญตาราง

ตารางที่ 1	สรุปวัตถุประสงค์และรูปแบบการศึกษา	4
ตารางที่ 2	สถานการณ์ปัจจุบันเกี่ยวกับนิยามและเกณฑ์การพิจารณาราคาแพงในต่างประเทศ.....	8
ตารางที่ 3	การเข้าถึงยามะเร็ง 43 รายการและ 63 ข้อบ่งใช้.....	14
ตารางที่ 4	การเปรียบเทียบข้อมูลการศึกษาความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ฯ ของยาที่เสนอเข้าบัญชียาหลักแห่งชาติ 5 รายการ.....	18
ตารางที่ 5	การแบ่งประเภทบัญชียาตามบัญชียาหลักแห่งชาติ.....	19
ตารางที่ 6	รายละเอียดขั้นตอนของกระบวนการ horizon scanning.....	28
ตารางที่ 7	สรุปขั้นตอนกระบวนการ horizon scanning ของแต่ละประเทศ.....	28
ตารางที่ 8	เหตุผลของการจัดตั้ง horizon scanning ในองค์กรต่างประเทศ.....	30
ตารางที่ 9	สรุปรูปแบบ MEA ของสหราชอาณาจักร ออสเตรเลีย และเกาหลีใต้	33

1. ชื่อโครงการ

ชื่อโครงการภาษาไทย

การพัฒนาทางเลือกเชิงนโยบายเพื่อสนับสนุนการตัดสินใจเบิกจ่ายสำหรับมาตรการที่มีราคาแพงในระบบสุขภาพภาครัฐของประเทศไทย

ชื่อโครงการภาษาอังกฤษ

Development of policy options to support reimbursement decision on high-cost health interventions in Thailand's public healthcare system

2. ระยะเวลาโครงการ

วันที่ 1 สิงหาคม พ.ศ. 2565 ถึงวันที่ 31 กรกฎาคม พ.ศ. 2566
(ขยายเวลาถึงวันที่ 29 กันยายน พ.ศ. 2566)

3. คำแนะนำการอ่านรายงานฉบับนี้

โครงการวิจัยนี้มีทั้งหมด 6 วัตถุประสงค์เฉพาะ (ดังที่อธิบายในส่วนที่ 5) ดังนั้นรายงานฉบับนี้จะกล่าวถึงภาพรวมของการศึกษา ซึ่งประกอบด้วย กรอบแนวคิดการศึกษา ระเบียบวิธีวิจัย วัตถุประสงค์ของการศึกษา และผลการศึกษา โดยในส่วนของผลการศึกษานำเสนอแยกแต่ละวัตถุประสงค์เฉพาะเพื่อให้ทราบในรายละเอียดของกระบวนการดำเนินงานและข้อค้นพบที่ได้ ซึ่งผลการศึกษาในแต่ละวัตถุประสงค์ประกอบด้วย บทคัดย่อ ระเบียบวิธีวิจัยแบบย่อ สรุปข้อค้นพบที่สำคัญ สรุปข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย โดยวัตถุประสงค์ที่ 1 กับ 2 และวัตถุประสงค์ที่ 3 กับ 6 จะนำเสนอรวมกัน

โดยสรุปแล้วโครงการวิจัยนี้มี

- peer-reviewed manuscript 1 ฉบับ
- policy briefs 8 ฉบับ
- stakeholder consultation meeting 1 ครั้ง

4. ที่มาและความสำคัญ

ความก้าวหน้าทางด้านวิทยาศาสตร์ขั้นสูงที่เกี่ยวข้องกับยีน เซลล์ และเนื้อเยื่อ ทำให้เกิดนวัตกรรมสำหรับการรักษาโรคที่ไม่เคยรักษาให้หายขาดหรือการทำให้กลับมามีคุณภาพชีวิตเกือบเท่ากับคนปกติ และเนื่องจากเป็นนวัตกรรมเทคโนโลยีขั้นสูงที่ใช้กับผู้ป่วยจำนวนน้อยและให้ผลการรักษาที่ดีมาก ทำให้บริษัทผู้ผลิตนวัตกรรมที่เรียกว่า advanced therapies medicinal products (ATMPs)⁽¹⁾ ได้ตั้งราคาของนวัตกรรมไว้ค่อนข้างสูง เช่น Zolgensma ที่เป็นการรักษาด้วยยีนสำหรับผู้ป่วย neuromuscular disorder ในเด็กเล็กให้หายขาดได้ด้วยการฉีดเพียงหนึ่งครั้ง บริษัทผู้จำหน่ายได้กำหนดราคาขายไว้ที่ 2.1 ล้านดอลลาร์สหรัฐ หรือประมาณ 70 ล้านบาทต่อการรักษาผู้ป่วยหนึ่งราย⁽²⁾ หรือ Hemgenix® ซึ่งเป็นยาที่แพงที่สุดในโลก (มกราคม 2566) ใช้รักษาโรค hemophilia B ซึ่งมีราคาที่ 3.5 ล้านดอลลาร์สหรัฐหรือประมาณ 121 ล้านบาทต่อการรักษาผู้ป่วยหนึ่งราย ซึ่งยาที่มีราคาใกล้เคียงกันนี้ได้ทยอยออกสู่ท้องตลาดหรืออยู่ในขั้นตอนของการขอขึ้นทะเบียนในประเทศไทย ซึ่งคาดว่าในอนาคตจะมีจำนวนเพิ่มมากขึ้นเรื่อย ๆ

ATMPs สามารถให้ผลทางการแพทย์ในระดับที่เหนือความคาดหมาย แต่ราคาของ ATMPs อาจสูงมากเช่นกัน ทำให้คนส่วนใหญ่เข้าไม่ถึงมาตรการด้านสุขภาพที่มีราคาแพงเหล่านี้ ซึ่งข้อจำกัดด้านการเงินอาจเป็นปัจจัยหลักในการเข้าถึงการรักษาหลายอย่างในระบบสาธารณสุข โดยเฉพาะในประเทศที่กำลังพัฒนา

ประเด็นด้านความไม่เป็นธรรมด้านสุขภาพอันเกิดจากระดับรายได้ของประเทศเป็นประเด็นที่ควรได้รับการพิจารณาเป็นพิเศษ โดยเฉพาะในช่วงการระบาดใหญ่ของโควิด 19 วุฒิสมาชิกในประเทศสหรัฐอเมริกา เอ็ดเวิร์ด เคนเนดี ได้กล่าวไว้ว่า “บริการด้านสุขภาพเป็นสิทธิพื้นฐาน ไม่ใช่สิทธิพิเศษ” ในบริบทปัจจุบัน มาตรการด้านสุขภาพที่มีราคาแพงอาจยังเกินเอื้อมสำหรับประชาชนส่วนใหญ่ที่มีข้อจำกัดด้านฐานะทางการเงิน ซึ่งหลายประเทศในทวีปเอเชียได้เผชิญความท้าทายเกี่ยวกับมาตรการด้านสุขภาพที่มีราคาแพงเหล่านี้ และถือว่าประเทศตนเป็น late adopters ของการรักษาใหม่ ๆ เนื่องจากระดับความสามารถในการจ่ายที่เพิ่มมากขึ้น แม้ภาครัฐจะพิจารณามาตรการเหล่านี้แต่ยังไม่มีการบูรณาการใดที่เข้ามาสนับสนุนการรักษาเหล่านี้^(3, 4) ดังนั้น ผู้มีส่วนได้ส่วนเสียหลายฝ่ายจึงเรียกร้องให้มีการเข้าถึงมาตรการด้านสุขภาพที่มีราคาแพง เช่น ยาที่จำเป็น โดยไม่พิจารณาราคายาหรือราคาของการรักษา⁽⁵⁾ โดยประเทศไทยได้มีกระบวนการพัฒนายาหลักแห่งชาติ ซึ่งเป็นกระบวนการที่พิจารณารายการยาที่เหมาะสมสำหรับทั้งสามระบบหลักประกันสุขภาพหลักของภาครัฐ อย่างไรก็ตาม มาตรการด้านสุขภาพราคาแพงที่เกิดขึ้นใหม่ มักไม่ได้รับการบรรจุเข้าในบัญชียาหลักแห่งชาติ เนื่องจากไม่คุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์สาธารณสุข เมื่อเทียบกับเพดานความคุ้มค่าในปัจจุบันของประเทศไทย การทำความเข้าใจในความท้าทายของกระบวนการกำหนดนโยบาย ตั้งแต่การเสนอหัวข้อ การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ จนถึงการส่งเคราะห์ข้อมูลด้วยงานวิจัย และกระบวนการเบิกจ่ายจึงมีความสำคัญเพื่อใช้เป็นข้อมูลในการสนับสนุนผู้กำหนดนโยบายสำหรับเพิ่มการเข้าถึงมาตรการที่มีราคาแพงต่าง ๆ ในประเทศไทยได้

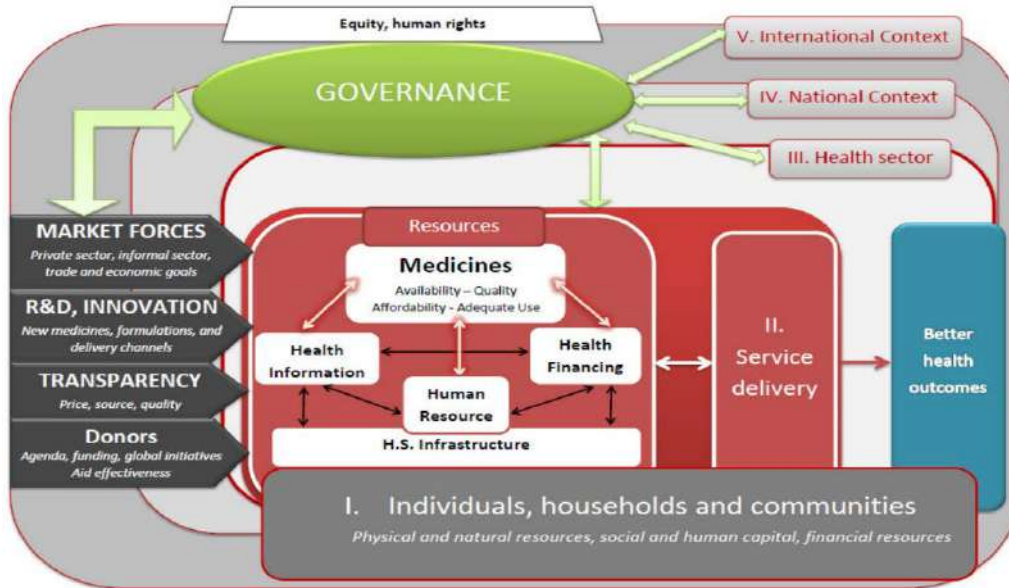
ผลการศึกษาในแต่ละขั้นตอนของโครงการนี้จะสามารถนำมาใช้ประโยชน์ในเชิงนโยบายได้ และสอดคล้องกับวัตถุประสงค์ของคณะทำงานจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบายในการนำยาแพงหรือมีข้อจำกัดการเข้าถึงบริการเข้าเป็นสิทธิประโยชน์ในระบบประกันสุขภาพแห่งชาติ ของสำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (สปสช.) ที่จัดตั้งขึ้นเมื่อเดือนมีนาคม พ.ศ. 2565 ที่ผ่านมา

4.1 กรอบแนวคิดการศึกษา

การศึกษานี้ใช้กรอบแนวคิดขององค์การอนามัยโลกเรื่องการเข้าถึงยา⁽⁶⁾ ซึ่งพิจารณาจากมุมมองความสัมพันธ์กับส่วนอื่น ๆ ทั้งในและนอกระบบสุขภาพ (รายละเอียดดังรูปที่ 1) กรอบแนวคิดนี้ต่อยอดจากการศึกษาก่อนหน้าที่ได้ศึกษาเกี่ยวกับปัญหาและอุปสรรคของการเข้าถึงยาในระบบสุขภาพ โดยพิจารณาข้อจำกัดด้านอุปสงค์แบบองค์รวม และความสัมพันธ์ที่มีพลวัตระหว่างองค์ประกอบหลักต่าง ๆ ของระบบสุขภาพในระดับการให้บริการ และลักษณะของความเป็นผู้นำและธรรมาภิบาลที่มีหลายระดับชั้น ซึ่งกระทบต่อการเข้าถึงยาและส่งผลให้เกิดผลลัพธ์ทางสุขภาพที่ดี

วิธีการนี้จะพิจารณาการเข้าถึงยา ประกอบด้วย 1) การมียา (availability) 2) มีความสามารถในการซื้อ (affordability) 3) คุณภาพยา (quality) และ 4) การใช้อย่างเหมาะสมและสมเหตุสมผล (adequate and rational use) ปัจจัยเหล่านี้ประกอบขึ้นเป็นแนวทางขององค์การอนามัยโลกในการเข้าถึงยาจำเป็น ซึ่งมีความสำคัญโดยเฉพาะต่อประเทศที่มีรายได้ต่ำและปานกลาง การเข้าถึงยามีความสัมพันธ์กับระบบข้อมูลด้านสุขภาพเพื่อติดตามการใช้ยา การเข้าถึงยาต้องตั้งอยู่บนการเงินการคลังที่ยั่งยืน นอกจากนี้ยังมีข้อพิจารณาในด้านทรัพยากรมนุษย์และโครงสร้างพื้นฐานเชิงกายภาพ ซึ่งกระทบต่อสถานที่และวิธีในการกระจายยา ปัจจัยเหล่านี้รวมกันทำให้เกิดการให้บริการต่อประชาชน ครบถ้วน และสังคมได้ สำหรับปัจจัยภายนอกอื่น ๆ ที่กระทบต่อภาคสาธารณสุขในระดับชาติและนานาชาติ เช่น ปัจจัยด้านการตลาดที่ส่งผลต่อภูมิทัศน์ทางเศรษฐกิจของประเทศ การวิจัยและพัฒนาใหม่ ความโปร่งใส บทบาทของผู้ให้เงินสนับสนุน และปัจจัยอื่น ๆ

ด้านความเป็นธรรมและสิทธิมนุษยชน ทั้งหมดนี้มีรากฐานมาจากองค์ประกอบหลักด้านภาวะผู้นำและระบบธรรมาภิบาล



รูปที่ 1 กรอบแนวคิดเชิงระบบเรื่องการเข้าถึงยา⁽⁶⁾

กรอบแนวคิดเชิงระบบเรื่องการเข้าถึงยานี้ (รูปที่ 1) จะตอบคำถามเรื่องการบรรจุมาตรการด้านสุขภาพที่มีราคาแพงเข้าในชุดสิทธิประโยชน์ของประเทศไทย ในการกำหนดขอบเขตของการศึกษานี้ ทีมวิจัยจะมุ่งเน้นองค์ประกอบในกรอบสี่ฟ้า เพื่อศึกษาข้อมูลของการมียา ความสามารถในการชื้อยา คุณภาพ และการใช้ยาอย่างเหมาะสม การเงินการคลังด้านสุขภาพและบทบาทของการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพ และระบบข้อมูลด้านสุขภาพเพื่อติดตามการใช้ยาดังกล่าว นอกจากนี้จะมีการพิจารณาบทบาทของการวิจัยและพัฒนาในบริบทของการค้นหามาตรการด้านสุขภาพที่มีราคาแพง ในด้านธรรมาภิบาลและความโปร่งใสของกระบวนการเบิกจ่ายในระบบสาธารณสุข แนวทางปฏิบัติของกระบวนการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติที่มีอยู่แล้ว โดยในขั้นแรกจะทำความเข้าใจและกำหนดนิยาม ขอบเขตของมาตรการด้านสุขภาพที่มีราคาแพง จากนั้นจะทำความเข้าใจกระบวนการและแนวทางปฏิบัติในปัจจุบันเพื่อนำยาเหล่านี้เข้าในกระบวนการเบิกจ่ายของภาครัฐ รวมถึงศึกษาองค์ประกอบที่สำคัญเพื่อเพิ่มการเข้าถึงมาตรการด้านสุขภาพที่มีราคาแพง และตอบวัตถุประสงค์เฉพาะของการศึกษานี้

4.2 ระเบียบวิธีวิจัย

การศึกษานี้มีรูปแบบเป็นแบบผสมวิธี (mixed methods) โดยมีวิธีหลัก 4 วิธี คือ

- 1) การทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต (scoping review)
- 2) การทบทวนเอกสารในประเทศ (landscape analysis)
- 3) ประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในประเทศไทย
- 4) ประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในต่างประเทศ

รายละเอียด ดังตารางที่ 1

ตารางที่ 1 สรุปวัตถุประสงค์และรูปแบบการศึกษา

วัตถุประสงค์ของการศึกษา	รูปแบบการศึกษา			
	การทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต (scoping review)	landscape analysis	ประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในประเทศไทย	ประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในต่างประเทศ
1. เพื่อกำหนดนิยามของนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง	✓	✓	✓	✓
2. เพื่อสร้างความเข้าใจเกี่ยวกับบริบทปัจจุบันของการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงในประเทศไทย	--	✓	--	✓
3. เพื่ออธิบายกระบวนการทางนโยบายในปัจจุบัน สำหรับการสนับสนุนการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงในต่างประเทศที่เริ่มมีการใช้นวัตกรรมกลุ่มนี้ (เช่น สหราชอาณาจักร ออสเตรเลีย แคนาดา สิงคโปร์ เกาหลีใต้ และมาเลเซีย)	✓	--	--	✓
4. เพื่อเข้าใจกระบวนการ horizon scanning สำหรับการติดตามวิเคราะห์ และตรวจสอบนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง ที่เป็นนวัตกรรมใหม่ในประเทศไทย	--	--	✓	✓
5. เพื่อสรุปทางเลือกเชิงนโยบาย เช่น managed entry agreement หรือข้อตกลงอื่น ๆ ในการเข้าสู่ตลาดเพื่อสนับสนุนการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง	--	--	✓	✓
6. เพื่อหารือและเสนอกระบวนการติดตาม ประเมิน และจัดการนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง ในด้านความปลอดภัย มีประสิทธิภาพ/ประสิทธิผล และประสิทธิภาพ	✓	--	✓	✓

5. วัตถุประสงค์ของการศึกษา

วัตถุประสงค์หลัก

เพื่อสนับสนุนกลไกในการพัฒนาทางเลือกเชิงนโยบายสำหรับการเบิกจ่ายนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงที่มีอยู่และกำลังเกิดขึ้นใหม่ในประเทศไทย

วัตถุประสงค์เฉพาะ

1. เพื่อกำหนดนิยามของนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง
2. เพื่อสร้างความเข้าใจเกี่ยวกับบริบทปัจจุบันของการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงในประเทศไทย
3. เพื่ออธิบายกระบวนการทางนโยบายในปัจจุบัน สำหรับการสนับสนุนการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง ในต่างประเทศที่เริ่มมีการใช้นวัตกรรมกลุ่มนี้ (เช่น สหราชอาณาจักร ออสเตรเลีย แคนาดา สิงคโปร์ เกาหลีใต้ และมาเลเซีย)
4. เพื่อเข้าใจกระบวนการ horizon scanning สำหรับการติดตาม วิเคราะห์ และตรวจสอบนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง ที่เป็นนวัตกรรมใหม่ในประเทศไทย
5. เพื่อสรุปทางเลือกเชิงนโยบาย เช่น managed entry agreement หรือข้อตกลงอื่น ๆ ในการเข้าสู่ตลาดเพื่อสนับสนุนการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง
6. เพื่อหารือและเสนอกระบวนการติดตาม ประเมิน และจัดการนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง ในด้านความปลอดภัย มีประสิทธิศักร์/ประสิทธิผล และประสิทธิภาพ

6. รายงานผลการศึกษิตตามวัตถุประสงค์

ในส่วนนี้จะนำเสนอ ผลการศึกษาในแต่ละวัตถุประสงค์ของโครงการเพื่อให้ทราบในรายละเอียดของกระบวนการดำเนินงานและข้อค้นพบที่ได้ ซึ่งผลการศึกษาในแต่ละวัตถุประสงค์ ประกอบด้วย บทคัดย่อ ระเบียบวิธีวิจัยแบบย่อ สรุปข้อค้นพบที่สำคัญ สรุปข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย และข้อมูลประกอบอื่น ๆ เช่น รายงานการประชุมต่าง ๆ รวมทั้งเอกสารเผยแพร่ในรูปแบบของ policy brief หรือผลงานตีพิมพ์ในวารสารวิชาการ (manuscript for peer-reviewed international journal)

ผลการศึกษาตามวัตถุประสงค์ สรุปได้ดังนี้

6.1 วัตถุประสงค์ที่ 1 เพื่อกำหนดนิยามของนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง และวัตถุประสงค์ที่ 2 เพื่อสร้างความเข้าใจเกี่ยวกับบริบทปัจจุบันของการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงในประเทศไทย

6.1.1 บทคัดย่อ (abstract)

ประเทศไทยยังไม่มีกำหนัดนิยามยาราคาแพง ทีมวิจัยจึงได้ทำแบบสำรวจเพื่อใช้เป็นข้อมูลประกอบการกำหนัดนิยามยาราคาแพงและยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่น ผลการสำรวจจากคณะทำงานจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบายในการนำยาราคาแพงหรือมีข้อจำกัดการเข้าถึงบริการเข้าเป็นสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ เพื่อกำหนัดนิยามยาราคาแพงและยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่น ข้อมูลที่ได้จากการสำรวจ และได้มีการอภิปรายร่วมกัน สามารถสรุปนิยามได้ดังนี้

ยาราคาแพง หมายถึง ยาที่มีราคาต่อผู้ป่วยต่อคนและ/หรือต่อปีสูง ซึ่งผู้ป่วยอาจเข้าไม่ถึงยาหากต้องแบกรับค่าใช้จ่ายด้วยตนเอง

ยาที่มีผลกระทบต่องบประมาณสูง หมายถึง ยาที่มีผลกระทบต่องบประมาณต่อรายการยาต่อปีสูง ซึ่งอาจก่อให้เกิดปัญหาต่อสถานะการเงินของโรงพยาบาล หากไม่มีการสนับสนุนจากระบบหลักประกันสุขภาพ

ยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่นที่เหมาะสม หมายถึง ยาที่ยืดชีวิตได้ไม่น้อยกว่า 1 ปี โดยสามารถป้องกันอาการแทรกซ้อนที่รุนแรงจากโรคได้ หากผู้ป่วยไม่ได้รับยาจะเสียชีวิตภายใน 6 เดือน เนื่องจากไม่มีทางเลือกอื่นในการรักษา และ/หรือเพิ่มคุณภาพชีวิตอย่างชัดเจน

6.1.2 ระเบียบวิธีวิจัย (methods overview)

การศึกษานี้มีรูปแบบการศึกษาเชิงคุณภาพ (qualitative methods) โดยมีลักษณะของการวิจัยเชิงสังเคราะห์ร่วมด้วย และการทบทวนวรรณกรรม โดยมีรายละเอียด ดังนี้

1. ทบทวนวรรณกรรมต่างประเทศเกี่ยวกับสถานการณ์ของการกำหนดนิยามยาราคาแพงและยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่น

2. สัมภาษณ์ผู้เชี่ยวชาญจาก 6 ประเทศ ได้แก่ ประเทศสหราชอาณาจักร มาเลเซีย ออสเตรเลีย สาธารณรัฐเกาหลี แคนาดา และสิงคโปร์ และผู้เชี่ยวชาญในประเทศไทย เพื่อทราบสถานการณ์ของการกำหนดนิยามยาราคาแพงและยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่น

3. จัดทำแบบสำรวจออนไลน์ โดยแบ่งข้อคำถามเป็น 3 ประเด็น คือ

ประเด็นที่ 1 นิยามยาราคาแพง

ประเด็นที่ 2 นิยามยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกที่เหมาะสมในบริบทของประเทศไทย

ประเด็นที่ 3 กรอบวงเงินงบประมาณ

ซึ่งข้อคำถามทั้ง 3 ประเด็นดังกล่าวใช้สำหรับทำการสำรวจ ในการประชุมคณะทำงานจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบายในการนำยาราคาแพงหรือมีข้อจำกัดการเข้าถึงบริการเข้าเป็นสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ เพื่อกำหนดนิยามยาราคาแพงและยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่น เมื่อวันที่ 31 พฤษภาคม พ.ศ. 2565 ให้กับผู้เข้าร่วมประชุมจำนวน 10 คน เนื่องจากคณะทำงานฯ เป็นกลุ่มผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในการขับเคลื่อนนโยบายยาราคาแพง เมื่อได้ผลสำรวจแล้ว ทีมวิจัยได้นำเสนอผลการสำรวจต่อที่ประชุมเพื่อให้คณะทำงานฯ ตรวจสอบความถูกต้อง (รายละเอียดในข้อ 1.3.3 ข้อมูลการสำรวจนิยามยาราคาแพงและยาช่วยชีวิต) จากนั้นทีมวิจัยวิเคราะห์ผลการสำรวจออนไลน์และนำเสนอในการประชุมคณะทำงานจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบายในการนำยาราคาแพงฯ วันที่ 26 กรกฎาคม พ.ศ. 2565 เพื่อขอข้อคิดเห็นต่อนิยามยาราคาแพงและยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่นที่เหมาะสม

4. ทบทวนการเข้าถึงยามะเร็ง 43 รายการและ 63 ข้อบ่งใช้ ที่มาจากรายงานประมาณการใช้จ่ายนอกบัญชียาหลักแห่งชาติ (non-essential drug list หรือ NED) ตาม cancer protocol จากแพทย์ผู้เชี่ยวชาญสาขาโรคมะเร็งของ สปสช. พ.ศ. 2564 เพื่อเข้าใจสถานการณ์ปัจจุบันของการเข้าถึงยารักษาโรคมะเร็งในประเทศไทย ซึ่งส่วนใหญ่เป็นยาที่มีราคาแพง โดยทำการทบทวนวรรณกรรม ดังนี้

1) รายการยาใน WHO Model Lists of Essential Medicines (WHO EML)⁽⁷⁾ ซึ่งยาที่ WHO EML แนะนำมีความเหมาะสมสำหรับการเบิกจ่ายในประเทศไทย

2) รายการยาตาม guidance ของ NICE advice and quality standards⁽⁸⁾ เนื่องจาก The National Institute for Health and Care Excellence (NICE) ในประเทศสหราชอาณาจักร เป็นหน่วยงานที่นำการประเมินความคุ้มค่า มาใช้ในการพิจารณาอย่างโปร่งใส เพื่อจัดทำคำแนะนำและแนวทางการบำบัดรักษาโรค (clinical practice guidelines)

3) รายการยาและข้อบ่งใช้ที่เสนอเพื่อบรรจุในบัญชียาหลักแห่งชาติ รอบปี พ.ศ. 2562-2564⁽⁹⁾

5. การวิเคราะห์ค่าเสียโอกาส (opportunity cost) ในกรณีมีการเบิกจ่ายยาที่ไม่มีความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์สาธารณสุข โดยที่มิวิจัยได้คัดเลือกค่า ICER หรือ incremental cost effectiveness ratio จากยามะเร็ง 43 รายการที่มีข้อบ่งใช้เดียวกันกับรายงานการศึกษาความคุ้มค่าฯ ในอดีต ตั้งแต่ พ.ศ. 2551-2564 ของคณะอนุกรรมการฯ ซึ่งรายงานเหล่านี้ใช้ประกอบการพิจารณาตัดสินใจคัดเลือกยาเข้าบัญชียาหลักแห่งชาติ จากนั้นนำ ICER มาคำนวณหาการสูญเสียปีสุขภาวะ (QALYs loss) โดยอ้างอิงตามเพดานความคุ้มค่าของประเทศไทยที่กำหนด 160,000 บาท/ปีสุขภาวะ ซึ่งหากลงทุนในมาตรการที่มีความคุ้มค่าฯ ผลที่ได้คือ ต้นทุนส่วนเพิ่ม (incremental cost) 160,000 บาทจะได้รับปีสุขภาวะ 1 QALY ดังนั้นกรณีที่ต้นทุนส่วนเพิ่มมากขึ้นหรือไม่คุ้มค่าฯ จะได้รับปีสุขภาวะลดลง ดังสมการ

$$\text{การสูญเสียปีสุขภาวะ (QALYs loss)} = \left(\frac{\text{budget impact of drugs}}{\text{incremental cost of drugs}} \right) - \left(\frac{\text{budget impact of drugs}}{160,000} \right)$$

หมายเหตุ QALY หรือ quality-adjusted life year คือ ปีสุขภาวะ

6. จัดทำแนวทางการพิจารณาราคาแพงในประเทศไทย โดยการทบทวนวรรณกรรมทั้งไทยและต่างประเทศ ร่วมกับการประชุมคณะทำงานจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบายในการนำาราคาแพงฯ ซึ่งคณะทำงานประกอบด้วย ผู้แทนจาก สปสช. คณะอนุกรรมการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติ คณะอนุกรรมการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติ คณะทำงานต่อรองราคาฯ สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา (อย.) หน่วยงานสนับสนุนทุนจากภาครัฐและภาคเอกชน โดยที่ประชุมได้มีการปรึกษาหารือร่วมกันเพื่อกำหนดรูปแบบ การปรับปรุง และหาข้อสรุปเกี่ยวกับคำถามเชิงนโยบายที่เกี่ยวข้องกับยาที่มีราคาแพงของประเทศไทย

6.1.3 สรุปผลการศึกษา (summary of results)

สถานการณ์ปัจจุบันเกี่ยวกับนิยามและเกณฑ์การพิจารณาราคาแพงในต่างประเทศ

จากการทบทวนวรรณกรรมทั้งไทยและต่างประเทศ ร่วมกับการสัมภาษณ์ผู้เกี่ยวข้องที่ให้ข้อมูลสำคัญของต่างประเทศจำนวน 6 ประเทศ คือ ประเทศสหราชอาณาจักร มาเลเซีย ออสเตรเลีย สาธารณรัฐเกาหลี แคนาดา และสิงคโปร์ พบว่า ประเทศสหราชอาณาจักรมีการกำหนดนิยามาราคาแพง คือ ยาที่มีมูลค่ามากกว่า 1.5 ล้านปอนด์ต่อปี ซึ่งกำหนดนิยามโดย NHS England and Clinical commissioning group⁽¹⁰⁾ ส่วนประเทศอื่น ๆ ยังไม่มีการกำหนดนิยามาราคาแพงที่ชัดเจน อย่างไรก็ตามทั้ง 6 ประเทศดังกล่าวได้มีการกำหนดเกณฑ์พิจารณาพิเศษสำหรับยาราคาแพง และยาที่มีค่าใช้จ่ายในการรักษาค่อนข้างสูงในบางโรค เช่น ยารักษาโรคมะเร็ง ยารักษาโรคหายาก และยากำพร้า เป็นต้น โดยมีเกณฑ์การพิจารณาพิเศษหรือแนวทางการเบิกจ่ายในรูปแบบที่แตกต่างกันออกไป รายละเอียดดังตารางที่ 2

ตารางที่ 2 สถานการณ์ปัจจุบันเกี่ยวกับนิยามและเกณฑ์การพิจารณาราคาแพงในต่างประเทศ

ประเทศ	คำนิยาม	เกณฑ์การพิจารณาพิเศษ	หมายเหตุ
สหราชอาณาจักร	✓	✓	นิยามของ high-cost drugs คือ ยาที่มีมูลค่ามากกว่า 1.5 ล้านปอนด์ต่อปี (NHS England and Clinical commissioning group)
มาเลเซีย	×	✓	ได้พัฒนาเกณฑ์การพิจารณาพิเศษสำหรับยาราคาแพง โดยใช้ multiple-criteria decision analysis (MCDA), patient access scheme (PAC) สำหรับพิจารณาราคาแพง และมีเกณฑ์การพิจารณาพิเศษสำหรับยาที่จัดเป็น life saving
ออสเตรเลีย	×	✓	มี life-saving drug program (LSDP) สำหรับพิจารณา ยาที่มีประสิทธิผลทางคลินิกแต่ไม่คุ้มค่า drugs-managed entry schemes สำหรับพิจารณา ยาใหม่ที่มีราคาแพง และ therapeutic goods administration program สำหรับพิจารณา กำพรัที่มีราคาแพง
สาธารณรัฐเกาหลี (เกาหลีใต้)	×	✓	มีเกณฑ์การพิจารณา high-cost drugs, anti-cancer, rare disease และ orphan drugs โดยพิจารณา จาก risk sharing agreement, ความคุ้มค่า และการต่อรองราคา
แคนาดา	×	✓	อยู่ระหว่างการจัดทำเกณฑ์การพิจารณา high-cost drugs และ rare disease, รัฐ British Columbia มีโครงการ PharmCare สำหรับเบิกจ่าย high-cost drug
สิงคโปร์	×	✓	ยารักษาเฉพาะที่มีราคาแพงจะได้รับการจัดสรรงบประมาณภายใต้ Medicaid Assistance Fund

สถานการณ์ปัจจุบันเกี่ยวกับนิยามและเกณฑ์การพิจารณาราคาแพงในประเทศไทย

ประเทศไทยยังไม่มีกำหนดนิยามของ “ยาราคาแพง” จึงยังไม่มีแนวทางในการพิจารณา กลุ่มนี้เพื่อบรรจุในชุดสิทธิประโยชน์และบัญชียาหลักแห่งชาติ จากการทบทวนข้อมูล พบว่า คณะอนุกรรมการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติ รอบปี พ.ศ. 2562-2564 ได้กำหนดเกณฑ์รายการยาหรือกลุ่มยาที่ไม่จำเป็นต้องทำการประเมินความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ (สำหรับกรณี rare case และ high cost)¹ และเกณฑ์การ

¹ รายงานการประชุมคณะอนุกรรมการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติ ครั้งที่ 8/2564

พิจารณาสำหรับผู้ป่วยมะเร็งระยะแพร่กระจาย² (ดังเอกสารภาคผนวก 1) โดยยาที่ใช้เกณฑ์ดังกล่าวในการพิจารณาส่วนใหญ่เป็นยาโรคมะเร็งและยาโรคมะเร็งหายากที่มีราคาสูง

ข้อมูลการสำรวจนิยามยาราคาแพงและยาช่วยชีวิต

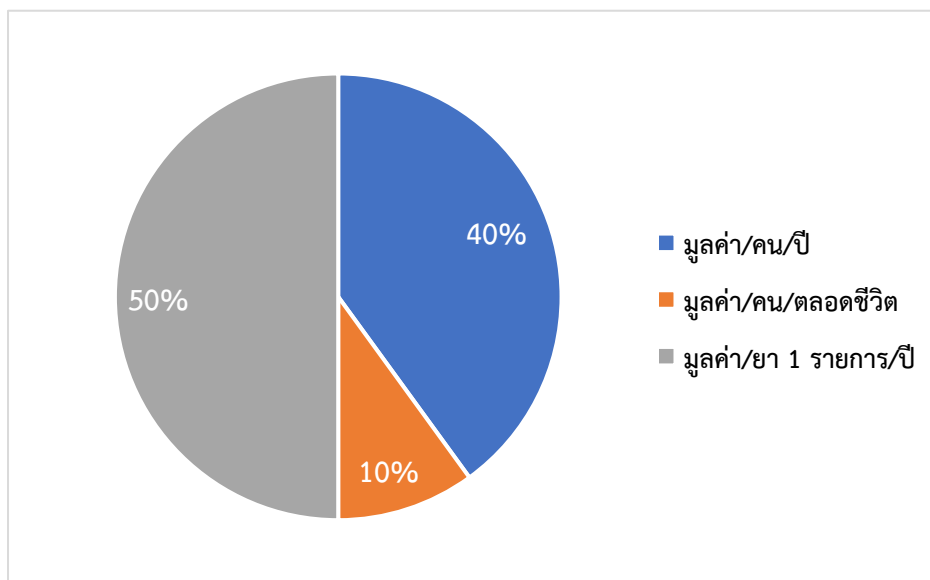
จากการประชุมคณะกรรมการจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบายในการนำยาราคาแพงหรือมีข้อจำกัดการเข้าถึงบริการเข้าเป็นสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ เมื่อวันที่ 31 พฤษภาคม พ.ศ. 2565 ทีมวิจัยได้จัดทำแบบสำรวจและทำการสำรวจกับคณะกรรมการจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบายฯ ที่เข้าร่วมการประชุมจำนวน 10 ท่าน เพื่อกำหนดนิยามยาราคาแพงและยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่น

รายละเอียดประเด็นคำถามและผลการสำรวจ สรุปดังนี้

ประเด็นที่ 1 นิยามยาราคาแพง (high-cost drugs)

ประกอบด้วยหน่วยและมูลค่าของการกำหนदनิยามยาราคาแพง

1. หน่วยที่ควรใช้ในการกำหนदनิยามยาราคาแพง (high-cost drugs)

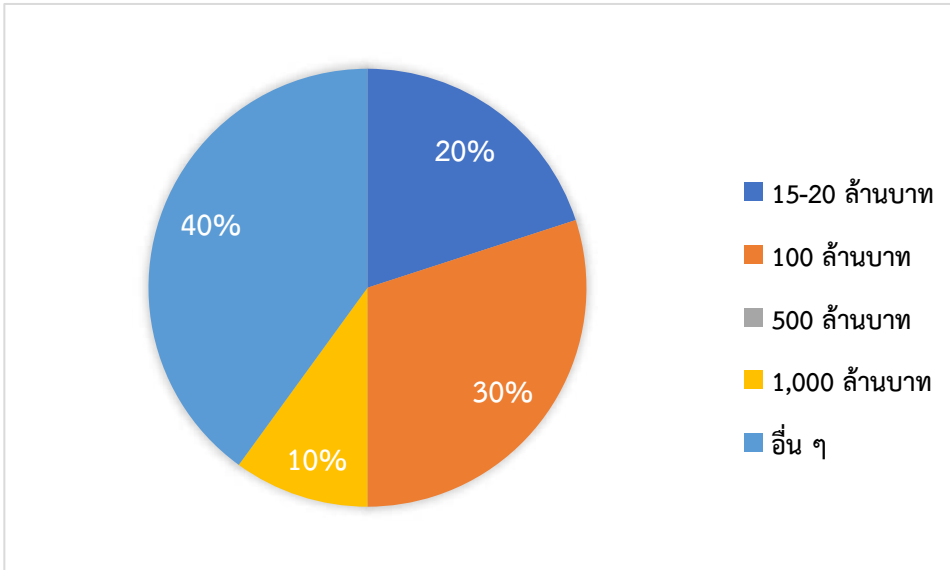


รูปที่ 2 หน่วยที่ควรใช้ในการกำหนदनิยามยาราคาแพง

ผู้ตอบแบบสำรวจร้อยละ 50 เลือกหน่วย มูลค่า/ยา 1 รายการ/ปี ร้อยละ 40 เลือกหน่วย มูลค่า/คน/ปี และร้อยละ 10 เลือกหน่วย มูลค่า/คน/ตลอดชีวิต หลังจากที่ประชุมได้อภิปรายร่วมกัน มีข้อสรุปคือ จะใช้ทั้ง 3 หน่วยในการกำหนदनิยามยาราคาแพง

2. มูลค่าที่ควรใช้ในการกำหนदनิยามยาราคาแพง (high-cost drugs)

² รายงานการประชุมคณะกรรมการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติ ครั้งที่ 9/2564



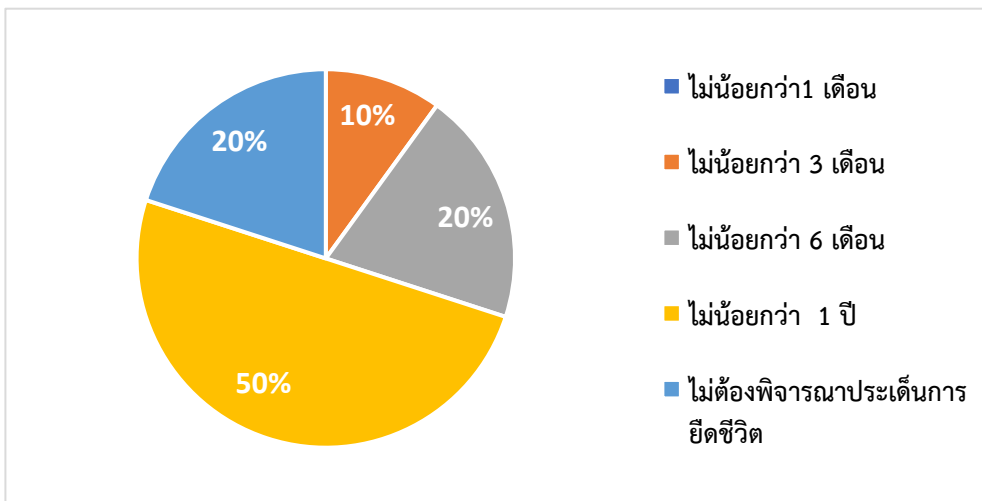
รูปที่ 3 มูลค่าที่ควรใช้ในการกำหนดนิยามยาราคาแพง

ผู้ตอบแบบสำรวจร้อยละ 40 เลือกอื่น ๆ ร้อยละ 30 เลือก 100 ล้านบาท ร้อยละ 20 เลือก 15-20 ล้านบาท และร้อยละ 10 เลือก 1,000 ล้านบาท และไม่มีผู้ตอบแบบสำรวจเลือก 500 ล้านบาท ทั้งนี้ที่ประชุมยังไม่มีมติเลือกมูลค่าที่ควรใช้ในการกำหนดนิยามยาราคาแพงนี้

ประเด็นที่ 2 นิยามยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกที่เหมาะสมในบริบทของประเทศไทย (life-saving drugs with no alternative treatment)

ประกอบด้วยระยะเวลาของยาเฉพาะที่ยืดชีวิต ระยะเวลาการเสียชีวิตหากผู้ป่วยไม่ได้รับยา ประเด็นพิจารณาอื่น ๆ และทางเลือกเพื่อกำหนดนิยาม ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่น

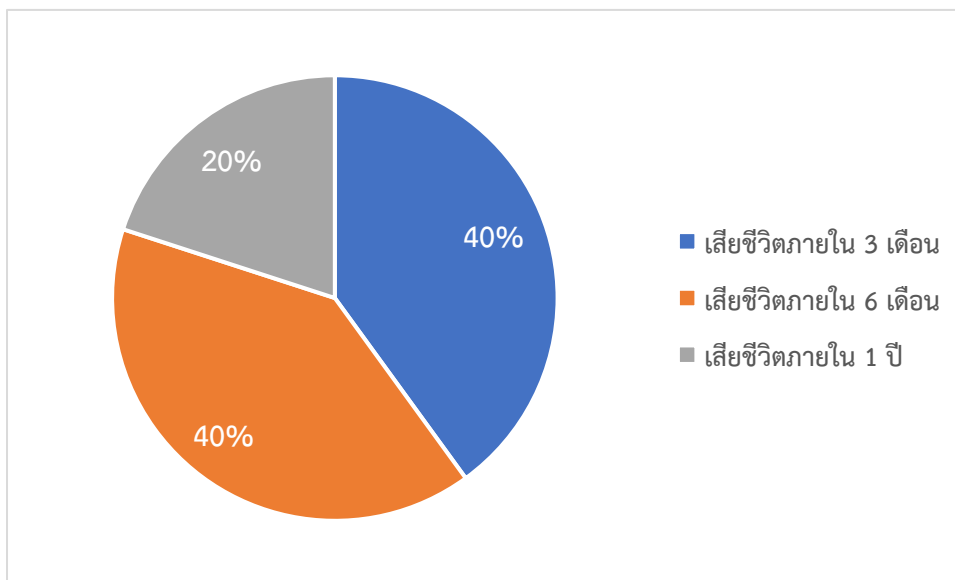
1. พิจารณาเฉพาะยาที่ยืดชีวิตได้เป็นระยะเวลาเท่าใด



รูปที่ 4 การพิจารณาเฉพาะยาที่ยืดชีวิตได้

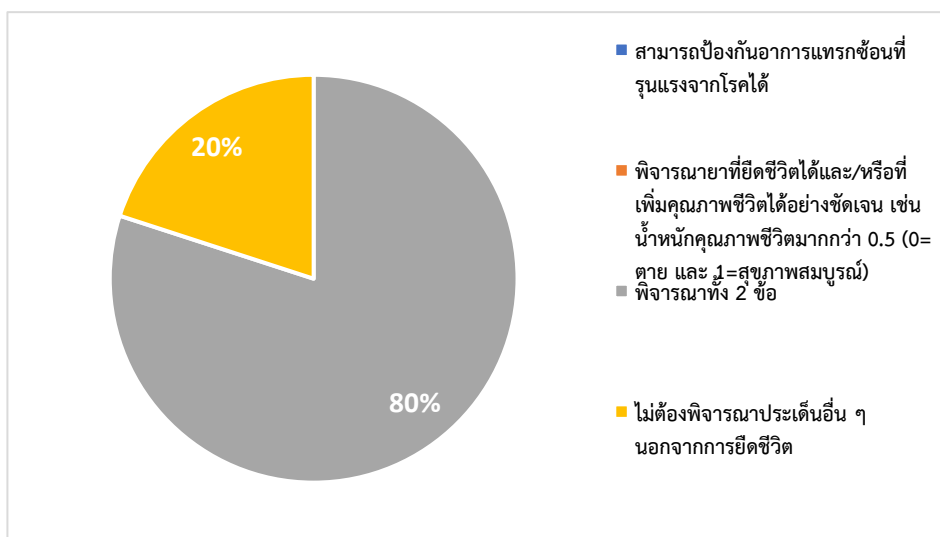
ผู้ตอบแบบสำรวจร้อยละ 50 เลือกยืดชีวิตได้ไม่น้อยกว่า 1 ปี ร้อยละ 20 เลือกไม่น้อยกว่า 6 เดือน ร้อยละ 20 เลือกไม่น้อยกว่า 1 เดือน และร้อยละ 10 เลือกไม่น้อยกว่า 3 เดือน และไม่มีผู้ตอบแบบสำรวจเลือกไม่น้อยกว่า 1 เดือน

2. พิจารณาขอบเขตของระยะเวลา หากผู้ป่วยไม่ได้รับยามีโอกาสเสียชีวิตสูงในระยะเวลาเท่าใด



รูปที่ 5 พิจารณาขอบเขตของระยะเวลา

ผู้ตอบแบบสำรวจร้อยละ 40 เลือกโอกาสเสียชีวิตภายใน 6 เดือน ร้อยละ 40 เลือกโอกาสเสียชีวิตภายใน 3 เดือน และร้อยละ 20 เลือกโอกาสเสียชีวิตภายใน 1 ปี

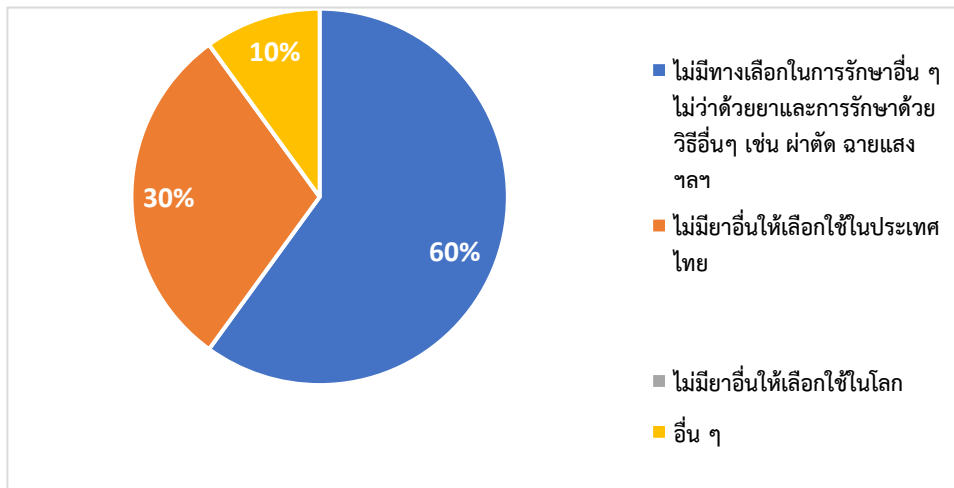


รูปที่ 6 ข้อพิจารณาอื่น ๆ

3. ข้อพิจารณาอื่น ๆ นอกจากการยืดชีวิต

ผู้ตอบแบบสำรวจร้อยละ 80 เลือกพิจารณาทั้ง 2 ข้อ คือ ยาสามารถป้องกันอาการแทรกซ้อนที่รุนแรงจากโรคได้ และพิจารณาอายุที่ยืดชีวิตได้และ/หรือที่เพิ่มคุณภาพชีวิตได้อย่างชัดเจน เช่น น้ำหนักคุณภาพชีวิตมากกว่า 0.5 และร้อยละ 20 เลือกไม่ต้องพิจารณาประเด็นอื่น ๆ นอกจากการยืดชีวิต ทั้งนี้ไม่มีผู้ตอบแบบสำรวจเลือกสามารถป้องกันอาการแทรกซ้อนที่รุนแรงจากโรคได้ หรือเลือกพิจารณาอายุที่ยืดชีวิตได้และ/หรือที่เพิ่มคุณภาพชีวิตได้อย่างชัดเจน

4. ทางเลือกเพื่อกำหนดนิยาม ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่น



รูปที่ 7 ทางเลือกเพื่อกำหนดนิยาม ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่น

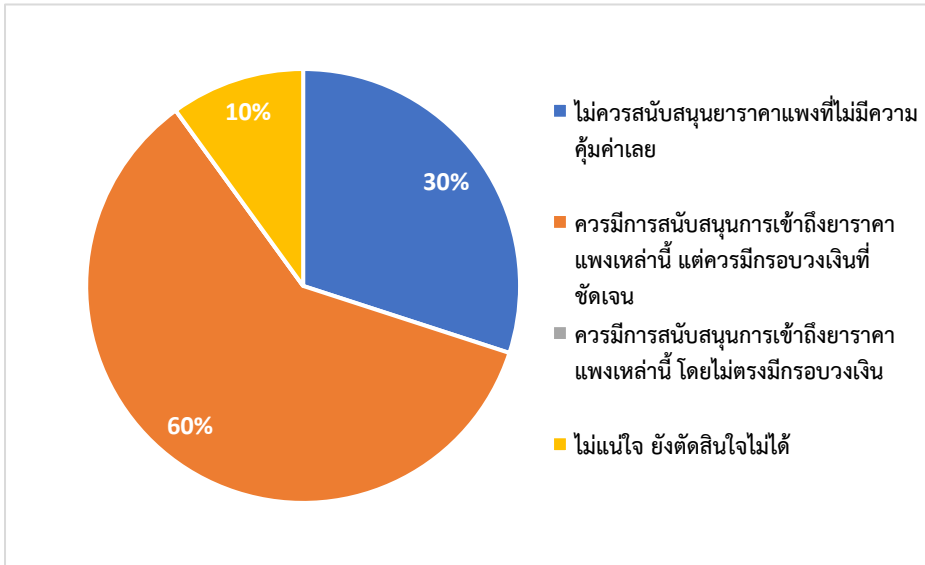
ผู้ตอบแบบสำรวจร้อยละ 60 เลือกไม่มีทางเลือกในการรักษาอื่น ๆ ไม่ว่าจะด้วยยาและการรักษาด้วยวิธีอื่น ๆ เช่น ผ่าตัด ฉายแสง เป็นต้น ร้อยละ 30 เลือกไม่มียาอื่นให้เลือกใช้ในประเทศไทย และร้อยละ 10 เลือกอื่น ๆ ไม่มีผู้ตอบแบบสำรวจเลือกไม่มียาอื่นให้เลือกใช้ในโลกล

หลังจากที่ประชุมได้ร่วมกันอภิปราย มีข้อสรุปเรื่องนิยามจากการตอบแบบสำรวจ คือ ยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกที่เหมาะสม ควรเป็นยาที่ยืดชีวิตได้เป็นระยะเวลาไม่น้อยกว่า 1 ปี ซึ่งหากผู้ป่วยไม่ได้รับยาจะมีโอกาสเสียชีวิตภายในระยะเวลา 6 เดือน และยานั้นสามารถป้องกันอาการแทรกซ้อนที่รุนแรงจากโรคได้ เป็นยาที่ยืดชีวิต และ/หรือเพิ่มคุณภาพชีวิตอย่างชัดเจน รวมทั้งเป็นยาที่ไม่มีทางเลือกในการรักษาอื่น ทั้งด้วยยาหรือการรักษาวิธีอื่น ๆ เช่น ผ่าตัด หรือฉายแสง เป็นต้น

ประเด็นที่ 3 กรอบวงเงินงบประมาณ

ประกอบด้วยกรอกำหนดกรอบวงเงินงบประมาณต่อปีสำหรับสนับสนุนยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่าและจำนวนกรอบวงเงินงบประมาณที่กำหนด

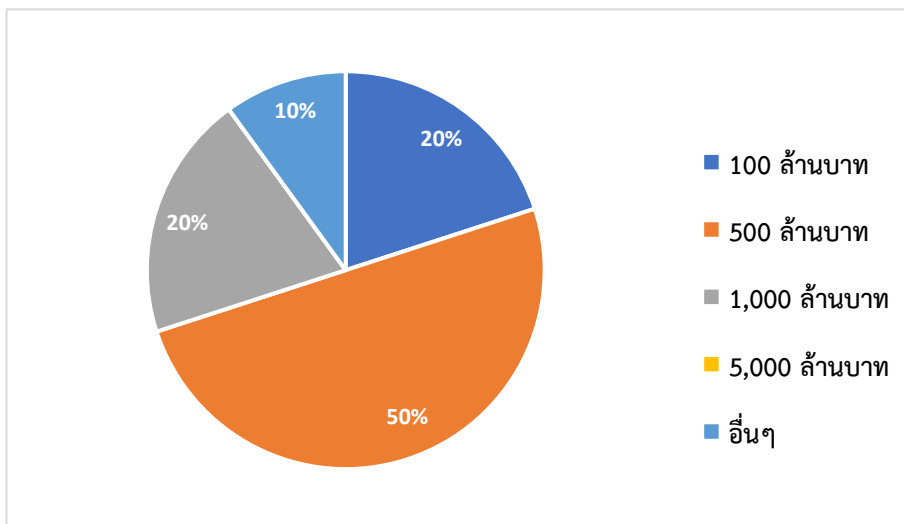
1. ควรมีการกำหนดกรอบวงเงินงบประมาณต่อปีสำหรับสนับสนุนยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่าสำหรับประเทศไทยหรือไม่



รูปที่ 8 การกำหนดกรอบวงเงินงบประมาณต่อปี สำหรับสนับสนุนยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่า

ผู้ตอบแบบสำรวจร้อยละ 60 เลือกควรมีการสนับสนุนการเข้าถึงยาราคาแพงเหล่านี้ แต่ควรมีกรอบวงเงินที่ชัดเจน ร้อยละ 30 เลือกไม่ควรถนัสนับสนุนยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่าเลย และร้อยละ 10 เลือกไม่แน่ใจ ยังตัดสินใจไม่ได้ และไม่มีผู้ตอบแบบสำรวจเลือกควรมีการสนับสนุนการเข้าถึงยาราคาแพงเหล่านี้ โดยไม่ต้องมีกรอบวงเงิน

2. หากมีการกำหนดกรอบวงเงินเพื่อสนับสนุนการเข้าถึงยาราคาแพงเหล่านี้ควรกำหนดวงเงินไว้ที่เท่าใดในระยะแรก (2-3 ปีแรก)



รูปที่ 9 การกำหนดกรอบวงเงินเพื่อสนับสนุนการเข้าถึงยาราคาแพง

ผู้ตอบแบบสำรวจร้อยละ 50 เลือกควรถูกกำหนดกรอบวงเงิน 500 ล้านบาท ร้อยละ 20 เลือก 1,000 ล้านบาท ร้อยละ 20 เลือก 100 ล้านบาท และร้อยละ 10 เลือกอื่น ๆ ไม่มีผู้ตอบแบบสำรวจเลือก 5,000 ล้านบาท ซึ่งผลการตอบแบบสำรวจกรอบงบประมาณ มีความเห็นว่าควรมีการสนับสนุนการเข้าถึงยารักษาแพงเหล่านี้ แต่ควรมีกรอบวงเงินที่ชัดเจนโดยในระยะแรกกำหนดกรอบวงเงินไว้ที่ 500 ล้านบาท

ทีมวิจัยได้วิเคราะห์ผลการสำรวจและนำเสนอต่อที่ประชุมคณะทำงานฯ วันที่ 26 กรกฎาคม พ.ศ. 2565 เพื่อขอข้อคิดเห็นต่อนิยามยารักษาแพง และยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่นที่เหมาะสม โดยที่ประชุมได้มีการอภิปรายและร่วมให้ข้อคิดเห็นที่หลากหลาย สามารถสรุปนิยามได้ดังนี้

ยารักษาแพง หมายถึง ยาที่มีราคาต่อผู้ป่วยต่อคนและ/หรือต่อปีสูง ซึ่งผู้ป่วยอาจเข้าไม่ถึงหากต้องแบกรับค่าใช้จ่ายด้วยตนเอง

ยาที่มีผลกระทบต่อบุคคลสูง หมายถึง ยาที่มีผลกระทบต่อบุคคลต่อรายการยาต่อปีสูง ซึ่งอาจก่อให้เกิดปัญหาต่อสถานะการเงินของโรงพยาบาล หากไม่มีการสนับสนุนจากระบบหลักประกันสุขภาพ

ยาช่วยชีวิตที่ไม่มีการรักษาทางเลือกอื่นที่เหมาะสม หมายถึง ยาที่ยืดชีวิตได้ไม่น้อยกว่า 1 ปี โดยสามารถป้องกันอาการแทรกซ้อนที่รุนแรงจากโรคได้ หากผู้ป่วยไม่ได้รับยาจะเสียชีวิตภายใน 6 เดือน เนื่องจากไม่มีทางเลือกอื่นในการรักษา และ/หรือเพิ่มคุณภาพชีวิตอย่างชัดเจน

ผลการตอบแบบสำรวจนี้ยังมีข้อจำกัด เนื่องจากผู้ร่วมตอบแบบสำรวจเป็นผู้เข้าร่วมประชุมจำนวน 10 ท่าน ผลที่ได้อาจจะไม่สะท้อนความเป็นจริงทั้งหมดในการนำมากำหนดนิยาม จึงควรมีการศึกษาเพิ่มเติมเพื่อหาข้อสรุปต่อไปในอนาคต

การทบทวนการเข้าถึงยามะเร็ง 43 รายการ เพื่อเข้าใจสถานการณ์ปัจจุบันของการเข้าถึงการรักษาโรคมะเร็งในประเทศไทย

การทบทวนการเข้าถึงยามะเร็ง 43 รายการและข้อบ่งใช้⁽¹¹⁾ ที่เสนอโดยแพทย์ผู้เชี่ยวชาญสาขาโรคมะเร็ง จาก สปสช. มีรายละเอียด ดังนี้

- 1) ยา 20 รายการ ถูกบรรจุอยู่ในข้อแนะนำของ NICE
- 2) ยา 7 รายการ ถูกบรรจุอยู่ในข้อแนะนำของ WHO EML
- 3) ยา 4 รายการ ถูกบรรจุอยู่ในข้อแนะนำของทั้ง NICE และ WHO EML
- 4) มียา 2 รายการ ที่ถูกบรรจุอยู่ในบัญชียาหลักแห่งชาติของไทย แต่ไม่อยู่ในข้อแนะนำของทั้ง NICE และ WHO EML (ดังตารางที่ 3)

ตารางที่ 3 การเข้าถึงยามะเร็ง 43 รายการและ 63 ข้อบ่งใช้

การเข้าถึงยามะเร็ง 43 รายการและ 63 ข้อบ่งใช้จากแพทย์ผู้เชี่ยวชาญสาขาโรคมะเร็งของสำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (สปสช.) ตามการแนะนำของ WHO EML และ NICE Guidance มีรายละเอียดดังนี้

WHO EML	NICE Guidance		
	แนะนำ	ไม่แนะนำ	ไม่เคยพิจารณา
แนะนำ	<p>ร้อยละ 6 (4 ข้อบ่งใช้)*</p> <ul style="list-style-type: none"> ● Bortezomib** (Myeloma) ● Lenalidomide** (Myeloma) ● Abiraterone Prostate cancer) ● Thalidomide (Myeloma) 	<p>ร้อยละ 0 (0 ข้อบ่งใช้)</p>	<p>ร้อยละ 5 (3 ข้อบ่งใช้)</p> <ul style="list-style-type: none"> ● Bicalutamide (Prostate cancer) ● Anastrozole (Breast cancer) ● IV Vinorelbine (Breast cancer)
ไม่แนะนำ	<p>ร้อยละ 8 (5 ข้อบ่งใช้)</p> <ul style="list-style-type: none"> ● Pertuzumab** (Breast cancer) ● Atezolizumab (hepatocellular cancer) ● Lenvatinib (hepatocellular cancer) ● Azacitidine** (Adult acute myeloid leukemia (AML)) ● Fulvestrant (Breast cancer) 	<p>ร้อยละ 2 (1 ข้อบ่งใช้)</p> <p>Azacitidine** (Myelodysplastic)</p>	<p>ร้อยละ 0 (0 ข้อบ่งใช้)</p>
ไม่เคยพิจารณา	<p>ร้อยละ 24 (15 ข้อบ่งใช้)</p> <ul style="list-style-type: none"> ● Liposomal doxorubicin (Ovarian Cancer) ● Gemcitabine (Breast cancer) ● Bevacizumab (Hepatocellular cancer) ● Sorafenib (Hepatocellular cancer) ● Olaparib** (Ovarian cancer) ● Darbepoetin (Myelodysplastic) ● Apalutamide (Prostate cancer) ● Enzalutamide (Breast cancer) ● Lapatinib (Breast cancer) ● Pazopanib (Endometrial Carcinoma) ● Ceritinib (Lung cancer) ● Ribociclib (Breast cancer) ● Sunitinib (Kidney cancer) ● Pemetrexed (Lung cancer) ● Eribulin (Breast cancer) 	<p>ร้อยละ 6 (4 ข้อบ่งใช้)</p> <ul style="list-style-type: none"> ● Bevacizumab (Ovarian cancer) ● Pazopanib (Soft tissue sarcoma, Kidney cancer) ● Levonorgestrel IUD (Endometrial Carcinoma) 	<p>ร้อยละ 49 (31 ข้อบ่งใช้)</p> <ul style="list-style-type: none"> ● Decitabine** (Myelodysplastic) ● Lenalidomide** (Myelodysplastic) ● Erythropoietin (Myelodysplastic) ● Liposomal doxorubicin (Endometrial Carcinoma) ● Leucovorin (Pancreatic cancer, Cholangiocarcinoma, Gallbladder cancer) ● Paclitaxel (Endometrial Carcinoma, Esophagus cancer⁺⁺, Colorectal cancer, Bladder cancer) ● Oxaliplatin (Esophagus cancer, Cholangiocarcinoma, Gallbladder cancer) ● Capecitabine (Pancreatic cancer, Cholangiocarcinoma, Gallbladder cancer, Esophagus cancer) ● Ifosfamide (Endometrial Carcinoma, Cervical cancer) ● Gemcitabine (Endometrial Carcinoma, Soft tissue sarcoma, Cervical cancer) ● Oral vinorelbine (Breast cancer)

WHO EML	NICE Guidance		
	แนะนำ	ไม่แนะนำ	ไม่เคยพิจารณา
			<ul style="list-style-type: none"> ● Anastrozole (Endometrial Carcinoma) ● Irinotecan (Stomach cancer, Esophagus cancer) ● Filgrastim (Adult acute myeloid) ● Sorafenib (Kidney cancer) ● Megestrol acetate (Endometrial carcinoma) ● Leuprorelin (Prostate cancer)⁺⁺ ● Tamoxifen (Endometrial carcinoma) ● Pembrolizumab (Endometrial carcinoma) ● Pamidronate (Myeloma)

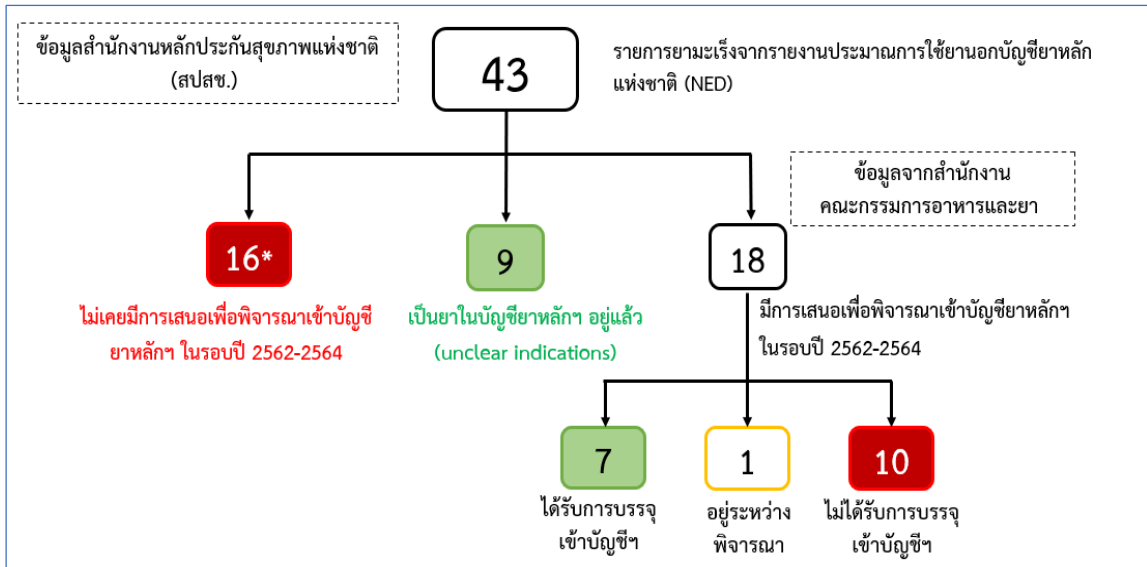
หมายเหตุ

*ร้อยละของยาตามการแนะนำของ WHO EML และ NICE Guidance คำนวณจากยา 43 รายการ มีทั้งหมด 63 ข้อบ่งใช้ เนื่องจากยาบางรายการมีข้อบ่งใช้มากกว่า 1 ข้อบ่งใช้

**ยาที่มีมูลค่ามากกว่า 100 ล้านบาท ตามรายงานประมาณการใช้จ่ายนอกบัญชียาหลักแห่งชาติ ตาม CA protocol จากแพทย์ผู้เชี่ยวชาญสาขาโรคมะเร็ง ของสำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ พ.ศ. 2564

++ยาในข้อบ่งใช้นั้น อยู่ในบัญชียาหลักแห่งชาติ ตามประกาศคณะกรรมการพัฒนาระบบยาแห่งชาติ เรื่อง บัญชียาหลักแห่งชาติ พ.ศ. 2564 ลงวันที่ 31 พฤษภาคม พ.ศ. 2564

เมื่อพิจารณายาเม็ด 43 รายการ เพื่อบรรจุเข้าบัญชียาหลักแห่งชาติในรอบปี พ.ศ. 2562-2564 พบว่า มียา 9 รายการที่อยู่ในบัญชียาหลักฯ แล้ว ยา 18 รายการถูกเสนอเพื่อพิจารณาเข้าสู่บัญชียาหลักฯ ในรอบปี พ.ศ. 2562-2564 ผลการพิจารณาได้บรรจุเข้าบัญชียาหลักฯ มี 7 รายการ ไม่ได้รับการบรรจุเข้าบัญชียาหลักฯ 10 รายการ ยา 1 รายการยังอยู่ในระหว่างการพิจารณา และมียา 16 รายการที่ไม่เคยเสนอเพื่อพิจารณาเข้าสู่บัญชียาหลักแห่งชาติ ซึ่งสรุปรายละเอียดได้ดังรูปที่ 10



รูปที่ 10 ขั้นตอนการเสนอยามะเร็ง 43 รายการ

เนื่องจากการพิจารณาของคณะกรรมการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติ จะพิจารณาจากหลักฐานเชิงประจักษ์เกี่ยวกับข้อมูลประสิทธิผล/ประสิทธิภาพ การศึกษาความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์สาธารณสุข ภาระงบประมาณ และเกณฑ์อื่น ๆ ร่วมด้วย ทำให้มียาบางรายการที่ไม่เคยเสนอ อาจเนื่องมาจากผู้มีสิทธิเสนอเกรงว่ายานั้นจะไม่มีมูลค่า ดังนั้น การเพิ่มช่องทางการสื่อสารให้ผู้มีสิทธิเสนอรายการยา ได้เสนอยาเพื่อพิจารณาแม้ว่ายานั้นจะไม่มีมูลค่าเมื่อพิจารณาจากเพดานความคุ้มค่าของประเทศไทยที่กำหนด 160,000 บาทต่อปีสุขภาวะ หรือมีผลต่องบประมาณสูง

การวิเคราะห์ค่าเสียโอกาส (opportunity cost) ในกรณีมีการเบิกจ่ายยาที่ไม่คุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์สาธารณสุข

ทีมวิจัยนำการศึกษาความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ฯ ของยามะเร็ง 5 รายการ⁽¹²⁻¹⁴⁾ จากรายการยา 43 รายการที่เสนอโดยแพทย์ผู้เชี่ยวชาญสาขาโรคมะเร็ง จาก สปสช. ซึ่งเป็นรายงานการศึกษาความคุ้มค่า ที่คณะกรรมการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติเคยใช้ในการพิจารณาในอดีตมาวิเคราะห์ดังแสดงในตารางที่ 4 ผลการศึกษาพบว่า ยาที่ไม่มีความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ คือ มีค่าต้นทุนต่อปีสุขภาวะที่สูงมาก จะส่งผลให้เกิดการสูญเสียปีสุขภาวะ (QALYs loss) โดยรวมของสังคมมากตามไปด้วย เช่น Lenalidomide ในข้อบ่งใช้โรคมะเร็งเม็ดเลือดขาวชนิดพลาสมาเซลล์ มี ICER 12,009,328 บาท/ปีสุขภาวะ โดยพิจารณาที่เพดานความคุ้มค่าของประเทศไทยที่ 160,000 บาทต่อปีสุขภาวะ หากพิจารณาเบิกจ่ายยานี้สังคมจะสูญเสีย QALYs ถึง 1,031 QALYs การสนับสนุนให้ยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์เบิกจ่ายได้จึงควรมีเพดานของความไม่คุ้มค่าเพื่อลดค่าเสียโอกาสของสังคม เช่น อาจกำหนดให้ยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์สามารถบรรจุในบัญชียาหลักแห่งชาติได้ หากเป็นยาช่วยชีวิตและผู้ป่วยไม่มีทางเลือกอื่นในการรักษา แต่ต้นทุนต่อปีสุขภาวะต้องไม่สูงเกิน 2 ล้านบาทต่อปีสุขภาวะ เป็นต้น และการเบิกจ่ายยาราคาแพงควรตั้งกรอบวงเงินงบประมาณอย่างชัดเจน และไม่ควรมุ่งกว้างงบประมาณในการเบิกจ่ายยาราคาแพงที่คุ้มค่า หรือยาบัญชี จ(2) เช่น ปีละ 500 ล้านบาทใน 2-3 ปีแรกที่จัดให้มีการเบิกจ่ายยาราคาแพงที่ไม่คุ้มค่า เป็นต้น

ตารางที่ 4 การเปรียบเทียบข้อมูลการศึกษาความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ฯ ของยาที่เสนอเข้าบัญชียาหลักแห่งชาติ 5 รายการ

รายการยา	ข้อบ่งใช้	ICER (บาท/ปีสุข ภาวะ)	ภาระ งบประมาณ (บาท/ปี)	QALYs ที่ได้ (A)	QALYs ที่ได้รับ* (B)	QALYs ที่สูญเสีย (A - B)
Leuprorelin	มะเร็งต่อม ลูกหมากในกลุ่ม ความเสี่ยงปาน กลาง	137,613	351,000,000	2551	2194	357
Sorafenib	มะเร็งไตชนิด clear cell ระยะ แพร่กระจาย	1,650,000	18,576,000	11	116	-105
Bortezomib	โรคมะเร็งเม็ด เลือดขาวชนิด พลาสมาเซลล์	9,908,461	119,200,000	12	745	-733
Thalidomide	โรคมะเร็งเม็ด เลือดขาวชนิด พลาสมาเซลล์	10,706,411	94,400,000	9	590	-581
Lenalidomide	โรคมะเร็งเม็ด เลือดขาวชนิด พลาสมาเซลล์	12,009,328	167,200,000	14	1045	-1031

*หาก ICER เท่ากับเพดานความคุ้มค่าของประเทศไทย คือ 160,000บาท/ปีสุขภาวะ

ข้อจำกัดที่ต้องพิจารณาคือ ค่า ICER นำมาจากรายงานการศึกษาความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ฯ เป็นการคำนวณโดยใช้มุมมองทางสังคม (societal perspective) ซึ่งเป็นมุมมองที่พิจารณาต้นทุนทุกประเภท ได้แก่ ต้นทุนทางตรงด้านการแพทย์ (direct medical cost) ต้นทุนทางตรงที่ไม่เกี่ยวข้องด้านการแพทย์ (direct non-medical cost) และต้นทุนทางอ้อม (indirect medical cost) แต่ในการคำนวณภาระงบประมาณเป็นการคำนวณโดยใช้มุมมองทางระบบสุขภาพของภาครัฐ (healthcare system or government perspective) ซึ่งจะพิจารณาเฉพาะต้นทุนทางตรงด้านการแพทย์ (direct medical cost) ส่งผลต่อการวิเคราะห์ QALYs loss อาจต่ำกว่าความเป็นจริงกรณีที่รายงานการศึกษาความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ฯ ของยานั้นมีต้นทุนรวมจากมุมมองทางสังคมมากกว่าต้นทุนรวมจากมุมมองทางระบบสุขภาพของภาครัฐ หรือ QALYs loss อาจสูงกว่าความเป็นจริง อย่างไรก็ตามข้อจำกัดนี้ไม่มีผลต่อข้อค้นพบในการวิเคราะห์ค่าเสียโอกาสของการศึกษานี้

การจัดทำแนวทางการพิจารณาราคาแพงในประเทศไทย

บัญชียาหลักแห่งชาติของประเทศไทย⁽⁹⁾ ได้แบ่งบัญชีย่อยยาเป็น 6 ประเภท คือ บัญชี ก, ข, ค, ง, จ(1) และ จ(2) ดังแสดงในตารางที่ 5 และตั้งแต่ พ.ศ. 2551 ได้นำการประเมินความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์สาธารณสุข (cost-effectiveness analysis) มาเป็นหนึ่งในเกณฑ์การคัดเลือกยาเข้าบัญชี⁽¹⁵⁾ โดยเฉพาะยา

บัญชี จ(2) หากคณะอนุกรรมการฯ พิจารณาแล้วพบว่า ยานี้มีความสำคัญแต่อาจมีผลกระทบต่อความสามารถและภาระในการจ่ายทิ้งของระบบประกันสุขภาพต่าง ๆ สังคมและผู้ป่วย จะต้องจัดให้มีระบบการประเมินความคุ้มค่าและผลกระทบทางการเงิน⁽¹⁶⁾ หากยาที่ประเมินแล้วมีความคุ้มค่าจะได้รับพิจารณาบรรจุเข้าบัญชียาหลักฯ หรือหากไม่คุ้มค่า แต่เมื่อเข้าสู่กระบวนการต่อรองราคาแล้วพบว่า มีความคุ้มค่ารวมถึงผลกระทบต่อด้านงบประมาณอยู่ในงบประมาณที่กองทุนผู้รับผิดชอบค่าใช้จ่ายทั้ง 3 กองทุน ได้แก่ งบกรมบัญชีกลาง กองทุนประกันสังคม และกองทุนหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ สามารถจ่ายได้ ยานี้จะได้รับพิจารณาเข้าบัญชียาหลักฯ หากยาที่ไม่มีความคุ้มค่าและต่อรองราคาไม่สำเร็จจะไม่ได้บรรจุเข้าบัญชียาหลักฯ

ตารางที่ 5 การแบ่งประเภทบัญชียาตามบัญชียาหลักแห่งชาติ

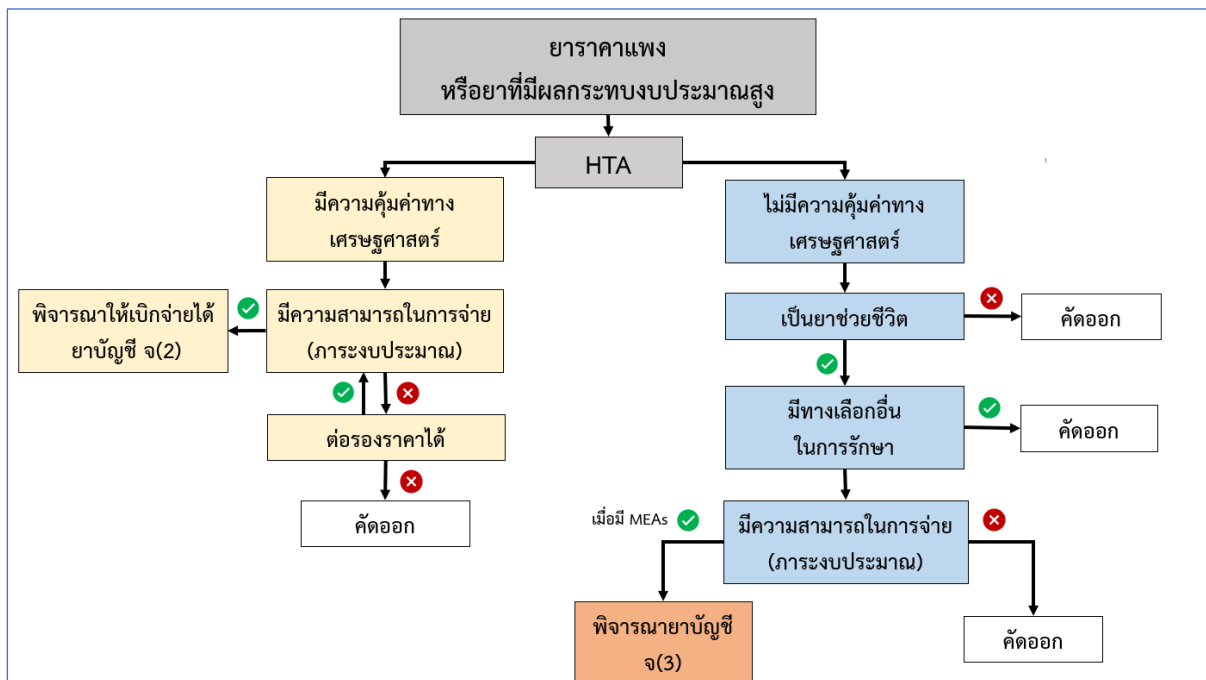
ประเภทบัญชี	รายละเอียด
ก	เป็นยาที่ได้รับการเลือกใช้เป็นอันดับแรกตามข้อบ่งใช้ของยานั้น มีหลักฐานชัดเจนที่สนับสนุนการใช้
ข	รายการยาที่ใช้สำหรับข้อบ่งใช้หรือโรคบางชนิดที่หายในบัญชี ก ไม่ได้หรือไม่ได้ผล หรือใช้เป็นยาแทนยาในบัญชี ก ตามความจำเป็น
ค	รายการยาที่ต้องใช้ในโรคเฉพาะทางโดยผู้ชำนาญ หรือผู้ที่ได้รับมอบหมายจากผู้อำนวยการของสถานพยาบาลนั้น
ง	ยาที่มีข้อบ่งใช้หลายข้อ หรือเป็นยาที่มีราคาแพง ต้องอาศัยการวินิจฉัยและพิจารณาสั่งใช้ยาโดยผู้ชำนาญเฉพาะโรค
จ(1)	รายการยาสำหรับโครงการพิเศษของหน่วยงานของรัฐ
จ(2)	เป็นยาที่มีราคาแพง และเป็นยาสำหรับผู้ป่วยที่มีความจำเป็นเฉพาะ

จากการทบทวนวรรณกรรมพบว่า บัญชียาหลักฯ มีกระบวนการพิจารณาราคาแพงที่มีความคุ้มค่าเพื่อบรรจุเข้าสู่บัญชียาหลักฯ อยู่แล้ว แต่ยาราคาแพงหรือยาที่มีผลกระทบต่องบประมาณสูง ยาที่มีข้อจำกัดการเข้าถึงบริการและวัคซีนที่ไม่ว่าง่ายยังไม่มีกระบวนการพิจารณาเหล่านี้

การทบทวนการเข้าถึงยามะเร็ง 43 รายการ และการทบทวนวรรณกรรมเกณฑ์การเบิกจ่ายยาราคาแพงจากต่างประเทศร่วมกับการสัมภาษณ์ผู้ให้ข้อมูลสำคัญของต่างประเทศ ที่วิจัยได้พัฒนาแนวทางการพิจารณาราคาแพงหรือยาที่มีผลกระทบต่องบประมาณสูง ควรทำการศึกษาความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์หรือการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพ (health technology assessment: HTA)³ ซึ่งในสถานการณ์ปัจจุบัน ถ้ายาที่มีความคุ้มค่าจะพิจารณาเพื่อเข้าบัญชียา จ(2) แต่หากยาไม่มีความคุ้มค่า ให้พิจารณาว่ายานี้เป็นยาช่วยชีวิตหรือไม่ ถ้าไม่ใช่ให้คัดออก หากเป็นยาช่วยชีวิตให้พิจารณาว่ามีทางเลือกอื่นในการรักษาหรือไม่ เป็นลำดับถัดมา หากไม่มีทางเลือกอื่น จะพิจารณาความสามารถในการจ่ายโดยพิจารณาควบคู่กับการทำ

³ การประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพ (health technology assessment: HTA) หมายถึง การวิเคราะห์อย่างเป็นระบบเพื่อให้ได้มาซึ่งข้อมูลหรือผลวิจัย ที่จะนำไปสนับสนุนการตัดสินใจเชิงนโยบาย โดยคำนึงถึงหลายปัจจัย เช่น ความปลอดภัย ประสิทธิภาพ ต้นทุน ความคุ้มค่า ผลกระทบต่อองค์กร สังคม และจริยธรรม ที่อาจเกิดขึ้นจากการใช้เทคโนโลยีทางการแพทย์นั้น ๆ เพื่อในท้ายที่สุดแล้วให้เกิดการเลือกใช้เทคโนโลยีทางสุขภาพได้อย่างเหมาะสมของสังคม

ข้อตกลงเกี่ยวกับการใช้ยากับผู้จำหน่าย (managed entry agreement: MEA) ซึ่งหากกองทุนหรือระบบสุขภาพมีความสามารถในการจ่ายแนะนำให้บรรจุเข้า “บัญชียา จ(3)”



รูปที่ 11 แนวทางการกำหนดเกณฑ์พิจารณายาราคาแพงของประเทศไทย

จากการประชุมคณะทำงานจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบายในการนำยาราคาแพงหรือมีข้อจำกัดการเข้าถึงบริการเข้าเป็นสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ เมื่อวันที่ 26 กรกฎาคม พ.ศ. 2565 มีความเห็นร่วมกันว่า ยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่า หากเป็นยาที่ช่วยชีวิตและเป็นทางเลือกเดียวในการรักษาผู้ป่วย ให้พิจารณาว่ามีความจำเป็นสมควรที่ผู้ป่วยจะเข้าถึงยาโดยไม่ต้องเสียค่าใช้จ่ายเอง

6.1.4 สรุปข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย (policy recommendation)

การศึกษาวัตถุประสงค์ที่ 1 เพื่อกำหนดนิยามของนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง และวัตถุประสงค์ที่ 2 เพื่อสร้างความเข้าใจเกี่ยวกับบริบทปัจจุบันของการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงในประเทศไทย ทีมวิจัยมีข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย ดังนี้

1. มีข้อมูลสนับสนุนที่เพียงพอสำหรับการพิจารณาและสนับสนุนงบประมาณของยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่า สำหรับบรรจุในชุดสิทธิประโยชน์ของประเทศไทย
2. จากการทบทวนวรรณกรรมในต่างประเทศ ควรพิจารณาดำเนินการอย่างเป็นระบบ โปร่งใส และอ้างอิงหลักฐานทางวิชาการ เพื่อความเป็นธรรมและยั่งยืน
3. ความรุนแรงของโรค (เช่น อันตรายเป็นถึงชีวิต) และทางเลือกอื่นในการรักษาเป็นเกณฑ์สำคัญในการพิจารณาเพื่อนำยาที่มีราคาแพง ยาที่ไม่มีความคุ้มค่า บรรจุในชุดสิทธิประโยชน์
4. การศึกษานี้ได้กำหนดนิยามของ ยาราคาแพง และยาช่วยชีวิตที่ไม่มีทางเลือกอื่นในการรักษา ที่สามารถนำไปใช้ในกระบวนการตัดสินใจได้

5. สปสช. ควรจัดสรร “กองทุนยาราคาแพง (high-cost drug fund (HCDF)) หรือ บัญชียา จ(3)” ด้วยกรอบวงเงินสำหรับสนับสนุนที่ 500 ล้านบาทต่อปีในช่วงสามปีแรก โดยทำเป็นโครงการนำร่อง

6. เนื่องจากทรัพยากรด้านสุขภาพมีจำกัด จึงควรกำหนดเพดาน ICER สูงสุดที่ยอมรับได้สำหรับยาที่มีความจำเป็นและไม่คุ้มค่า สำหรับบรรจุในบัญชียาหลักแห่งชาติ

7. สปสช. ควรนำกระบวนการพิจารณาของบัญชียาหลักแห่งชาติมาใช้เป็นส่วนหนึ่งของกลไกการตัดสินใจสำหรับ HCDF และควรมีกระบวนการที่ชัดเจนภายใต้การพัฒนาของบัญชียาหลัก ในการเสนอชื่อรายการยาราคาแพง ซึ่งจะแตกต่างจากยาบัญชีย้อยอื่น ๆ ของบัญชียาหลักฯ

8. ควรมีการติดตามและประเมินผลอย่างใกล้ชิดด้านผลกระทบเชิงบวกและเชิงลบของ HCDF เพื่อใช้เป็นข้อมูลในการพัฒนาการดำเนินงานในอนาคต

9. หากประเทศไทยต้องการเพิ่มการเข้าถึงยาราคาแพงโดยใช้ MEA ควรนำ MEA มาปรับใช้หลังจากการประเมินความคุ้มค่าร่วมกับเกณฑ์การพิจารณาอื่น ๆ

ทีมวิจัยได้นำเสนอผลการศึกษาเบื้องต้นต่อคณะกรรมการกำหนดประเภทและขอบเขตในการให้บริการสาธารณสุข ครั้งที่ 5/2565 วันที่ 2 สิงหาคม พ.ศ. 2565 และคณะกรรมการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติ ครั้งที่ 6/2565 วันที่ 30 พฤศจิกายน พ.ศ. 2565 นำไปสู่การประชุมระดมสมอง เรื่อง “ข้อเสนอการพัฒนาระบบการนำเสนอยาจำเป็นที่มีราคาแพงเข้าสู่บัญชียาหลักแห่งชาติ” ในวันที่ 10 กุมภาพันธ์ พ.ศ. 2566 จัดโดยสำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ ภายหลังการประชุม คณะกรรมการพัฒนาบัญชียาหลักฯ ได้มีมติเรื่องนิยามยาราคาแพง ยาช่วยชีวิต และการพิจารณานำยาราคาแพงเข้าสู่บัญชียาหลักแห่งชาติ โดยมติทั้งหมดให้ถือเป็นแนวทางในการปฏิบัติ เพื่อให้ได้องค์ความรู้และประสบการณ์ที่จะพิจารณาถึงความเหมาะสมที่จะใช้ต่อไปในอนาคต และให้ดำเนินการติดตามประเมินผล เพื่อพิจารณาปรับปรุงเปลี่ยนแปลงเป็นระยะ ๆ

รายละเอียดเพิ่มเติมดังภาคผนวกที่ 8.7 (policy brief 1 และ 2) หน้า 70-77

ทั้งนี้ การศึกษาในหัวข้อดังกล่าวได้ยื่นพิจารณาตีพิมพ์ในวารสารวิชาการนานาชาติ (published article) ชื่อเรื่อง Expanding access to high-cost medicines under the Universal Health Coverage scheme in Thailand: review of current practices and recommendations สำนักพิมพ์ Journal of Pharmaceutical Policy and Practice เป็นที่เรียบร้อยแล้ว

6.2 วัตถุประสงค์ที่ 3 เพื่ออธิบายกระบวนการทางนโยบายในปัจจุบันสำหรับการสนับสนุนการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงในต่างประเทศที่เริ่มมีการใช้นวัตกรรมกลุ่มนี้ และวัตถุประสงค์ที่ 6 เพื่อหารือและเสนอกระบวนการติดตาม ประเมิน และจัดการนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงในด้านความปลอดภัย มีประสิทธิภาพ/ประสิทธิผล และประสิทธิภาพ

6.2.1 บทคัดย่อ (abstract)

ความก้าวหน้าอย่างรวดเร็วของวิทยาศาสตร์ได้นำไปสู่การสร้างสรรค์ผลิตภัณฑ์และนวัตกรรมใหม่ทางการแพทย์ ซึ่งเทคโนโลยีเหล่านี้มีค่าใช้จ่ายที่สูงมากและเป็นอุปสรรคสำคัญในการนำเทคโนโลยีดังกล่าวมาบรรจุในระบบหลักประกันสุขภาพถ้วนหน้า ทีมวิจัยได้ศึกษาวิธีและแนวทางการเบิกจ่ายยาราคาแพงในประเทศที่มีรายได้สูง ด้วยระเบียบวิธีวิจัยหลายขั้นตอน ได้แก่ การทบทวนวรรณกรรมแบบ landscape analysis การประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียระดับนานาชาติ และการทบทวนวรรณกรรมแบบ

กำหนดขอบเขต (scoping review) ผลจากการทบทวนวรรณกรรม พบว่า ในแต่ละประเทศยังไม่มีคำจำกัดความสากลสำหรับยาราคาแพง แต่มีการใช้ช่องทางการเบิกจ่ายทางเลือกต่าง ๆ เพื่อรวมยาราคาแพงเหล่านี้ไว้ในชุดสิทธิประโยชน์ โดยแต่ละประเทศได้กำหนดเกณฑ์เฉพาะเพื่อกำหนดคุณสมบัติของยาในการเบิกจ่าย อย่างไรก็ตาม ยังมีช่องว่างและความท้าทายมากมายที่ต้องได้รับการแก้ไขเพื่อให้แน่ใจว่าประชาชนสามารถเข้าถึงการรักษาที่สำคัญเหล่านี้ได้อย่างเท่าเทียมกัน

6.2.2 ระเบียบวิธีวิจัย (methods overview)

การศึกษาในวัตถุประสงค์ที่ 3 และ 6 เป็นการศึกษาเชิงคุณภาพ (qualitative methods) โดยการทบทวนวรรณกรรมแบบ landscape analysis ในวรรณกรรมที่เกี่ยวข้องกับการเบิกจ่ายนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงในต่างประเทศ เพื่อทำความเข้าใจแนวทางการเบิกจ่าย และนำข้อมูลไปใช้ในการพัฒนาชุดคำถามสัมภาษณ์และการประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียระดับนานาชาติ และการทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต (scoping review) ในประเทศที่มีการประเมินเทคโนโลยีทางสุขภาพ (HTA) สำหรับการเบิกจ่ายนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง รายละเอียดแต่ละขั้นตอน ดังนี้

ขั้นตอนที่ 1 การทบทวนวรรณกรรมแบบ landscape analysis

ทีมวิจัยทบทวนวรรณกรรมแบบรวดเร็ว (rapid review) เพื่อค้นหาวรรณกรรมที่เกี่ยวข้องทั้งที่ได้รับ การตีพิมพ์และเอกสารที่ไม่ได้พิมพ์เผยแพร่ (grey literature) รวมทั้งสืบค้นข้อมูลทางเว็บไซต์ของหน่วยงาน health technology assessment (HTA agency) ใน 6 ประเทศที่คัดเลือก ได้แก่ สหราชอาณาจักร ออสเตรเลีย มาเลเซีย เกาหลีใต้ แคนาดา และสิงคโปร์ เนื่องจากเป็นประเทศที่มีการใช้ HTA เป็นแนวทางในการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์

ขั้นตอนที่ 2 การประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียระดับนานาชาติ

ทีมวิจัยนำเสนอผลการทบทวนวรรณกรรมในขั้นตอนที่ 1 ต่อผู้เชี่ยวชาญ 6 ประเทศ เพื่อตรวจสอบความถูกต้องของข้อมูลและขอข้อเสนอแนะต่อผลการทบทวนวรรณกรรม การปรึกษาหารือกับผู้เชี่ยวชาญโดยใช้วิธีการสัมภาษณ์เชิงลึกตามแนวคำถาม (เอกสารภาคผนวก 2) ได้ดำเนินการตั้งแต่เดือนพฤษภาคม ถึง กรกฎาคม พ.ศ. 2565 ผู้เชี่ยวชาญได้รับการติดต่อผ่านอีเมลโดยตรง และสัมภาษณ์ทางไกลผ่านสื่ออิเล็กทรอนิกส์ (โปรแกรม Zoom) ทีมวิจัยคัดเลือกผู้เชี่ยวชาญโดยใช้วิธีการเลือกกลุ่มตัวอย่างแบบลูกโซ่ (snowball sampling) โดยอาศัยการแนะนำของกลุ่มตัวอย่างที่ให้ข้อมูลไปแล้วและถูกแนะนำต่อ ผู้เชี่ยวชาญที่ถูกคัดเลือกจะต้องเป็นนักเศรษฐศาสตร์สุขภาพที่มีความรู้หรือประสบการณ์กว้างขวางในการทำงานเกี่ยวกับระบบการเบิกจ่ายนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง

หน่วยงานของผู้เชี่ยวชาญประกอบด้วย

1. Canada's Drug and Health Technology Agency (CADTH) ประเทศแคนาดา
2. องค์กรประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพของมาเลเซีย (MaHTAS) ประเทศมาเลเซีย
3. มหาวิทยาลัยยอร์ก (York University) สหราชอาณาจักร
4. National Evidence-Based Healthcare Collaborating Agency (NECA) ประเทศเกาหลีใต้
5. Agency for Care Effectiveness⁽¹⁷⁾ ประเทศสิงคโปร์
6. South Australian University ประเทศออสเตรเลีย

ขั้นตอนที่ 3 การทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต (scoping review)

ทีมวิจัยคัดเลือก 3 ประเทศจาก 6 ประเทศสำหรับการทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต โดยพิจารณาจากข้อค้นพบจากการทบทวนวรรณกรรมขั้นตอนที่ 1 และการประชุมผู้เชี่ยวชาญระดับ

นานาชาติขั้นตอนที่ 2 โดยมีวัตถุประสงค์ของการศึกษา คือ เพื่อทำความเข้าใจคุณภาพและความสมบูรณ์ของ
วรรณกรรมที่อธิบาย ประสิทธิภาพเกี่ยวกับแนวทางการเบิกจ่ายนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงหรือยาที่มีราคาแพง
ซึ่งแนวทางการเบิกจ่ายจาก 3 ประเทศที่คัดเลือก ได้แก่

1. แนวทางการเบิกจ่ายยาราคาแพงจากประเทศอังกฤษ
 - 1.1 England's Cancer Drug Fund (CDF) และ แนวทาง Highly Specialised Technology (HST) evaluation program จาก National Institute for Health and Care Excellence หรือ NICE
 - 1.2 แนวทาง NHS England Cancer Drugs Fund
2. แนวทางการเบิกจ่ายยาราคาแพงจากประเทศออสเตรเลีย ได้แก่ Australia's Life-Saving Drug Program (LSDP) จาก Department of Health Australia
3. แนวทางการเบิกจ่ายยาของเกาหลีใต้ จาก South Korea's new drug pathway

6.2.3 สรุปผลการศึกษา (summary of results)

จากการทบทวนวรรณกรรมทั้งไทยและต่างประเทศ ร่วมกับการสัมภาษณ์ผู้เกี่ยวข้องที่ให้ข้อมูลสำคัญ
ของต่างประเทศจำนวน 6 ประเทศ และการทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขตใน 3 ประเทศ พบว่า แต่
ละประเทศมีการกำหนดเกณฑ์พิจารณาพิเศษสำหรับยาราคาแพง และยาที่มีค่าใช้จ่ายในการรักษาค่อนข้างสูง
ในบางโรค เช่น ยารักษาโรคมะเร็ง ยารักษาโรคหายาก และยากำพร้า เป็นต้น ซึ่งแต่ละประเทศมีข้อค้นพบที่
สำคัญ ดังนี้

สหราชอาณาจักร

- กองทุนยามะเร็ง (Cancer Drug Fund: CDF) เป็นกองทุนที่จัดตั้งใน พ.ศ. 2553 เพื่อเพิ่มการเข้าถึง
ยามะเร็งราคาแพง ภายใต้การดำเนินงานของ National Institute of Health and Care Excellence
(NICE) เริ่มต้นด้วยกรอบงบประมาณ 200 ล้านปอนด์ต่อปี และเพิ่มเป็น 340 ล้านปอนด์ต่อปี⁽¹⁸⁾
ใน พ.ศ. 2559 CDF เป็นหนึ่งในกองทุนพิเศษเพื่อสนับสนุนการเข้าถึงยาที่มีข้อมูลประสิทธิผลทางคลินิกที่
แน่นอน แต่หลักฐานด้านความคุ้มค่ายังไม่แน่นอน^(19, 20)

- ในขั้นตอนการประเมินยาเพื่อเบิกจ่ายในกองทุน NICE ใช้เกณฑ์ Highly Specialised
Technologies (HST) ซึ่งเกณฑ์นี้มีความแตกต่างจากกระบวนการพิจารณายาทั่วไปของ NICE คือ มีการ
กำหนดเพดานความคุ้มค่าที่ £100,000/QALY เมื่อเทียบกับกระบวนการทั่วไปคือ £20,000-
30,000/QALY⁽²¹⁾

- หากยามะเร็งที่เสนอเข้าเพื่อเบิกจ่ายเป็นยาที่ประสิทธิผลทางคลินิกยังมีความไม่แน่นอนอยู่ และยังไม่
มีผลการประเมินความคุ้มค่า ดังนั้น NICE จึงแนะนำให้ทำข้อตกลง managed access agreement
(MAA) กับบริษัทผู้ผลิตยา ก่อน และจะมีการตกลงร่วมกันเรื่องระดับของการเบิกจ่ายในขั้นตอนนี้ ซึ่งจะถูกเก็บ
เป็นความลับ

- การพิจารณาจะมีผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้เสียเข้ามามีส่วนร่วมตลอดกระบวนการ ซึ่ง
ประกอบด้วย ผู้เชี่ยวชาญด้านคลินิกแต่ละสาขา ผู้เชี่ยวชาญของ NHS ผู้แทนบริษัทยา ผู้แทนผู้ป่วย และ
องค์กรผู้ดูแลผู้ป่วยมะเร็ง

รายละเอียดเพิ่มเติมสามารถศึกษาได้จาก policy brief เรื่อง Learning from Cancer Drug Fund (CDF) in England: A special reimbursement pathway for high-cost cancer drugs (ภาคผนวกที่ 8.7 policy brief 5) หน้า 86-89

ประเทศออสเตรเลีย

- พ.ศ. 2538 ประเทศออสเตรเลีย เพิ่มช่องทางการเข้าถึงยาราคาแพงสำหรับโรคมะเร็ง โดยพัฒนา Life-Saving Drugs Program (LSDP)⁽²²⁾ เพื่อนำไปใช้ในการพิจารณาเข้าสู่ชุดสิทธิประโยชน์ใน Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS) โครงการ LSDP ได้รับทุนสนับสนุนจาก Department of Health and Aged Care โดยโครงการอนุญาตให้ผู้สนับสนุน (sponsor) ซึ่งส่วนมากมาจากบริษัทยาสามารถเสนอรายการยาสำหรับโรคมะเร็งที่มี 1) ประสิทธิภาพที่ดีทางคลินิก 2) เป็นยาช่วยชีวิต 3) ไม่มีทางเลือกอื่นในการรักษา แต่ไม่ได้รับการบรรจุอยู่ใน PBS เนื่องจากผลการศึกษาค่าความคุ้มค่าพบว่าไม่คุ้มค่า

- ขั้นตอนในการพิจารณาคือ ผู้เสนอยาจัดทำข้อมูลยาที่เสนอตามเกณฑ์ที่ LSDP กำหนด ผู้เชี่ยวชาญด้านยาและฝ่ายเลขานุการจาก LSDP ทำการทบทวนและประเมินยาดังกล่าวเพื่อเสนอให้กับ Chief Medical Officer ซึ่งเป็นผู้ให้คำแนะนำแก่กระทรวงสาธารณสุขว่ายาดังกล่าวควรได้รับการสนับสนุนผ่าน LSDP หรือไม่ และหากยาได้รับการอนุมัติโดยกระทรวงสาธารณสุขจะมีการทบทวนรายการยาทุก ๆ 24 เดือน หลังยาได้รับการบรรจุในโครงการ⁽²³⁾

- การต่อรองราคาจะเกิดขึ้นหลังจากยาของผู้เสนอได้รับพิจารณาโดย Chief Medical Officer แนวทางการต่อรองยาอ้างอิงโดยใช้ข้อตกลง outcome-based risk-sharing และรายละเอียดของการต่อรองราคายาจะเป็นความลับระหว่างบริษัทยาและรัฐบาล

รายละเอียดเพิ่มเติมสามารถศึกษาได้จาก policy brief เรื่อง The Life Saving Drug Program: Australia's pathway to high-cost drugs (ภาคผนวกที่ 8.7 policy brief 3) หน้า 78-81 และ เรื่อง The challenges in reimbursement decisions for innovative high-cost drugs: Thailand's effort to expand drug access (ภาคผนวกที่ 8.7 policy brief 4) หน้า 82-85

ประเทศเกาหลีใต้

ในอดีต ประเทศเกาหลีใต้ไม่สามารถเบิกจ่ายยาราคาแพงได้ แม้ว่ายานั้นจะเป็นยารักษาโรคมะเร็งหรือโรคมะเร็งที่ไม่มีทางเลือกอื่นในการรักษา ใน พ.ศ. 2556 รัฐบาลเกาหลีใต้จึงจัดให้มีช่องทางอื่นที่สามารถเบิกจ่ายยาราคาแพงได้⁽²⁴⁻²⁶⁾ คือ

- บัญชียาหลักแห่งชาติ (essential medicines list) ได้กำหนดข้อพิจารณาพิเศษ สำหรับยาใหม่ที่มีข้อมูลประสิทธิผลทางคลินิกที่ดี มีข้อบ่งใช้ในโรคที่มีผู้ป่วยจำนวนน้อย และที่ไม่มีทางเลือกอื่นในการรักษา จะพิจารณาให้เข้าบัญชียาหลักฯ ได้ แม้ว่าจะไม่มีผลการศึกษาค่าความคุ้มค่า อย่างไรก็ตาม ยานั้นต้องผ่านกระบวนการต่อรองราคายากับบริษัทผู้ผลิต โดยอ้างอิงราคาจาก 7 ประเทศ ได้แก่ สหรัฐอเมริกา สหราชอาณาจักร อิตาลี เยอรมนี ญี่ปุ่น สวิตเซอร์แลนด์ และฝรั่งเศส

- การจัดทำข้อตกลง risk sharing agreements (RSA)⁽²⁷⁾ เพื่อลดภาระทางการเงินในการเบิกจ่ายยาราคาแพง เช่น ข้อตกลงกับบริษัทผู้ผลิตให้รับผิดชอบค่าใช้จ่ายเพิ่มเติมเหนือจากราคา หรือการคืนเงินเมื่อยาไม่สามารถให้ผลการรักษาทางคลินิกตามที่ระบุไว้ในสัญญา เป็นต้น

- การยกเว้นการเจรจาต่อรองราคา (price negotiation waivers) เป็นการสร้างข้อตกลงกับบริษัทผู้ผลิต กรณีที่บริษัทผู้ผลิตยินยอมลดราคาในสัดส่วนที่ตกลงกับรัฐบาล จะสามารถขอลดระยะเวลาในขั้นตอนการต่อรองราคาได้ ซึ่งโดยปกติใช้เวลาประมาณ 60 วันทำการจากกระบวนการเดิม

- การยกเว้นการประเมินทางเภสัชเศรษฐศาสตร์ (pharmaco-economic waiver) เนื่องจากยาโรคหายากนั้นหาข้อมูลสนับสนุนได้ยาก จึงมีการกำหนดเกณฑ์พิเศษเพื่อยกเว้นการประเมินทางเภสัชเศรษฐศาสตร์สำหรับกลุ่มดังกล่าว

ซึ่งกลไกเหล่านี้ช่วยในการเข้าถึงยาราคาแพงได้มากขึ้น ลดเวลาระหว่างการรออนุมัติและการตัดสินใจเรื่องการเบิกจ่าย แต่ยังมีประเด็นเกี่ยวกับการรักษาความลับของข้อมูลและความเป็นส่วนตัวของราคาที่ต้องพิจารณาร่วมด้วย

รายละเอียดเพิ่มเติมสามารถศึกษาได้จาก policy brief เรื่อง South Korea's Experience of Reimbursing High-Cost Medicines (ภาคผนวกที่ 8.7 policy brief 6) หน้า 90-92

กระบวนการทางนโยบายสำหรับการสนับสนุนการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง จาก 3 ประเทศข้างต้น พบว่ามีเกณฑ์การพิจารณาและช่องทางพิเศษเพื่อให้ยาที่มีประสิทธิภาพทางคลินิก แต่มีราคาแพงและอาจไม่คุ้มค่า สามารถเบิกจ่ายได้ในระบบประกันสุขภาพของภาครัฐ อย่างไรก็ตาม ภาครัฐต้องใช้งบประมาณในการบริหารจัดการยาราคาแพง จึงเป็นประเด็นท้าทายด้านความมั่นคงทางการเงิน เนื่องจากนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงเริ่มมีจำนวนและมีราคาแพงมากขึ้น⁽²⁸⁾ รวมทั้งด้านจริยธรรมเรื่องการเข้าถึงการรักษาของประชาชนอย่างเท่าเทียม

6.2.4 สรุปข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย (policy recommendation)

อ้างอิงตามวัตถุประสงค์ข้อ 1 และ 2 หน้า 20-21

6.3 วัตถุประสงค์ที่ 4 เพื่อเข้าใจกระบวนการ horizon scanning สำหรับการติดตาม วิเคราะห์ และตรวจสอบนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงที่เป็นนวัตกรรมใหม่ในประเทศไทย

6.3.1 บทคัดย่อ (abstract)

ปัจจุบันเทคโนโลยีด้านสุขภาพมีการเปลี่ยนแปลงและเกิดขึ้นใหม่อย่างรวดเร็ว เทคโนโลยีใหม่อาจส่งผลกระทบต่อระบบสุขภาพในอนาคต เช่น ผลกระทบจากเทคโนโลยีที่มีราคาแพง หรือเทคโนโลยีที่อาศัยผู้เชี่ยวชาญเฉพาะทางจำนวนมากในการให้การบำบัดรักษาด้วยวิธีใหม่ เป็นต้น ดังนั้นประเทศไทยจึงควรมีระบบหรือวิธีการเชิงรุกในการระบุนวัตกรรมหรือเทคโนโลยีใหม่ที่เกิดขึ้นเพื่อเตรียมความพร้อมในการรับมือกับเทคโนโลยีเหล่านั้น ซึ่งกระบวนการ horizon scanning เป็นวิธีการมองการณ์ไกลเชิงกลยุทธ์ที่ช่วยให้องค์กรต่าง ๆ สามารถตรวจจับแนวโน้มและนวัตกรรมที่เกิดขึ้นใหม่ได้ การศึกษานี้มีวัตถุประสงค์เพื่อเข้าใจกระบวนการ horizon scanning สำหรับการติดตาม วิเคราะห์ และตรวจสอบนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงที่เป็นนวัตกรรมใหม่ในประเทศไทย

งานวิจัยนี้ได้ศึกษาถึงกระบวนการ horizon scanning จาก 3 ขั้นตอนหลัก ได้แก่ 1) การทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต (scoping review) จากฐานข้อมูล MEDLINE 2) การประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียของต่างประเทศ ได้แก่ International Health TechScan (iHTS) เครือข่ายความร่วมมือระดับนานาชาติ ด้าน horizon scanning, Malaysian Health Technology Assessment Section (MaHTAS) ประเทศมาเลเซีย, The Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH) ประเทศแคนาดา และ National Institute for Health and Care Excellence (NICE) ประเทศสหราชอาณาจักร และ 3) การประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในประเทศไทย เพื่อจัดทำข้อเสนอแนะเกี่ยวกับกระบวนการ horizon scanning สำหรับประเทศไทย

6.3.2 สรุประเบียบวิธีวิจัย (methods overview)

การศึกษาในวัตถุประสงค์ที่ 4 เป็นการศึกษาเชิงคุณภาพ (qualitative methods) มีรายละเอียดขั้นตอน ดังนี้

ขั้นตอนที่ 1 การทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต (scoping review)

ทีมวิจัยสืบค้นงานวิจัยที่เกี่ยวข้องกับกระบวนการ horizon scanning จากงานวิจัยที่เกี่ยวข้องในฐานข้อมูล MEDLINE ด้วยคำค้นหา “horizon scanning” AND “interventions” เกณฑ์ที่ใช้ในการคัดเอกสารเข้า คือ งานวิจัยที่มีข้อมูลประเด็นใดประเด็นหนึ่งจาก 3 ประเด็นหลัก ได้แก่ 1) นิยามของ horizon scanning 2) กระบวนการของ horizon scanning และ 3) ความท้าทายและจุดแข็งของ horizon scanning งานวิจัยที่ถูกคัดเลือกทั้งหมดต้องตีพิมพ์เป็นภาษาอังกฤษเท่านั้น ผู้วิจัย 5 คนทำการสกัดข้อมูล (data extraction) ซึ่งทุกคนทำอย่างเป็นอิสระต่อกัน (independent review) และแบ่งการคัดเลือกวรรณกรรมออกเป็น 2 ระยะ คือ ระยะที่ 1 การคัดเลือกวรรณกรรมจากชื่อเรื่องและบทคัดย่อ และระยะที่ 2 การคัดเลือกวรรณกรรมจากเอกสารฉบับเต็ม หากวรรณกรรมฉบับใดที่ผู้คัดเลือกมีข้อคิดเห็นขัดแย้งกัน ทีมวิจัยจะสรรหาบุคคลที่สามเป็นผู้อ่านและตัดสิน ข้อมูลที่สกัดจากงานวิจัยที่สืบค้นจะถูกสรุปให้สอดคล้องกับประเด็นดังกล่าว และวัตถุประสงค์ของการศึกษา

ขั้นตอนที่ 2 การสัมภาษณ์ผู้เชี่ยวชาญระดับนานาชาติ

ทีมวิจัยนำผลการทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขตในขั้นตอนที่ 1 ไปปรึกษาหารือกับผู้มีส่วนได้ส่วนเสียและผู้เชี่ยวชาญด้าน horizon scanning ที่เป็นที่ยอมรับในระดับนานาชาติ ผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในต่างประเทศ รวมถึงผู้เชี่ยวชาญจากองค์กรต่าง ๆ ประกอบด้วย ผู้เชี่ยวชาญจาก International Health TechScan (iHTS) (เดิมชื่อ “EuroScan International Network”) Malaysia Health Technology Assessment Section (MaHTAS) ประเทศมาเลเซีย, Canadian Drug and Health Technology Agency in Health (CADTH) ประเทศแคนาดา และ National Institute for Health Care Excellence (NICE) สหราชอาณาจักร ทีมวิจัยดำเนินการโดยใช้การสัมภาษณ์แบบกึ่งโครงสร้าง (semi-structured interview) (เอกสารภาคผนวก 3) ผ่านโปรแกรม Zoom ระหว่างเดือนกันยายน พ.ศ. 2565 ถึงเดือนพฤษภาคม พ.ศ. 2566 ซึ่งคำแนะนำที่ได้จากผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียได้ถูกนำมาปรับใช้เพื่อพัฒนาแนวทางการจัดตั้งและรูปแบบกระบวนการ horizon scanning สำหรับประเทศไทยต่อไป

ขั้นตอนที่ 3 การประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในประเทศไทย

ทีมวิจัยจัดประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในประเทศไทย เพื่อสอบถามข้อคิดเห็นและข้อเสนอแนะสำหรับนำมาปรับปรุงข้อมูลที่ใช้เป็นแนวทางการจัดทำกระบวนการ horizon scanning ที่เหมาะสมกับบริบทของประเทศไทย โดยมีตัวแทนจากกระทรวงสาธารณสุข สำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (สปสช.) สำนักงานประกันสังคม กรมบัญชีกลาง คณะอนุกรรมการพัฒนาปัญญาหลักแห่งชาติ กลุ่มผู้ป่วย และเครือข่ายทีมวิจัยในประเทศไทย หลังจากการประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย ทีมวิจัยได้ทำการสังเคราะห์ผลการวิจัยจากระเบียบวิธีวิจัยทั้งหมดในวัตถุประสงค์ที่ 4 เพื่อจัดทำข้อเสนอแนะเชิงนโยบายต่อไป

ทีมวิจัยวิเคราะห์ข้อมูลที่รวบรวมได้จากการทบทวนวรรณกรรม และการสัมภาษณ์ผู้เชี่ยวชาญระดับนานาชาติ โดยใช้วิธีวิเคราะห์ตามประเด็น (thematic analysis)

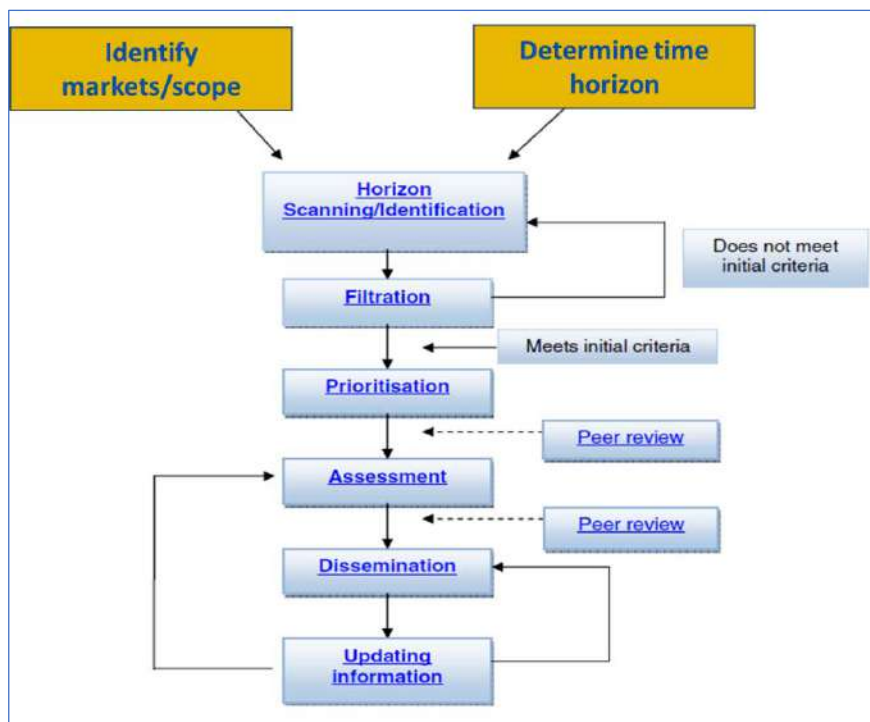
6.3.3 สรุปผลการศึกษา (summary of results)

นิยามของกระบวนการ horizon scanning

ในแต่ละประเทศ มีการกำหนดนิยามของกระบวนการ horizon scanning ที่แตกต่างกัน จากการพัฒนาวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขตและการสัมภาษณ์ผู้เชี่ยวชาญระดับนานาชาติ ทีมวิจัยสามารถสรุปนิยามของกระบวนการ horizon scanning ได้ดังนี้ คือ “การระบุเทคโนโลยีใหม่และที่เกิดขึ้นใหม่ก่อนที่จะนำเทคโนโลยีนั้นไปใช้ในแนวทางปฏิบัติจริง เพื่อประเมินผลกระทบที่อาจเกิดขึ้นและเพื่อใช้ในการตัดสินใจเชิงนโยบาย” ระบบนี้สามารถช่วยคาดการณ์ผลกระทบทั้งทางการเงินและ/หรือทางคลินิกของเทคโนโลยีใหม่และเทคโนโลยีอุบัติใหม่ ตลอดจนสแกนการเปลี่ยนแปลงเชิงบวก เช่น โอกาสในการลงทุน และการเปลี่ยนแปลงเชิงลบในอนาคต ซึ่งกระบวนการ horizon scanning ในแต่ละประเทศมีความแตกต่างกัน โดยส่วนใหญ่มักใช้ในการติดตามผลิตภัณฑ์ยา แต่อย่างไรก็ตาม horizon scanning ยังสามารถช่วยค้นหา ติดตามเทคโนโลยีทางการแพทย์อื่น ๆ ได้ เช่น เครื่องมือแพทย์ หรือผลิตภัณฑ์ทางการแพทย์ขั้นสูง (advance therapy medicinal product (ATMP)) เป็นต้น

กระบวนการ horizon scanning

กระบวนการ horizon scanning เริ่มจากการประชุมหาข้อตกลงจาก EuroScan International Network (เปลี่ยนชื่อเป็น International Health TechScan (iHTS)) ซึ่งได้ให้ข้อเสนอแนะนำภาพรวมขั้นตอนการดำเนินงานของกระบวนการ horizon scanning ดังรูปภาพที่ 12 และรายละเอียดขั้นตอนของกระบวนการ horizon scanning ทั้ง 6 ขั้นตอน แสดงในตารางที่ 6



รูปที่ 12 กระบวนการ horizon scanning จาก EuroScan International Network

ตารางที่ 6 รายละเอียดขั้นตอนของกระบวนการ horizon scanning

ขั้นตอน	รายละเอียด
1. การระบุประเด็นหรือหัวข้อ (identification)	การระบุชนิดของเทคโนโลยีใหม่ทั้งหมดให้ครอบคลุมในขอบเขตที่ต้องการศึกษา
2. การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ (filtration)	การคัดเลือกเทคโนโลยีเพื่อนำมาศึกษาด้วย horizon scanning system ตามเกณฑ์ที่กำหนด
3. การจัดลำดับความสำคัญ (prioritisation)	การจัดลำดับความสำคัญของเทคโนโลยีที่จะนำมาศึกษา
4. การประเมิน (assessment)	การประเมินเทคโนโลยีที่มีแนวโน้มที่จะมีผลกระทบตามความต้องการและความสนใจของผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย
5. การเผยแพร่ (dissemination)	การเผยแพร่ข้อมูลผ่านช่องทางต่าง ๆ หลังจากการประเมิน เช่น เว็บไซต์ หรือ ฐานข้อมูล horizon scanning
6. การปรับปรุงข้อมูลให้ทันสมัย (updating information)	การติดตามและปรับปรุงข้อมูลอย่างต่อเนื่อง

ในหลายประเทศได้นำกระบวนการ horizon scanning ทั้ง 6 ขั้นตอนไปประยุกต์ใช้ แต่อย่างไรก็ตาม ขั้นตอนในกระบวนการ horizon scanning ในแต่ละประเทศอาจมีความแตกต่างกัน ซึ่งสามารถสรุปภาพรวมของกระบวนการ horizon scanning ของแต่ละประเทศ ดังตารางที่ 7 โดยขั้นตอนหลักที่สอดคล้องกันในทุกประเทศ ได้แก่ 1) การระบุประเด็นหรือหัวข้อ (identification) 2) การจัดลำดับความสำคัญ (prioritisation) และ 3) การประเมิน (assessment)

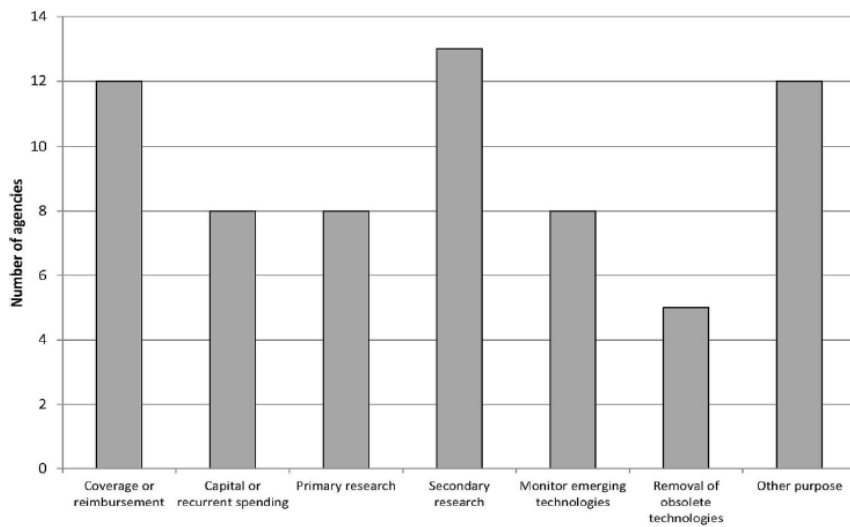
ตารางที่ 7 สรุปขั้นตอนกระบวนการ horizon scanning ของแต่ละประเทศ

ประเทศ	ขั้นตอนกระบวนการ horizon scanning					
	identification	filtration	prioritisation	assessment	dissemination	updating information
รัฐสมาชิกของสหภาพยุโรป	✓	✓	✓	✓	✓	✓
แคนาดา	✓	✓	✓	✓	✓	✓
ออสเตรเลีย	✓	✓	✓	✓	✓	✓
อิตาลี	✓	✓	✓	✓	✓	✓
นอร์เวย์	✓	✓	✓	✓	✓	✓
สวีเดน	✓	✓	✓	✓	✓	
สหราชอาณาจักร	✓	✓	✓	✓	✓	
ญี่ปุ่น	✓	✓	✓	✓		

ประเทศ	ขั้นตอนกระบวนการ horizon scanning					
	identification	filtration	prioritisation	assessment	dissemination	updating information
สิงคโปร์	✓	✓	✓	✓		
ออสเตรเลีย	✓		✓	✓		
นิวซีแลนด์	✓		✓	✓		

วัตถุประสงค์ของการจัดตั้งและประโยชน์ของ horizon scanning ในองค์กรต่างประเทศ

จากผลการทบทวนวรรณกรรมและการสัมภาษณ์ผู้เชี่ยวชาญระดับนานาชาติ พบว่า ในแต่ละประเทศ มีวัตถุประสงค์ของการนำผลลัพธ์ของกระบวนการ horizon scanning ไปใช้ที่หลากหลาย จากผลการสำรวจที่จัดทำโดย EuroScan International Network เพื่อสอบถามวัตถุประสงค์ของการนำ horizon scanning ของประเทศสมาชิกใน พ.ศ. 2554 มีผู้ตอบแบบสอบถามจากตัวแทนประเทศสมาชิก 15 ประเทศ พบว่า แต่ละองค์กรได้นำผลลัพธ์จากกระบวนการ horizon scanning ไปใช้ที่หลากหลายวัตถุประสงค์ โดยส่วนใหญ่ นำข้อมูล horizon scanning ไปช่วยในการสนับสนุนการตัดสินใจเรื่องความครอบคลุมของบริการ (coverage) หรือการเบิกจ่ายของการบริการสุขภาพ และช่วยในการวิจัย เช่น การประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพ หรือการทบทวนวรรณกรรมอย่างเป็นระบบ (systematic review) ดังรูปที่ 13



รูปที่ 13 ผลการสำรวจวัตถุประสงค์การนำ horizon scanning ไปใช้

ในบางประเทศอาจมีเหตุผลของการริเริ่มการจัดตั้ง horizon scanning ที่แตกต่างกัน สรุปได้ดังตารางที่ 8

ตารางที่ 8 เหตุผลของการจัดตั้ง horizon scanning ในองค์กรต่างประเทศ

ประเทศ	ปีที่จัดตั้ง horizon scanning unit	เหตุผลที่เริ่มหรือวัตถุประสงค์ในการจัดตั้ง	เทคโนโลยีหลักที่ให้ความสนใจ
สหราชอาณาจักร ⁽²⁹⁾	1998	เริ่มจากความสนใจของผู้กำหนดนโยบายเพื่อติดตามเทคโนโลยีใหม่ที่เหมาะสมสำหรับโรคหายาก	เทคโนโลยียีนบำบัด (gene therapy) การรักษามะเร็ง
แคนาดา ⁽³⁰⁾	2009	รัฐบาลแคนาดาต้องการรวบรวมข้อมูลเทคโนโลยีใหม่อย่างเป็นระบบเพื่อให้แต่ละเขตการปกครองสามารถเข้าถึงนวัตกรรมได้อย่างเท่าเทียมกัน	โรคไม่ติดต่อเรื้อรัง (NCDs), เทคโนโลยีชะลอวัย (ageing), เทคโนโลยีทางการแพทย์ด้านพันธุกรรมสมัยใหม่
มาเลเซีย ⁽³¹⁾	2017	กระทรวงสาธารณสุขต้องการระบุจัดลำดับความสำคัญ และวางแผนรับมือกับเทคโนโลยีใหม่ที่จะเข้ามาสู่ประเทศ	นวัตกรรมท้องถิ่นและเทคโนโลยีราคาแพง
ออสเตรเลีย ⁽³²⁾	2021	เกิดจากปัญหาการไม่มีแผนการรองรับเทคโนโลยี CAR-T cell therapy ที่เหมาะสมทำให้ผู้ป่วยเข้าถึงการรักษาได้ช้า	การรักษาแบบแม่นยำและจำเพาะแม่นยำ (precision medicine), สุขภาพดิจิทัล (digital health), ภูมิคุ้มกันบำบัด (immunotherapies)

ความท้าทายของการจัดตั้งหน่วย horizon scanning

การจัดตั้งหน่วย horizon scanning นั้น มีข้อควรพิจารณา ดังนี้

ขั้นตอนที่ควรพิจารณาในการนำ horizon scanning ไปใช้อย่างมีประสิทธิภาพ

1. ระบุวัตถุประสงค์และขอบเขตของ horizon scanning
2. ระบุ stakeholder และความต้องการของการนำข้อมูลไปใช้
3. พัฒนาร่วมมือกับองค์กรอื่น ๆ ที่มีการจัดทำ horizon scanning
4. สร้างฐานข้อมูลสำหรับ horizon scanning

ข้อควรพิจารณาสำหรับการจัดตั้ง horizon scanning unit

1. ต้องใช้ทรัพยากรอย่างมาก เช่น ทรัพยากรบุคคล เงินทุน เวลา เป็นต้น
2. อาจเกิดความทับซ้อนของการบูรณาการเข้ากับระบบสุขภาพที่มีอยู่
3. ยังไม่มีข้อมูลต้นทุนทางตรงเกี่ยวกับค่าใช้จ่ายจากประเทศที่มีการจัดตั้ง horizon scanning

สำหรับรายละเอียดของข้อค้นพบ สามารถศึกษาได้จากรายงาน horizon scanning ฉบับสมบูรณ์ และสรุปรายงานการประชุมผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย

กระบวนการ horizon scanning สำหรับประเทศไทย

ในการศึกษาวัตถุประสงค์ 4 ขั้นตอนที่ 3 เพื่อให้การศึกษาสามารถตอบโจทย์วัตถุประสงค์ของงานวิจัยได้อย่างครบถ้วน ทีมวิจัยได้จัดการประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในประเทศไทย สรุปรายละเอียด ดังนี้

การจัดตั้ง horizon scanning unit ถือเป็นการสร้างโอกาสให้กับประเทศไทย โดยสามารถนำข้อมูลเพื่อใช้ในการวางแผนและกำหนดนโยบายของแต่ละองค์กร เช่น สำนักงานคณะกรรมการส่งเสริมวิทยาศาสตร์ วิจัยและนวัตกรรม (สกสว.) จะใช้ในการให้ทุนศึกษาวิจัยเพื่อต่อยอดเทคโนโลยีที่มีอยู่ และสำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ สามารถใช้เป็นเครื่องมือเพื่อช่วยในการตัดสินใจในการเลือกเทคโนโลยีที่คุ้มค่าเพื่อเข้าสู่ชุดสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ รวมทั้งสำนักงานคณะกรรมการอาหารและยานำไปใช้ในการวางแผนการขึ้นทะเบียนเพื่อรับรองเทคโนโลยีใหม่และทำให้เทคโนโลยีใหม่สามารถนำไปใช้ได้จริง และองค์การเภสัชกรรมจะใช้ในการวางแผนกลยุทธ์ (road map) ของประเทศด้านเทคโนโลยีสุขภาพได้

วัตถุประสงค์ของการทำกระบวนการ horizon scanning คือ เพื่อสแกนเทคโนโลยีใหม่หรือเกิดขึ้นใหม่หรือขั้นตอนการพัฒนา และเพื่อเป็นหลักฐานสนับสนุนนโยบายสำหรับการวางแผนทรัพยากรและการจัดสรรงบประมาณของเทคโนโลยีใหม่ ซึ่งจะเปลี่ยนไปตามเป้าหมายและวัตถุประสงค์ขององค์กร

สำหรับการจัดตั้งอาจเริ่มต้นจากการจัดตั้งสมาคมเสมือนองค์กร (virtual consortium) เพื่อให้การดำเนินการในช่วงแรกมีความเป็นไปได้ โดยเริ่มขับเคลื่อนหน่วยงาน (unit) จากทีมเลขานุการ การสรรหาและการรวบรวมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียเพื่อร่วมกันกำหนดวัตถุประสงค์ของการดำเนินงาน และประโยชน์ที่ได้จากกระบวนการ horizon scanning ทั้งนี้ในการจัดตั้งจำเป็นต้องใช้ทรัพยากรจำนวนมากทั้งบุคลากร เงินทุน และเวลา ในการค้นหางานวิจัยและเก็บข้อมูล ซึ่งส่วนใหญ่เป็นข้อมูลปฐมภูมิ (primary source)

ผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในประเทศไทย มีความเห็นว่า หัวข้อเทคโนโลยีที่ควรได้รับการประเมินด้วย horizon scanning ในประเทศไทย ได้แก่ การรักษาที่มีราคาแพง (high-cost therapy) การรักษาแบบแม่นยำและจำเพาะแม่นยำ (precision medicine) เทคโนโลยียีนบำบัด (gene therapy) สุขภาพดิจิทัล (digital health) ปัญญาประดิษฐ์ (AI) และผลิตภัณฑ์การแพทย์ขั้นสูง (ATMPs) และผู้ที่ได้รับประโยชน์จากกระบวนการ horizon scanning คือ อันดับ 1 ประชาชน อันดับ 2 ระบบประกันสุขภาพ และอันดับ 3 กระทรวงสาธารณสุขและโรงพยาบาล

องค์กรที่ควรเป็นผู้รับผิดชอบหลักในการจัดตั้ง horizon scanning unit ได้แก่ สกสว., สถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข (สวรส.), ภาคอุตสาหกรรม, หน่วยงานของกระทรวงการอุดมศึกษา วิทยาศาสตร์ วิจัยและนวัตกรรม (อว.), สำนักนายกรัฐมนตรี, สำนักงานสภาพัฒนาการเศรษฐกิจและสังคมแห่งชาติ (สศช.) หรือสภาพัฒน์., สปสช., หน่วยงานในกระทรวงสาธารณสุข, HITAP และผู้ที่ต้องการใช้ประโยชน์จาก horizon scanning แหล่งงบประมาณสนับสนุนกระบวนการ horizon scanning ควรมาจากแหล่งทุนวิจัย เช่น สวรส., ภาคอุตสาหกรรมและภาคเอกชน, ระบบประกันสุขภาพ เช่น สปสช. หรือกระทรวงสาธารณสุข เป็นต้น

โดยสรุป กล่าวคือ กระบวนการ horizon scanning เป็นเครื่องมือที่ใช้ในการจัดการความเสี่ยง เพื่อคาดการณ์การเปลี่ยนแปลงเรื่องยาและนวัตกรรมทางสุขภาพ โดยเน้นประโยชน์เพื่อการวิจัยและพัฒนาระบบยาของประเทศ แต่กระบวนการดังกล่าวยังมีจุดอ่อนของแต่ละประเทศคือ การเตรียมความพร้อมเรื่องกฎระเบียบ ข้อบังคับ เกี่ยวกับกระบวนการขึ้นทะเบียนยาและนวัตกรรมทางสุขภาพที่กำลังจะเข้ามา

6.3.4 สรุปข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย (policy recommendation)

ที่มิวิจัยมีข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย ดังนี้

1. ผู้กำหนดนโยบายควรให้ความสนใจและสนับสนุนงบประมาณในการจัดตั้ง horizon scanning unit เพราะผลลัพธ์จากกระบวนการ horizon scanning ใช้เป็นข้อมูลให้ผู้กำหนดนโยบายของประเทศไทยในการเตรียมความพร้อมหรือรับมือกับเทคโนโลยีใหม่หรือยาที่จะเข้ามาในอนาคต
2. ควรพิจารณากำหนดขอบเขตของหัวข้อที่จะศึกษาในระยะเริ่มต้นให้ชัดเจน สอดคล้องกับความต้องการของผู้มีส่วนได้ส่วนเสียทุกภาคส่วน
3. การจัดตั้ง horizon scanning unit จะประสบความสำเร็จสูงสุดได้ต้องได้รับความร่วมมือระหว่างทุกฝ่ายที่เกี่ยวข้อง ได้แก่ ระบบประกันสุขภาพ กระทรวงสาธารณสุขและโรงพยาบาล หน่วยงานประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพ สถาบันวิจัยและนักวิจัย ภาคอุตสาหกรรมและภาคเอกชน สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา (อย.) และประชาชน
4. เมื่อริเริ่มจัดตั้ง horizon scanning unit ควรมีหน่วยงานที่กำกับติดตามและประเมินผลการดำเนินงานเป็นระยะ ๆ ซึ่งหน่วยงานกำกับติดตามสามารถมีได้หลายหน่วยงาน เพื่อรองรับกับการเปลี่ยนแปลงตลอดเวลา
5. ควรประชาสัมพันธ์กระบวนการและข้อมูลที่ได้จาก horizon scanning เพื่อให้ทุกภาคส่วน นำข้อมูลที่ได้ไปใช้ให้เกิดประโยชน์สูงสุด

รายละเอียดเพิ่มเติมตามภาคผนวกที่ 8.4 หน้า 44-51, ภาคผนวกที่ 8.5 หน้า 52-68 และภาคผนวกที่ 8.7 (policy brief 8) หน้า 97-100

6.4 วัตถุประสงค์ที่ 5 เพื่อสรุปทางเลือกเชิงนโยบาย เช่น managed entry agreement หรือข้อตกลงอื่น ๆ ในการเข้าสู่ตลาดเพื่อสนับสนุนการเข้าถึงนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง

6.4.1 บทคัดย่อ (abstract)

การทำข้อตกลงในรูปแบบ managed entry agreement (MEA) เป็นกลยุทธ์ที่สามารถช่วยเพิ่มการเข้าถึงนวัตกรรมใหม่ที่มีราคาแพง และช่วยเพิ่มความยั่งยืนทางการเงินของระบบสุขภาพของภาครัฐ ในการนำ MEA มาปรับใช้จำเป็นต้องพิจารณาอย่างรอบคอบถึงความท้าทายต่าง ๆ โดยเฉพาะอย่างยิ่งการนำมาปรับใช้ในประเทศที่มีรายได้น้อยและปานกลาง เช่น ประเทศไทย ที่มิวิจัยทำการทบทวนวรรณกรรมเกี่ยวกับ MEA และกรณีศึกษาจาก 3 ประเทศ ได้แก่ สหราชอาณาจักร ออสเตรเลีย และเกาหลีใต้ ผลการศึกษาพบว่า การทำข้อตกลงในรูปแบบ MEA มีประโยชน์ในการช่วยเพิ่มความยืดหยุ่นของการจัดการกับความไม่แน่นอนของผลกระทบที่เกิดขึ้นจากยาใหม่และยาราคาแพง และทำให้ประชาชนเข้าถึงการรักษาได้มากขึ้น อย่างไรก็ตาม MEA ยังต้องเผชิญกับความท้าทาย เช่น ความโปร่งใส การจัดการความสามารถในการจ่าย และการตรวจสอบข้อตกลงอย่างมีประสิทธิภาพ หากประเทศไทยจัดให้มีข้อตกลง MEA จะต้องผ่านกระบวนการพิจารณาอย่างรอบด้านและสามารถแก้ปัญหาและความท้าทายที่เฉพาะเจาะจงต่อประเทศไทยได้

6.4.2 สรุประเบียบวิธีวิจัย (methods overview)

ที่มิวิจัยทบทวนวรรณกรรมแบบ landscape analysis ในวรรณกรรมที่เกี่ยวข้องกับการเบิกจ่ายนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงในต่างประเทศ และนำข้อมูลไปใช้ในการพัฒนาชุดคำถามสัมภาษณ์และการประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียระดับนานาชาติ และขั้นตอนสุดท้ายคือ การทบทวนวรรณกรรม

แบบกำหนดขอบเขต (scoping review) ในประเทศที่มีการประเมินเทคโนโลยีทางสุขภาพ (HTA) สำหรับการเบิกจ่ายนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพง เพื่อรวบรวมข้อมูลที่เป็นปัจจุบันและเกี่ยวข้องกับกรทำข้อตกลงในรูปแบบ MEA ข้อมูลดังกล่าวสามารถนำมาสรุปประเด็นที่สำคัญได้แก่ นิยาม (definition) รูปแบบของ MEA ประเภทต่าง ๆ ประโยชน์ของ MEA และความท้าทายที่เกิดขึ้นจากการนำ MEA มาประยุกต์ใช้จาก 3 ประเทศ ได้แก่ สหราชอาณาจักร ออสเตรเลีย และเกาหลีใต้

(อ้างอิงตามระเบียบวิธีวิจัยของวัตถุประสงค์ที่ 3 และ 6 หน้า 22-23)

6.4.3 สรุปผลการศึกษา (summary of results)

นิยามของ MEA ขึ้นอยู่กับการตีความที่แตกต่างกันทั้งในด้านของแนวคิดและการนำไปใช้ คำจำกัดความของ MEA คือ "ข้อตกลงแบบมีเงื่อนไขระหว่างผู้ผลิต และแหล่งทุนหรือระบบประกันสุขภาพ (payer) หรือผู้ให้บริการ (provider)" MEA อาจมีประโยชน์ในการเพิ่มการเข้าถึงความครอบคลุมของบริการ (coverage) หรือการเบิกจ่าย (reimbursement) เทคโนโลยีด้านสุขภาพภายใต้เงื่อนไขที่กำหนดไว้ล่วงหน้า⁽³³⁾ โดย MEA มีเป้าหมายหลักเพื่อช่วยลดระยะเวลาการเข้าถึงยารักษาแพง เงื่อนไขที่สร้างขึ้นระหว่างผู้ผลิตและระบบหลักประกันสุขภาพ ช่วยเพิ่มความยั่งยืนทางการเงินของระบบหลักประกันสุขภาพ อย่างไรก็ตาม เพื่อให้เกิดการบรรลุตามวัตถุประสงค์ของการนำ MEA ไปใช้ในประเทศ จึงจำเป็นต้องพิจารณาปัจจัยต่าง ๆ เพื่อจัดการกับความท้าทายเฉพาะที่แต่ละประเทศต่างต้องเผชิญปัญหา

MEA มีหลากหลายรูปแบบขึ้นอยู่กับลักษณะของข้อตกลง และใช้กลไกที่หลากหลายในการจัดการความไม่แน่นอน (uncertainty) ที่เกี่ยวข้องกับความคุ้มค่าหรือประสิทธิผลทางคลินิก เนื่องจากความไม่แน่นอนต่าง ๆ อาจส่งผลกระทบต่องบประมาณระบบสุขภาพโดยรวม ทีมวิจัยคัดเลือก 3 ประเทศ ได้แก่ สหราชอาณาจักร ออสเตรเลีย และเกาหลีใต้ ที่มีระบบการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพ (HTA) ที่พัฒนาแล้ว เพื่อให้เข้าใจสถานการณ์ MEA ในประเทศที่มีรายได้สูง รายละเอียดดังตารางที่ 9

ตารางที่ 9 สรุปรูปแบบ MEA ของสหราชอาณาจักร ออสเตรเลีย และเกาหลีใต้

ประเทศ	รูปแบบ MEA	การนำ MEA ไปปรับใช้
สหราชอาณาจักร	ระบบบริการสาธารณสุขแห่งชาติ National Health Service (NHS) และผู้ผลิต สร้างข้อตกลงร่วมกัน โครงการรับผิดชอบในการจัดทำข้อตกลง MEA คือ Cancer Drug Fund (CDF) ซึ่งเป็นกองทุนที่เกิดขึ้นเพื่อการเข้าถึงยามะเร็ง โดยจัดหาเงินทุนแบบมีเงื่อนไขสำหรับยารักษาโรคมะเร็ง พบว่ามีการใช้ MEA ส่วนใหญ่ในรูปแบบของการให้เป็นส่วนลดจากผู้ผลิต นอกจากนี้การอิงตามผลการรักษา (outcome-based MEA) ถูกนำมาใช้เช่นกัน	ประเทศอังกฤษได้อนุมัติยา 42 รายการตั้งแต่เริ่มโครงการ Cancer Drug Fund
ออสเตรเลีย ⁽³⁴⁾	risk sharing arrangements (RSAs) สร้างขึ้นผ่านการเจรจาข้อตกลงระหว่างผู้สนับสนุนและรัฐบาล RSAs เป็นข้อตกลงในรูปแบบทางการเงิน	financial risk share ถูกอ้างในเอกสารที่ได้รับการเผยแพร่สู่

ประเทศ	รูปแบบ MEA	การนำ MEA ไปปรับใช้
	(financial risk share) เป็นข้อตกลงสัญญาแบบกลุ่ม ซึ่งในข้อตกลงเหล่านี้ ผู้สนับสนุนจะแชร์ความเสี่ยงตามส่วนแบ่งตลาดของผู้สนับสนุน (sponsor)	สาธารณะ จากรายการยาทั้งหมด 24 รายการ
เกาหลีใต้	มีการใช้ MEA ทั้งหมด 4 รูปแบบ 1) coverage with additional evidence 2) expenditure cap refund 3) utilization cap per patient 4) refund/expenditure cap	ตั้งแต่ พ.ศ. 2562 รายการยาทั้งหมด 39 รายการสามารถเบิกจ่ายภายใต้ข้อตกลง MEA


6.4.4 สรุปข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย (policy recommendation)

อ้างอิงตามวัตถุประสงค์ข้อ 1 และ 2 หน้า 20-21

7. เอกสารอ้างอิง

1. European Medicine Agency. Advanced therapy medicinal products: Overview: European Medicine Agency (EMA); 2022 [Cited 2022 Mar 25]. Available from: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview>.
2. Nuijten M. Pricing Zolgensma - the world's most expensive drug. *Journal of market access & health policy*. 2022;10(1):2022353.
3. Goldman Sachs. Profiles in Innovation The Genome Revolution. 2018.
4. Visiongain Limited. The Global Advanced Therapy Medicinal Products Market is projected to reach at market value of US\$ 59.91 billion by 2031 2021 [Available from: <https://www.globenewswire.com/news-release/2021/06/02/2240474/0/en/The-Global-Advanced-Therapy-Medicinal-Products-Market-is-projected-to-reach-at-market-value-of-US-59-91-billion-by-2031.html>].
5. Pan American Health Organization (PAHO). Access to High-Cost Medicines in the Americas: Situation, Challenges and Perspectives. 2010.
6. Bigdeli M, Jacobs B, Tomson G, Laing R, Ghaffar A, Dujardin B, et al. Access to medicines from a health system perspective. 2013;28(7):692-704.
7. World Health Organization. Model List of Essential Medicines: World Health Organization; 2022 [2022 May 25]. Available from: <https://list.essentialmeds.org/>.
8. The National Institute for Health and Care Excellence. Guidance, NICE advice and quality standards: The National Institute for Health and Care Excellence; 2022 [2022 May 25]. Available from: <https://www.nice.org.uk/guidance/published?q=Azacitidine&ndt=Guidance&ngt=Technology+appraisal+guidance>.
9. กลุ่มนโยบายแห่งชาติด้านยา. ประกาศคณะกรรมการพัฒนาระบบยาแห่งชาติ เรื่อง บัญชียาหลักแห่งชาติ พ.ศ. 2564 ลงวันที่ 31 พฤษภาคม 2564: กลุ่มนโยบายแห่งชาติด้านยา; 2565 [เข้าถึงเมื่อ 25 พ.ค. 2565]. Available from: http://ndi.fda.moph.go.th/ndi_news_detail/index/220.
10. Department of Health and Social Care. High cost drugs: GOV.UK; 2012 [Cited 2023 Sep 22]. Available from: <https://www.gov.uk/government/news/high-cost-drugs--2>.
11. กองนโยบายแห่งชาติด้านยา สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา. เอกสารการประชุมคณะกรรมการจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบายในการนำยาราคาแพง หรือมีข้อจำกัดการเข้าถึงบริการ เข้าเป็นสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ วันที่ 31 พฤษภาคม 2565 เรื่อง สรุปสถานะรายการยามะเร็ง จำนวน 43 รายการ. นนทบุรี 2565.
12. วรพรรณ ทองศรี, ศิริกาญจน์ โรจนสาโรช, ธัญญา คู่พิทักษ์ขจร, วุฒิสิริ วีรสาร, สิทธิพร ศรีนวลนัด, ยศ ตีระวัฒนานนท์. การประเมินความคุ้มค่าและผลกระทบด้านงบประมาณของยากลุ่ม LHRH analogues ในข้อบ่งใช้สำหรับโรคมะเร็งต่อมลูกหมากใน Adjuvant therapy และระยะ Metastatic disease: โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ; 2557 [เข้าถึงเมื่อ 17 ก.ค. 65]. Available from: http://ndi.fda.moph.go.th/uploads/evidence_file/20170503183355.pdf.

13. วรินญา ดีปานา, ปฤษฐพร กิ่งแก้ว. การประเมินต้นทุนอรรถประโยชน์และผลกระทบต่อด้านงบประมาณของการรักษาผู้ป่วยมะเร็งไตชนิด clear cell renal cell carcinoma ระยะแพร่กระจาย: โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ; 2555 [เข้าถึงเมื่อวันที่ 19 ก.ค. 65]. Available from: <https://www.hitap.net/documents/18948>.
14. วิทวัช พันธมงคล, อรพรรณ โพธิ์หัง, พิมพ์รณ ลาภเจริญ, วันทนีย์ กุลเพ็ง, อีรยา พัววิไล. การประเมินต้นทุนอรรถประโยชน์ของยา Bortezomib Thalidomide และ Lenalidomide ในการรักษาผู้ป่วยโรคมะเร็งเม็ดโลหิตขาว ชนิดมัยอีโลมาที่กลับเป็นซ้ำหรือต่อการรักษา: โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ; 2560 [เข้าถึงเมื่อ 17 ก.ค. 2565]. Available from: <https://www.hitap.net/documents/173069>.
15. Teerawattananon Y, Tritasavit N, Suchonwanich N, Kingkaew PJZfE, Fortbildung und Qualität im Gesundheitswesen. The use of economic evaluation for guiding the pharmaceutical reimbursement list in Thailand. 2014;108(7):397-404.
16. อุษา ฉายเกล็ดแก้ว, ยศ ตีระวัฒนานนท์, บรรณาธิการ. คู่มือการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพสำหรับประเทศไทย ฉบับที่ 2 ปี พ.ศ. 2556 นนทบุรี: โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ; 2557 [เข้าถึงวันที่ 21 กันยายน 2566]. Available from: <https://www.hitap.net/documents/163634>.
17. Brhlikova P, Deivanayagam TA, Babar Z-U-D, Osorio-de-Castro CGS, Caetano R, Pollock AMJJoPP, et al. Essential medicines concept and health technology assessment approaches to prioritising medicines: selection versus incorporation. 2023;16(1):1-6.
18. NHS. Innovative Medicines Fund United Kingdom: NHS; 2022 [Cited 2022 Sep 22]. Available from: <https://www.england.nhs.uk/medicines-2/innovative-medicines-fund/>.
19. NHS. Appraisal and Funding of Cancer Drugs from July 2016 United Kingdom: NHS 2017 [Cited 2023 Sep 22]. Available from: <https://www.england.nhs.uk/publication/cdf-sop-16/>
20. Gladwell D, Bullement A, Cowell W, Patterson K, Strong MJViH. “Stick or Twist?” Negotiating Price and Data in an Era of Conditional Approval. 2020;23(2):191-9.
21. National Institute for Health and Care Excellence. Technology appraisal guidance United Kingdom: National Institute for Health and Care Excellence; 2023 [cited 2023 Cited 2023 Sep 22]. Available from: <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance#:~:text=An%20>.
22. LSDP Expert Panel. Procedure guidance for medicines funded through the Life Saving Drugs Program (LSDP) Australia: Australian Government Department of Health and Aged Care; 2018 [Cited 2023 Sep 22]. Available from: <https://www.health.gov.au/sites/default/files/documents/2021/11/procedure-guidance-for-medicines-funded-through-the-life-saving-drugs-program-lsdp.pdf>.
23. Chim L, Salkeld G, Kelly P, Lipworth W, Hughes DA, Stockler MRJPO. Societal perspective on access to publicly subsidised medicines: a cross sectional survey of 3080 adults in Australia. 2017;12(3):e0172971.

24. Bae E-YJVihRI. Role of health technology assessment in drug policies: Korea. 2019;18:24-9.
25. Association  JotKM. Towards universal coverage: an evaluation of the benefit enhancement plan for four major conditions in Korean National Health Insurance. 2014;57(3):198-203.
26. Health Insurance Review and Assessment Service (HIRA). A people-centered approach: Health Insurance Review and Assessment Service (HIRA); 2020 [Cited 2023 Sep 22]. Available from: https://www.hira.or.kr/cms/08/05/02/01/hira_eng.pdf.
27. Yoo S-L, Kim D-J, Lee S-M, Kang W-G, Kim S-Y, Lee JH, et al. Improving patient access to new drugs in South Korea: evaluation of the national drug formulary system. 2019;16(2):288.
28. Rome BN, Egilman AC, Kesselheim ASJJ. Trends in prescription drug launch prices, 2008-2021. 2022;327(21):2145-7.
29. Packer C, Fung M, Stevens AJJotaihc. Analyzing 10 years of early awareness and alert activity in the United kingdom. 2012;28(3):308-14.
30. Morrison AJJotaihc. Scanning the horizon in a decentralized healthcare system: the Canadian experience. 2012;28(3):327-32.
31. MEDICAL DEVELOPMENT DIVISION MINISTRY OF HEALTH. MANUAL ON OF HEALTH TECHNOLOGIES HORIZON SCANNING SECOND EDITION Putrajaya: Malaysian Health Technology Assessment Section (MaHTAS); 2022 [Cited 2023 Sep 22]. Available from: [https://www.moh.gov.my/moh/resources/Penerbitan/MAHTAS/EBOOK_Manual_On_Horizon_Scanning_Of_Health_Technologies_\(2nd_Edition\).pdf](https://www.moh.gov.my/moh/resources/Penerbitan/MAHTAS/EBOOK_Manual_On_Horizon_Scanning_Of_Health_Technologies_(2nd_Edition).pdf).
32. Biointelect. Horizon Scanning, Strengthening Australia's approach to horizon scanning for new therapies Sydney, Australia; 2022 [Cited 2023 Sep 22]. Available from: https://www.bms.com/assets/bms/australia/documents/Horizon%20Scanning%20report%202022_Final.pdf.
33. Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: the European experience. 2013.
34. Darin Kottege. THIRD PLENARY: Risk Sharing Agreements: Country Experiences, Challenges, and Lessons Learned: ISPOR; 2018 [Cited 2023 Sep 22]. Available from: https://www.ispor.org/docs/default-source/conference-ap-2018/darin-kottage-for-handouts.pdf?sfvrsn=fddd8d70_0.

8. ภาคผนวก

8.1 เกณฑ์การพิจารณายาพิเศษของคณะกรรมการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติ

เกณฑ์การพิจารณา	รายละเอียด	ตัวอย่างยาที่พิจารณา
<p>เกณฑ์การพิจารณารายการยาหรือกลุ่มยา ที่ไม่จำเป็นต้องทำการประเมินความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ (สำหรับกรณี rare case และ high cost) เกณฑ์พิจารณาหลักสำหรับกรณี ยกเว้น ในการส่งยาใหม่ที่ไม่เคยอยู่ในบัญชีฯ ไปศึกษาความคุ้มค่า (ต้องมีครบ ทั้ง 3 ข้อ)</p>	<p>1. มีหลักฐานสนับสนุน ดังนี้</p> <p>1.1 ยาที่จัดเป็น life-saving drug ที่ผู้ป่วยที่ไม่ได้รับยา มีโอกาสเสียชีวิตสูง ในระยะเวลาน้อยกว่า 180 วัน และ</p> <p>1.2 มีหลักฐานเชิงประจักษ์ในรูปแบบ RCT หรือ meta-analysis ที่สนับสนุนว่าประสิทธิผลของยานี้เหนือกว่ายาที่มีอยู่ในบัญชียาหลักแห่งชาติเป็นอย่างมาก หรือเป็นยาที่ได้รับบรรจุไว้ในแนวทางการรักษาที่เป็นสากลโรคหรือภาวะนั้นๆ โดยมี level of evidence อยู่ในระดับสูงและไม่มียาอื่นในบัญชียาหลักแห่งชาติที่สามารถใช้ทดแทนได้</p> <p>2. จำนวนผู้ป่วยผู้ป่วยมีจำนวนไม่เกิน 1,000 คนทั่วประเทศไทย (ultra rare disease)</p> <p>3. ผลกระทบด้านงบประมาณ (Budget impact) เฉพาะค่ายา ภาระงบประมาณของผู้ป่วยทุกราย ไม่เกิน 50 ล้านบาท/ปี และต้นทุนค่ายาตลอดชีพต่อคน (life-time cost) ไม่เกิน 15-20 ล้านบาท</p>	<ul style="list-style-type: none"> - Alglucosidase alfa ข้อบ่งใช้ pompe disease - Idursulfase ข้อบ่งใช้ Hunter syndrome (MPS II) - sapropterin ข้อบ่งใช้ tetrahydrobiopterin (BH4) deficiencies - cysteamine bitartrate ข้อบ่งใช้ nephropathic cystinosis - Rotigotine ในข้อบ่งใช้ Drugs used in movement disorders - Insulin ในผู้ป่วยโรคเบาหวาน ชนิดที่ 1
<p>กลุ่มยา ที่ไม่จำเป็นต้องทำการประเมินความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ (สำหรับกรณี rare case และ high cost) เกณฑ์พิจารณาหลักสำหรับกรณี ยกเว้นในการส่งยาเดิมที่เสนอเพิ่ม ข้อบ่งใช้ใหม่ ไปศึกษาความคุ้มค่า (ต้องมีครบทั้ง 2 ข้อ)</p>	<p>1. มีหลักฐานสนับสนุน ดังนี้</p> <p>1.1 ยาที่จัดเป็น life-saving indication ที่ผู้ป่วยที่ไม่ได้รับยา มีโอกาสเสียชีวิตสูง ในระยะเวลาน้อยกว่า 180 วัน และข้อบ่งใช้ที่เสนอไม่จัดเป็นการรักษาแบบ palliative หรือ end of life treatment และ</p> <p>1.2 มีหลักฐานเชิงประจักษ์ในรูปแบบ RCT หรือ meta-analysis ที่สนับสนุนว่าประสิทธิผลที่เหนือกว่ายาที่มีอยู่ในบัญชียาหลักแห่งชาติ หรือ เป็นยาที่</p>	

เกณฑ์การพิจารณา	รายละเอียด	ตัวอย่างยาที่พิจารณา
	<p>ได้รับบรรจุไว้ในแนวทาง การรักษาที่เป็นสากลในโรคหรือภาวะนั้นๆ โดยมี level of evidence อยู่ในระดับสูง และไม่มียาอื่นในบัญชียาหลักแห่งชาติที่สามารถใช้ทดแทนได้</p> <p>2. ภาระงบประมาณที่เกิดขึ้นของผู้ป่วยทุกรายของการเสนอเพิ่มข้อบ่งใช้ในทุกครั้งเพิ่มขึ้นสะสมไม่เกินร้อยละ 10 ของภาระงบประมาณของยานี้ในข้อบ่งใช้เดิมในบัญชีฯ</p>	
<p>เกณฑ์การพิจารณายาสำหรับผู้ป่วยมะเร็งระยะแพร่กระจาย (ต้องมีครบข้อ 1-3)</p>	<p>1. มะเร็งระยะแพร่กระจาย หมายถึง มะเร็งที่รักษาไม่หายขาด (Incurable cancer) ซึ่งผู้ป่วยจะต้องมีอายุขัย (survival time หรือ life expectancy) ที่มากกว่า 6 เดือนขึ้นไป แม้ไม่ได้รับการรักษาด้วยยา (ในกรณีที่ไม่มีข้อมูลตรงสามารถใช้อายุขัยที่อ้างอิงตาม Eastern Co-operation Oncology Group (ECOG) performance status เป็นตัวบ่งชี้ โดยหากผู้ป่วยมี ECOG performance status ตั้งแต่ 0 ถึง 1 สามารถทำนายด้วยความมั่นใจระดับหนึ่งว่าผู้ป่วยจะมีอายุขัยที่มากกว่า 6 เดือน) และผู้ป่วยต้องอยู่ในสภาพร่างกายดีพอสมควร คือ มี ECOG performance status ตั้งแต่ 0 ถึง 2 โดยไม่รวมผู้ป่วยที่เป็นมะเร็งระยะท้าย (terminal stage) ที่จะเสียชีวิตในระยะเวลาอันสั้น ซึ่งในกรณีหลังการรักษาด้วย anti-cancer drugs อาจไม่มีความจำเป็น และ ควรให้การดูแลรักษาแบบประคับประคองแทน</p> <p>2. การรักษามะเร็งระยะแพร่กระจาย ในบัญชียาหลักแห่งชาติ มีเป้าหมายเพื่อยืดชีวิต โดยยาที่ได้รับการคัดเลือก</p>	<p>การพิจารณายา gemcitabine ในเงื่อนไขดังต่อไปนี้</p> <p>1. ใช้ร่วมกับ cisplatin สำหรับ locally advanced and metastatic cholangiocarcinoma</p> <p>2. ใช้ในการรักษามะเร็งหลังโพรงจมูกระยะลุกลามเฉพาะที่ (locally advanced stage: stage III, IVa และ IVb ที่มีการกระจายไปที่ต่อมน้ำเหลือง) โดยใช้ร่วมกับ cisplatin เป็นยาเสริม (induction chemotherapy) ก่อนการให้รังสีรักษาร่วมกับยาเคมีบำบัด (concurrent chemoradiation)</p> <p>3. ใช้ในการรักษามะเร็งหลังโพรงจมูกระยะแพร่กระจาย หรือกลับเป็นซ้ำ โดยใช้เป็นยาขนานแรกร่วมกับ cisplatin</p>

เกณฑ์การพิจารณา	รายละเอียด	ตัวอย่างยาที่พิจารณา
	<p>จะต้องมี prolong survival ในแง่ของการเพิ่ม progression free survival หรือ overall survival และต้องมีหลักฐานเชิงประจักษ์ที่ชัดเจน (เช่น เป็นยาที่ได้รับบรรจุไว้ในแนวทางการรักษาที่เป็นสากลในโรคหรือภาวะนั้นๆ โดยมี level of evidence อยู่ในระดับสูง เป็นต้น) นอกจากนี้ยังอาจพิจารณาประโยชน์อื่นๆ เพิ่มเติม ได้แก่ การที่ยาสามารถเพิ่ม quality of life และ/หรือ symptom control</p> <p>3. ผู้ป่วยต้องมี survival benefit ที่เป็นเชิงสัมพัทธ์ คือ มี additional benefit เช่น median survival หรือ survival time (ขึ้นอยู่กับแต่ละการศึกษา) ที่เพิ่มขึ้นอย่างน้อย 2 เดือน ทั้งนี้หากไม่มีข้อมูลโดยตรงอาจคำนวณทางอ้อมจากค่า survival rate</p> <p>4. ควรทำการศึกษาความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ฯ</p>	

8.2 แนวคำถามการสัมภาษณ์เชิงลึก

คำถามที่ใช้ในการสัมภาษณ์กลุ่มผู้มีส่วนได้ส่วนเสียทั้งในประเทศและต่างประเทศประกอบด้วย 5 ข้อคำถามหลัก ดังนี้

คำถามที่	ภาษาไทย	ภาษาอังกฤษ
1	ในแต่ละประเทศ มีนิยามเฉพาะของยาราคาแพงหรือไม่ ถ้ามี นิยามดังกล่าวกำหนดว่าอย่างไร	Does a country specific definition for high-cost drugs exist? How are they defined?
2	เกณฑ์ในการเบิกจ่ายยาราคาแพงมีอะไรบ้าง?	What are the criteria for reimbursement of high-cost drugs?
3	ทางเลือกทางการเงินสำหรับยาราคาแพง เช่น กองทุนพิเศษหรือข้อตกลงเกี่ยวกับการใช้ยา (Managed Entry Agreement) มีอะไรบ้าง?	What are the financing options for high-cost drugs such as special funds or managed entry agreements?
4	กระบวนการในการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพถูกนำมาใช้ประเมินยาราคาแพงอย่างไร?	How are high-cost drugs assessed as part of Health Technology Assessment (HTA)?
5	กลยุทธ์เชิงปฏิบัติอะไรที่ใช้เพื่อการเสนอยาราคาแพง	What are the implementation strategies for introducing high-cost drugs?

8.3 แนวคำถามการสัมภาษณ์แบบกึ่งโครงสร้าง (semi-structured interview)

เพื่อปรึกษารื้อกับผู้มีส่วนได้ส่วนเสียและผู้เชี่ยวชาญด้าน horizon scanning ระดับนานาชาติ
คำถามแบ่งได้ 4 หมวด ดังนี้

1. นิยามและขอบเขตของกระบวนการ horizon scanning

- 1.1 What is Horizon Scanning defined by the organization?
- 1.2 Which types of drugs and technologies are assessed by horizon scanning?
- 1.3 Are the processes of horizon scanning similar for both drugs and technologies? If not, how is it different?

2. ภาพรวมเกี่ยวกับ horizon scanning unit

- 2.1 What are the aims and functions of your organization?
- 2.2 Who is involved in your organization?
- 2.3. When it comes to setting up horizon scanning, what is the main challenge? Could you elaborate on the difficulties involved in establishing a horizon scanning process?

3. กระบวนการ horizon scanning

ขั้นตอน Identification

- 3.1 Which types of sources are involved in the identification process?
- 3.2 How are the sources of new drugs and technologies identified?
- 3.3 Who is involved in the identification process?

ขั้นตอน Filtration & prioritization

- 3.4 What are the differences between filtration and prioritization?
- 3.5. Are there any criteria to prioritize the new drugs and technologies? If yes, how are the criteria defined? If not, how do you prioritize the new drugs and technologies in horizon scanning?
- 3.6 Who is involved in the filtration & prioritization process?

ขั้นตอน Assessment

- 3.7 How do you assess the new drugs and technologies?
- 3.8 What are the criteria to assess the new drugs and technologies?
- 3.9 How do you assess the validity of prediction of impact of new drugs and technologies?
- 3.10 Who is involved in the assessment process?

ขั้นตอน Dissemination

- 3.11 How do you disseminate the result of horizon scanning?
- 3.12 What is the information included in the report?
- 3.13 Who are the audiences of the report?
- 3.14 What is the timeline for reporting?

ขั้นตอน Monitoring and updating

- 3.15 Which channel do you use to provide updates?

3.16 What is your timeframe for tracking the technology? tracking the technology?

4. การสร้างเครือข่ายและแบ่งปันข้อมูลระหว่างประเทศสมาชิก

4.1 Which countries are involved in your organization?

4.2 Do all membership countries follow a similar process of horizon scanning?

4.3 Are there any standardized criteria to prioritize and assess the new drugs and technologies among the membership countries? If yes, what are the criteria? If not, how do countries share and apply the HS report from the country using different criteria for prioritization and assessment?

4.4 Can Thailand, which is one of the upper middle-income countries, use the similar process and criteria of horizon scanning defined by your organization?

8.4 สรุปประชุมเพื่อนำเสนอผลการศึกษาโครงการวิจัย

“การพัฒนาทางเลือกเชิงนโยบายเพื่อสนับสนุนการตัดสินใจเบิกจ่ายสำหรับมาตรการที่มีราคาแพงในระบบสุขภาพภาครัฐของประเทศไทย” เพื่อนำเสนอต่อร่างผลการศึกษา

“กระบวนการ Horizon Scanning”

วันพฤหัสบดี ที่ 24 สิงหาคม 2566 เวลา 9.30-12.00 น.

ณ ห้องประชุม 1 โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ หรือประชุมทางไกลผ่านสื่ออิเล็กทรอนิกส์ โปรแกรม Zoom Meeting ID: 928 2074 4242 Passcode: 12345

รายชื่อผู้เข้าร่วมประชุม

1. ศ. ดร.สมปอง คล้ายหนองสรวง หน่วยบริหารและจัดการทุนด้านการพัฒนากำลังคนและทุนด้านการพัฒนาสถาบันอุดมศึกษาการวิจัยและการสร้างนวัตกรรม
2. ผศ. ดร.จรรยาพร ศรีศัลลักษณ์ สถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข
3. ดร. ภญ.ปิยนันท์ บุญประเสริฐ สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา
4. ภก.สุวีร์ ศิริประภาวัฒน์ สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา
5. ภก.ธนกฤต มงคลชัยภักดิ์ สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา
6. ภญ.ธนิศา ทาทอง สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา
7. นางสาวดารากร เครือแดง กรมบัญชีกลาง
8. นพ.นิธิวัชร แสงเรือง สำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ
9. ภก. รณัย สายรักษ์ สำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ
10. ภญ. สมฤทัย สุพรรณกุล สำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ
11. นางสาวรุ่งนภา บุตรพิลา สำนักงานประกันสังคม
12. นางสาวชุตติกานต์ บริสุทธิ์นฤดม สำนักงานประกันสังคม
13. ดร. ภญ.ปิยนันท์ บุญประเสริฐ สถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข
14. รศ. ดร. นพ.บวรศม สีระพันธ์ สำนักงานคณะกรรมการส่งเสริมวิทยาศาสตร์ วิจัยและนวัตกรรม
15. รศ. ดร. นพ.พงศกร ตันติลีปกร สำนักงานคณะกรรมการส่งเสริมวิทยาศาสตร์ วิจัยและนวัตกรรม
16. ดร.พนิดา ทองงาม สำนักงานคณะกรรมการส่งเสริมวิทยาศาสตร์ วิจัยและนวัตกรรม
17. ดร.จิรญา ศิริรัฐนิคม สำนักงานคณะกรรมการส่งเสริมวิทยาศาสตร์ วิจัยและนวัตกรรม
18. นางสาวกานต์ชนิต วรรณย์พินิจ สำนักงานคณะกรรมการส่งเสริมวิทยาศาสตร์ วิจัยและนวัตกรรม
19. นายเชาวน์วัฒน์ มูลภักดี สำนักงานคณะกรรมการส่งเสริมวิทยาศาสตร์ วิจัยและนวัตกรรม
20. นายชลธิชา ขุนทอง สำนักงานคณะกรรมการส่งเสริมวิทยาศาสตร์ วิจัยและนวัตกรรม
21. นางสาวสุพัตรา จันทสุทธิบุตร สำนักงานคณะกรรมการส่งเสริมวิทยาศาสตร์ วิจัยและนวัตกรรม
22. ดร. ภญ.อิสริยา เตชะธนะวัฒน์ องค์การเภสัชกรรม
23. รศ. นพ.ธีระ วรธนารัตน์ คณะแพทยศาสตร์ จุฬาลงกรณ์มหาวิทยาลัย
24. ผศ. ดร. ภญ.ณัฐธิญา คำผล คณะเภสัชศาสตร์ มหาวิทยาลัยศิลปากร
25. ผศ. ดร. ภญ.น้ำฝน ศรีบัณฑิต คณะเภสัชศาสตร์ มหาวิทยาลัยศิลปากร
26. รศ. ดร. ภญ.อัญชลี เพิ่มสุวรรณ คณะเภสัชศาสตร์ มหาวิทยาลัยเชียงใหม่

- | | |
|-------------------------------------|--|
| 27. รศ. ดร. ญ.ธนรรจ์ รัตน์โชติพานิช | คณะเภสัชศาสตร์ มหาวิทยาลัยมหาสารคาม |
| 28. ผศ. ดร. ญ.กฤษณี สระมุณี | คณะเภสัชศาสตร์ มหาวิทยาลัยมหาสารคาม |
| 29. ดร.สมธนิ์ก โชติช่วงฉัตรชัย | สำนักงานพัฒนานโยบายสุขภาพระหว่างประเทศ |
| 30. Miss Divya Lakhota | สำนักงานพัฒนานโยบายสุขภาพระหว่างประเทศ |
| 31. ดร.กรวิกา พิมุขมนัสกิจ | สมาคมผู้วิจัยและผลิตเภสัชภัณฑ์ |
| 32. ดร.กิตติมา ศรีวัฒนกุล | สมาคมผู้วิจัยและผลิตเภสัชภัณฑ์ |
| 33. Miss Annapoorna Prakash | โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ |
| 34. นางสาวกุมารี พชนี | โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ |
| 35. ญ.บุสดี โสบุญ | โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ |
| 36. ญ.พรณภัทร ฉัตรฉินนภา | โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ |
| 37. Miss Dimple Butani | โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ |
| 38. รศ. ดร.ววรรณฤดี อิศรานุวัฒน์ชัย | โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ |

เริ่มประชุมเวลา 9.30 น.

รศ. ดร.ววรรณฤดี อิศรานุวัฒน์ชัย กล่าวต้อนรับผู้เข้าร่วมประชุม และชี้แจงวัตถุประสงค์ของการประชุม เพื่อนำเสนอผลการทบทวนกระบวนการ Horizon Scanning (HS) ในต่างประเทศ และขอข้อคิดเห็นต่อกระบวนการ Horizon Scanning สำหรับประเทศไทย จากนั้นทีมวิจัยนำเสนอผลการศึกษา สรุปดังนี้

การศึกษากระบวนการ Horizon Scanning เป็นส่วนหนึ่งของโครงการวิจัย เรื่อง “การพัฒนาทางเลือกเชิงนโยบายเพื่อสนับสนุนการตัดสินใจเบิกจ่ายสำหรับมาตรการที่มีราคาแพงในระบบสุขภาพภาครัฐของประเทศไทย” ซึ่ง โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ (HITAP) ได้รับมอบหมายจากคณะทำงานจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบายในการนำยาราคาแพงหรือมีข้อจำกัดการเข้าถึงบริการเข้าเป็นสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ โดยวัตถุประสงค์ของการศึกษาคือ เพื่อเข้าใจกระบวนการ Horizon Scanning สำหรับการติดตาม วิเคราะห์ และตรวจสอบนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงที่เป็นนวัตกรรมใหม่ในประเทศไทย ระเบียบวิธีวิจัยประกอบด้วย 3 ขั้นตอน ได้แก่ 1) การทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต (scoping review) จากฐานข้อมูล MEDLINE 2) การประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียของต่างประเทศ ได้แก่ International Health TechScan (iHTS) เครือข่ายความร่วมมือระดับนานาชาติ ด้าน Horizon Scanning, Malaysian Health Technology Assessment Section (MaHTAS) ประเทศมาเลเซีย, The Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH) ประเทศแคนาดา, National Institute for Health and Care Excellence (NICE) สหราชอาณาจักร 3) การประชุมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในประเทศไทย เพื่อจัดทำข้อเสนอแนะเกี่ยวกับกระบวนการ Horizon Scanning สำหรับประเทศไทย

ข้อมูลจากการทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต (scoping review) สรุปนิยาม Horizon Scanning คือ การระบุเทคโนโลยีใหม่และที่เกิดขึ้นใหม่ก่อนที่จะนำเทคโนโลยีนั้นไปใช้ในแนวทางปฏิบัติจริง เพื่อประเมินผลกระทบที่อาจเกิดขึ้นและเพื่อใช้ในการตัดสินใจเชิงนโยบาย กระบวนการ Horizon Scanning ประกอบด้วย 6 ขั้นตอน ได้แก่ 1) การระบุประเด็นหรือหัวข้อ (identification) 2) การพิจารณาคัดเลือกหัวข้อ (filtration) 3) การจัดลำดับความสำคัญ (prioritisation) 4) การประเมิน (assessment) 5) การเผยแพร่ (dissemination) และ 6) การปรับปรุงข้อมูลให้ทันสมัย (updating information)

กระบวนการ Horizon Scanning มีประโยชน์แก่ทุกภาคส่วน ช่วยวางแผนล่วงหน้าสำหรับการจัดการด้านการคลังและการเบิกจ่าย, การเตรียมความพร้อมในการสร้างระบบบริการ อุปกรณ์และเครื่องมือ, การกำหนดทิศทางหัวข้อวิจัยให้สอดคล้องกับเทคโนโลยีในอนาคต, การวางแผนในระดับปฏิบัติการขององค์กร และการพัฒนาศักยภาพบุคลากรเพื่อรองรับงานวิจัยที่เกี่ยวข้องกับ Horizon Scanning ในอนาคต รวมทั้งเป็นการเปิดโอกาสในการสนับสนุนเทคโนโลยีใหม่ เป็นต้น อย่างไรก็ตามกระบวนการ Horizon Scanning ยังมีความท้าทายและมีข้อที่ควรพิจารณาหากมีการจัดตั้ง เช่น ความซับซ้อนของการบูรณาการเข้ากับระบบสุขภาพที่มีอยู่ และการใช้ทรัพยากรเป็นจำนวนมาก

จากนั้น ที่ประชุมได้ร่วมอภิปราย ให้ความเห็นและให้ข้อเสนอแนะต่อผลการศึกษา โดยสรุปประเด็นดังต่อไปนี้

1. อภิปรายผลการศึกษาระบบการ Horizon Scanning ในต่างประเทศ

รศ. ดร. นพ.พงศกร ตันตลีปกร ให้ข้อแนะนำเกี่ยวกับหัวข้อที่จะศึกษา Horizon Scanning ควรมีความชัดเจนว่าเป็นการศึกษาเทคโนโลยี ยา หรือผลิตภัณฑ์ชนิดใด และหัวข้อที่เลือกศึกษาควรคำนึงถึงข้อมูลสิทธิบัตร (patent landscape) และการนำเทคโนโลยีไปใช้ได้อย่างเสรี (freedom to operate) เนื่องจากเทคโนโลยีที่ทันสมัยแต่หากติดปัญหาสิทธิบัตรอาจทำให้ไม่เอื้อต่อการนำมาใช้ในประเทศ และไม่คุ้มค่ากับการลงทุน

รศ. ดร. นพ.บวรศม สิริระพันธ์ ตั้งข้อสังเกตเรื่องการกำหนดขอบเขตของคำว่า “เทคโนโลยี” ยกตัวอย่างเช่น เทคโนโลยีการแพทย์แม่นยำ (precision medicine) หากขยายไปในระดับที่ใหญ่กว่าเป็น precision public health ผู้ที่จะนำข้อมูลไปใช้ประโยชน์จะแตกต่างกันไปตามเทคโนโลยีที่ศึกษา ดังนั้น อะไรคือเทคโนโลยีที่สนใจ รูปแบบหรือขนาดเป็นอย่างไร และมีผลกระทบและ/หรือประโยชน์ต่อกลุ่ม ผู้นำข้อมูลไปใช้ประโยชน์อย่างไร นอกจากนี้ ผลการศึกษาเทคโนโลยีที่สนใจจาก กระบวนการ Horizon Scanning จะสามารถนำไปบูรณาการต่อได้อย่างไร เพื่อให้เกิดการเปลี่ยนแปลงในระบบสุขภาพ (redesign health information system) รศ. ดร.ววรรณฤดี อิศรานุวัฒน์ชัย ให้ข้อมูลเพิ่มเติมเกี่ยวกับขอบเขตของการศึกษา Horizon Scanning ซึ่งจะขึ้นอยู่กับบริบทของประเทศไทยว่ากำลังให้ความสำคัญกับประเด็นหรือกลุ่มเทคโนโลยีใด เทคโนโลยีอยู่ในขั้นตอนใดของการพัฒนา และมุมมองจากการประชุมผู้มีส่วนได้ส่วนเสียสามารถช่วยในระบุขอบเขตของการศึกษา Horizon Scanning ได้เช่นกัน

รศ. ดร. นพ.พงศกร ตันตลีปกร ให้ข้อแนะนำเพิ่มเติมว่า ในกระบวนการ Horizon Scanning เมื่อเสร็จสิ้นขั้นตอนการระบุเทคโนโลยีและเห็นภาพแนวโน้มของเทคโนโลยีเหล่านั้นว่าจะเข้าสู่ท้องตลาด ควรจัดตั้งกลุ่มผู้เชี่ยวชาญเฉพาะด้าน (Expert committee) ในแต่ละเทคโนโลยีดังกล่าว ให้เข้ามามีส่วนร่วมในการทบทวนข้อมูลและให้ความเห็นต่างๆ ในแต่ละเทคโนโลยี ซึ่งเป็นขั้นตอนที่สำคัญและที่มิวิจัยได้เสนอในร่างกระบวนการ

รศ. ดร.ววรรณฤดี อิศรานุวัฒน์ชัย ตอบประเด็นอภิปราย เกี่ยวกับความแตกต่างของกระบวนการ Horizon Scanning ที่ต่างจากการคัดเลือกยาและเทคโนโลยีแบบเดิมที่มีอยู่แล้ว เช่น rapid assessment หรือ economic evaluation ว่ามีความแตกต่างกันในรายละเอียดของข้อมูลที่ใช้ในการประเมิน ซึ่งกระบวนการ Horizon Scanning เป็นการรวบรวมข้อมูลของกลุ่มเทคโนโลยีที่สนใจตั้งแต่ขั้นตอนการวิจัยพัฒนา (research and development stage) รวมถึงการทำวิจัยทางคลินิกในระยะที่ 1-2 (phase I and II of clinical trials) แต่ในการประเมินเทคโนโลยีด้วย rapid assessment หรือ economic evaluation มักใช้ข้อมูลที่พัฒนาอยู่ในขั้นตอนการทดลองทางคลินิกขั้น 3 ขึ้นไป

ผศ. ดร.จรววยพร ศรีศศลักษณ์ สอบถามความเกี่ยวข้องของ Horizon Scanning Unit กับโครงการ early HTA ภายใต้ศูนย์ Medical Innovation Development and Assessment Support (MIDAS) และ

เน้นการนำกระบวนการ Horizon Scanning มาใช้เพื่อจัดลำดับความสำคัญของเทคโนโลยีเพื่อการวิจัย รัต. ดร.วรรณฤดี อิศรานุกวัฒน์ชัย ให้ข้อมูลว่ากระบวนการ Horizon Scanning จะทำให้การคัดเลือกหัวข้อ เทคโนโลยีสำหรับการประเมินโดย early HTA มีความเป็นระบบ ซึ่งจากการปรึกษาผู้เชี่ยวชาญจาก ต่างประเทศ พบว่า กระบวนการ Horizon Scanning ช่วยให้การคัดเลือกเทคโนโลยีเพื่อประเมินในขั้นตอน ถัดไปมีความโปร่งใสมากขึ้น

ภญ. ธนิตา ทาทอง ให้ข้อเสนอแนะต่อกระบวนการ Horizon Scanning ว่าควรกำหนดวัตถุประสงค์ ในการศึกษา ขอบเขตของเทคโนโลยีที่ทำการศึกษา และผู้ที่ต้องการนำข้อมูลไปใช้ให้ชัดเจน และให้ข้อมูล เพิ่มเติมเกี่ยวกับ Horizon Scanning ในประเทศมาเลเซียว่าสามารถนำมาปรับใช้กับบริบทของประเทศไทยได้ เนื่องจากมีรูปแบบของระบบสุขภาพที่ใกล้เคียงกัน

2. อภิปรายข้อเสนอแนะกระบวนการ Horizon Scanning ของประเทศไทย

ประเด็นที่ 1: ท่านคิดว่า Horizon Scanning จะมีประโยชน์ต่อองค์กรของท่านอย่างไร

จากประเด็นคำถามดังกล่าว ผู้เข้าร่วมประชุมสามารถเลือกตอบได้มากกว่า 1 ข้อ พบว่า ที่ประชุม ให้ความเห็นว่า Horizon Scanning ช่วยในการวางแผนเชิงกลยุทธ์สำหรับเทคโนโลยีสุขภาพ (17 คน), Horizon Scanning ช่วยติดตามเทคโนโลยีที่เกิดขึ้นใหม่ (13 คน), Horizon Scanning ช่วยวางแผนจัดการ เงินทุนเพื่อทำให้เกิดความมั่นคงในระบบประกันสุขภาพ (12 คน), และ Horizon Scanning ช่วยระบุ เทคโนโลยีที่มีแนวโน้มที่จะล้าสมัย (4 คน)

2.1 การจัดตั้ง Horizon Scanning Unit

นพ.นิธิวัชร แสงเรือง ให้ข้อคิดเห็นเพิ่มเติมว่า สำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (สปสช.) มีความ ประสงค์ที่จะใช้ Horizon Scanning เป็นเครื่องมือเพื่อช่วยในการตัดสินใจในการเลือกเทคโนโลยีได้อย่าง รวดเร็วและคุ้มค่า และเสนอให้ HITAP เป็นผู้จัดตั้ง Horizon Scanning Unit โดยอาจผนวกกับโครงการอื่น หรือจัดตั้งเป็นหน่วยแยก นอกจากนี้ Horizon Scanning Unit ยังสามารถเชื่อมโยงเข้าเป็นส่วนหนึ่งของ กระทรวงการอุดมศึกษา วิทยาศาสตร์ วิจัยและนวัตกรรม (อว.) และมีข้อเสนอแนะให้ HITAP จัดทำสรุปข้อมูล แผนการจัดตั้ง Horizon Scanning Unit โดยประกอบด้วย ประโยชน์ของหน่วยงาน การสร้างผลผลิตภาพ และ จำนวนงบประมาณที่ใช้

ศ. ดร.สมปอง คล้ายหนองสรวง ให้ข้อคิดเห็นสนับสนุนข้อเสนอแนะของ นพ.นิธิวัชร แสงเรือง ใน ประเด็นการจัดตั้ง Horizon Scanning Unit เพราะจะเป็นโอกาสให้กับบางประเทศที่ขาดการมองภาพอนาคต ของเทคโนโลยี ซึ่งการจัดตั้ง Horizon Scanning Unit ถือเป็นโอกาสสร้างโอกาสให้กับประเทศไทยด้วย เพราะ ช่วยในการต่อยอดเทคโนโลยีที่มีอยู่ สำหรับการการจัดตั้ง Horizon Scanning Unit อาจเริ่มต้นจากการจัดตั้ง สมาคมเสมือนองค์กร (virtual consortium) เพื่อให้การดำเนินการในช่วงแรกมีความเป็นไปได้ โดยเริ่ม ขับเคลื่อนหน่วยงาน (unit) จากทีมเลขานุการ การสรรหาและการรวบรวมผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย เพื่อร่วมกันกำหนดวัตถุประสงค์ของการดำเนินงาน และประโยชน์ที่ได้จากกระบวนการ Horizon Scanning

2.2 อุปสรรคและความท้าทายในประเทศไทย

รศ. นพ.ธีระ วรรณรัตน์ ร่วมแลกเปลี่ยนประสบการณ์จากการศึกษาเมื่อประมาณ 10 กว่าปีที่ผ่านมา ในโครงการการค้นหา (scanning) เทคโนโลยีสุขภาพในประเทศไทยร่วมกับศูนย์ความเป็นเลิศด้านชีววิทยา ศาสตร์ (TCELS) เพื่อค้นหาเทคโนโลยีในประเทศทั้งผลิตภัณฑ์และระบบบริการ และคัดเลือกเทคโนโลยีที่ สามารถผลักดันและต่อยอดเพื่อการลงทุนสนับสนุนเศรษฐกิจในประเทศไทย หรือต่อยอดในเทคโนโลยีที่ สามารถเพิ่มผลลัพธ์ทางสุขภาพในประเทศไทย ซึ่งการศึกษาดังกล่าวมีข้อควรพิจารณา คือ จำเป็นต้องใช้ ทรัพยากรจำนวนมากในการค้นหานวัตกรรมวิจัยในประเทศ และเก็บข้อมูล ซึ่งส่วนใหญ่เป็นข้อมูลปฐมภูมิ (primary

source) สำหรับการประเมินเทคโนโลยี ในประเด็นระดับความพร้อมของเทคโนโลยี (readiness level) อุปสรรคที่เกิดขึ้นคือ การแข่งขันระหว่างองค์กร (competitiveness) เพราะการเปิดเผยข้อมูลเชิงลึกทำให้เกิดความเสี่ยงในการลอกเลียนแบบ ดังนั้น ในการวางแผนเพื่อศึกษา Horizon Scanning จึงควรพิจารณาประเด็นดังกล่าวร่วมด้วย สำหรับยาราคาแพง ในปัจจุบันบุคลากรทางการแพทย์ ได้พยายามเสนอยาราคาแพง เพื่อให้ประเมินความคุ้มค่าและจัดเข้าสู่ชุดสิทธิประโยชน์ แต่การศึกษา Horizon Scanning ในยาราคาแพงมีวัตถุประสงค์ที่แตกต่างกับประสบการณ์ข้างต้น ดังนั้น ควรกำหนดวัตถุประสงค์ให้ชัดเจน เพราะผู้มีส่วนได้ส่วนเสียที่เกี่ยวข้องจะแตกต่างกันตามแต่ละวัตถุประสงค์

2.3 กระบวนการ Horizon Scanning ในประเทศไทย

ผศ. ดร. ภาณุ.ภุชณี สระมุณี และ ผศ. ดร. ภาณุ.ณัฐธิญา คำผล ให้คำแนะนำว่า ควรระบุขอบเขตของการศึกษา, วิธีการในแต่ละขั้นตอนของกระบวนการ Horizon Scanning และระบุงบเวลาสำหรับการดำเนินการในแต่ละขั้นตอนให้ชัดเจน ซึ่งในประเด็นนี้ รศ. ดร.วรรณฤดี อิศรานุกวัฒน์ชัย ให้ข้อมูลว่า ทีมวิจัยที่ริเริ่มตั้ง Horizon Scanning Unit ควรเป็นผู้กำหนดกรอบเวลาดังกล่าว

รศ. ดร. ภาณุ.อัญชลี เพิ่มสุวรรณ สอบถามประเด็นการส่งต่อผลลัพธ์จากการประเมิน early HTA ไปประเมิน full HTA ว่ามีขั้นตอนอย่างไร รศ. ดร.วรรณฤดี อิศรานุกวัฒน์ชัย ให้ข้อมูลว่า สำหรับกระบวนการส่งต่อดังกล่าวยังไม่ได้กำหนดแน่ชัด อาจเป็นการปรับตัวแปรบางส่วนเพื่อลดการทำงานที่ซ้ำซ้อน แต่ Horizon Scanning จะเป็นการดำเนินการก่อนกระบวนการ early HTA

น.ส.ดารารกร เครือแดง ให้ข้อคิดเห็นว่า กรมบัญชีกลางเป็นส่วนของปลายน้ำ คือ หลังจากเทคโนโลยีใหม่เข้าสู่บัญชียาหลักแห่งชาติแล้ว กรมบัญชีกลางจึงจะพิจารณาการเบิกจ่าย ดังนั้นกระบวนการ Horizon Scanning จะมีประโยชน์ต่อสำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา (อย.) และคณะกรรมการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติในการพิจารณาเทคโนโลยีใหม่ในขั้นตอนของการพิจารณา

น.ส.รุ่งนภา บุตรพิลา ให้ข้อมูลว่า ในการนำกระบวนการ Horizon Scanning เข้าสู่ระบบการสนับสนุนของสำนักงานประกันสังคม ต้องผ่านการพิจารณาของคณะกรรมการการแพทย์ก่อน ดังนั้น เมื่อมีการจัดตั้ง Horizon Scanning unit และมีการนำไปใช้ในการพิจารณาเทคโนโลยีต่างๆ เพื่อให้เป็นสิทธิประโยชน์ต่อผู้ประกันตน ให้ทีมวิจัยผู้จัดตั้ง Horizon Scanning แจ้งต่อสำนักงานประกันสังคมทราบเพื่อพิจารณาต่อไป

2.4 ประโยชน์ของกระบวนการ Horizon Scanning

ดร. ภาณุ.ปิยนันท์ บุญประเสริฐ ให้ข้อมูลว่า Horizon Scanning สามารถช่วยในการขึ้นทะเบียนได้ เนื่องจากปัจจุบันข้อมูลเกี่ยวกับผลิตภัณฑ์มักมาจากนักวิจัย หากมีการค้นหาค้นหาอย่างเป็นระบบจะสามารถทำให้เห็นภาพรวมของผลิตภัณฑ์ทั้งกลุ่มได้อย่างชัดเจน

ดร. ภาณุ.อิสริยา เตชะธนะวัฒน์ สนับสนุนประโยชน์ของกระบวนการ Horizon Scanning ที่สามารถช่วยในการวางแผนกลยุทธ์ (road map) ของประเทศด้านเทคโนโลยีสุขภาพ โดยเฉพาะอย่างยิ่งการกำหนดขอบเขตของ Horizon Scanning ซึ่งผู้มีส่วนได้ส่วนเสียสามารถนำข้อมูลดังกล่าวไปใช้ในการวางแผนยุทธศาสตร์ขององค์กรได้ โดยเฉพาะ อย. หากนำกระบวนการ Horizon Scanning เข้าไปเป็นส่วนหนึ่งในการวางแผนการขึ้นทะเบียนเพื่อรับรองเทคโนโลยีใหม่ จะช่วยให้เทคโนโลยีใหม่สามารถนำไปใช้ได้จริง

ดร.กิตติมา ศรีวัฒนกุล ให้ความเห็นว่ากระบวนการ Horizon Scanning นอกจากจะเกิดประโยชน์ต่อกระบวนการวิจัยและพัฒนาในประเทศแล้ว ยังสามารถช่วยให้ผู้พัฒนาชุดสิทธิประโยชน์เห็นแนวโน้มของเทคโนโลยีในอนาคตว่าเทคโนโลยีใดมีประสิทธิภาพมากกว่า เทคโนโลยีใดกำลังจะล้าหลัง เพื่อเตรียม

งบประมาณสนับสนุนการเข้าถึงเทคโนโลยีใหม่ และให้ข้อเสนอแนะว่าในขั้นตอน peer review ของกระบวนการ Horizon Scanning ควรได้รับความร่วมมือจากผู้มีส่วนได้ส่วนเสียทุกภาคส่วน

หลังจากการอภิปราย ญญ.บุสดี โสบุญ จึงกล่าวสรุปเป้าหมายของการจัดตั้ง Horizon Scanning ว่าสามารถนำข้อมูลเพื่อใช้ในการวางแผนและกำหนดนโยบายของแต่ละองค์กร วัตถุประสงค์ของการจัดตั้งกระบวนการ Horizon Scanning เพื่อตรวจจับเทคโนโลยีใหม่หรือเกิดขึ้นใหม่หรือขั้นตอนการพัฒนา และเพื่อเป็นหลักฐานสนับสนุนนโยบายสำหรับการวางแผนทรัพยากรและการจัดสรรงบประมาณของเทคโนโลยีใหม่ ซึ่งจะเปลี่ยนไปตามเป้าหมายและวัตถุประสงค์ขององค์กร

ประเด็นที่ 2: ท่านคิดว่าองค์กรใดควรเป็นผู้รับผิดชอบหลักจัดตั้ง Horizon Scanning Unit

ที่ประชุมได้เสนอชื่อองค์กร ต่างๆ ได้แก่ สำนักงานคณะกรรมการส่งเสริมวิทยาศาสตร์ วิจัยและนวัตกรรม (สกสว.), สถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข (สวรส.), ภาคอุตสาหกรรมยา, หน่วยงานของ อว. สำนักนายกรัฐมนตรี, สภาพัฒน์, สปสช., หน่วยงานในกระทรวงสาธารณสุข, HITAP และผู้ที่ต้องการใช้ประโยชน์จาก Horizon Scanning

ประเด็นที่ 3: ท่านคิดว่าหน่วยงานใดควรเป็นแหล่งเงินทุนสนับสนุนกระบวนการ Horizon Scanning

จากประเด็นคำถามดังกล่าว สามารถเลือกตอบได้มากกว่า 1 ข้อ พบว่า แหล่งทุนวิจัย เช่น สวรส. (17 คน), ภาคอุตสาหกรรมและภาคเอกชน (9 คน), ระบบประกันสุขภาพ เช่น สปสช. (7 คน), กระทรวงสาธารณสุข (7 คน), และ อื่นๆ ตอบ 3 คน

ศ. ดร.สมปอง คล้ายหนองสรวง ให้ความเห็นเพิ่มเติมในประเด็นดังกล่าวว่า สกสว. ควรเป็นผู้สนับสนุนงบประมาณจากงานมูลฐาน Fundamental Fund (FF), สวรส. ให้ทุนได้เพราะกระบวนการ Horizon Scanning นำไปใช้ในการพัฒนาระบบสุขภาพ หน่วยบริหารและจัดการทุนด้านการพัฒนากำลังคน และทุนด้านการพัฒนาสถาบันอุดมศึกษา การวิจัยและการสร้างนวัตกรรม (บพค.) เป็นองค์กรที่มีเป้าหมายในการเชื่อมโยงกิจการของเทคโนโลยีและกิจการอนาคต เช่น วิทยาศาสตร์การแพทย์ ดังนั้น บพค. สามารถให้การสนับสนุนได้เช่นกัน รวมทั้งภาคเอกชนสามารถใช้ประโยชน์จากกระบวนการ Horizon Scanning จึงควรได้รับการสนับสนุนจากภาคเอกชนร่วมด้วย สำหรับคำตอบหน่วยงานอื่นๆ หมายถึง องค์กรระหว่างประเทศที่สามารถร่วมกันสนับสนุนเพื่อพัฒนาประชาคมอาเซียนในด้านสุขภาพ และเพื่อให้พัฒนาเป็นแผนปฏิบัติการระหว่างประเทศ

ประเด็นที่ 4: ท่านคิดว่าหน่วยงานใดควรเกี่ยวข้องกับการจัดตั้ง Horizon Scanning

จากประเด็นดังกล่าว สามารถเลือกตอบได้มากกว่า 1 ข้อ พบว่า แหล่งทุนวิจัย เช่น สวรส. (15 คน), ระบบประกันสุขภาพ เช่น สปสช. (11 คน), กระทรวงสาธารณสุข (12 คน), สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา (9 เสียง), ภาคอุตสาหกรรมและภาคเอกชน (8 คน), สถาบันวิจัย (14 คน), และ 2 คนตอบอื่นๆ

ประเด็นที่ 5: ถ้าประเทศไทยมีการจัดตั้งกระบวนการ Horizon Scanning หัวข้อเทคโนโลยีใดควรได้รับการประเมินก่อน

จากประเด็นดังกล่าว พบว่ามี 3 คนสนับสนุนหัวข้อเทคโนโลยีการรักษาที่มีราคาแพง (high-cost therapy) นอกจากนี้มีการสนับสนุนหัวข้อ การรักษาแบบแม่นยำและจำเพาะแม่นยำ (precision medicine) เทคโนโลยียีนบำบัด (gene therapy) สุขภาพดิจิทัล (digital health) ปัญญาประดิษฐ์ (AI) ผลิตภัณฑ์ทางการแพทย์ขั้นสูง (ATMPs)

ประเด็นที่ 6: ท่านคิดว่าใครจะได้รับประโยชน์สูงสุดในกระบวนการ Horizon Scanning

จากผลการจัดลำดับ อันดับ 1 ประชาชน อันดับ 2 ระบบประกันสุขภาพ อันดับ 3 กระทรวงสาธารณสุขและโรงพยาบาล อันดับ 4 สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา อันดับ 5 ภาคอุตสาหกรรมและภาคเอกชน อันดับ 6 สถาบันวิจัยและนักวิจัย และอันดับ 7 อื่นๆ

ประเด็นที่ 7: ท่านคิดว่าประเทศไทยมีความจำเป็นต้องจัดตั้งกระบวนการ Horizon Scanning มากน้อยเพียงใด

จากประเด็นดังกล่าว ตอบว่าจำเป็นมาก 9 คน จำเป็นปานกลาง 9 คน และ 1 คนตอบว่าไม่จำเป็น

ประเด็นที่ 8: ท่านคิดว่ามีกระบวนการอื่นใดในประเทศไทยที่มีความคล้ายคลึงกับกระบวนการ Horizon Scanning

จากประเด็นดังกล่าว มีคำตอบดังนี้ เทคนิคการสนทนากลุ่ม (focus group meeting), Delphi method, การรับฟังความคิดเห็น การสัมภาษณ์ผู้ที่มีความเชี่ยวชาญในเรื่องใดเรื่องหนึ่ง (key opinion leader), การทบทวนวรรณกรรม (literature review), และโครงการพัฒนาโมเดลจับสัญญาณและแนวโน้มอนาคตที่สนับสนุนด้วยเทคโนโลยีปัญญาประดิษฐ์ จัดทำโดย สกสว.

ศ. ดร.สมปอง คล้ายหนองสรวง ให้ข้อสังเกตว่า การจัดทำแผนยุทธศาสตร์ของหน่วยงานต่างๆ มีลักษณะที่คล้ายกับกระบวนการ Horizon Scanning เช่นกัน

3. ประเด็นอภิปรายและข้อซักถามเพิ่มเติม

ดร.กิตติมา ศรีวัฒนกุล สอบถามเรื่องการนำผลการศึกษา Horizon Scanning จากต่างประเทศมาปรับใช้ในประเทศไทยได้หรือไม่ รศ. ดร.วรรณฤดี อิศรานุวัฒน์ชัย ให้ข้อมูลว่า สามารถนำมาใช้ได้ เพราะจากการปรึกษาผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียจากต่างประเทศได้มีการนำข้อมูลจากฐานข้อมูลของประเทศอื่นมาใช้เช่นกัน แต่อย่างไรก็ตาม วิธีการประเมินเทคโนโลยีควรเป็นบริบทของประเทศไทย

รศ. นพ.ธีระ วรรณารัตน์ เสนอวัตถุประสงค์ของ Horizon Scanning ในระดับประเทศ คือ 1) เพื่อสนับสนุนการใช้งบประมาณด้านยาและเทคโนโลยีสุขภาพอย่างเหมาะสม 2) เพื่อสร้างรายได้ให้กับประเทศจากการค้นหาเทคโนโลยีที่มีแนวโน้มว่าสามารถสร้างรายได้ และ 3) เพื่อแก้ไขปัญหาภายในประเทศและระหว่างประเทศ แต่ละวัตถุประสงค์อาจมีผู้มีส่วนได้ส่วนเสียที่แตกต่างกัน ดังนั้นผู้รับผิดชอบควรเป็นผู้ที่ดูแลภาพใหญ่ คือ รัฐบาลหรือสำนักนายกรัฐมนตรี จากนั้นจึงปรึกษาผู้เชี่ยวชาญและผู้มีส่วนได้ส่วนเสียตามวัตถุประสงค์ในภายหลัง ผู้สนับสนุนและแหล่งทุนจะแตกต่างกันตามประเภทของงานและความสอดคล้องกับนโยบายด้วยเช่นกัน อย่างไรก็ตาม ก่อนเริ่มจัดตั้ง Horizon Scanning Unit ทีมวิจัยควรระบุวัตถุประสงค์ให้ชัดเจน และกำหนดผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในแต่ละวัตถุประสงค์ เพื่อเป็นข้อมูลสำหรับผู้กำหนดนโยบายและผู้ที่เกี่ยวข้องนำไปใช้ในการตัดสินใจการจัดตั้ง Horizon Scanning Unit ต่อไป

ภญ.ธนิศา ทาทอง ให้ความเห็นว่า อย. จะใช้ประโยชน์จาก Horizon Scanning ได้ หากสามารถให้ข้อมูลรายการยาและรายงานที่ผ่านการจัดลำดับความสำคัญและการประเมิน ข้อมูลจากรายงานของ Horizon Scanning Unit สามารถนำมาใช้ประกอบการขึ้นทะเบียนยาได้ รวมถึงการคัดเลือกยาเข้าสู่บัญชียาหลักแห่งชาติและการเบิกจ่าย

นพ.นิธิวัชร แสงเรือง มีข้อเสนอแนะเพิ่มเติมว่า สปสช. ต้องการให้ Horizon Scanning ครอบคลุมทั้งยา เทคโนโลยี และเครื่องมือแพทย์ เพราะจะมีประโยชน์ในการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ในอนาคต และควรขยายความวัตถุประสงค์เพื่อการลงทุนและพัฒนาเทคโนโลยีในประเทศและเพื่อสร้างรายได้เข้าประเทศ โดย Horizon Scanning สามารถช่วยค้นหาเทคโนโลยีในประเทศที่มีแนวโน้มในการพัฒนาสำเร็จ เพื่อให้ทั้งคนในประเทศและนอกประเทศสามารถนำไปใช้ได้ โดยเฉพาะเครื่องมือแพทย์ และสนับสนุนวัตถุประสงค์ 3 ข้อที่เสนอโดย รศ. นพ.ธีระ วรรณารัตน์

4. ข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย

ภญ.บุสดี โสบุญ นำเสนอร่างข้อเสนอแนะเชิงนโยบายที่จัดทำโดยทีมวิจัย ซึ่งจะมีการปรับเปลี่ยนหลังจากการประชุมเพื่อนำเสนอผลการศึกษาโครงการวิจัยนี้ รศ. ดร.วรรณฤดี อิศรานุกวัฒน์ชัย ได้สรุปภาพรวมของการประชุมและกล่าวขอบคุณผู้เข้าร่วมประชุมทุกท่าน และแจ้งที่ประชุมว่า ทีมวิจัยจะส่งรายงานการประชุมให้ทุกท่านพิจารณาและรับรองรายงานการประชุมทางอีเมล ข้อเสนอแนะที่ได้รับจากที่ประชุมในวันนี้ ทีมวิจัยจะนำไปเพิ่มเติมในรายงานผลการศึกษาระดับสมบูรณต่อไป

ปิดประชุมเวลา 12.00 น.

ภญ.พรณภัทร เฉิดฉินนภา

รศ. ดร.วรรณฤดี อิศรานุกวัฒน์ชัย

ภญ.บุสดี โสบุญ

นางสาวกุมารี พัทณี

ผู้บันทึกรายงานการประชุม

ผู้ตรวจรายงานการประชุม

8.5 รายงาน horizon scanning ฉบับภาษาไทย

1. หลักการและเหตุผล

คุณภาพชีวิตที่ดีขึ้นอย่างชัดเจนในช่วงทศวรรษที่ผ่านมา มีสาเหตุมาจากความก้าวหน้าทางวิทยาศาสตร์และการพัฒนาเทคโนโลยีนวัตกรรมด้านสุขภาพอย่างไม่ต้องสงสัย¹ เทคโนโลยีด้านสุขภาพหมายถึง เทคโนโลยีทางการแพทย์ใด ๆ ที่ใช้ในการให้บริการด้านสุขภาพ ซึ่งรวมถึงการส่งเสริมและการป้องกัน การรักษาและการฟื้นฟูสภาพและการดูแลระยะยาว² ยา อุปกรณ์ วิธีวินิจฉัย หัตถการ และมาตรการสาธารณสุข ล้วนเป็นตัวอย่างของเทคโนโลยีด้านสุขภาพทั้งสิ้น² นอกจากนี้ยังมีเทคโนโลยีอุบัติใหม่จำนวนมากที่ยังไม่ได้นำมาใช้ในระบบสุขภาพ และกำลังอยู่ในขั้นตอนของการพัฒนาในการทดลองทางคลินิก (ระยะที่ 2/3) หรืออยู่ในขั้นตอนก่อนการจัดจำหน่าย³ อันเป็นผลจากการลงทุนจำนวนมากอย่างต่อเนื่องในการวิจัยและพัฒนา

เมื่อเปรียบเทียบกับแนวปฏิบัติมาตรฐาน พบว่า เทคโนโลยีอุบัติใหม่เหล่านี้มีประสิทธิผลในการให้ผลลัพธ์ที่เหนือกว่าและช่วยปรับปรุงคุณภาพชีวิตโดยรวม⁴ อย่างไรก็ตาม การเบิกจ่ายเทคโนโลยีดังกล่าวจำเป็นต้องดำเนินการอย่างรอบคอบ เนื่องจากเทคโนโลยีใหม่ส่วนใหญ่มีราคาสูงเพราะมีลักษณะที่เป็นนวัตกรรมและต้องใช้ค่าใช้จ่ายในการผลิตสูงอย่างมีนัยสำคัญ⁵ นอกจากนี้ ผลกระทบจากเทคโนโลยีใหม่ดังกล่าวยังมีความแตกต่างกันไปในแต่ละประเทศและบริบททางสาธารณสุข ซึ่งทำให้เกิดความท้าทายในการเข้าถึงเทคโนโลยีทางการแพทย์ที่มีราคาสูงอย่างยั่งยืนและเป็นธรรม โดยเฉพาะในประเทศที่มีรายได้ต่ำและปานกลาง (low and middle-income countries: LMICs)⁶ การประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพ (health technology assessment: HTA) เป็นหนึ่งในเครื่องมือที่ใช้เพื่อการประเมินเทคโนโลยีเหล่านี้ ซึ่งโดยทั่วไปแล้วจะทำการประเมินในช่วงท้าย ๆ วงจรชีวิตของเทคโนโลยีทางการแพทย์ (medical technology life cycle) ระบบค้นหาล่วงหน้า อาทิ ระบบ horizon scanning มีข้อได้เปรียบในการช่วยให้การตัดสินใจเบิกจ่ายเป็นไปอย่างโปร่งใสและอ้างอิงจากหลักฐานเชิงประจักษ์ ตลอดจนช่วยในการคาดการณ์การจัดสรรงบประมาณสำหรับผลิตภัณฑ์ทางการแพทย์ที่มีราคาสูง

กระบวนการ horizon scanning ทำหน้าที่เป็นระบบแจ้งเตือนล่วงหน้าเพื่อค้นหาเทคโนโลยีอุบัติใหม่ด้านสุขภาพ และช่วยคาดการณ์ผลกระทบทางการเงินและทางคลินิกจากเทคโนโลยีดังกล่าว วัตถุประสงค์ของระบบนี้ คือ เพื่อให้ข้อมูลแก่ผู้กำหนดนโยบาย ผู้ซื้อ และผู้ให้บริการสาธารณสุขเกี่ยวกับเทคโนโลยีใหม่และเทคโนโลยีอุบัติใหม่ เพื่อช่วยให้สามารถตัดสินใจโดยอ้างอิงจากหลักฐานเชิงประจักษ์ ก่อนที่เทคโนโลยีทางการแพทย์อุบัติใหม่นั้นจะได้รับการจัดจำหน่าย^{7,8} เนื่องจากระบบ horizon scanning มีบทบาทที่สำคัญ ในประเทศสมาชิกของสหภาพยุโรปหลายประเทศ⁹ รวมถึงประเทศออสเตรเลีย แคนาดา และสหราชอาณาจักร จึงแนะนำให้ใช้ระบบนี้เป็นขั้นตอนแรกของการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพ เพื่อให้การตัดสินใจด้านบริการสุขภาพอยู่บนพื้นฐานของข้อมูลมากขึ้น เช่น Horizon Scanning Service ของ Innovative Global Health Technology ประเทศเกาหลีใต้ Malaysia Health Technology Assessment Section (MaHTAS) และ Center for Drug Evaluation ในไต้หวัน ได้ใช้ระบบ horizon scanning เชิงรุกกับเทคโนโลยีด้านสุขภาพหลากหลายประเภทในภูมิภาคเอเชีย โดยล่าสุด Agency for Care Effectiveness (ACE) ในสิงคโปร์ได้เริ่มใช้ระบบนี้เช่นกัน

ประเทศไทยยังไม่มีหน่วยงานที่ดูแลเรื่อง horizon scanning อย่างเป็นทางการ ปัจจุบันสำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา (อย.) เป็นหน่วยงานที่มีหน้าที่กำกับดูแลยาและเทคโนโลยีใหม่ ๆ โดยร่วมมือกับหน่วยงานอื่น ๆ ภายใต้กระทรวงสาธารณสุข อาทิ กรมวิทยาศาสตร์การแพทย์ นอกจากนี้ การวิเคราะห์สถานการณ์ล่าสุดเรื่อง "การกำหนดราคายา ความพร้อมของยา และความสามารถในการซื้อหาในประเทศไทย

ไทย" พบว่า การพัฒนายาเป็นสภาวะแวดล้อมที่เปลี่ยนแปลงไปอย่างรวดเร็ว และประเทศไทยต้องการระบบที่จะสามารถตรวจสอบ ปรับปรุง และประเมินซ้ำถึงการเข้ามาของยาชนิดใหม่ ๆ ได้อย่างสม่ำเสมอเพื่อส่งเสริมการเข้าถึงยาชนิดใหม่ดังกล่าว¹⁰ ด้วยเหตุนี้ จึงมีความจำเป็นเร่งด่วนในการจัดทำระบบ horizon scanning ระดับประเทศที่จะสามารถค้นหาและเทคโนโลยีอุบัติใหม่ที่กำลังอยู่ระหว่างการพัฒนาได้

การศึกษานี้เป็นส่วนหนึ่งของโครงการวิจัยหลักภายใต้การศึกษาของโครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ (Health Intervention and Technology Assessment Program: HITAP) โดยได้รับการสนับสนุนจากสำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (สปสช.) และทุนวิจัยจากสถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข (สวรส.) โดยมีเป้าหมายที่จะพัฒนาทางเลือกเชิงนโยบายเพื่อสนับสนุนการตัดสินใจในการเบิกจ่ายสำหรับมาตรการที่มีราคาแพงในประเทศไทย วัตถุประสงค์ของรายงานฉบับนี้ คือ เพื่อเข้าใจกระบวนการ horizon scanning สำหรับการติดตาม วิเคราะห์ และตรวจสอบนวัตกรรมรักษาโรคขั้นสูงที่มีราคาแพงที่เป็นนวัตกรรมใหม่

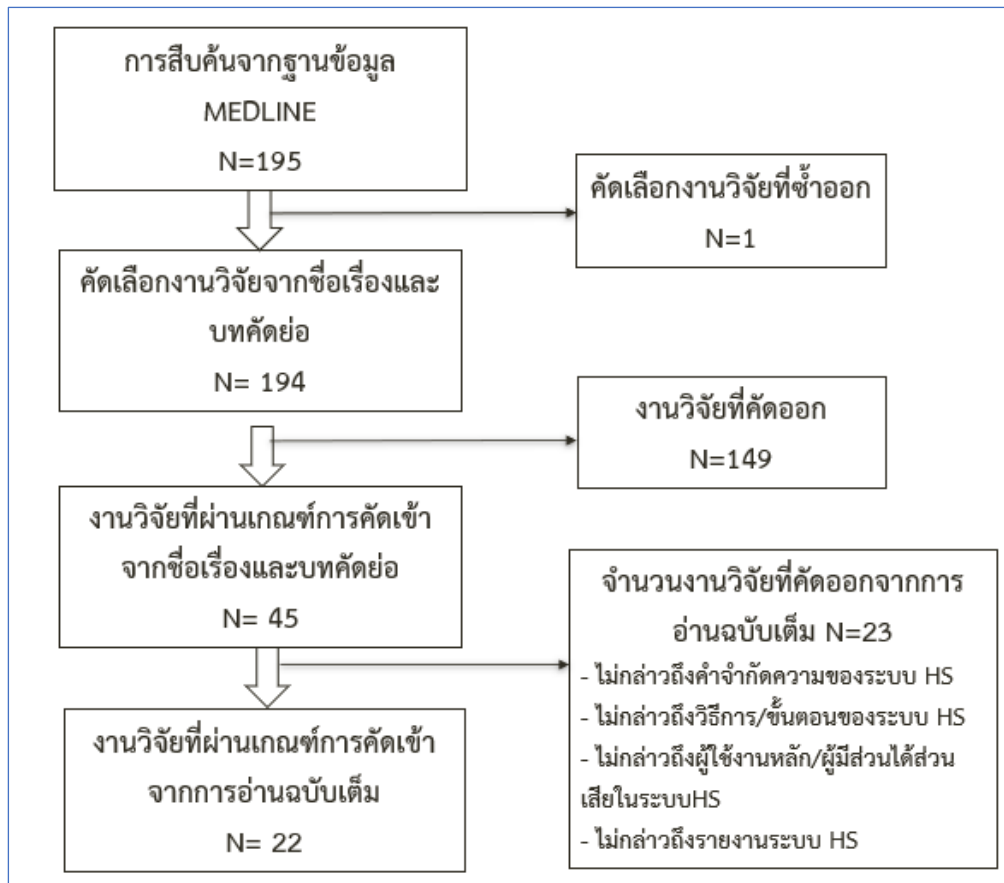
2. ระเบียบวิธีวิจัย

ทีมวิจัยใช้วิธีการสองขั้นตอนเพื่อทำความเข้าใจระบบ horizon scanning ในต่างประเทศ ขั้นตอนที่ 1 การทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต (scoping review) ครอบคลุมคำจำกัดความ กระบวนการ และข้อมูลเชิงลึกเกี่ยวกับระบบ horizon scanning รวมไปถึงการประเมินช่องว่าง ปัจจัยเสริม และอุปสรรคที่มีอยู่ในการนำกระบวนการ horizon scanning ไปปฏิบัติ ขั้นตอนที่ 2 ทีมวิจัยได้ปรึกษาร่วมกับผู้เชี่ยวชาญระดับนานาชาติด้าน horizon scanning เพื่อตรวจสอบความถูกต้อง ปรับปรุงข้อค้นพบที่ได้จากการทบทวนวรรณกรรม และให้ข้อเสนอแนะต่อกระบวนการ horizon scanning โดยมีรายละเอียด ดังนี้

1. การทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต (scoping review)

1.1 Search strategy

ทีมวิจัยสืบค้นข้อมูลจากฐานข้อมูล PubMed โดยใช้คำว่า “horizon scanning” AND “interventions” เพื่อให้ได้บทความวิชาการที่รายงานถึงกระบวนการ horizon scanning ในประเทศต่าง ๆ เกณฑ์ที่ใช้ในการคัดเอกสารเข้า คือ การศึกษาที่มี 1) คำจำกัดความของ horizon scanning 2) กระบวนการของ horizon scanning 3) ความท้าทายและจุดแข็งของ horizon scanning และ 4) เนื้อหาที่ตีพิมพ์เป็นภาษาอังกฤษ โดยผลลัพธ์ที่ได้จากการสืบค้นข้อมูลมีทั้งหมด 195 รายการ หลังจากคัดรายการที่ซ้ำซ้อนกันออกแล้ว ทีมวิจัยได้คัดกรองโดยพิจารณาหัวข้อเรื่องและบทคัดย่อของเอกสารทั้ง 195 รายการ พบว่าบทความวิชาการจำนวน 45 รายการเป็นไปตามเกณฑ์คัดเข้าที่จะนำมาอ่านทั้งฉบับต่อไป ผู้วิจัย 2 คนแยกกันคัดกรองบทความวิชาการที่เข้าเกณฑ์คัดเข้าโดยไม่ทราบชื่อผู้เขียนบทความ (double blinded peer review) หากบทความวิชาการใดที่ผู้คัดกรองมีข้อคิดเห็นขัดแย้งกัน ทีมวิจัยจะจัดสรรบุคคลที่สามให้เป็นผู้อ่านและตัดสิน หลังจากการคัดกรองที่ทีมวิจัยได้คัดบทความออก 23 เรื่อง เนื่องด้วยเหตุผลต่าง ๆ เช่น เอกสารซ้ำและไม่ตรงตามเกณฑ์คัดเข้า (เอกสารไม่กล่าวถึงคำจำกัดความ ขั้นตอน/วิธีการ ผู้ใช้หลัก และการรายงาน) จากขั้นตอนดังกล่าว จึงได้บทความวิชาการที่คัดเข้าสำหรับการทบทวนวรรณกรรมทั้งหมด 22 รายการ ดังแสดงในรูปที่ 1



รูปที่ 1 ขั้นตอน PRISMA จากการทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต

1.2. การสกัดข้อมูล (Data extraction)

ทีมวิจัยสกัดข้อมูลจากแต่ละงานวิจัยโดยใช้โปรแกรม Excel ผู้วิจัย 2 คน ทำการสกัดข้อมูลตามตัวแปรในตารางที่ 1 กรณีที่ผู้วิจัยทั้งสองคนสกัดข้อมูลได้ไม่ตรงกัน จะมีการขอความเห็นจากผู้วิจัยคนที่ 3 ซึ่งเป็นเอกเทศจากผู้วิจัยอีกสองคน

ตารางที่ 1 ตัวแปรที่ใช้ในการสกัดข้อมูล

เนื้อหาที่สำคัญ	ตัวแปร
ข้อมูลของบทความ	ผู้เขียนหลัก, ปีที่พิมพ์, ประเทศ, ระดับรายได้ของประเทศ (ตามคำนิยามของธนาคารโลก), แหล่งเงินทุนของบทความ, ผลประโยชน์ทับซ้อน และรูปแบบการศึกษา
ระบบสแกนสัญญาณอนาคต horizon scanning	คำจำกัดความ, ประเภทของเทคโนโลยี, วิธีการของระบบ horizon scanning และผู้มีส่วนเกี่ยวข้องที่สำคัญ (ผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย)
ระบบสแกนสัญญาณอนาคต horizon scanning	คำจำกัดความ, ประเภทของเทคโนโลยี, วิธีการของระบบ horizon scanning และผู้มีส่วนเกี่ยวข้องที่สำคัญ (ผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย)

เนื้อหาที่ให้ความสำคัญ	ตัวแปร
รายงาน	ประเภทของรายงาน, ข้อมูลที่ประกอบในรายงาน horizon scanning และกลุ่มเป้าหมาย ระยะเวลาของรายงาน
ตัวขับเคลื่อนของ horizon scanning	อุปสรรคและปัจจัยเสริมของ horizon scanning

1.3 การวิเคราะห์ข้อมูล

ทีมวิจัยตรวจสอบบทความที่เลือกอย่างถี่ถ้วนแล้วสกัดข้อมูลที่เกี่ยวข้อง โดยจัดระเบียบและแบ่งหมวดหมู่ข้อมูลออกเป็นหัวข้อหลักต่าง ๆ เช่น คำจำกัดความของ horizon scanning ขั้นตอนที่เกี่ยวข้อง ผู้มีส่วนเกี่ยวข้องสำคัญ อุปสรรค และปัจจัยเสริม จากนั้นนำข้อมูลมาวิเคราะห์โดยใช้วิธีเชิงพรรณนาเพื่อสรุปผลจากการทบทวนวรรณกรรม

2. การสัมภาษณ์ผู้เชี่ยวชาญระดับนานาชาติ

ทีมวิจัยได้เชิญผู้มีส่วนได้ส่วนเสียและผู้เชี่ยวชาญด้าน horizon scanning ที่เป็นที่ยอมรับในระดับนานาชาติให้ข้อมูลเพื่อเสริมข้อมูลที่ได้จากการทบทวนวรรณกรรม โดยกำหนดรายชื่อผู้เชี่ยวชาญและองค์กรอย่างเจาะจง และติดต่อผ่านเครือข่ายของ HITAP รายชื่อองค์กรต่าง ๆ ที่มีส่วนร่วมในการให้ข้อมูลแสดงในตารางที่ 2

ตารางที่ 2 รายชื่อผู้เชี่ยวชาญระหว่างประเทศที่ขอรับคำปรึกษา

ชื่อองค์กร	ประเทศ	บทบาทขององค์กร	จำนวนผู้ถูกสัมภาษณ์ (คน)	วันที่สัมภาษณ์
International Health TechScan (iHTS)	สหภาพยุโรป	เครือข่ายหน่วยงานภาครัฐเพื่อการทำงานร่วมกันในการค้นหาเทคโนโลยีด้านสุขภาพใหม่และเทคโนโลยีอุบัติใหม่	2	4 มกราคม และ 26 พฤษภาคม 2566
Malaysian Health Technology Assessment Section (MaHTAS)	มาเลเซีย	หน่วยงาน HTA แห่งประเทศมาเลเซีย	4	12 มกราคม และ 23 พฤษภาคม 2566
The Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH)	แคนาดา	องค์กรไม่แสวงหาผลกำไรที่มุ่งเน้นการจัดการหลักฐานที่เป็นกลางเพื่อช่วยให้ผู้มีอำนาจสามารถตัดสินใจเกี่ยวกับบริการสุขภาพในประเทศแคนาดา	2	13 กุมภาพันธ์ และ 2 มีนาคม 2566

ชื่อองค์กร	ประเทศ	บทบาทขององค์กร	จำนวนผู้ถูกสัมภาษณ์ (คน)	วันที่สัมภาษณ์
National Institute for Health and Care Excellence (NICE)	สหราชอาณาจักร	องค์กรอิสระ นอกกระทรวงสาธารณสุข ซึ่งให้ข้อมูลประกอบการตัดสินใจเกี่ยวกับการใช้เทคโนโลยีด้านสุขภาพใน National Health Service (NHS)	3	7 มีนาคม 2566

ทีมวิจัยเก็บข้อมูลและข้อคิดเห็นจากผู้มีส่วนได้ส่วนเสียในต่างประเทศ รวมถึงผู้เชี่ยวชาญจากองค์กรต่าง ๆ ได้แก่ International Health TechScan (iHTS) (เดิมชื่อ “EuroScan International Network”) ประเทศเยอรมนี, Canadian Drug and Health Technology Agency in Health (CADTH) ประเทศแคนาดา และ National Institute for Health Care Excellence (NICE) สหราชอาณาจักร จำนวนผู้เชี่ยวชาญทั้งหมด 11 ราย จาก 4 ประเทศที่มีความเชี่ยวชาญและองค์กรแตกต่างกันเข้าร่วมในการสัมภาษณ์แบบกึ่งมีโครงสร้าง (semi-structured interview) โดยการสัมภาษณ์ผ่านระบบออนไลน์โปรแกรม Zoom มีขึ้น 2 รอบ รอบแรกจัดขึ้นระหว่างเดือนกันยายน 2565 ถึงเดือนมกราคม 2566 และรอบที่สองระหว่างเดือนเมษายนถึงเดือนพฤษภาคม 2566 การสัมภาษณ์รอบแรกมีวัตถุประสงค์เพื่อตรวจสอบความถูกต้องของข้อค้นพบจากการทบทวนวรรณกรรม การสัมภาษณ์รอบสองเน้นไปที่การจัดทำกระบวนการ horizon scanning ให้เป็นขั้นตอนพื้นฐานและการวางระบบ horizon scanning ของแต่ละประเทศ สำหรับในรอบที่สองมีการจัดทำแนวทางการสัมภาษณ์ (ตารางที่ 3) โดยแนวทางการสัมภาษณ์นี้ได้พัฒนามาจากการสำรวจด้านสุขภาพระดับโลกขององค์การอนามัยโลกว่าด้วยการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพ

ตารางที่ 3 กรอบแนวคิดที่ใช้ในการจัดทำแนวทางการสัมภาษณ์

	ก่อนนำไปปฏิบัติ	ระหว่างการนำไปปฏิบัติ	หลังการนำไปปฏิบัติ
ขอบเขต	<ul style="list-style-type: none"> เอกสารกลยุทธ์/แนวปฏิบัติ ข้อกำหนดทางกฎหมาย 	<ul style="list-style-type: none"> แนวทางการดำเนินงานที่เกี่ยวข้อง ข้อกำหนดทางกฎหมาย การเผยแพร่ข้อค้นพบ 	<ul style="list-style-type: none"> แนวทางการดำเนินงานที่เกี่ยวข้องเพื่อการติดตามและประเมินผล (M&E) การเผยแพร่ข้อค้นพบจากการติดตามและประเมินผล
ความพร้อมขององค์กรและทรัพยากรบุคคล (HR)	<ul style="list-style-type: none"> กิจกรรมเสริมสร้างความสามารถในการเตรียมการใด ๆ 	<ul style="list-style-type: none"> โครงสร้างและขนาดของหน่วยงาน ประวัติการศึกษาของผู้ปฏิบัติงาน 	<ul style="list-style-type: none"> ความเพียงพอของผู้ปฏิบัติงาน ทั้งในแง่ของจำนวนและความสามารถทางด้านวิชาการ โครงการเสริมสร้างขีดความสามารถที่ยั่งยืน

	ก่อนนำไปปฏิบัติ	ระหว่างการนำไปปฏิบัติ	หลังการนำไปปฏิบัติ
ธรรมาภิบาล	<ul style="list-style-type: none"> ● แหล่งที่อาจเป็นที่มาของความขัดแย้งทางผลประโยชน์ (COI) ● วิธีที่เป็นไปได้ในการจัดการกับความขัดแย้งทางผลประโยชน์ 	<ul style="list-style-type: none"> ● แหล่งที่อาจเป็นที่มาของความขัดแย้งทางผลประโยชน์ (COI) ● วิธีที่เป็นไปได้ในการจัดการกับความขัดแย้งทางผลประโยชน์ ● การสื่อสารผลลัพธ์ไปยังผู้มีส่วนได้ส่วนเสียระดับสูง 	<ul style="list-style-type: none"> ● การประเมินผลกระทบ ● กรณีศึกษาใด ๆ ที่เกี่ยวข้อง
การจัดทำให้ระบบเป็นขั้นตอนพื้นฐาน (Institutionalization)	<ul style="list-style-type: none"> ● ความท้าทายหลังในการจัดทำให้ระบบเป็นขั้นตอนพื้นฐานจัดตั้งองค์กร 	<ul style="list-style-type: none"> ● วิธีวัดประเมินความคืบหน้า 	<ul style="list-style-type: none"> ● ความท้าทายในการมีส่วนร่วมกับผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย
เป้าหมายในอนาคตของระบบ horizon scanning			

3. ผลการศึกษา

รายงานนี้นำเสนอข้อค้นพบจากการทบทวนวรรณกรรมและข้อคิดเห็นที่อิงจากหลักฐานเชิงประจักษ์ของผู้เชี่ยวชาญด้าน horizon scanning ในระดับนานาชาติ โดยแบ่งออกเป็น 2 ส่วน ส่วนแรกจะสรุปคำจำกัดความ ขั้นตอน และปัจจัยกำหนดของ horizon scanning ที่ได้มาจากการทบทวนวรรณกรรมแบบกำหนดขอบเขต ส่วนที่สองเป็นข้อคิดเห็นที่ได้จากการปรึกษาหารือกับผู้เชี่ยวชาญระหว่างประเทศเป็นการเฉพาะ

3.1 ลักษณะทั่วไปของวรรณกรรมที่นำมาพิจารณา

จากบทความวิจัยทั้ง 22 เรื่องที่นำมาพิจารณา ส่วนใหญ่ (16 เรื่อง) มาจากรัฐสมาชิกของสหภาพยุโรป รองลงมา คือ 5 เรื่องจากภูมิภาคแปซิฟิกตะวันตก 2 เรื่องจากภูมิภาคอเมริกา และ 1 เรื่องจากภูมิภาคเอเชียตะวันออกเฉียงใต้ บทความวิจัย 21 จาก 22 เรื่องเป็นการศึกษาในประเทศที่มีรายได้สูง และอีกหนึ่งเรื่องศึกษาในประเทศที่มีรายได้ปานกลางระดับสูง นอกจากนี้บทความวิจัยที่นำมาพิจารณายังได้แสดงให้เห็นถึงตัวอย่างของกระบวนการ horizon scanning ที่ใช้ในประเทศต่าง ๆ เพื่อค้นหาเทคโนโลยีที่แตกต่างกัน ยกตัวอย่าง เช่น ก) วิธีการผ่าตัด อาทิจ ระบบอุปกรณ์ดัดอ่อนเทียมและเทคโนโลยีการตรวจระดับน้ำตาลแบบไม่ทำให้เกิดการบาดเจ็บในสหราชอาณาจักรและสหรัฐอเมริกา ข) การบำบัดด้วยยีนในญี่ปุ่นและสิงคโปร์ ค) ยาต้านมะเร็งในออสเตรเลีย นิวซีแลนด์ และประเทศในสหภาพยุโรปอื่น ๆ และ ง) การใช้กระบวนการ horizon scanning เพื่อระบุระยะเวลาในการพัฒนายาต้านไวรัสชนิดใหม่และอุบัติใหม่ในสหราชอาณาจักร

3.2 คำจำกัดความของ horizon scanning

จากการทบทวนวรรณกรรม 22 เรื่องที่เผยแพร่ในภูมิภาคยุโรป อเมริกา และเอเชียแปซิฟิก พบว่า คำจำกัดความของ horizon scanning จะประกอบด้วย 3 องค์ประกอบ ได้แก่ การค้นหา การประเมิน และการตัดสินใจบนพื้นฐานของข้อมูล ดังตารางที่ 4 ในภาพรวม horizon scanning หมายถึง การค้นหาเทคโนโลยี

ใหม่และเทคโนโลยีอุบัติใหม่ก่อนที่จะนำไปใช้จริงเพื่อประเมินผลกระทบที่อาจเกิดขึ้นให้เป็นข้อมูลในการตัดสินใจ

วรรณกรรม 12 เรื่อง กล่าวถึง horizon scanning ว่าเป็น “การค้นหาผลิตภัณฑ์และเทคโนโลยีใหม่และผลิตภัณฑ์และเทคโนโลยีอุบัติใหม่”^{2,4,5,7,8,10,12,15,17,18,22}

วรรณกรรม 10 เรื่อง กล่าวถึงวัตถุประสงค์ของระบบ horizon scanning ว่ามีไว้เพื่อประเมินผลกระทบต่อสุขภาพของประชากรและระบบสุขภาพที่อาจเกิดขึ้นจากเทคโนโลยีใหม่^{2,4-8,11,12,17,19}

วรรณกรรม 7 เรื่อง กล่าวถึงประเด็นการ “คาดการณ์ล่วงหน้าก่อนที่จะนำไปปฏิบัติ”^{3,5,8,12,13,15,17}

วรรณกรรม 4 เรื่อง อธิบายถึงเหตุผลของการใช้ระบบ horizon scanning ว่า “เพื่อเป็นข้อมูลในการตัดสินใจของผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย”^{2,5,6,13}

วรรณกรรม 4 เรื่อง รายงานเกี่ยวกับ horizon scanning ว่าเป็นระบบแจ้งเตือนและให้ข้อมูลล่วงหน้า^{7,9,13,14}

วรรณกรรม 1 เรื่อง อธิบายเกี่ยวกับ horizon scanning ว่าเป็น “การสำรวจประเด็นปัญหาใหม่ที่ไม่เคยคาดคิดไว้ ตลอดจนปัญหาและแนวโน้มที่เกิดขึ้นอย่างต่อเนื่อง”¹⁰ การศึกษาในสหราชอาณาจักรให้ข้อมูลเพิ่มเติมว่ามีการทำ horizon scanning ตามการร้องขอของผู้ใช้งานภายนอก²²

ตารางที่ 4 คำจำกัดความของระบบ horizon scanning

คำจำกัดความ	ประเทศ
อะไร การค้นหาผลิตภัณฑ์และเทคโนโลยีใหม่และผลิตภัณฑ์และเทคโนโลยีอุบัติใหม่	บราซิล ² ญี่ปุ่น ¹⁵ ออสเตรเลีย ^{12,18} อิตาลี ^{4,5} สวีเดน ⁷ นอร์เวย์ ⁸ เนเธอร์แลนด์ ¹⁰ สหราชอาณาจักร ^{17,19,22}
อย่างไร เพื่อประเมินผลกระทบที่อาจเกิดขึ้นของเทคโนโลยีใหม่	บราซิล ² อิตาลี ^{4,5} สวีเดน ⁷ นอร์เวย์ ⁸ สหราชอาณาจักร ^{17,19} ออสเตรเลีย ¹² สมาชิกของสภายุโรป ⁶ สิงคโปร์ ¹¹
ทำไม เพื่อให้ผู้มีส่วนได้ส่วนเสียสามารถตัดสินใจบนพื้นฐานของข้อมูลได้	บราซิล ² อิตาลี ⁸ รัฐสมาชิกของสภายุโรป ⁶ ออสเตรีย ¹³ สหราชอาณาจักร ¹⁹

3.3 ขั้นตอนและผู้มีส่วนเกี่ยวข้องหลัก

ตามที่กล่าวข้างต้น เป้าหมายหลักของกระบวนการ horizon scanning คือ การให้คำแนะนำอย่างทันท่วงทีเพื่อให้นำเทคโนโลยีด้านสุขภาพไปปฏิบัติและ/หรือใช้อย่างเหมาะสม และวางแผนงบประมาณได้ภายในเวลาที่เหมาะสม ข้อมูลจากการทบทวนวรรณกรรม พบว่า วรรณกรรมทั้ง 22 เรื่อง ได้ปรับระบบตาม

หลักการและวิธีการทำ horizon scanning ตาม EuroScan International Network¹¹ ดังรูปที่ 2 โดยมีผู้มีส่วนเกี่ยวข้องหลักเป็นศูนย์กลางของการดำเนินการ



รูปที่ 2 ขั้นตอนทั่วไปในกระบวนการ horizon scanning

ขั้นตอนสำคัญของกระบวนการ horizon scanning มีดังนี้

ขั้นตอนที่ 0 การการระบุประเด็นหรือหัวข้อล่วงหน้า (Pre-identification)

ก่อนที่จะค้นหาเทคโนโลยีใหม่จากแหล่งต่าง ๆ การคัดเลือกและการประเมินแหล่งข้อมูลสำหรับการทำ horizon scanning มีบทบาทสำคัญเพื่อให้ได้ผลของ horizon scanning ที่มีความน่าเชื่อถือและถูกต้องแม่นยำ แม้ว่าจะมีวรรณกรรมเพียง 1 เรื่องจาก 22 เรื่องที่เน้นถึงขั้นตอน Pre-identification แต่ความสำคัญของขั้นตอนนี้ไม่ควรถูกมองข้าม การศึกษาดังกล่าวได้กำหนดหลักเกณฑ์ 8 ด้าน ที่เรียกว่าเกณฑ์การประเมินเพื่อประเมินคุณภาพของแหล่งข้อมูลในการทำ horizon scanning ทั้งนี้การพัฒนาเกณฑ์การประเมินเหล่านี้เป็นไปเพื่อให้แนวทางของกระบวนการคัดเลือกเป็นกลางมากยิ่งขึ้น ซึ่งจะช่วยให้ horizon scanning มีประสิทธิภาพยิ่งขึ้น เกณฑ์การประเมินแต่ละเกณฑ์ยังแบ่งย่อยออกเป็น 4 ระดับ โดยมีการกำหนดคะแนนที่สอดคล้องกันในแต่ละระดับ แต่ละแหล่งข้อมูลสามารถมีคะแนนสูงสุดได้ 240 คะแนน และแนะนำให้คัดแหล่งข้อมูลที่ได้คะแนนต่ำกว่าจุดตัดที่ ≤ 100 คะแนน ออกจากการเป็นแหล่งข้อมูลในการทำ horizon scanning ทั้งนี้ เกณฑ์การประเมินจะครอบคลุมมิติด้านต่าง ๆ ได้แก่

- ความครอบคลุม (อัตราส่วนร้อยละของข้อมูลที่เกี่ยวข้องโดยประมาณ)
- คุณภาพ (ความน่าเชื่อถือ ความถูกต้องแม่นยำ และความเป็นกลางของข้อมูล)

- ประสิทธิภาพ (ระยะเวลาที่คาดว่าจะใช้ในการค้นหาเทคโนโลยีด้านสุขภาพที่อาจมีความสำคัญแต่ละขั้นหรือข้อมูลที่เกี่ยวข้องอื่น ๆ)
- การเข้าถึงข้อมูล (ขั้นตอนที่ต้องทำ อาทิ อีเมลแจ้งเตือนอัตโนมัติ เว็บไซต์บนอินเทอร์เน็ต แหล่งข้อมูลที่เป็นสิ่งพิมพ์)
- ความถี่ของการทำ horizon scanning (ขึ้นอยู่กับความถี่ในการปรับปรุงแหล่งข้อมูล อาทิ รายวัน รายสัปดาห์ รายเดือน)
- ค่าใช้จ่าย (ระดับราคาในการสมัครสมาชิกรายปีหรือค่าลงทะเบียน)
- พื้นที่ในการจัดเก็บข้อมูล (คลังข่าว) และ
- ผู้ติดต่อ (รายละเอียดผู้ติดต่อเพื่อขอรับข้อมูลเพิ่มเติม)¹²

ขั้นตอนที่ 1 การระบุประเด็นหรือหัวข้อ (Identification)

การระบุประเด็นหรือหัวข้อเป็นกระบวนการแจ้งเตือนแบบมีโครงสร้าง ซึ่งมักประกอบด้วยการจัดทำแผนผังเทคโนโลยีใหม่ผ่านการทบทวนวรรณกรรม รวมถึงวรรณกรรมที่ไม่มีการตีพิมพ์หรือเผยแพร่ในวงจำกัด (grey literature) รายงานจากหน่วยงานของรัฐ งานประชุมวิชาการ การประชุม เวทีเสวนา การสังเกตการณ์ และการจัดการอย่างเป็นระบบอื่น ๆ ทั้งนี้ จะต้องคัดเลือกและสืบค้นในแหล่งข้อมูลที่มีความหลากหลายเป็นประจำ ขึ้นอยู่กับแขนงที่ศึกษา ผู้เชี่ยวชาญทางคลินิก ผู้ป่วย และตัวแทนภาครัฐซึ่งอาจมีส่วนร่วมในขั้นตอนนี้ด้วยได้เช่นกัน¹³⁻²⁴ ตารางที่ 5 แสดงแหล่งข้อมูลที่ใช้ในประเทศต่าง ๆ ตามที่ระบุไว้ในเอกสารที่ทำการทบทวนเพื่อค้นหาเทคโนโลยีใหม่

ตารางที่ 5 ประเภทของแหล่งข้อมูลที่ใช้สำหรับการทำ horizon scanning

ลำดับที่	ประเภทของแหล่งข้อมูล*	ประเทศ
1	การลงทะเบียนงานวิจัย	สิงคโปร์ ¹⁵ อิตาลี ¹⁴ ออสเตรเลีย ¹⁶ ออสเตรีย ¹⁸ สมาชิกของสหภาพยุโรป ¹⁹ สวีเดน ²¹
2	วารสารวิชาการ	สิงคโปร์ ¹⁵ อิตาลี ^{13,14} ออสเตรเลีย ¹⁶ สหราชอาณาจักร ^{12,25} ออสเตรีย ¹⁸ สมาชิกของสหภาพยุโรป ¹⁹ สวีเดน ²¹ นอร์เวย์ ²⁰ สหรัฐอเมริกา ²⁶
3	บทความจากงานประชุมวิชาการ	ออสเตรเลีย ¹⁶ สมาชิกของสหภาพยุโรป ¹⁹ สวีเดน ²¹ นอร์เวย์ ²⁰ ออสเตรีย ²²
4	รายงานการทำ horizon scanning จากเว็บไซต์ของรัฐบาล**	สิงคโปร์ ¹⁵ อิตาลี ^{13,14} ออสเตรเลีย ¹⁶ สหราชอาณาจักร ^{12,24} ออสเตรีย ^{18,22} สมาชิกของสหภาพยุโรป ¹⁹ สวีเดน ²¹ นอร์เวย์ ²⁰ เนเธอร์แลนด์ ²⁷
5	เอกสารของบริษัท/ผู้ผลิต	สิงคโปร์ ¹⁵ อิตาลี ¹⁴ ออสเตรเลีย ^{16,28} สหราชอาณาจักร ¹² ออสเตรีย ¹⁸ สมาชิกของสหภาพยุโรป ¹⁹ สวีเดน ²¹
6	การปรึกษาหารือกับผู้เชี่ยวชาญ	อิตาลี ^{13,14} สหราชอาณาจักร ^{12,25} ญี่ปุ่น ¹⁷ ออสเตรีย ^{18,28} สมาชิกของสหภาพยุโรป ¹⁹ สวีเดน ²¹ เดนมาร์ก ²⁹

ลำดับที่	ประเภทของแหล่งข้อมูล*	ประเทศ
7	ผู้ป่วยและผู้ดูแล	สหราชอาณาจักร ²⁴ เนเธอร์แลนด์ ²⁷
8	อื่น ๆ (เช่น แพลตฟอร์มโซเชียลมีเดีย หนังสือพิมพ์อิเล็กทรอนิกส์)	สิงคโปร์ ¹⁵ อิตาลี ¹⁴ ออสเตรเลีย ¹⁶ สหราชอาณาจักร ^{12,25} สวีเดน ²¹

*การศึกษาบางเรื่องจัดประเภทแหล่งข้อมูลออกเป็นปฐมภูมิ (เช่น ข้อมูลจากผู้ผลิต) ทติยภูมิ (เช่น บทความตีพิมพ์ แหล่งข้อมูลบนสื่ออินเทอร์เน็ต) และตติยภูมิ (เช่น เว็บไซต์ ทะเบียนการทดลอง)^{12,19,21}

**ตัวอย่าง: Food and Drug Administration (FDA) Medical Devices Agency MDA, European Medicines Agency (EMA); National Health Services (NHS) Institute for Clinical and Economic Review (ICER), Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH) Therapeutic Goods Administration (TGA)

ขั้นตอนที่ 2 การจัดลำดับความสำคัญ (Prioritization)

หลังจากค้นพบเทคโนโลยีแล้ว จะต้องจัดลำดับความสำคัญเทคโนโลยีต่าง ๆ เพื่อกำหนดว่าเทคโนโลยีใดจำเป็นต้องได้รับการประเมินเพิ่มเติม การจัดลำดับความสำคัญเป็นกระบวนการจัดลำดับขั้นเทคโนโลยีใหม่และเทคโนโลยีอุบัติใหม่อย่างเป็นระบบเพื่อใช้ทรัพยากรที่มีจำกัดให้เกิดประโยชน์ โดยพิจารณาจากผลกระทบที่อาจเกิดขึ้นต่อผู้ป่วย บริการสุขภาพ และค่าใช้จ่าย^{17,19} จากการผลการทบทวนวรรณกรรมชี้ให้เห็นว่าการจัดลำดับความสำคัญจำเป็นต้องมีการหารือกับผู้มีส่วนได้ส่วนเสียเพื่อให้มั่นใจว่าผลที่ได้สอดคล้องกับประเด็นสำคัญด้านสุขภาพในประเทศและผลการจัดลำดับความสำคัญสามารถนำไปใช้ได้จริง^{15,17,18,22} เกณฑ์การจัดลำดับความสำคัญมักประกอบด้วยเกณฑ์ทางคลินิก ระบาดวิทยา เศรษฐกิจ องค์กร สังคม จริยธรรม ระดับของหลักฐาน และความเสี่ยงจากการใช้งานที่ไม่เหมาะสม ดังตารางที่ 6 สรุปเกณฑ์การจัดลำดับความสำคัญที่ประเทศต่าง ๆ เลือกใช้ตามที่ได้พบจากการทบทวนวรรณกรรม นอกจากนี้ ยังพบว่า เกณฑ์การจัดลำดับความสำคัญมีความสอดคล้องกับขอบเขตประเด็นที่สนใจและประเด็นสำคัญด้านสุขภาพของแต่ละประเทศอีกด้วย

ตารางที่ 10 เกณฑ์การจัดลำดับความสำคัญที่กล่าวถึงในบทความตีพิมพ์

เกณฑ์การจัดลำดับความสำคัญ	ประเทศ
<p>มุมมองด้านผู้ป่วย</p> <ul style="list-style-type: none"> จำนวนผู้ป่วยที่มีสิทธิได้รับยาภายใต้การพิจารณา ใช้ได้กับประชากรส่วนน้อยแต่มีประโยชน์ชัดเจนในวงกว้าง การใช้การบำบัดรูปแบบใหม่ตามความมุ่งหมาย ประโยชน์ทางคลินิกที่คาดว่าจะได้รับ ปัญหาด้านจริยธรรม ความเสี่ยง ค่าใช้จ่าย 	<p>ออสเตรีย¹⁸ รัฐสมาชิกของสหภาพยุโรป¹⁹ อิตาลี¹³ สวีเดน²¹ นอร์เวย์²⁰ สหราชอาณาจักร²⁴ ออสเตรเลีย¹⁶</p>
<p>มุมมองด้านโรค</p> <ul style="list-style-type: none"> ดัชนีชี้วัดภาระโรค 	<p>สวีเดน²¹</p>

เกณฑ์การจัดลำดับความสำคัญ	ประเทศ
มุมมองด้านระบบสาธารณสุข • ระดับการใช้ทรัพยากร	ออสเตรีย ¹⁸ รัฐสมาชิกของสหภาพยุโรป ¹⁹ สวีเดน ²¹ นอร์เวย์ ²⁰ สหราชอาณาจักร ²⁴
มุมมองด้านเทคโนโลยี • ความแปลกใหม่ • ระดับความสนใจจากสื่อ • การคาดการณ์กรณีมีการยอมรับการใช้เทคโนโลยีน้อยกว่าที่ควร	สวีเดน ²¹ นอร์เวย์ ²⁰ สหราชอาณาจักร ²⁴

อย่างไรก็ตาม บางประเทศได้กำหนดเกณฑ์เบื้องต้นไว้เพื่อคัดเลือกเทคโนโลยีที่ค้นพบ โดยขั้นตอนนี้จะดำเนินการก่อนการจัดลำดับความสำคัญ เรียกว่า “การคัดกรอง (filtration)” ตัวอย่างเช่น ในประเทศออสเตรีย เกณฑ์การคัดเลือกเบื้องต้นจะขึ้นอยู่กับว่ายานั้นเป็นยาใหม่ (อยู่ในระยะของการเริ่มนำมาใช้ ระยะวางตลาดเริ่มต้นหรือหลังการวางตลาด) หรือยาอูบัติใหม่ (อยู่ในระยะ II หรือระยะ III ของการทดสอบทางคลินิก) หรือข้อบ่งชี้เฉพาะอื่น ๆ¹⁸ ในประเทศอิตาลี การคัดกรองขึ้นอยู่กับประเภทของเทคโนโลยี (เช่น เกี่ยวกับเภสัชภัณฑ์หรือไม่เกี่ยวกับเภสัชภัณฑ์) ความครบถ้วนสมบูรณ์ของข้อมูลที่ให้ไว้ (เช่น ข้อมูลรายงานเกี่ยวกับการนำเทคโนโลยีไปใช้และวิธีการใช้งาน, ปีที่ทำเครื่องหมาย CE, การมีข้อมูลอยู่ในฐานข้อมูล EuroScan และการแพร่กระจายในประเทศอิตาลี¹³)

จากประสบการณ์เกี่ยวกับกระบวนการพัฒนาปัญญาหลักแห่งชาติ และกระบวนการพัฒนาชุดสิทธิประโยชน์ภายใต้ระบบหลักประกันสุขภาพถ้วนหน้าในประเทศไทย ขั้นตอนการคัดกรองเบื้องต้น (filtration) จะรวมเข้ากับขั้นตอนการระบุประเด็นหรือหัวข้อ (Identification) ที่ดำเนินการหลังจากนั้น

ขั้นตอนที่ 3 การประเมิน (Assessment)

เมื่อจัดลำดับความสำคัญแล้วจะมีการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพใหม่หรืออูบัติใหม่ที่เลือกเพื่อคาดการณ์ผลกระทบที่อาจเกิดขึ้น การประเมินสามารถทำได้โดยใช้แบบจำลองการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพในระยะพัฒนานวัตกรรม (early HTA) หรือการอภิปรายแบบกลุ่มกับผู้มีส่วนได้ส่วนเสียที่เกี่ยวข้อง^{18,20,22} การศึกษาที่เน้นย้ำถึงความจำเป็นที่ผู้ป่วยและผู้ดูแลต้องมีส่วนร่วมในกระบวนการประเมินในฐานะผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย บุคคลเหล่านี้อาจได้รับเชิญให้เข้าร่วมแสดงความคิดเห็นเกี่ยวกับผลกระทบที่อาจเกิดขึ้น โดยเฉพาะในส่วนของคุณภาพชีวิตจากการนำเทคโนโลยีที่พบจากการทำ horizon scanning มาใช้²⁴

ขั้นตอนที่ 4: การเผยแพร่ข้อมูล (Dissemination)

การเผยแพร่ข้อมูลเป็นกระบวนการนำส่งผลลัพธ์ที่ได้จากระบบ horizon scanning ไปยังผู้รับสารภายในเวลาที่เหมาะสมโดยใช้รายงานเผยแพร่ข้อมูล

รายงานเผยแพร่ข้อมูลจะสรุปว่าเหตุใดเทคโนโลยีใหม่จึงมีความสำคัญ รายงานเหล่านี้จะให้ข้อมูลที่ถูกต้องและทันท่วงทีแก่ผู้มีส่วนได้ส่วนเสียเพื่อใช้ในกระบวนการตัดสินใจ ข้อมูลขั้นสูงช่วยให้สามารถตัดสินใจและวางแผนได้เร็วขึ้นและมีประสิทธิผลมากขึ้น จึงส่งผลให้มีการนำเทคโนโลยีเพื่อการรักษามาใช้กับผู้ป่วยที่ต้องการได้รวดเร็วยิ่งขึ้น

รายงานเผยแพร่ข้อมูลประกอบด้วยข้อมูลเกี่ยวกับ ก) ประชากรกลุ่มเป้าหมาย ข) รายละเอียดขั้นตอนและเทคโนโลยี ค) ความสำคัญทางคลินิกและข้อมูลทางระบาดวิทยาของโรค ง) ระยะของการพัฒนา

เทคโนโลยีในปัจจุบัน จ) ประโยชน์ที่เป็นไปได้ของเทคโนโลยี ซึ่งเหนือกว่าตัวเลือกที่มีอยู่ในปัจจุบัน และ ฉ) ความปลอดภัย ประสิทธิภาพ ผลกระทบด้านงบประมาณ และผลกระทบทางสังคม จริยธรรม และองค์กร^{13-15,26}

กลุ่มเป้าหมายผู้ใช้ประโยชน์จากรายงานเหล่านี้ ได้แก่ หน่วยงานของรัฐ สมาคมการแพทย์ และประชาชน ช่องทางการเผยแพร่ข้อมูลยังขึ้นอยู่กับประเภทของรายงาน horizon scanning โดยปกติแล้ว รายงานประเมินจะเผยแพร่ในรูปแบบของจดหมายข่าว อีเมล หรือบนหน้าแรกของเว็บไซต์ มีการใช้ฐานข้อมูล อาทิ EuroScan เป็นแหล่งเผยแพร่รายงาน horizon scanning โดยเฉพาะสำหรับผู้รับสารในต่างประเทศ รายงานประเภทต่าง ๆ มีดังนี้

ประเภทของรายงาน horizon scanning

รายงาน horizon scanning จะเผยแพร่โดยแบ่งออกเป็น 4 ประเภท ได้แก่ รายงานภายใน รายงานแจ้งเตือนและสรุปข้อมูล รายงานข้อเสนอแนะ และจดหมายข่าว (ตารางที่ 7) โดยขึ้นอยู่กับผู้รับสารของรายงานดังกล่าว ทั้งนี้ มีการใช้สื่อต่าง ๆ อาทิ อีเมล หน้าแรกของเว็บไซต์ และโซเชียลมีเดีย เพื่อประกาศเกี่ยวกับการปรับปรุงข้อมูลของรายงานให้เป็นปัจจุบัน

ตารางที่ 7 ประเภทของรายงาน horizon scanning

ประเภทของรายงาน	วัตถุประสงค์	ผู้รับสาร	ความถี่	ประเทศ
1. รายงานภายใน	เพื่อแจ้งเกี่ยวกับการเปลี่ยนแปลงที่จำเป็นก่อนที่จะจัดทำข้อเสนอแนะฉบับสมบูรณ์	ผู้มีส่วนได้ส่วนเสียภายในหรือเจ้าหน้าที่ด้าน HTA	รายไตรมาส	อิตาลี ¹⁴
2. รายงานแจ้งเตือนและข้อมูลสรุป	อัปเดตข้อมูลเทคโนโลยีใหม่ให้กับกลุ่มผู้สนใจ	โรงพยาบาล เกสซกร ผู้จ่ายค่าบริการ ผู้ให้บริการ และตัวแทนผู้ป่วย	รายไตรมาส	อิตาลี ¹⁴
3. รายงาน horizon scanning	เอกสารข้อเสนอแนะจาก horizon scanning อย่างเป็นทางการที่จะเผยแพร่ในวงกว้าง	ผู้มีส่วนได้ส่วนเสียทั้งหมด	รายปี	ญี่ปุ่น ¹⁷ สหราชอาณาจักร 25
4. จดหมายข่าว	ข้อมูลสรุปสั้น ๆ เกี่ยวกับเทคโนโลยี ข้อเสนอแนะการใช้เทคโนโลยีจากบริษัทผู้ผลิต ประชากรกลุ่มเป้าหมาย ค่าใช้จ่ายที่คาดหวัง ฯลฯ	สมาชิกของเครือข่ายความร่วมมือ	รายไตรมาส	สมาชิกของสหภาพยุโรป ¹⁹ สวีเดน ²¹

รายละเอียดในตารางที่ 7 สามารถอธิบายได้ ดังนี้

1. รายงานภายใน

รายงานประเภทนี้ใช้สำหรับแจ้งเวียนข้อมูลเกี่ยวกับหัวข้อที่ยกขึ้นมาโดยผู้ยื่นคำขอ มีการจัดทำรายงานภายใน 2 ประเภทโดยขึ้นอยู่กับความเร่งด่วนในการแจ้งข้อมูล ประเภทที่ 1 รายงานภายในแบบกระชับ และ ประเภทที่ 2 รายงานภายในแบบครอบคลุม รายงานภายในจะตีพิมพ์เฉพาะเพื่อส่งเวียนให้ผู้กำหนดนโยบาย เจ้าหน้าที่ด้าน HTA หรือผู้มีส่วนได้ส่วนเสียภายใน และอาจมีการตรวจสอบโดยผู้เชี่ยวชาญบ้างเพียงบางครั้ง รายงานนี้จะนำมาใช้เพื่อแจ้งให้ระบบทราบถึงการเปลี่ยนแปลงที่จำเป็นก่อนที่จะนำเทคโนโลยีเข้ามาใช้ ข้อมูลที่ระบุไว้จะเป็นประเภทของโรค ข้อมูลทางระบาดวิทยา รายละเอียดยา ค่าใช้จ่ายโดยประมาณ หลักฐานเกี่ยวกับประสิทธิศึกย์และความปลอดภัย และข้อบ่งชี้ รวมถึงข้อบ่งชี้ทางคลินิกเพื่อการรักษา

2. รายงานแจ้งเตือนและข้อมูลสรุป

โดยปกติแล้ว การแจ้งเตือนบนช่องทางดิจิทัลมีวัตถุประสงค์เพื่อเผยแพร่ข้อมูลสรุปเกี่ยวกับเทคโนโลยีใหม่และเทคโนโลยีอุบัติใหม่ให้กับผู้รับสารในวงกว้างขึ้นโดยการอัปเดตขึ้นบนเว็บไซต์ขององค์กรหรือส่งการแจ้งเตือนไปยังกลุ่มผู้เกี่ยวข้องและผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย (อันรวมไปถึงโรงพยาบาล สมาชิกคณะกรรมการเภสัชกรรมและการบำบัด ผู้จ่ายค่าบริการ และตัวแทนผู้ให้บริการ) ตัวอย่างเช่น เครือข่าย CONITEC³⁰ (1) EuroScan^{13,18} (2, 3) Agenas¹³ (3) จะเผยแพร่ข้อมูลให้แก่บุคคลทั่วไปบนเว็บไซต์ของตน

3. รายงานข้อเสนอแนะ (หรือที่เรียกว่ารายงาน horizon scanning)

เป็นเอกสารทางการที่จัดทำขึ้นโดยกระทรวงสาธารณสุข ประกอบด้วยหลักฐานทางวิทยาศาสตร์ การประเมินความคุ้มค่า และการประเมินผลกระทบด้านภาระงบประมาณของเทคโนโลยีด้านสุขภาพที่มีการยื่นเพื่อให้อำนาจและพิจารณาบรรจุในชุดสิทธิประโยชน์ ดังตารางที่ 8 รายงานนี้จะได้รับการเผยแพร่ให้กับบุคคลทั่วไปและสามารถดาวน์โหลดได้จากหัวข้อรายงานข้อเสนอแนะผ่านทางเว็บไซต์ horizon scanning 13,22,30 (1, 3, 4)

4. จดหมายข่าว

จดหมายข่าวจะส่งออกเป็นรายไตรมาสให้กับสมาชิกในกลุ่มความร่วมมือระดับชาติอย่าง EuroScan เพื่อจัดการการนำยาใหม่เข้ามาในระบบและการติดตามผล²¹ จดหมายข่าวมักประกอบด้วยข้อมูลของเทคโนโลยีต่าง ๆ อาทิ ชื่อ บริษัท/ผู้พัฒนา รายละเอียดเทคโนโลยี ข้อบ่งชี้สำหรับผู้ป่วย ระยะของการพัฒนา ประเภทเทคโนโลยี การใช้เทคโนโลยี จำนวนผู้ป่วย ต้นทุน เทคโนโลยีที่มีอยู่ และเหตุผลในการรวมไว้ฐานข้อมูล EuroScan¹⁹

ตารางที่ 8 ข้อมูลที่ระบุไว้ในรายงานระบบ horizon scanning

ประเภทของข้อมูล	รายละเอียด
ข้อมูลทั่วไปและข้อบ่งชี้	ชื่อบริษัท/ผู้พัฒนา สถานะการออกใบอนุญาต EMA/FDA
ข้อมูลทางระบาดวิทยา	ภาระโรค ความชุกของโรค
ข้อมูลทางคลินิก	โรค ผู้ป่วย ข้อบ่งชี้ในการรักษา หลักฐานประสิทธิภาพ ความปลอดภัย ความสำคัญทางคลินิก/ประโยชน์ที่ผู้ป่วยอาจได้รับ
เทคโนโลยี	รายละเอียดเทคโนโลยี ระยะของการพัฒนา ประเภทเทคโนโลยี ชื่อ/ชื่อสามัญ ข้อบ่งชี้ปริมาณยา ตัวเลือกการรักษาปัจจุบัน (และตัวเปรียบเทียบ) ตำแหน่งที่เสนอในแผนการจัดการดูแล เหตุผลในการเพิ่มไว้ในฐานข้อมูลระบบ horizon scanning

ประเภทของข้อมูล	รายละเอียด
ต้นทุน	ค่าใช้จ่ายในการรักษาโดยประมาณ การประเมินความคุ้มค่า การประเมินผลกระทบทางงบประมาณ
อื่น ๆ	ผลกระทบทางจริยธรรม สังคม กฎหมาย การเมือง และวัฒนธรรม การพิจารณา ผลกระทบเชิงองค์กร การคาดการณ์ผลกระทบต่อการดูแลผู้ป่วยและบริการสุขภาพ
การพิจารณาขั้นสุดท้าย	ความเกี่ยวข้องทางคลินิกและเศรษฐศาสตร์ รายการยาตามลำดับความสำคัญ (อาทิ เสร็จสมบูรณ์ กำลังดำเนินการ ประเมินตามแผน) แผนการติดตามหลังการออกจำหน่าย การอ้างอิง

ขั้นตอนที่ 5 การประเมินผล (Evaluation)

ขั้นตอนนี้มีจุดมุ่งหมายเพื่อตรวจสอบประสิทธิภาพของกระบวนการ horizon scanning การประเมินตัวบ่งชี้ประสิทธิภาพหลัก อาทิ เวลาที่ใช้ในการดำเนินการ อุปสรรคที่อาจเกิดขึ้นต่อการดำเนินการ และภาระงานที่จะเกิดขึ้นในขั้นนี้ การประเมินควรถือเป็นการดำเนินการอย่างค่อยเป็นค่อยไป ซึ่งนำมิติต่าง ๆ ที่ตัดแปลงมาจากชุดเครื่องมือของ EuroScan มาพิจารณา อันรวมไปถึงโครงสร้าง กระบวนการ และผลกระทบของ horizon scanning ในการเข้าถึงเทคโนโลยีดังกล่าว การประเมินนั้นอาจอยู่ในรูปของการตรวจสอบภายใน การอภิปรายแบบกลุ่มกับผู้มีส่วนได้ส่วนเสียหลัก การวัดประเมินรายงานโดยตรงและการขอใช้ระบบ horizon scanning และการวิเคราะห์ผ่านแหล่งข้อมูลภายนอก

3.4 อุปสรรคและปัจจัยส่งเสริมของกระบวนการ horizon scanning

ปัจจัยสำคัญที่สนับสนุนและส่งเสริมการทำ horizon scanning (ปัจจัยส่งเสริม) พร้อมกับปัจจัยสำคัญที่ขัดขวางการใช้งานและการนำระบบ horizon scanning ไปปฏิบัติ (อุปสรรค)

ตารางที่ 9 ปัจจัยส่งเสริมและอุปสรรคของระบบ horizon scanning

ปัจจัยส่งเสริมกระบวนการ horizon scanning	อุปสรรคต่อกระบวนการ horizon scanning
<ul style="list-style-type: none"> ● ความร่วมมือระหว่างประเทศและเครือข่ายในระดับหน่วยงานกำกับดูแล เพื่อประหยัดเวลา หลีกเลี่ยงความซ้ำซ้อน และเรียนรู้เกี่ยวกับระบบ horizon scanning ตามแนวปฏิบัติที่ดีที่สุด¹⁴ 	<ul style="list-style-type: none"> ● ขาดแคลนความร่วมมือทั้งในและต่างประเทศและการมีส่วนร่วมจากผู้เชี่ยวชาญภายนอกและผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย^{13,14,19} ● อุปสรรคที่เกี่ยวข้องกับโลจิสติกส์ สิ่งไม่จูงใจทางการเงิน ข้อจำกัดในการบริหาร และความคาดหวังของผู้ป่วย^{24,26} ● การขาดแคลนข้อมูลเกี่ยวกับเทคโนโลยีสาธารณสุขอุบัติใหม่^{16,24} ● ความแตกต่างระหว่างคำจำกัดความทางคลินิกของคำว่าใหม่และอุบัติใหม่กับคำจำกัดความของคำว่าใหม่และอุบัติใหม่จากมุมมองของการสนับสนุนเงินทุน¹⁶

3.5 ข้อค้นพบจากการสัมภาษณ์ผู้เชี่ยวชาญระดับนานาชาติ

ข้อค้นพบที่ได้การสัมภาษณ์ผู้เชี่ยวชาญระดับนานาชาติจะสอดคล้องกับผลลัพธ์จากการทบทวนวรรณกรรม แม้ว่าลำดับขั้นตอนในกระบวนการ horizon scanning นั้นอาจแตกต่างกันไปในแต่ละประเทศ แต่ขั้นตอนพื้นฐานของการค้นหา การประเมิน และการเผยแพร่ยังคงสอดคล้องกัน ข้อมูลที่แลกเปลี่ยนกันระหว่างการหารือได้อิงตามแนวปฏิบัติในการทำ horizon scanning ที่มีการเผยแพร่แก่บุคคลทั่วไปในประเทศเหล่านี้เป็นหลัก สำหรับสิ่งสำคัญประการสุดท้าย ผู้เชี่ยวชาญจากทุกประเทศได้เน้นย้ำถึงความสำคัญของการร่วมมือระหว่างประเทศอย่างสม่ำเสมอเพื่อจัดทำกระบวนการ horizon scanning ให้สำเร็จลุล่วง มีการพิจารณาถึงข้อคิดเห็นและข้อเสนอแนะของผู้เชี่ยวชาญเกี่ยวกับขอบเขตของการกำหนดใช้กระบวนการ horizon scanning ตามประสบการณ์ที่มีไปพร้อม ๆ กับการจัดทำข้อเสนอแนะที่เกี่ยวข้องให้แก่ผู้กำหนดนโยบาย เกี่ยวกับการจัดตั้งกรอบการดำเนินงาน horizon scanning ที่เหมาะสมและจำเพาะกับประเทศไทย

3.6 สรุป

กระบวนการ horizon scanning ถูกนำมาใช้ในระดับสากล โดยเฉพาะในประเทศที่มีรายได้สูง เพื่อให้สอดคล้องกับนวัตกรรมใหม่ ๆ ค้นหาเทคโนโลยีใหม่ รวมถึงเทคโนโลยีอุบัติใหม่ที่จะนำไปใช้งานจริง เพื่อประเมินถึงความเป็นไปได้และผลกระทบที่อาจเกิดขึ้นและเป็นข้อมูลประกอบการตัดสินใจเชิงนโยบาย ในปัจจุบันประเทศไทยยังไม่มีระบบที่ชัดเจน ซึ่งจะมาช่วยค้นหาเทคโนโลยีใหม่และเทคโนโลยีอุบัติใหม่ที่มีราคาสูงตั้งแต่เนิ่น ๆ ข้อค้นพบจากการศึกษานี้มีวัตถุประสงค์เพื่อช่วยเหลือและเป็นแนวทางในการพัฒนากระบวนการ horizon scanning ในประเทศไทยต่อไป

เอกสารอ้างอิง

1. Rubens M, Ramamoorthy V, Saxena A, Shehadeh N. Public Health in the Twenty-First Century: The Role of Advanced Technologies. *Frontiers in Public Health* [Internet]. 2014 [cited 2023 Feb 6];2. Available from: <https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fpubh.2014.00224>
2. HtaGlossary.net | HomePage [Internet]. HtaGlossary.net. [cited 2023 Feb 6]. Available from: <http://htaglossary.net/HomePage>
3. Gutiérrez-Ibarluzea I, Simpson S, Hiller J, Kearney B, Norderhaug I, AF F, et al. A toolkit for the identification and assessment of new and emerging health technologies [Internet]. Unpublished; 2009 [cited 2023 Feb 6]. Available from: <http://rgdoi.net/10.13140/RG.2.1.2797.0408>
4. Medicine I of M (US) C on TI in, Gelijns AC, Halm EA. The Diffusion of New Technology: Costs and Benefits to Health Care [Internet]. *The Changing Economics of Medical Technology*. National Academies Press (US); 1991 [cited 2023 Feb 17]. Available from: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK234309/>
5. Partners OC. High Cost of R&D Innovation in Healthcare [Internet]. Objective. 2019 [cited 2023 Feb 17]. Available from: <https://objectivecp.com/high-cost-of-rd-innovation-in-healthcare/>

6. Vogler S. Fair prices for medicines? Exploring competent authorities' and public payers' preferences on pharmaceutical policies. *Empirica*. 2019 Aug 1;46(3):443–69.
7. Council conclusions on strengthening the balance in the pharmaceutical systems in the EU and its Member States [Internet]. [cited 2022 Nov 16]. Available from: <https://www.consilium.europa.eu/en/press/press-releases/2016/06/17/epsco-conclusions-balance-pharmaceutical-system/>
8. Vogler S, Paris V, Panteli D. Ensuring access to medicines: How to redesign pricing, reimbursement and procurement? :37.
9. Topic Identification, Selection and Prioritisation - EUnetHTA [Internet]. 2018 [cited 2022 Dec 5]. Available from: <https://www.eunetha.eu/ja3services/horizon-scanning/>
10. Sharma M, Teerawattananon Y, Dabak SV, Isaranuwatthai W, Pearce F, Pilasant S, et al. A landscape analysis of health technology assessment capacity in the Association of South-East Asian Nations region. *Health Research Policy and Systems*. 2021 Feb 11;19(1):19.
11. Gutierrez-Ibarluzea I, Simpson S, Benguria-Arrate G, Network the M of EI. EARLY AWARENESS AND ALERT SYSTEMS: AN OVERVIEW OF EUROSCAN METHODS. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2012 Jul;28(3):301–7.
12. Smith J, Cook A, Packer C. Evaluation criteria to assess the value of identification sources for horizon scanning. *Int J Technol Assess Health Care*. 2010 Jul;26(3):348–53.
13. Migliore A, Perrini MR, Jefferson T, Cerbo M. IMPLEMENTING A NATIONAL EARLY AWARENESS AND ALERT SYSTEM FOR NEW AND EMERGING HEALTH TECHNOLOGIES IN ITALY: THE COTE PROJECT. *Int J Technol Assess Health Care*. 2012 Jul;28(3):321–6.
14. Marangi M, Ivanovic J, Pistritto G. The Horizon Scanning System at The Italian Medicines Agency. *Drug Discovery Today*. 2019 Jun;24(6):1268–80.
15. Wong WQ, Lin L, Ju H, Ng K. Towards greater impact in health technology assessment: horizon scanning for new and emerging technologies in Singapore. *Int J Technol Assess Health Care*. 2020 Aug;36(4):304–10.
16. O'Malley SP, Jordan E. Horizon scanning of new and emerging medical technology in Australia: Its relevance to Medical Services Advisory Committee health technology assessments and public funding. *Int J Technol Assess Health Care*. 2009 Jul;25(03):374–82.
17. Shimokawa M, Sato D, Wakao R, Arai H. PMDA's Vision for Horizon Scanning of Emerging Technologies Potentially Relevant to the Development of New Medical Products: The Regulatory Challenge. *Clin Pharmacol Ther*. 2021 Feb;109(2):295–8.
18. Nachtnebel A, Geiger-Gritsch S, Hintringer K, Wild C. Scanning the horizon—Development and implementation of an early awareness system for anticancer drugs in Austria. *Health Policy*. 2012 Jan;104(1):1–11.
19. Wild C, Simpson S, Douw K, Geiger-Gritsch S, Mathis S, Langer T. Information service on new and emerging health technologies: Identification and prioritization processes for a European Union-wide newsletter. *Int J Technol Assess Health Care*. 2009 Dec;25(S2):48–55.

20. A Kjelsnes A, Feiring E. Models of integrated care for older people with frailty: a horizon scanning review. *BMJ Open*. 2022 Apr;12(4):e060142.
21. Eriksson I, Wettermark B, Persson M, Edström M, Godman B, Lindhé A, et al. The Early Awareness and Alert System in Sweden: History and Current Status. *Front Pharmacol*. 2017 Oct 5;8:674.
22. Grössmann N, Wolf S, Rosian K, Wild C. Pre-reimbursement: early assessment for coverage decisions. *Wien Med Wochenschr*. 2019 Sep;169(11–12):254–62.
23. Mundy L, Merlin TL, Parrella A, Babidge WJ, Roberts DE, Hiller JE. The Australia and New Zealand Horizon Scanning Network. *Aust Health Review*. 2005;29(4):395.
24. Simpson S, Cook A, Miles K. PATIENT AND PUBLIC INVOLVEMENT IN EARLY AWARENESS AND ALERT ACTIVITIES: AN EXAMPLE FROM THE UNITED KINGDOM. *Int J Technol Assess Health Care*. 2018;34(1):10–7.
25. Chase D, Milne R, Stein K, Stevens A. WHAT ARE THE RELATIVE MERITS OF THE SOURCES USED TO IDENTIFY POTENTIAL RESEARCH PRIORITIES FOR THE NHS HTA PROGRAMME? *J of Inter Tech of Health Care*. 2000 Jul;16(03):743–50.
26. Mowatt G, Thomson MA, Grimshaw J, Grant A. Implementing Early Warning Messages on Emerging Health Technologies. *Int J Technol Assess Health Care*. 1998;14(4):663–70.
27. IJzerman MJ, Steuten LMG. Early Assessment of Medical Technologies to Inform Product Development and Market Access: A Review of Methods and Applications. *Applied Health Economics and Health Policy*. 2011 Sep;9(5):331–47.
28. Maddern G. The Australian Safety and Efficacy Register of New Interventional Procedures - Surgical (ASERNIP-S) assesses new surgeries. *Aust Health Review*. 2004;28(1):143.
29. Douw K, Vondeling H. Selecting new health technologies for evaluation: Can clinical experts predict which new anticancer drugs will impact Danish health care? *Social Science & Medicine*. 2007 Jan;64(2):283–6.
30. Gomes PTC, Mata VE, Borges TC, Galato D. Horizon scanning in Brazil: outputs and repercussions. *Rev saúde pública*. 2019 Nov 26;53:111.
31. Ward DJ, Hammond E, Linden-Phillips L, Stevens AJ. Trends in clinical development timeframes for antiviral drugs launched in the UK, 1981-2014: a retrospective observational study. *BMJ Open*. 2015 Nov 16;5(11):e009333–e009333.

8.6 หนังสือรับรองจริยธรรมการวิจัยในมนุษย์

หนังสือรับรองจริยธรรมการวิจัยในมนุษย์ จากคณะกรรมการจริยธรรมในมนุษย์ สถาบันพัฒนาการคุ้มครองการวิจัยในมนุษย์ (สคม.)

COA No. IHRP2023005

IHRP No. 136-2565



Ethics Committee

Institute for the Development of Human Research Protections (IHRP)

Building 8 Floor 7 Room 702 Department of Medical Science Ministry Public Health Nonthaburi Thailand 11000

Certificate of Approval

Title of Project: Development of policy options to support reimbursement decision on high-cost health interventions in Thailand's public healthcare system.
Principal Investigator: Wanrudee Isaranuwatchai, PhD
Responsible Organization: Health Intervention and Technology Assessment Program, Ministry of Public Health

Document Reviewed:

1. Research proposal: Version 2.0 Date 16.1.2566
2. Participant Information Sheet: Version 2.0 Date 16.1.2566
3. Informed Consent Form: Version 2.0 Date 16.1.2566
4. Interviews Guide: Version 2.0 Date 16.1.2566
5. Study Budget/Forecast Expenses for Study Conducting: Version 2.0 Date 16.1.2566
6. Curricular Vitae of Investigators

The Ethics Committee of Institute for the Development of Human Research Protections (IHRP) had reviewed the research proposal. Concerning on scientific, ICH-GCP and ethical issues, the committee has approved for the implementation of the research study mentioned above.

Signature: 

(Dr.Vichai Chokevivat)

Chairman

Signature: 

(Dr.Pramote Stienrut)

Committee and Secretary

Date of First Meeting: December 20, 2022

Date of Approval: January 18, 2023



ทำอย่างไรผู้ป่วยในประเทศไทย จะเข้าถึง 'ยาราคาแพง' ที่ยังไม่คุ้มค่า

Highlight

- เมื่อพูดถึง "ยาราคาแพง" หลายคนอาจนึกถึงยา ในบัญชียา จ(2) ซึ่งเป็นยาที่มีผลกระทบต่อระบบประมาณสูง จึงต้องแสดงให้เห็นว่ามีความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ ก่อนบรรจุในบัญชียาดังกล่าว
- ยาในบัญชียา จ(2) คือ ยาราคาแพงหรือยาที่มีผลกระทบต่อระบบประมาณสูง แต่ทุกวันนี้ผู้ป่วยในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ (บัตรทอง) สามารถรับยา ในบัญชียา จ(2) ได้ โดยไม่เสียค่าใช้จ่ายใดๆ
- ประเทศไทยยังไม่มีนโยบายที่ชัดเจนสำหรับยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ แม้ว่ายาบางตัวอาจเป็นทางเลือกเดียวในการรักษาผู้ป่วย จึงเป็นที่มาของการวิจัยนี้ เพื่อเสนอทางเลือกเชิงนโยบายสำหรับพิจารณาการจ่ายยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่าในระบบประกันสุขภาพของประเทศไทย

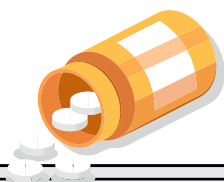
ทำอย่างไรเมื่อยาจำเป็นกลับมียาราคาแพง



1



ประเทศที่ใช้การประเมินความคุ้มค่า
ในกระบวนการพิจารณา
เบิกจ่ายยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่า
ได้แก่ อังกฤษ แคนาดา ออสเตรเลีย
เกาหลีใต้ และสิงคโปร์



2



คณะทำงานจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบาย
ในการนำยาราคาแพงหรือมีข้อจำกัด
การเข้าถึงบริการเข้าเป็นสิทธิประโยชน์
ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ
มีความเห็นว่า ยาราคาแพง
ที่ไม่มีความคุ้มค่า หากเป็นยาที่ช่วยชีวิต
และเป็นทางเลือกเดียวในการรักษาผู้ป่วย
มีความจำเป็นที่ผู้ป่วยจะเข้าถึงยาได้
โดยไม่ต้องเสียค่าใช้จ่ายเอง

3



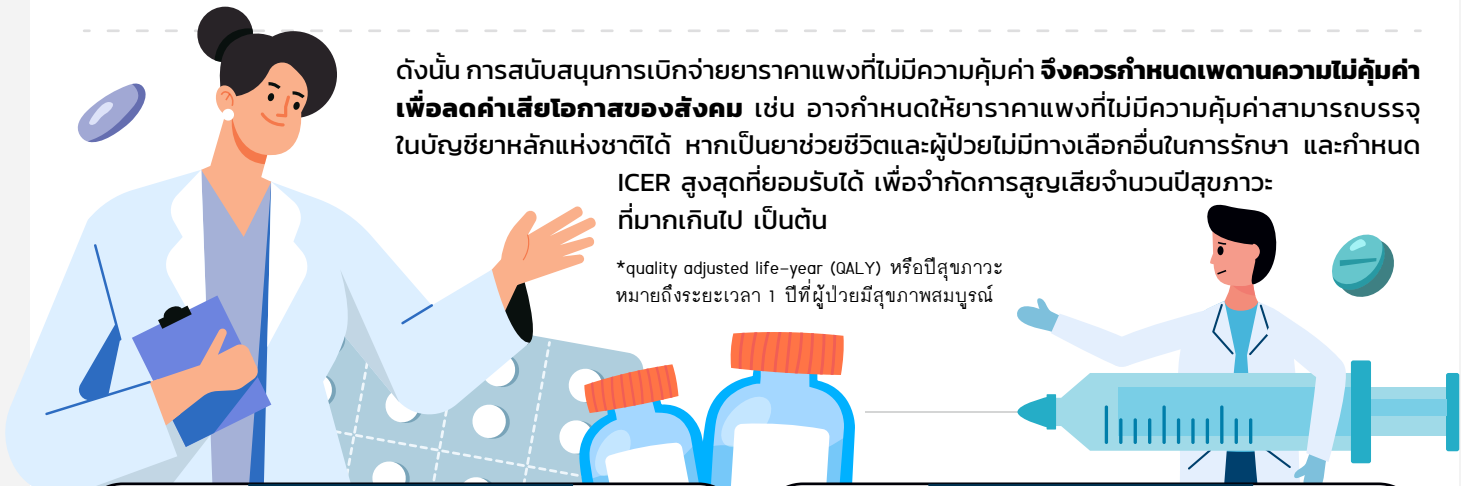
ที่ผ่านมา ผู้เชี่ยวชาญสาขาโรคมะเร็ง
ได้เสนอให้สำนักงานหลักประกันสุขภาพ
แห่งชาติ พิจารณาให้เบิกจ่ายยามะเร็ง
ที่มีราคาแพง 43 รายการ
แต่มียา 16 รายการที่ไม่เคยถูกเสนอ
เข้าบัญชียาหลักแห่งชาติ
เพราะเกรงจะไม่มีมีความคุ้มค่า

การกำหนดเพดานความไม่คุ้มค่ากรณีเบิกจ่ายยาราคาแพง

ประเทศไทยใช้ความคุ้มค่าเป็นหนึ่งในเกณฑ์การตัดสินใจคัดเลือกยาเข้าบัญชียาหลักแห่งชาติ โดยพิจารณาจากค่าอัตราส่วนต้นทุนประสิทธิผลส่วนเพิ่ม (incremental cost-effectiveness ratio หรือ ICER) และตั้งแต่ปี พ.ศ. 2556 ได้กำหนดเกณฑ์ความคุ้มค่าไว้ที่ 160,000 บาท/ปีสุขภาวะ* จากการทบทวนรายงานการศึกษาความคุ้มค่าของยามะเร็งที่มีราคาแพง พบว่ายาที่มีค่า ICER สูงกว่าเพดานความคุ้มค่าจะส่งผลให้สังคมสูญเสียปีสุขภาวะโดยรวม (opportunity cost สูง) ตัวอย่างกรณีศึกษา ดังนี้

การสูญเสียปีสุขภาวะ	ปีสุขภาวะที่ได้รับจากยาที่สนใจ	-	ปีสุขภาวะที่ควรได้รับที่เพดานความคุ้มค่าของประเทศไทย*
กรณีตัวอย่างจากยา Bortezomib	งบประมาณที่ใช้ (ต่อปี) ICER ของยาที่สนใจ		งบประมาณที่ใช้ (ต่อปี) 160,000
	119,200,000		119,200,000
	9,908,461		160,000
-733	12	-	745

*เพดานความคุ้มค่าของประเทศไทย เท่ากับ 160,000 บาทต่อปีสุขภาวะ



ดังนั้น การสนับสนุนการเบิกจ่ายยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่า จึงควรกำหนดเพดานความไม่คุ้มค่าเพื่อลดค่าเสียโอกาสของสังคม เช่น อาจกำหนดให้ยาราคาแพงที่ไม่มีความคุ้มค่าสามารถบรรจุในบัญชียาหลักแห่งชาติได้ หากเป็นยาช่วยชีวิตและผู้ป่วยไม่มีทางเลือกอื่นในการรักษา และกำหนด ICER สูงสุดที่ยอมรับได้ เพื่อจำกัดการสูญเสียจำนวนปีสุขภาวะที่มากเกินไป เป็นต้น

*quality adjusted life-year (QALY) หรือปีสุขภาวะ หมายถึงระยะเวลา 1 ปีที่ผู้ป่วยมีสุขภาพสมบูรณ์

ยา leuprorelin คุ้มค่า

เนื่องจากมี ICER 137,613 บาท/ปีสุขภาวะ ใช้งบประมาณ 351,000,000 บาท/ปี สังคมจะได้รับปีสุขภาวะ 2,551 ปีสุขภาวะ หากพิจารณาที่เพดานความคุ้มค่า 160,000 บาท/ปีสุขภาวะ ในงบประมาณเดียวกัน

สังคมควรได้รับ

2,194
ปีสุขภาวะ

ดังนั้นจะ
ได้รับ

357
ปีสุขภาวะ

ยา Bortezomib ไม่คุ้มค่า

เนื่องจากมี ICER 9,908,461 บาท/ปีสุขภาวะ ใช้งบประมาณ 119,200,000 บาท/ปี สังคมจะได้รับปีสุขภาวะ 12 ปีสุขภาวะ หากพิจารณาที่เพดานความคุ้มค่า 160,000 บาท/ปีสุขภาวะ ในงบประมาณเดียวกัน

สังคมควรได้รับ

745
ปีสุขภาวะ

ดังนั้นจะ
สูญเสีย

733
ปีสุขภาวะ



แนวทางการกำหนดเกณฑ์พิจารณาราคาแพง

จากการทบทวนวรรณกรรมร่วมกับการประชุมกับคณะทำงานจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบายฯ ประกอบด้วย ผู้แทนจาก สปสช., คณะอนุกรรมการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติ, สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา, หน่วยงานสนับสนุนทุนจากภาครัฐ และภาคเอกชน สรุปเป็นแนวทางการพิจารณาราคาแพงในประเทศไทย ดังนี้

ยาราคาแพงที่ไม่มีควมคุ้มค่า ควรให้พิจารณาประเด็นยาช่วยชีวิต, ทางเลือกอื่นในการรักษา, และความสามารถในการจ่าย เป็นลำดับถัดไป และควรใช้ระบบการพัฒนายาบัญชียาหลักแห่งชาติในการพิจารณาราคาแพงที่ไม่มีควมคุ้มค่า เพื่อให้กระบวนการและนโยบายมีประสิทธิภาพ และสอดคล้องกับยาอื่น ๆ ในชุดสิทธิประโยชน์




กำหนดบัญชีใหม่ เช่น ยาบัญชี จ(3) สำหรับยาราคาแพงที่ไม่มีควมคุ้มค่า โดยเฉพาะ

นำข้อตกลงเกี่ยวกับการใช้ยา (Managed Entry Agreement (MEAs) มาใช้เป็นส่วนหนึ่งในการพิจารณายาเข้าบัญชียาราคาแพงที่ไม่มีควมคุ้มค่า ก่อนการตัดสินใจ เพื่อช่วยในการบริหารจัดการงบประมาณ และการติดตามและประเมินการใช้ยา

กำหนดกรอบงบประมาณสำหรับสนับสนุนยากลุ่มนี้ไม่ให้สูงไปกว่ายาราคาแพงที่ควมคุ้มค่า หรือยาบัญชี จ(2)



ข้อเสนอแนะเชิงนโยบาย

<p>1</p> <p>ควรมีการบรรจุยาราคาแพงที่ไม่มีควมคุ้มค่า ในบัญชียาหลักแห่งชาติ โดยใช้ความรุนแรงของโรคและทางเลือกอื่นในการรักษาเป็นเกณฑ์สำคัญในการพิจารณา</p> 	<p>2</p> <p>สปสช. ควรจัดสรร "กองทุนยาราคาแพง (high-cost drug fund: HCDF) หรือ บัญชียา จ(3)" หรือชื่ออื่นด้วยกรอบวงเงินสนับสนุนที่ 500 ล้านบาทต่อปีในช่วงสามปีแรก โดยพิจารณาทำเป็นโครงการนำร่อง sandbox</p> 	<p>3</p> <p>มีการติดตามและประเมินผลอย่างใกล้ชิด</p> 
---	--	--

- คณะทำงานจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบาย ในการนำยาราคาแพงหรือมีข้อจำกัดการเข้าถึงบริการเข้าเป็นสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ ครั้งที่ 1/2565 (วันที่ 12 เม.ย.2565) มีมติ มอบที่มวิจัยโครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ (HITAP) ศึกษาการพัฒนาทางเลือกเชิงนโยบายเพื่อสนับสนุนการเบิกจ่ายยาราคาแพงในระบบสุขภาพของประเทศไทย มีวัตถุประสงค์ คือ เพื่อวิเคราะห์

สถานการณ์การเข้าถึงยาราคาแพงที่มีข้อจำกัดการเข้าถึงบริการและวัคซีน และแนวทางการดำเนินการเพื่อให้ผู้ป่วยเข้าถึงยาได้ตามความจำเป็น และจัดทำข้อเสนอเชิงนโยบายในการนำยาราคาแพงหรือมีข้อจำกัดการเข้าถึงบริการเพื่อนำเข้าเป็นสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ รวมทั้งกระบวนการที่เกี่ยวข้อง



สแกน QR code เพื่อติดตามงานวิจัย

เอกสารนี้เป็นส่วนหนึ่งของโครงการพัฒนาทางเลือกเชิงนโยบายเพื่อสนับสนุนการตัดสินใจเบิกจ่ายสำหรับมาตรการที่มีราคาแพงในระบบสุขภาพภาครัฐของประเทศไทย

โดย รศ. ดร.วรรณฤดี อิศรานุกุลชัย, ดร. นพ.ยศ ตีระวัฒนานนท์, น.ส. กุมารี พัทนี, ภญ.บุสดี โสบุญ, Dian Faradiba, Dimple Butani, Saudamini Vishwanath Dabak

งานวิจัยนี้ได้รับการสนับสนุนจาก **สถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข (สวรส.)**

ผู้เขียน



ภญ.บุสดี โสบุญ



กุมารี พัทนี



รศ. ดร.วรรณฤดี อิศรานุกุลชัย



ดร. นพ.ยศ ตีระวัฒนานนท์



หน่วยงานที่สนใจรับ Policy brief ฉบับพิมพ์
สมัครได้ที่ comm@hitap.net
โดยระบุชื่อ-ที่อยู่ เพื่อจัดส่ง



ท่านที่สนใจรับ Policy brief ฉบับ PDF
ดาวน์โหลด Policy brief
ฉบับอื่น ๆ ได้ที่ <https://www.hitap.net/resources/downloads>

HITAP เป็นองค์กรวิจัยภายใต้สังกัดกระทรวงสาธารณสุขที่ศึกษาผลกระทบทั้งบวกและลบจากการใช้เทคโนโลยีหรือนโยบายด้านสุขภาพ เพื่อสนับสนุนการตัดสินใจด้านนโยบายของภาครัฐ เช่น คณะอนุกรรมการพัฒนาบัญชียาหลักแห่งชาติ สำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ เป็นต้น รวมถึงทำการประเมินเพื่อพัฒนาองค์ความรู้ต่าง ๆ ในองค์กรภาครัฐ

ติดต่อ:

โครงการประเมินเทคโนโลยีและนโยบายด้านสุขภาพ (HITAP)
อาคาร 6 ชั้น 6 กรมอนามัย กระทรวงสาธารณสุข
อำเภอเมือง จังหวัดนนทบุรี 11000
โทรศัพท์: 0-2590-4549, 0-2590-4374-5
โทรสาร: 0-2590-4369
อีเมล: comm@hitap.net
เว็บไซต์: www.hitap.net



งานนี้ได้รับอนุญาตภายใต้
ครีเอทีฟคอมมอนส์ แสดงที่มา
ไม่ใช่เพื่อการค้า ไม่ดัดแปลง



Experience in using HTA for expanding UHC benefit package to cover rare diseases and high-cost drugs among seven middle and high-income countries: A targeted literature review.

Dian Faradiba
Kumaree Pachanee



Key messages

- Treatment for rare diseases is typically more expensive than medications for common diseases given high cost of research and development and small patient population from whom to recoup costs.
- The term "high-cost drugs" and "rare diseases" are closely associated and often used interchangeably. In general, however, while countries have a clear definition of rare diseases, the definition of what constitutes high-cost drugs is still debated.
- Among seven countries reviewed, most countries have similar definition of rare diseases, and only one country, England, explicitly define high-cost
- Australia, Republic of Korea, and England, have special pathway for reimbursing high-cost rare disease drugs with certain requirements that must be met and the requirements must be met. The pathway must be reviewed, its cost-effectiveness assessed, and approved by the decision-making authority.

Background

A rare disease is a chronic disease that can cause disability or can lead to premature mortality in patients. For drug companies, recouping research and development costs from a small patient population is harder compared to drugs developed for common conditions. As a result, treatments for rare diseases are typically more expensive than medications for common diseases.¹ The term "high-cost drugs" and "rare diseases" are closely associated and often used interchangeably. In general, however, while countries have a clear definition of rare diseases, the definition of what constitutes high-cost drugs is still debated.

Health Technology Assessment (HTA) is a multi-disciplinary tool to help inform decisions around the development of the health benefits package for the population of the country and is being increasingly adopted by many

countries seeking to achieve or sustain Universal Health Coverage (UHC). However, for rare diseases, the use of HTA to support decision-making for developing the benefits package poses challenges in terms of them not being cost-effective.² Therefore, treatment of rare diseases is rarely included in the benefits package of many countries.

This policy brief provides a summary of a recent review of the definition of rare diseases, high cost and how HTA has been used in the case of rare diseases in seven countries. The countries were purposively selected based on them having established HTA policies and availability of resources in the public domain. This review will give readers a better understanding of the current situation of rare diseases in the healthcare system, as well as the potential role of HTA in providing support, allowing them to adapt these processes to their own context.

Definition of rare disease and high-cost drugs.

Based on a targeted review of seven countries, namely Thailand, England, Malaysia, Australia, the Republic of Korea, Canada, and Singapore, it was found that all countries, except Malaysia, have explicitly defined rare diseases. Six countries reported a definition of rare diseases: Thailand, England, Australia, Republic of Korea, Canada and Singapore. In Thailand, a rare disease is defined as one with fewer than 10,000 cases per year, whereas ultra-rare disease is defined as a disease with fewer than 1,000 cases per year. The topic of rare diseases is important for health policy development in Thailand because Thailand aligns with and prioritizes the Sustainable Development Goals (SDGs) principle of 'Leaving no one behind,' and the goal of its UHC policy is to provide equitable access to essential health services for everyone, as well as to protect households from bankruptcy due to high health care costs.

The definition of high-cost was only discussed in the England where a drug is considered high cost if (i) the drug and its expected associated costs of care are disproportionately high compared to the other expected costs of care within the Health Resource Group (HRG), a standard grouping of clinically similar treatments which use comparable levels of healthcare resource (ICD-10 and OPCS), which would affect fair reimbursement, and (ii) there are, or expect to be, more than a £1.5 million spend or 600 cases in England per annum. All countries reviewed have a special pathway and /or consideration to reimburse drugs for rare diseases (Figure 1).



Figure 1.
Definition and special pathways of high-cost and rare disease

Definition and Special pathways of High-cost drugs and Rare Disease							
	Countries						
Definition	Thailand	UK	Malaysia	Australia	Korea	Canada	Singapore
High-cost drugs	✗	✓	✗	✗	✗	✗	✗
Rare disease	✓	✓	✗	✓	✓	✓	✓
Special pathways							
High-cost drugs*	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓
Rare disease drugs*	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓

*high-cost drugs and rare disease drugs are closely associated and often interchangeable

Special pathway for accessing rare diseases and/or high-cost drugs and its criteria.

Given the scarcity of literature describing rare disease pathways, we selected three countries as case studies (the Republic of Korea, Australia, and England) to elaborate on these processes in the section below.

Australia

Starting in 1995, the Australian government has provided a special pathway to increase access to rare disease drugs through the Life Saving Drug Program (LSDP) which applies the "Rule of Rescue" (ROR) principle. Australia has set up a "Rare Disease Benefit Review Policy Framework", adding to the existing general benefits review process. When any new drugs are being considered by the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC) and are found to be "clinically effective but not cost-effective", they will be considered further under the LSDP.³

To meet the ROR claim, a few factors must be considered: there is no alternative treatments exist in Australia, it is a life-threatening disease (a severe, progressive disease that can lead to premature death), it is a rare disease (affecting a very small number of people), and the proposed drugs provides a worthwhile clinical improvement sufficient to qualify as a rescue from the medical condition.⁴ See **Table 1** for specific criteria for inclusion in the LSDP.

Republic of Korea

In the Republic of Korea, the task of HTA is now being conducted by the National Evidence-based Healthcare Collaborating Agency (NECA) under the Medical Service Act.⁵ Since for newer therapeutics targeting rare diseases or diseases for cancers, there is difficulty in providing pharmacoeconomic evaluation (PE) evidence and usually lack alternatives treatment, pathways such as: a) listing as essential drugs b) Risk Sharing Agreement (RSA) and c) PE exemption and d) price negotiation waivers

Table 1. Decision-making criteria for LSDP (adapted from procedure guidelines).³

	Criterion	Notes
A1	The drug is a proven therapy for a rare but clinically definable disease	* ≤1 per 50,000 * High lifelong cost burden
A2	The disease is identifiable with reasonable diagnostic precision	
A3	Evidence of significant reduction in age-specific life expectancy due to the disease	* Data for disease progression without treatment * Life extension can be represented by disability reduction
A4	Evidence of significant life extension due to the drug	* Or significant disability reduction * Surrogate outcomes data is acceptable if there is no survival data
A5	The drug is clinically effective but rejected for PBS listing due to the lack of cost-effectiveness	
A6	No lifesaving alternatives on the PBS listing or available through public hospitals	
A7	No suitable and cost-effective non-drug therapy	Such as surgery or radiotherapy
A8	The cost of the drug is required per year is an unreasonable financial burden for the patient	
B1	The proposed confidential price of the drug compared with effective price in comparable overseas markets	
B2	The proposed cost of the drug compared with the cost of comparable drugs already funded through the LSDP	

Source: Policy Brief, The Life Saving Drug Program: Australia's pathway for high-cost drugs, available at <https://www.hitap.net/documents/185668>

that are different from their traditional route as shown in Table 2 have been adopted by the Republic of Korea's government. The process of pricing and reimbursement for any new drug is heavily influenced by the presence or absence of available alternatives. Alternatives are drugs that are currently being used for an equivalent therapeutic indication on the regulatory label.⁶

Table 2. Criteria for P&R pathways for drugs with no alternatives

Pathway	Criteria	Notes
When no alternatives		
Essential Drug	<ul style="list-style-type: none"> No alternatives Treat life threatening conditions Treat small patient groups Significant improvement in clinical efficacy or patient survival 	<i>Life threatening</i> - 2 years or less of life expectancy Unclear definition of small groups
Risk Sharing Agreement	<ul style="list-style-type: none"> No alternatives Anticancer agent or serious life-threatening diseases Should be approved via drug review committee on severity, social and ethical influences 	<i>Refund based</i> RSA most used (mandatory PE evidence) <i>Contract term</i> - 4 years can't be extended if alternatives exist. <i>No expansion</i> of indications for P&R
Pharmacoeconomic evaluation exemption	<ul style="list-style-type: none"> Rare disease and rare cancers Clinically effective proven by single arm RCT or phase -II trial. Drugs to be listed in at least three of A7 countries 	<i>Expenditure cap</i> RSA- with the pharmaceutical sector <i>Price</i> - based on lowest adjusted list price from A7 countries.
Price negotiation waiver	<ul style="list-style-type: none"> If pharmaceutical companies accept the weighted average price, it is allowed to pass the negotiation period of 60 days 	-

PE, Pharmacoeconomic evaluation; RCT, Randomized controlled; RSA, Risk-sharing agreement; trials. Source: Lee JH. Pricing and Reimbursement Pathways of New Orphan Drugs in South Korea: A Longitudinal Comparison. Healthcare (Basel). 2021 Mar 8;9(3):296. doi: 10.3390/healthcare9030296. PMID: 33800373; PMCID: PMC8000795.

England

The National Institute for Health and Care Excellence (NICE) in England has a special guidance to consider reimbursement for high-cost rare disease drugs known as Highly Specialized Technologies (HST). This evaluation is based on factors such as 1) the nature of the condition, 2) clinical efficacy, 3) value for money and 4) the technology's impact beyond immediate health benefits.⁷

Decisions are made based on the findings of an economic evaluation study for HSTs, which are benchmarked against an Incremental Cost-effectiveness Ratio (ICER)

of £100,000 per quality adjusted life years (QALYs) gained. The Evaluation Committee will apply a weight between 1 and 3, which corresponds to the incremental QALYs gained per patient over a lifetime horizon of 10 to 30. For example, if incremental QALYs gained (per patient, using lifetime horizon) is 10, then the weight applied is equal to 1. For QALYs gained in the range of 11 to 29 and greater than or equal to 30, weights applied are between 1-3 and 3, respectively.

See **Table 3** for summary of special pathways from three countries.

Table 3. Summary of the special pathway for rare diseases and/or high-cost drugs

	Countries		
	England	Australia	Republic of Korea
1. Definition			
1.1 Rare Disease	Number of cases less than 1 in 2,000	Number of cases less than 5 in 10,000	< 20,000 patients, or for which the prevalence is unknown owing to difficulties in diagnosing the disease
1.2 High-cost drug	There is, or is expected to be, more than a £1.5 million spend or 600 cases in England per annum	-	-
2. Pathways	Highly Specialized Technologies (HST)	Life-Saving Drug Program (LSDP)	1. Essential drug 2. Risk sharing agreement 3. Pharmacoeconomic evaluation exemption 4. Price negotiation waiver
2.1 Criteria	1) Nature of the condition, 2) clinical efficacy, 3) Value for money 4) Technology's impact beyond immediate health benefits.	Criteria for LSDP • A1 The drug is a proven therapy for a rare but clinically definable disease • A2 The disease is identifiable with reasonable diagnostic-precision • A3 Evidence of a significant reduction in age-specific life expectancy due to the disease • A4 Evidence of significant life extension due to the drug • A5 The drug is clinically effective but rejected for PBS listing • A6 No lifesaving alternatives on the PBS listing • A7 No suitable and cost-effective non-drug therapy • B1 The proposed confidential price of the drug compared with the effective price in comparable overseas markets • B2 The proposed cost of the drug compared with the cost of comparable drugs already funded through the LSDP	Criteria for Essential drug : • No alternatives • Treat life threatening conditions • Treat small patient groups • Significant improvement in clinical efficacy or patient survival Risk sharing agreement: • No alternatives • Anticancer agent or serious life-threatening diseases • Should be approved via drug review committee on severity, social and ethical influences Pharmacoeconomic evaluation exemption: • Rare disease and rare cancers • Clinically effective proven by single arm RCT or phase -II trial. • Drugs to be listed in at least three of A7 countries Price negotiation waiver : • If pharmaceutical companies accept the weighted average price, it is allowed to pass the negotiation period of 60 days
2.2 Agency	National Institute for Health and Care Excellence (NICE)	Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC)	National Evidence-based Healthcare Collaborating Agency (NECA)

Case study: Topic prioritization for high-cost drugs in England

The overall flow of topic prioritization for high-cost drugs can be seen in Figure 2.

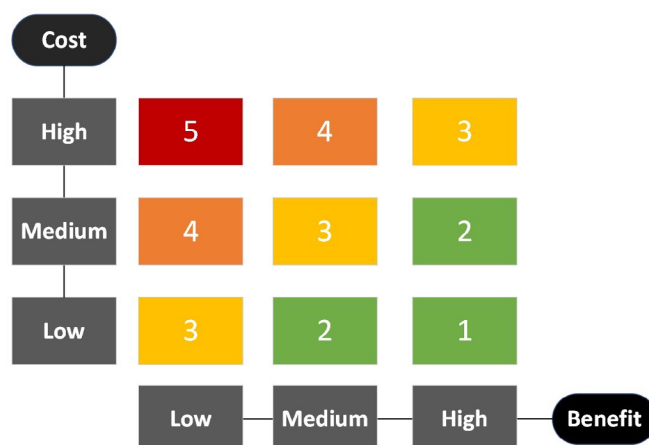
To determine which high-cost drugs to fund, the NHS consults with a committee known as the Clinical Priorities Advisory Group (CPAG). This committee oversees reviewing drugs and therapies including those used to treat expensive and/or rare diseases. Members of the CPAG represent a diverse range of expertise and include NHS stakeholders, patient, and public representatives, and clinical, commissioning, and finance experts. The CPAG is not a decision-making body, but it plays a significant role in developing recommendations.

CPAG creates a "Boston Matrix" to aid in determining which drugs should be prioritized when they are all more expensive but provide greater clinical benefit than current practice (i.e., drugs which falls in top-right quadrant of cost-effectiveness plane). This matrix divides the top-right quadrant of the cost-effectiveness plane into nine additional compartments, dividing the benefit (x axis) into three categories (low, medium, and high benefit) and the cost (y axis) into three categories (low, medium, and high cost). See figure 3 for Boston Matrix example by NHS.

CPAG will classify the clinical benefit and cost of drugs into three categories (low, medium, and high). There will be clinical and economic experts who will forecast and provide input, particularly on drugs costs over a 5-year period. CPAG will summarise the drugs into the Boston Matrix and forward the recommendation to NHS England once all information has been gathered. NHS England will then decide which drugs they could commit to funding. See figure 3b for 5-level of priority by NHS.

If some drugs are not considered to be funded in the next fiscal year, CPAG will review those treatments within six months, and these drugs can be considered up to three times. The final decision is made by NHS England, which must be approved by the NHS Board.

Figure 3. Example of Boston Matrix



Source: NHS website⁸

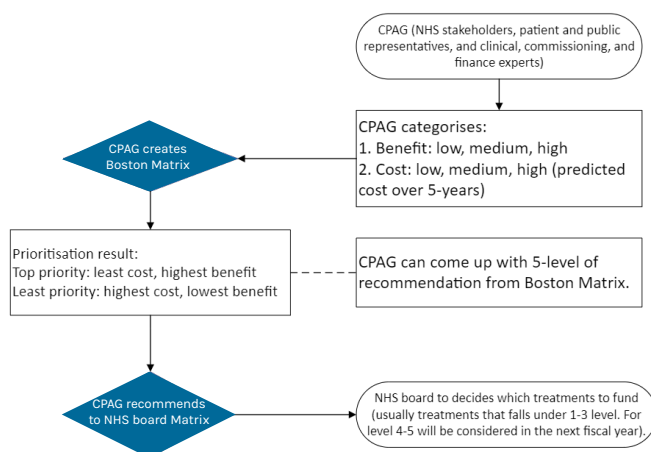
Figure 3b. 5-level of priority from Boston Matrix



Source: NHS website⁸

Note: CPAG forwards the recommendation to NHS. Due to resource constraints NHS cannot commit to all 5-level priority, therefore they will commit to fund drugs which fall in level 1-3. However, there is possibility to fund drugs in level 4-5. These drugs will be reconsidered (up to three times) in the next CPAG meeting in 6 months period.

Figure 2. England topic prioritization for rare disease and/or high-cost drugs



CPAG, Clinical Priorities Advisory Group; NHS, National Health Services
Source: Simplified and/or adapted flowchart prepared by authors based on information available in NHS website⁸

Acknowledgement

This paper is a part of research project titled "Development of policy options to support reimbursement decisions on high-cost health interventions in Thailand's public healthcare system". HITAP was commissioned by the National Health Security Office (NHSO) in Thailand to conduct this study with funding from the Health Systems Research Institute (HRSI). This policy brief was written in consultation with Prof. Alec Morton from University of Strathclyde UK, and Saudamini Dabak and Assoc. Prof. Wanrudee Isaranuwatchai from HITAP.



Attribution-Noncommercial
-No Derivative 4.0 International
(CC BY-NC-ND 4.0)

Contact: hiu@hitap.net

This policy brief can be downloaded from www.hitap.net

References

- Groft SC, Posada M, Taruscio D. Progress, challenges and global approaches to rare diseases. *Acta paediatrica* (Oslo, Norway : 1992). 2021;110(10):2711-6.
- Canada's Drug and Health Technology Agency (CADTH). *Drugs for Rare Diseases: A Review of National and International Health Technology Assessment Agencies and Public Payers' Decision-Making Processes*. CADTH; 2023.
- Department of Health and Aged Care of Australian Government. *Procedure guidance for drugs funded through the Life Saving Drugs Program (LSDP) 2018* [cited 2013 March, 1st]. Available from: <https://www.health.gov.au/resources/publications/procedure-guidance-for-drugs-funded-through-the-life-saving-drugs-program-lsdp?language=en>.
- Department of Health and Aged Care of Australian Government. *Basis for any claim for the 'rule of rescue' 2016* [cited 2023 March, 1st]. Available from: <https://pbac.pbs.gov.au/section-5/5-4-basis-for-any-claim-for-the-rule-of-rescue.html#:~:text=When%20all%20four%20factors%20apply,the%20criteria%20of%20the%20restriction.>
- Health Insurance Review & Assessment Service (HIRA). *Healthcare Benefit Management* [cited 2023 March, 1st]. Available from: <https://www.hira.or.kr/eng/about/05/02/06/index.html>.
- Lee JH. Pricing and Reimbursement Pathways of New Orphan Drugs in South Korea: A Longitudinal Comparison. *Healthcare* (Basel, Switzerland). 2021;9(3).
- National Institute for Health and Care Excellence (NICE). *Interim Process and Methods of the Highly Specialised Technologies Programme Updated to reflect 2017 changes*: NICE; 2022 [cited 2023 March, 1st]. Available from: <https://www.nice.org.uk/Media/Default/About/what-we-do/NICE-guidance/NICE-highly-specialised-technologies-guidance/HST-interim-methods-process-guide-may-17.pdf>.
- NHS England. *Clinical Priorities Advisory Group (CPAG)* [cited 2023 March, 1st]. Available from: <https://www.england.nhs.uk/commissioning/cpag/>.

About the author

- Dian Faradiba, Project Associate, Health Intervention and Technology Assessment Program (HITAP)
- Kumaree Pachanee, Researcher, HITAP



The Life Saving Drug Program: Australia's pathway to high-cost drugs

Evan Huang-Ku & Dr. Tracey Laba



Issue#21 October 2022



Australia's approach to expanding high-cost drug access

Australia developed the Life-Saving Drugs Program (LSDP) in 1995 to complement the Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS), expanding access to high-cost drugs for rare diseases (DRD). This program, funded and administered by the Department of Health and Aged Care, permitted sponsors (often pharmaceutical companies) to apply for listing when their clinically effective DRD is rejected for PBS listing on the grounds of cost-effectiveness.¹ At the time of writing (2022), sixteen medicines were subsidised via the LSDP.²

The Pharmaceutical Benefits Scheme contains a list of medicines the Australian government subsidises to reduce the out-of-pocket costs that beneficiaries pay to access medicines. The Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC), a government-appointed independent expert body, uses a set of criteria, including cost-effectiveness, to evaluate whether a medicine should be included in the PBS.³ Although cost-effectiveness analysis is a legislative requirement, the PBAC does not use a defined Incremental Cost-effectiveness Ratio (ICER) threshold. Nevertheless, past studies have shown that medicines with lower cost-effectiveness ratios have a higher chance of listing.⁴

The consideration of cost-effectiveness is crucial for budgetary control, but it poses a challenge when assessing DRDs. This is because DRDs have a weaker evidence base for their effectiveness and higher prices due to higher research costs and fewer competitors in smaller-sized markets.⁵

Table 1: Drugs reimbursed through LSDP in 2022 (adapted from the LSDP website)

Medicine(s)	Condition
Agalsidase alfa (Replagal®) Agalsidase beta (Fabrazyme®) Migalastat (Galafold®)	Fabry disease
Imiglucerase (Cerezyme®) Velaglucerase (VPRIV®) Taliglucerase (Elelyso®)	Gaucher disease (type 1)
Nitisinone (Orfadin® and Nityr™)	Hereditary tyrosinaemia type 1 (HT1)
Cerliponase alfa (Brineura®)	Late-infantile onset Batten disease (CLN2)

Medicine(s)	Condition
Laronidase (Aldurazyme®)	Mucopolysaccharidosis type I (MPS I)
Idursulfase (Elaprase®)	Mucopolysaccharidosis type II (MPS II)
Elosulfase alfa (Vimizim®)	Mucopolysaccharidosis type IVA (MPSIVA)
Galsulfase (Naglazyme®)	Mucopolysaccharidosis type VI (MPS VI)
Asfotase alfa (Strensiq®)	Perinatal- and infantile-onset hypophosphatasia (HPP)

The Life Saving Drug Program at a glance

After a medicine is rejected by PBAC, the sponsor applies for an LSDP listing with the required information. The LSDP Expert Panel then reviews the application, the LSDP secretariat's assessment of the application, additional stakeholder input from the public, presentations made to the panel, and materials from the PBAC's consideration to advise the Chief Medical Officer.⁶ Within two to six weeks, the Chief Medical Officer makes a recommendation on whether the medicine should be funded through the LSDP, pending approval from the Minister for Health.⁴ See Figure 1 for the LSDP process.

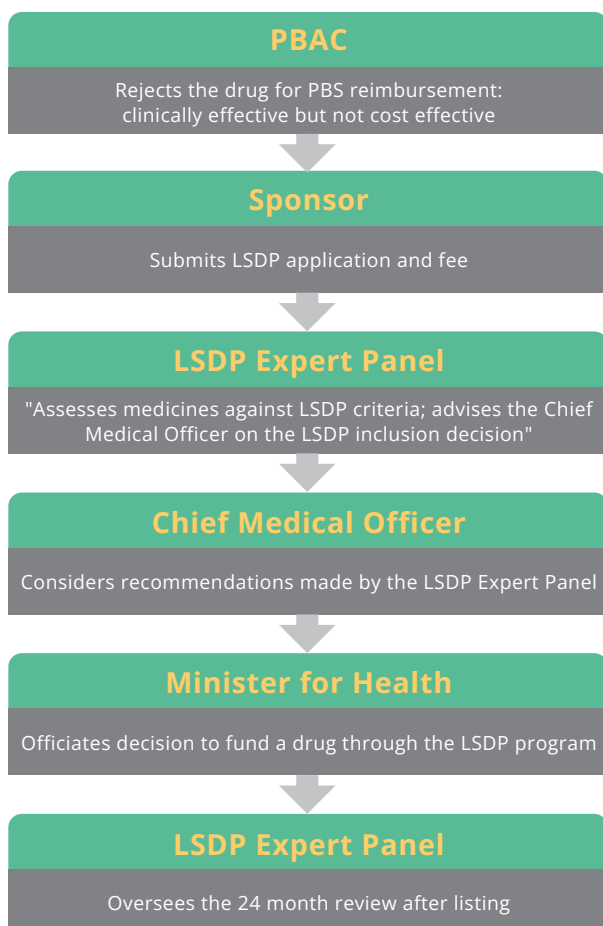


Figure 1: A simplified flowchart of the LSDP governance structure adapted from the procedure guidance.⁴

This section describes a simplified overview of the LSDP decision process. In practice, there is communication between the sponsor and the LSDP Expert Panel, where the sponsor supplies additional evidence upon request to support the decision-making. During the process, stakeholders such as patients, their caregivers, and physicians are welcome to directly provide written input to the LSDP Secretariat to be considered by the Expert Panel.¹ The main stakeholders are depicted in Figure 2.

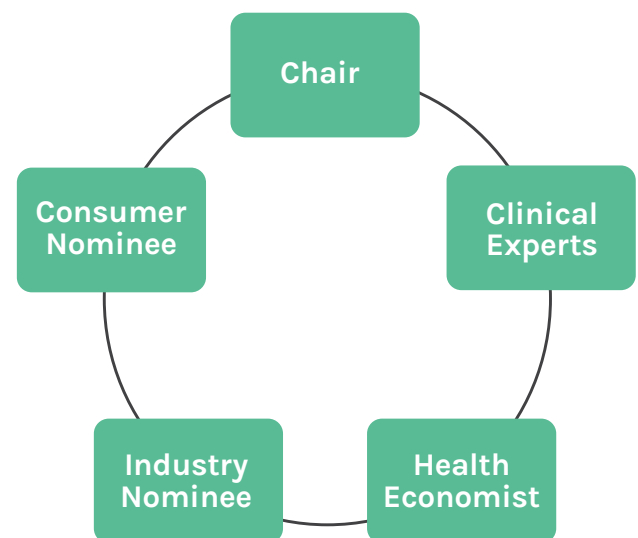


Figure 2: Key people on the LSDP Expert Panel⁶

Reimbursement Process

For a medicine to be recommended for LSDP listing, the LSDP Expert Panel assesses the application to ensure it meets the ten LSDP criteria. The requirements include disease rarity, defined as less than 1 in 50,000 people, as the LSDP is intended to supplement the PBS to expand access to DRD.¹ In addition, there must be evidence that the medicine can extend life or reduce disability in someone who would otherwise have a significant life reduction or have a significant disability due to the disease.¹ Although demonstrating the medicine is cost-effective is not required for listing, the sponsors are still needed to supply medicine prices in comparable overseas markets to provide the context of medicine pricing.¹ See Table 2 for the complete list of criteria.

Table 2: Decision-making criteria for LSDP drugs (adapted from procedure guidelines)

	Criterion	Notes
A1	The drug is a proven therapy for a rare but clinically definable disease	<ul style="list-style-type: none"> • ≤1 per 50,000 • High lifelong cost burden
A2	The disease is identifiable with reasonable diagnostic precision	
A3	Evidence of significant reduction in age-specific life expectancy due to the disease	<ul style="list-style-type: none"> • Data for disease progression without treatment • Life extension can be represented by disability reduction
A4	Evidence of significant life extension due to the drug	<ul style="list-style-type: none"> • Or significant disability reduction • Surrogate outcomes data is acceptable if there is no survival data
A5	The drug is clinically effective but rejected for PBS listing due to the lack of cost-effectiveness	
A6	No lifesaving alternatives on the PBS listing or available through public hospitals	
A7	No suitable and cost-effective non-drug therapy	Such as surgery or radiotherapy
A8	The cost of the drug is required per year is an unreasonable financial burden for the patient	
B1	The proposed confidential price of the drug compared with effective price in comparable overseas markets	
B2	The proposed cost of the drug compared with the cost of comparable drugs already funded through the LSDP	

It is important to note that despite the criteria that exist, they, by design, allow for flexibility, subject to the LSDP Expert Panel's discretion.

Price negotiation begins once the sponsor is notified that the Chief Medical Officer intends to advise the Minister for Health to fund the medicine through LSDP. Although details of the pricing arrangement are strictly confidential between the sponsor and Australia, the procedural guidance for LSDP listing has referenced using outcome-based risk-sharing agreements as a pathway to reimbursement.¹

An outcome-based risk-sharing agreement can be used to determine the future price of a medicine. This type of agreement permits the medicine to be funded with the condition that further data on disease stability and improvement must be collected to evaluate the appropriateness of the price. The price of a medicine is then reduced if new evidence suggests it is less effective than previously assumed.

However, due to the disease rarity, data collected from the small sample size often lack statistical significance, posing a challenge to their implementation.

The LSDP only funds medicine costs but may also cover the cost of importation and transportation to some extent when the manufacturer directly delivers the medicine to the place of administration.

In addition to using risk-sharing to manage medicine prices, LSDP also adopted a price reduction policy to control medicine prices similar to that of PBS.⁴ For example, the medicine price was to be reduced by 5% on the 5th anniversary, another 5% on the 10th anniversary, and finally by 26.1% on the 15th anniversary of listing.⁷ However, this policy has been discontinued for LSDP since June 2022.⁸

Implementation

Before funding the medicine, the LSDP Secretariat must finalise the treatment guideline based on the Expert Panel advice and by working with the sponsor and clinical experts.¹ This will include directions for initiation and continuing the treatment. Once the medicine is approved for funding, a patient must meet the eligibility criteria to access the medicine. This includes satisfying treatment criteria and consenting to data collection for medicine evaluation. In addition, the patient must show clinical improvement or at least stabilisation of the condition for continued access to the medicine.

Patient access to LSDP medicine is carefully managed. The treating physician must apply to the LSDP to initiate access to the medicine and nominate a dispensing pharmacy.⁹ The LSDP medicine will be delivered to the pharmacy in the quantity of a one-month supply only at a time, ordered by the LSDP directly, due to the high-cost nature of these medicines.⁹ Differing from PBS medicines, patients do not co-pay to access LSDP medicines.¹⁰

Monitoring and Evaluation (M&E)

To ensure the use and effectiveness of the medicine meet the expectations at the time of listing, medicines on the LSDP are reviewed for their usage, clinical benefits, and financial cost 24 months after listing.¹ Patient-level data is collected and submitted by the treating physician to the Department of Health and Aged Care following their website instructions annually to understand the real-world use.^{1,11} The scope of the review is drafted based on issues identified by PBAC and LSDP Expert Panel when the medicine was considered for listing. In addition to patient-level data collected by the Department, sponsors can also submit additional data, including international evidence, to support the review.¹

Upon completion of the review, the recommendations are made to the Minister, which may include changing the eligibility criteria or treatment guidelines, amendments to risk-sharing arrangements or the scope of data collection, referral to PBAC for PBS listing considerations, or the removal of such medicine from the LSDP listing.⁶

Lessons Learned

- Establishing a new reimbursement programme such as the LSDP for clinically effective but high-cost medicines can facilitate the decision-making process by easing the criteria for cost-effectiveness when the medicine is lifesaving (or disability-reducing), and there are no alternative treatment options.
- Payers can control prescribing volumes and expenditures by requiring approval for individual-patient use from the funding authority *before* the medicine is dispensed and granting continued medicine access conditional on demonstrated improvement or stabilization of the patient's condition.
- Risk-sharing agreements may be explored to facilitate patient access to lifesaving medicines with a higher level of uncertainty in clinical benefit and minimise the payer's financial risk, while being mindful of implementation barriers such as higher transaction and administrative costs.¹²
- A two-tier evaluation system (PBAC evaluation followed by LSDP expert panel evaluation), while appearing time-consuming, may be more efficient as a baseline evaluation has already been performed, i.e., clinical data has already been assessed by PBAC, and the LSDP expert panel does not repeat the process completely from the beginning.

About the authors



Evan Huang-Ku is a registered dietitian completing his Master of Public Health at the University of Toronto. Evan conducted the review summarised in this policy brief during his internship at the Health Technology and Intervention Assessment Program (HITAP) in Thailand in May-August 2022.



Dr. Tracey Laba is health systems and policy researcher and a registered pharmacist in Australia. Her research focuses on the translation, availability, appropriate and equitable use of high-volume, affordable healthcare interventions, particularly pharmaceuticals, for chronic non-communicable diseases.

Acknowledgements

The policy brief is part of a series reflecting international experience to expand access to high-cost drugs. HITAP was commissioned by the National Health Security Office (NHSO) in Thailand to conduct this study with funding from the Health System Research Institute (HSRI). This policy brief was written in consultation with Professor Brendon Kearney from the Royal Adelaide Hospital in Australia.

References

1. Australian Government Department of Health and Aged Care. Procedure guidance for medicines funded through the Life Saving Drug Program (LSDP) [Internet]. 2018 Jul [cited 2022 Aug 16]. (Australia Government Department of Health and Aged Care). Available from: <https://www.health.gov.au/sites/default/files/documents/2021/11/procedure-guidance-for-medicines-funded-through-the-life-saving-drugs-program-lsdp.pdf>
2. Australian Government Department of Health and Aged Care. About the Life Saving Drugs Program [Internet]. Australian Government Department of Health and Aged Care; 2020 [cited 2022 Sep 3]. (Australian Government Department of Health and Aged Care). Available from: <https://www.health.gov.au/initiatives-and-programs/life-saving-drugs-program/about-the-lsdp>
3. Australian Government Department of Health and Aged Care. Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS) | AMWG Interim Report to Government - Attachment A [Internet]. Australian Government Department of Health and Aged Care; [cited 2022 Aug 6]. Available from: <https://www.pbs.gov.au/info/general/working-groups/amwg/amwg-interim-report-attachment-a>
4. Chim L, Salkeld G, Kelly P, Lipworth W, Hughes DA, Stockler MR. Societal perspective on access to publicly subsidised medicines: A cross sectional survey of 3080 adults in Australia. 2017 Mar 1 [cited 2022 Aug 6];12(3). Available from: doi: 10.1371/journal.pone.0172971
5. Pant S, Visintini S. Drugs for Rare Diseases: A Review of National and International Health Technology Assessment Agencies and Public Payers' Decision-Making Processes [Internet]. 2018 Jun [cited 2022 Aug 6]. (CADTH). Available from: https://www.cadth.ca/sites/default/files/pdf/es0326_drugs_for_rare_diseases.pdf
6. Australian Government Department of Health and Aged Care. Life Saving Drugs Program Expert Panel [Internet]. Australian Government Department of Health and Aged Care; 2020 [cited 2022 Aug 20]. (Australian Government Department of Health and Aged Care). Available from: <https://www.health.gov.au/committees-and-groups/life-saving-drugs-program-expert-panel>
7. Australian Government Department of Health and Aged Care. Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS) | Anniversary Price Reductions [Internet]. Australian Government Department of Health and Aged Care; [cited 2022 Aug 6]. Available from: <https://www.pbs.gov.au/info/industry/pricing/anniversary-price-reductions>
8. Australian Government Department of Health and Aged Care. Ensuring the future sustainability of the Life Saving Drugs Program [Internet]. Australian Government Department of Health and Aged Care; 2020 [cited 2022 Sep 3]. (Australian Government Department of Health and Aged Care). Available from: <https://www.health.gov.au/resources/publications/ensuring-the-future-sustainability-of-the-life-saving-drugs-program>
9. Australian Government Department of Health and Aged Care. Life Saving Drugs Program for prescribers [Internet]. Australian Government Department of Health and Aged Care; 2020 [cited 2022 Sep 3]. (Australian Government Department of Health and Aged Care). Available from: <https://www.health.gov.au/initiatives-and-programs/life-saving-drugs-program/for-prescribers>
10. Australian Government Department of Health and Aged Care. Life Saving Drugs Program for patients [Internet]. Australian Government Department of Health and Aged Care; 2020 [cited 2022 Sep 3]. (Australian Government Department of Health and Aged Care). Available from: <https://www.health.gov.au/initiatives-and-programs/life-saving-drugs-program/for-patients>
11. Australian Government Department of Health and Aged Care. Life Saving Drugs Program - Pompe disease - Patient test results spreadsheets [Internet]. Australian Government Department of Health and Aged Care; 2020 [cited 2022 Sep 3]. (Australian Government Department of Health and Aged Care). Available from: <https://www.health.gov.au/resources/publications/lisdp-pompe-patient-test-results-spreadsheet>
12. Piatkiewicz, T., Traulsen, J., Holm-Larsen, T. Risk-sharing agreements in the EU: A systematic review of major trends. 2018 Jul 18. [cited 2022 Dec 4];2(2): 109-123. Available from: doi: 10.1007/s41669-017-0044-1



Attribution-Noncommercial
-No Derivative 4.0 International
(CC BY-NC-ND 4.0)

Contact: hiu@hitap.net

This policy brief can be downloaded from www.hitap.net



4. The challenges in reimbursement decisions for innovative high-cost drugs: Thailand's effort to expand drug access

The challenges in reimbursement decisions for innovative high-cost drugs: Thailand's effort to expand drug access

Q Search...



The decision-making challenge for reimbursing costly innovative drugs

Health technology assessment (HTA) is a multi-disciplinary approach crucial to the decision-making framework for drug reimbursements. It gives evidence of the drug's cost-effectiveness and affordability to help policymakers decide what medicines to reimburse through the national health insurance policies under a finite budget for health.

Today, the rise of innovative drugs often used for cancer or rare diseases poses new challenges to existing frameworks. Significant research and development investments and the lack of competitors make these drugs very expensive. Especially for rare diseases, the uncertainty due to limited patient data, the lack of alternative treatments, and their high cost make it difficult to assess them using traditional HTA methodologies[1].

To ensure patients can access these costly but often life-saving drugs, Thailand is exploring new ways to recommend reimbursement under the National List of Essential Medicines.

Thailand's existing reimbursement framework

An often-used metric in HTA is the willingness to pay (WTP), which is how much payers are willing to pay for a quality-adjusted life year (QALY). This threshold is compared with a drug's incremental cost-effectiveness ratio (ICER), measured in cost per QALY. Drugs with an ICER lower than WTP are more likely to be reimbursed.

Thailand's WTP is at 160,000 baht per QALY[2]. Yet, it does not mean they never funded medicines exceeding the WTP. For example, Thailand reimbursed Imiglucerase for Gaucher disease Type 1 because it was lifesaving without an overwhelming budget impact due to the disease's rarity[3]. However, examples like this are not common, and many drugs are more expensive than Imiglucerase.

In the face of the growing innovation, public demand, and equity concerns, the existing framework may not adequately support consistent and timely funding decisions to give access to innovative drugs.

To explore solutions, the National Health Security Office (NHSO), which manages the Universal Coverage Scheme (UCS) in Thailand, established a task force to deliberate on this issue and provide recommendations. It commissioned the Health Intervention and Technology Assessment Program (HITAP), with the support of the Health Systems Research Institute (HSRI), to conduct a study to inform the policy process to advise on a reimbursement framework for high-cost medicines, which involves understanding the methods and systems for reimbursing high-cost drugs in Thailand and learning from the experiences of other countries such as England, Australia, Canada, South Korea, and Malaysia.

Learning from international experiences

Some higher-income countries have attempted new ways to expand drug access. They have moved beyond the WTP threshold and adopted other criteria to assess high-cost medicines when they have the potential to offer 'significant' health benefits. These high-cost drugs are often managed under separate funds apart from their national formulary funds.

In England, the National Health Service (NHS) is legally obliged to fund drugs recommended by the National Institute for Health and Care Excellence (NICE) following their HTA. Usually, NICE would not recommend drugs with an ICER exceeding £30,000 per QALY[4]. But, when a drug is deemed life-saving or can improve the quality of life in those with chronic and disabling rare diseases, a higher threshold of £300,000 per QALY is used to permit access[5].

Some countries do not even have an explicit WTP for making funding decisions for high-cost drugs. In Australia, cost-effectiveness evidence for drugs is submitted to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC) for funding through the Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS). When the PBS rejects a lifesaving drug due to its lack of cost-effectiveness, it is submitted for funding through the Life-Saving Drug Program (LSDP)[6]. Thus, it can be said that the LSDP is funding cost-ineffective drugs only.

To manage the risk of funding high-cost drugs without strong evidence of effectiveness, countries may allow access with the condition of further data collection and analysis.

For example, England's Cancer Drug Fund (CDF) will fund cancer drugs with 'plausible potential' to satisfy routine commissioning criteria, but significant clinical uncertainty still exists[7]. Within two years of funding, more evidence would be collected and analyzed for a decision to terminate the financing of such a drug or to fund it through routine commissioning.

Australia also collects patient-level data on LSDP drugs, not only to assess clinical effectiveness but also to control inappropriate prescribing.

The stipulation of further data collection is often referenced in managed entry agreements (MEA). These are contracts with conditions between the payer and the pharmaceutical manufacturers, often used to negotiate for lower prices when the drugs have clinical uncertainties.

From our initial findings, MEAs are used extensively to expand access to costly drugs.

As a middle-income country, Thailand may not have the financial leverage to raise the threshold to the same extent as England and, given the policy context, may not "disregard" the threshold altogether like Australia's LSDP. However, based on international experiences, adopting other decision criteria so that when drugs meet certain conditions, such as having lifesaving quality and utilizing MEAs for price negotiation, may be potential future directions for Thailand.

HTA shall remain crucial for making reimbursement decisions

The high-cost drug project is still in the early phases, and it is too soon to say what Thailand's reimbursement framework will look like in the future. However, we recommend that HTA remain central to this decision-making framework. Ethical, social and other considerations will also play a role within this framework.

Conducting HTA to inform policy on medicine has been feasible and beneficial since Thailand introduced universal health coverage twenty years ago. Given the trend for higher health spending and the growth of innovative high-cost drugs, HTA can support the government in making wise and economically responsible reimbursement decisions.

To our knowledge, no other low- or middle-income country has established a process for reimbursing innovative high-cost drugs. These results can support researchers, HTA agencies, and policymakers in similar settings in making health policy decisions.

The intent to reimburse innovative high-cost drugs demonstrates a commitment to improving the existing health access. This is a turning point in Thailand's healthcare system and will be a means to adapt to the changing landscape in the health sector.

References

- [1] Drugs for Rare Diseases: A Review of National and International Health Technology Assessment Agencies and Public Payers' Decision-Making Processes [Internet]. 2020 [cited 2022 Aug 16]. (Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health). Available from: <https://www.cadth.ca/drugs-rare-diseases-review-national-and-international-health-technology-assessment-agencies-and#:~:text=CADTH%20does%20not%20have%20a,exceptional%20cases%20such%20as%20DRDs.>
- [2] Thavorncharoensap M, Sompitak S, Doungthipsirikul S. What is the value of a Quality-Adjusted Life Year and how much is it? [Internet]. 2015 Jul [cited 2022 Aug 16]. (Health Intervention and Technology Assessment Program (HITAP)). Available from: https://www.hitap.net/wp-content/uploads/2014/12/PB_20-WTP-Eng-Final-for-web.pdf
- [3] Teerawattananon Y, Tritasavit N, Suchonwanich N, Kingkaew P. The use of economic evaluation for guiding the pharmaceutical reimbursement list in Thailand. 2014 [cited 2022 Aug 16];108(7):397–404. Available from: doi:

Learning from Cancer Drug Fund (CDF) in England: A special reimbursement pathway for high-cost cancer drugs

Dian Faradiba



Key messages

- The Cancer Drug Fund (CDF) is a dedicated source of funding in England for increasing patient access to high-cost cancer drugs, with a fixed budget of £340 million per year, operating since 2016.
- The CDF follows the appraisal by the National Institute of Health and Care Excellence (NICE) which uses the methods and process for appraising Highly Specialised Technologies (HST) to provide a viable route to reimbursement for high-cost drugs. Drugs evaluated through HST are chosen based on certain criteria that consider patient indication (i.e., rare, chronic and severely disabling diseases) as well as potential very high acquisition cost.
- When there is clinical uncertainty about cancer drugs, NICE recommends a Managed Access Agreement (MAA) with companies. The level of reimbursement is agreed upon during this process, but it is kept confidential.
- Stakeholders are involved throughout the process; this includes clinical and NHS commissioning experts, company representatives, patients' representatives, and caregiver organisations.

The Cancer Drug Fund (CDF)

The Cancer Drug Fund (CDF) is a special pathway for funding cancer drugs in England, established by the National Health Service (NHS). It was started in 2011; however, since July 2016, the CDF has been reformed and has begun operating as a part of the National Institute of Health and Care Excellence (NICE), which provides recommendations and decides on the drugs covered by the NHS.¹ The CDF is one of two special funds that provide patients with early access to promising new drugs in England. The other fund, called Innovative Medicine Fund (IMF), focuses on non-cancer drugs, and was established June 2022. Each fund has a fixed annual budget of £340 million.² This piece focuses on CDF which has been in operation for over a decade, to draw lessons for other countries.

Earlier, the CDF had binary options (i.e., yes or no) on deciding whether to include drugs for routine commissioning. Under the new system, NICE aims to review all cancer drugs within 90 days of them getting a licence for use in patients.

Now, NICE can make one of three decisions about whether a drug should be available (i.e., "yes", "no" or "recommended for use" within CDF). The CDF now provides a mechanism for early patient access to drugs that show clinical promise, but for which the evidence on cost-effectiveness remains uncertain. This uncertainty is then addressed through data collection, which is often combined with outcomes-based payment schemes.³

According to the CDF activity update Quarter 2 (Q2) for 2022-2023, since the new CDF approach began in July 2016, approximately 88,300 patients have been registered for receiving 102 drugs treating 241 different cancer indications. Also, more than 18,600 of these patients have benefited from earlier access to treatments through the interim funding agreement.⁴ CDF-funded cancer drugs and cancer indications are regularly updated on the NHS website. (<http://www.england.nhs.uk/publication/cancer-drugs-fund-cdf-activity-update/>)

Issue#23 March 2023



policy brief

Overview of CDF process

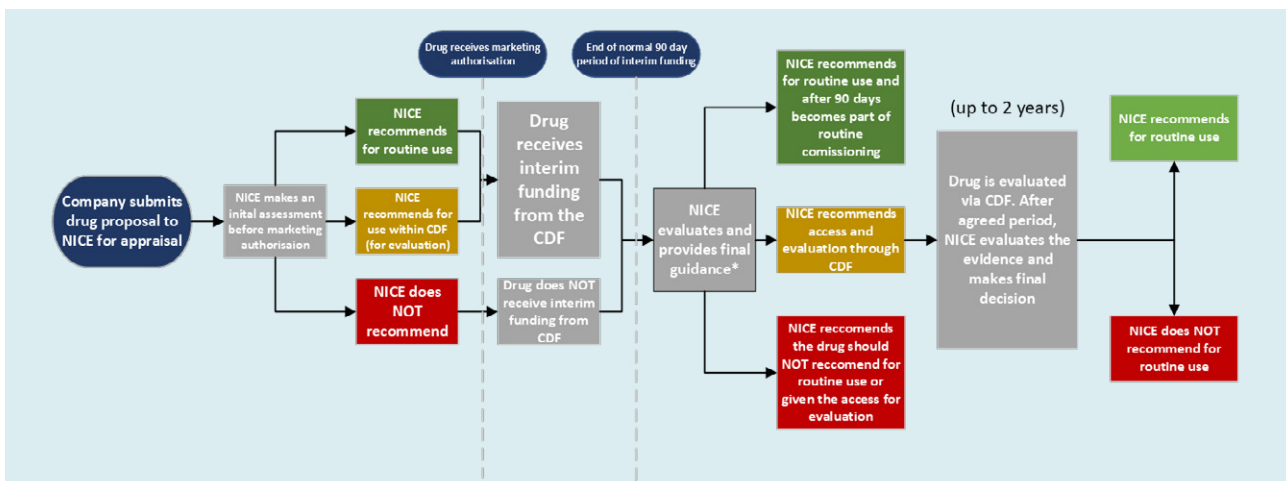
The overall process of CDF can be seen in Figure 1.

The entry point to the CDF is when clinically promising oncology drugs are submitted to NICE for technology appraisal. The submission needs to include a proposal for a data collection plan. Then, NICE will conduct an assessment to identify which drugs are appropriate for time-limited funding under the CDF (within 90 days of submission). The NICE Appraisal Committee (AC) reviews the list of candidate drugs and makes recommendations about their suitability for inclusion in the CDF based on decision-making criteria such as type of cancer and the cancer stage at which treatment is provided, promising drug/treatment with clinical uncertainty, and possibility of the drug/treatment to be cost-effective.^{3,5}

A joint committee of NHS England and NICE (the CDF Investment Group) is then convened to confirm the acceptable commercial access arrangement (the financial arrangements which determine the cost of the drug to the NHS, agreed upon between the company and NHS England) and data collection arrangements. Together, these are referred to as the Managed Access Agreement (MAA), which must be in place before accepting the drugs into the fund.^{3,6}

After a period of up to two years on the CDF, NICE reconsiders the drug and makes a final "Yes" or "No" decision based on whether a drug meets the cost-effectiveness threshold set by NICE.^{3,5}

Figure 1. The overall process of the Cancer Drug Fund (CDF)



Source: Daniel Gladwell, Ash Bullement, Warren Cowell, Karl Patterson, Mark Strong, "Stick or Twist?" Negotiating Price and Data in an Era of Conditional Approval, *Value in Health*, Volume 23, Issue 2, 2020, <https://doi.org/10.1016/j.jval.2019.09.001>.⁵

*To enter CDF, the company must agree to the NHS England MAA requirement.

CDF, Cancer Drug Fund; NHS, National Health Service; NICE, National Institute for Health and Care Excellence; MAA, Managed Access Agreement.

Drugs can be identified as potential candidates for CDF at three different points of the appraisal process: 1) when a company submits a drug proposal with evidence to NICE for inclusion in the CDF, 2) during the assessment phase for drugs recommended by the Evidence Review Group (ERG) or NICE, and 3) at the first AC meeting. When considering whether a drug is suitable as a CDF candidate, NICE will define the area(s) of uncertainty that must be addressed.³

Appraisal Process

NICE is the gatekeeper for national reimbursement in England; it provides comprehensive assessments based on clinical efficacy and cost-effectiveness, as well as recommendations to the NHS for inclusion in the CDF or for routine commissioning. For many new drugs, NICE utilises Single Technology Appraisal (STA) methods; however, for a few innovative drugs, particularly those with high-cost or those treating rare indications, they are assessed as Highly Specialised Technologies (HST). The main difference

between HST and STA processes is the willingness to pay threshold, which is higher in the HST process (£100,000/QALY versus £20,000-30,000/QALY).^{7,8}

Topics to be included in the HST must be referred to NICE by Ministers. All topics evaluated via HST must meet all seven criteria listed here: 1. the target patient group for the technology in its licensed indication is so small that treatment will usually be concentrated in very few centres in the NHS; 2. the target patient group is

distinct for clinical reasons; 3. the condition is chronic and severely debilitating; 4. the technology is expected to be used exclusively in the context of a highly specialised service; 5. the technology is likely to have a very high acquisition cost; 6. the technology has the potential for life long use; and 7. the need for national commissioning of the technology is significant.⁷

The Evidence Review Group (ERG), an independent academic centre, will review the topics, documents, and evidence submitted by companies against the seven specific criteria to be considered as an HST. The ERG then prepares a report that includes the evidence submitted

by companies as well as personal statements from patient experts and clinical specialists, which is then submitted to the Evaluation Committee (EC). The EC, an independent advisory body comprising NHS, patient and caregiver organisations, academicians, and pharmaceutical and medical device representatives, considers the report and issues a Final Evaluation Determination (FED), which is then forwarded to NICE for guidance and, finally, to NHS for funding approval.⁷

A summary of the key decision points is presented in Table 1 and Figure 3 (next page) presented key players in CDF process.

Table 1. Summary of key decision points by NICE

Initial appraisal at grant of Marketing Authorisation		
Outcome	Effect on new patients	Effect on any patients already receiving the drugs
Draft recommendation for routine commissioning	Drug immediately available to patients at the point of Marketing Authorisation (receiving interim funding from CDF budget)	Drug continues to be available.
Draft recommendation for use within the CDF	Drug immediately available to patients at the point of Marketing Authorisation (receiving interim funding from CDF budget)	Drug continues to be available.
Draft "not recommended" guidance	Drug only available if an individual funding request is made and succeeds.	Patients may continue their course of treatment until they/their clinician agree it is appropriate to stop. Funding from original source
Guidance within 90 days of grant Marketing Authorisation		
Outcome	Effect on new patients	Effect on any patients already receiving the drugs
Recommendation for routine commissioning	Drug immediately available to patients, (funded from the CDF budget for 90 days before moving to baseline commissioning budget)	Drug continues to be available.
Recommendation for use within the CDF	Drug immediately available to patients (funded from CDF budget)	Drug continues to be available.
Not recommended	Drug only available if an individual funding request is made and succeeds.	Patients may continue their NHS funded course of treatment until they/their clinician agree it is appropriate to stop. Funding to be provided by the company.
Guidance within 90 days of grant Marketing Authorisation		
Outcome	Effect on new patients	Effect on any patients already receiving the drugs
Recommendation for routine commissioning	Drug immediately available to patients (funded from the CDF budget for 90 days before moving to baseline commissioning budget)	Drug continues to be available.
Not recommended	Drug only available if an individual funding request is made and succeeds.	Patients may continue their NHS funded course of treatment until they/their clinician agree it is appropriate to stop. Funding to be provided by the company.

Source: NHS England's consultation on proposals for a new cancer drug fund (CDF) operating model from 1st April 2016⁶

Implementation

The AC will confer with the company, NHS England and Public Health England to develop an appropriate framework for the data collection agreement (DCA), the period for which is usually up to five years. This agreement will further be included in the MAA, which will be approved by the CDF Investment group.

A time-limited MAA must be agreed upon between pharmaceutical companies and NHS England. This is a confidential agreement which will be considered on a case-by-case basis to resolve remaining clinical uncertainty before recommendation for routine commissioning. The agreement contains a proposal to address uncertainty (e.g., plan to collect more evidence in the DCA), duration of the agreement, starting and stopping criteria along the treatment pathway, treatment continuation criteria, list of outcomes for data collection, regularity for reviewing outcomes, funding arrangements, and management of patients receiving treatment who are no longer eligible if a more restricted/ negative recommendation is issued after guidance has been reviewed following data collection.

In the MAA, the level of reimbursement will be determined. Although the level of reimbursement is confidential, it should reflect the decision uncertainty, and the company will need to present an offer that brings the range of potentially plausible cost-effectiveness estimates as determined by NICE to below the relevant cost-effectiveness threshold, i.e., £20,000–£30,000 per QALY or up to £50,000 per QALY for end-of-life care drugs/indication or £100,000–£300,000 per QALY for HSTs. A discount or rebate is applied if a drug does not perform as expected for non-responders.

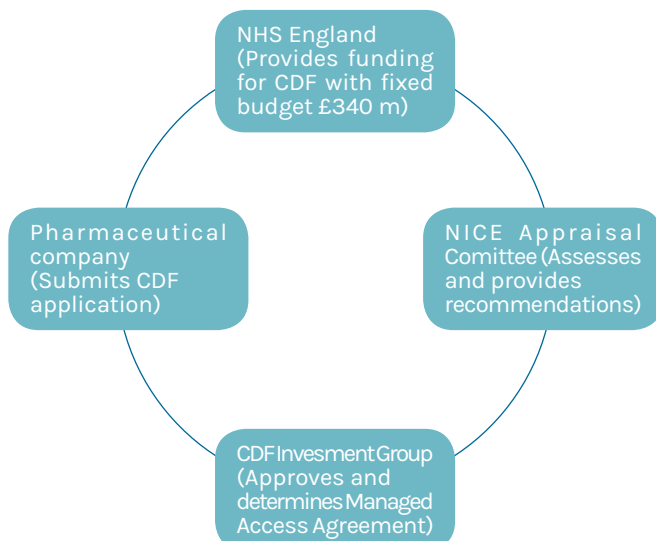
The drug will not enter the CDF or be available to patients unless the company agrees to the MAA. In that case, a NICE Guidance will be issued, but the drug will not be commissioned either for routine use or through the CDF. If the pharmaceutical company offers a new price, the topic may be returned to NICE for further consideration.

Monitoring and Evaluation (M&E)

Clinical evidence on the cancer drugs is gathered until the end date as per the MAA and all eligible patients, as determined by NICE, will have access to cancer drugs, which will be covered by the MAA. As part of the MAA, regular reviews will be conducted to ensure that progress is being made to resolve the uncertainty in clinical evidence. Following this process, NICE will update its guidance and decide whether the treatment should be recommended for routine use in the NHS.

If the evidence shows that the treatment is not a cost-effective use of NHS funds, it will be discontinued from reimbursement under the CDF.

Figure 3. Key players and roles in CDF (simplified)



CDF, Cancer Drug Fund

Source: Adapted and simplified from CDF standard operating procedure³

References

1. Morrell L, Wordsworth S, Schuh A, Middleton MR, Rees S, Barker RW. Will the reformed Cancer Drugs Fund address the most common types of uncertainty? An analysis of NICE cancer drug appraisals. *BMC Health Services Research*. 2018;18(1):393.
2. NHS England. Innovative Medicines Fund [cited 2023 March, 2nd]. Available from: <https://www.england.nhs.uk/medicines-2/innovative-medicines-fund/>.
3. NHS England. Appraisal and Funding of Cancer Drugs from July 2016 (including the new Cancer Drugs Fund). A new deal for patients, taxpayers and industry 2017 [updated 2017; cited 2023 March, 2nd]. Available from: <https://www.england.nhs.uk/publication/cdf-sop-16/>.
4. NHS England. Cancer Drugs Fund (CDF) activity update 2023 [cited 2023 March, 2nd]. Available from: <https://www.england.nhs.uk/publication/cancer-drugs-fund-cdf-activity-update/#heading-2>.
5. Gladwell D, Bullement A, Cowell W, Patterson K, Strong M. "Stick or Twist?" Negotiating Price and Data in an Era of Conditional Approval. *Value in Health*. 2020;23(2):191-9.
6. NHS England and NICE. CONSULTATION ON PROPOSALS FOR A NEW CANCER DRUGS FUND (CDF) OPERATING MODEL FROM 1ST APRIL 2016 [cited 2023 March, 2nd]. Available from: https://www.engage.england.nhs.uk/consultation/cdf-consultation/supporting_documents/cdfconsultationdoc.pdf.
7. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Interim Process and Methods of the Highly Specialised Technologies Programme Updated to reflect 2017 changes: NICE; 2022 [cited 2023 March, 1st]. Available from: <https://www.nice.org.uk/Media/Default/About/what-we-do/NICE-guidance/NICE-highly-specialised-technologies-guidance/HST-interim-methods-process-guide-may-17.pdf>.
8. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Technology appraisal guidance 2022 [cited 2023 March, 2nd]. Available from: <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance#:~:text=An%20independent%20academic%20centre%20is,and%20prepares%20an%20assessment%20report>.

Acknowledgement

This policy brief is a part of the research project titled "Development of policy options to support reimbursement decisions on high-cost health interventions in Thailand's public healthcare system". HITAP was commissioned by the National Health Security Office (NHSO) in Thailand to conduct this study with funding from the Health Systems Research Institute (HSRI). This policy brief has been written in consultation with Prof. Alec Morton from University of Strathclyde UK, and Saudamini Dabak and Assoc. Prof. Wannudee Isaranuwatchai from HITAP.

About the author

Dian Faradiba, Project Associate, Health Intervention and Technology Assessment Program (HITAP), Ministry of Public Health, Thailand.



Attribution-Noncommercial
-No Derivative 4.0 International
(CC BY-NC-ND 4.0)

Contact: hiu@hitap.net

This policy brief can be downloaded from www.hitap.net

SOUTH KOREA'S EXPERIENCE OF REIMBURSING HIGH-COST MEDICINES

Dimple Butani



Issue#25
May 2023

Key messages

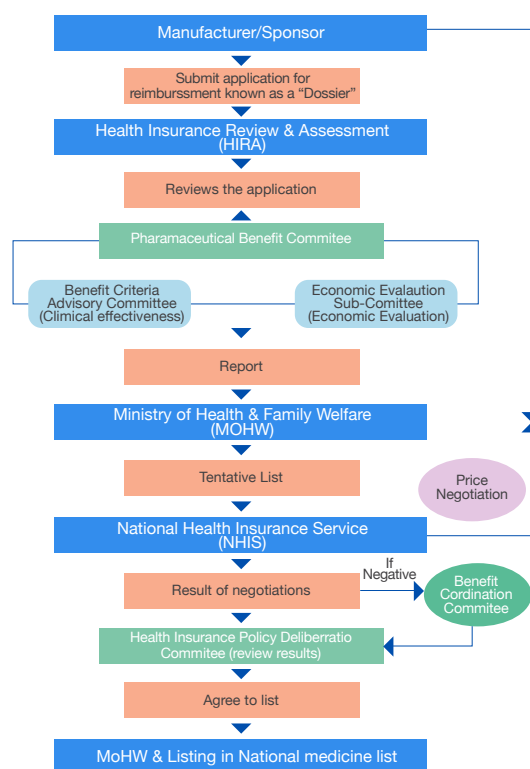
- Cost-effectiveness and availability of alternative treatment options play a crucial role in the listing of new medicines in South Korea. However, high-cost medicines with **no alternative treatment options**, particularly those for treating **cancer and rare diseases**, were not reimbursed under the traditional route.
- To address this issue, the government of South Korea introduced several reforms to facilitate the reimbursement of high-cost medicines, including the **listing of essential medicines, RSA, price negotiation waivers, and PE exemptions**.
- These mechanisms have enabled increased access to high-cost medicines and reduced the time between market approval and reimbursement decisions. However, there is potential for improvement and issues around confidentiality of agreements and transparency of price raised by stakeholders that need to be addressed.

South Korea's approach to expanding access to high-cost medicines

System for reimbursing new medicines

South Korea implemented the National Health Insurance (NHI) programme in 1963 and gradually expanded its scope to achieve Universal Health Coverage (UHC) (1). It is mandatory for all citizens to participate in the national insurance system and a co-pay of 5-60% of the medical cost is often applicable to patients. In order to manage the health budget more efficiently, the NHI introduced the Positive Listing system (PLS) in 2007 to rationalise the distribution of medicines and therapeutics and curtail the medicine expenditure (2). After the implementation of PLS, only clinically and economically viable medicines that were cost effective were reimbursed, and prices were set through price-negotiations between the National Health Insurance Service (NHIS), the insurer, and pharmaceutical companies, in collaboration with the Health Insurance Review and Assessment (HIRA) and the Ministry of Health and Family Welfare (MoHFW)⁽³⁾. Figure 1, adapted from Young Bae⁽⁴⁾, explains the governance structure of different agencies responsible for pricing and listing of new medicines under the NHI.

Figure 1. Governance structure for listing and pricing of new medicines in South Korea



HIRA, Health Insurance Review and Assessment Service; MoHFW, Ministry of Health and Welfare; NHIS, National Health Insurance service

[Adapted from] Bae E-Y. Role of Health Technology Assessment in Drug Policies: Korea. Value in Health Regional Issues. 2019;18:24-9]



Challenges and reform

Although South Korea was the first country in the Asian region to adopt economic evaluation to inform the reimbursement of new medicines, it has been observed that high-priced medicines with uncertain cost-effectiveness are often unavailable to patients due to their cost-ineffectiveness. Consequently, the reimbursement acceptance rate for reimbursement for oncology and rare disease medicines was as low as 39% and 42% respectively^(5,6). For example, XOLAIR (omalizumab), an orphan medicine for treating severe allergic asthma, remained non-reimbursable due to uncertainty in its cost-effectiveness evidence, with the longest waiting period of 11 years for reimbursement⁽⁷⁾.

However, high-cost medicines became available after the introduction of yet another policy reform in 2013 known as the "Introduction of the Benefit Enhancement Plan" (IBEP) which covers four major conditions namely, cancers, cardiovascular diseases, cerebrovascular diseases, and rare diseases⁽⁸⁾.

This scheme applies a higher incremental cost-effectiveness ratio (ICER) threshold for medicines with no alternative forms of treatment for these four conditions.

The government of South Korea introduced the IBEP reform in consultation with HIRA, which establishes guidelines for economic evaluation⁽⁹⁾. In addition to implementing a higher ICER threshold for medicines that meet the pre-defined criteria (Table 1), high-cost medicines may be reimbursed through other **alternative pricing and reimbursement (P&R) pathways** including; a) listing as essential medicines; b) risk-sharing agreements (RSA) for high priced medicines with no alternatives (primarily cancer medicines); c) pharmacoeconomic evaluation (PE) exemption for medicines with limited clinical evidence, indicated for life threatening conditions, with no alternative treatments and d) price negotiation waivers to expediate the launching of new medicines⁽³⁾, as detailed below.

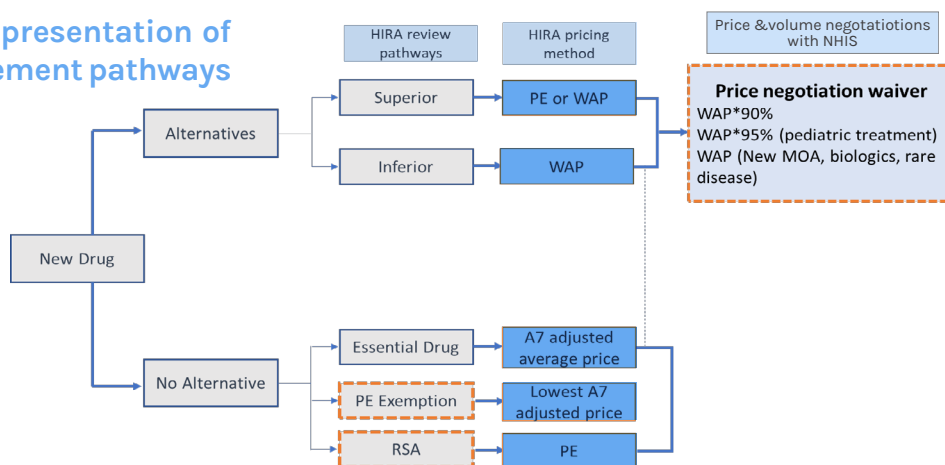
Pricing and reimbursement pathways for the high-cost medicines

The P&R process for any new medicine is typically determined by comparing it with available alternative treatments. Alternatives are defined as medicines currently used for an equivalent therapeutic indication^(3, 10). **For a medicine with therapeutic alternatives**, there are typically two pathways for reimbursement based on comparative effectiveness evidence: a) PE evaluation; and b) negotiation with the NHIS based on weighted average price (WAP) of alternative medicines. The medicine with proven clinical superiority is first evaluated for its cost effectiveness evidence and later an acceptable price is recommended by HIRA through the PE pathway. For clinically non-inferior

medicines, an adjusted price is determined by comparing the medicine acquisition costs and recommending the WAP of alternative medicines, based on market share data from reimbursement claims.

However, as noted earlier, providing evidence for PE can be difficult, and there are often limited alternative treatment options for high-cost medicines, particularly those targeting rare diseases or cancers. Hence a series of "alternative P&R pathways", that are different from the traditional route, have been adopted by the South Korean government, as shown in Figure 2 and described below.

Figure 2. Schematic presentation of pricing and reimbursement pathways for new medicines



New review pathway

HIRA- Health Insurance review & assessment service
PE- Pharmaco Economic Evaluations
NHIS- National health Insurance Service

WAP- Weighted average price
RSA- Risk sharing agreement.
A7- US, UK, Italy, Germany, Japan, Swiss & France

Adapted from [Lee JH. Pricing and Reimbursement Pathways of New Orphan Drugs in South Korea: A Longitudinal Comparison. *Healthcare*. 2021; 9(3):296.]

Alternative Pricing & Reimbursement (P & R) pathways

Essential Medicines list

For new medicines that do not have alternative treatments available and for which cost-effectiveness evidence cannot be submitted, the Drug Evaluation Expert Committee (DREC) of HIRA, can list them as essential medicines if they meet the criteria (see Table 1), and it then becomes exempt from requiring a cost-effectiveness evaluation. The price is determined by negotiating with the NHIS based on the adjusted price from seven countries known as A7 countries - US, UK, Italy, Germany, Japan, Switzerland and France.

Risk-Sharing Agreement System (RSA)

RSAs were introduced in 2013 to alleviate the financial burden of accessing high-cost medicines. There are four types of RSAs: 1) **condition treatment continuation and money back guarantee**, which is reimbursed by the payer (NHIS) if the response of a medicine meets a pre-defined goal; if it does not meet the goal, company refunds the full cost to NHIS; 2) **an expenditure cap**, wherein the total expenditure of medicine is set in advance and the company pays back the exceeding amount to NHIS; 3) **a refund** approach, wherein the company refunds a certain percent of the nominal price to the NHIS; and 4) **a utilisation cap**, wherein a fixed cost per patient is agreed upon and the company covers the cost of the medicine beyond the pre-agreed level of utilisation ⁽¹¹⁾.

Pharmaco-economic waiver

Evidence generation for medicines to treat rare and ultra-rare diseases is difficult. To counter this limitation, the PE waiver was introduced in 2015, and only those medicines that satisfy all criteria such as the medicine being used to treat a rare disease (see full list in Table 1) were eligible for this scheme. Later, it was mandated that every medicine for which economic evidence was not generated needed to share the risk in the form of an expenditure cap RSA between the manufacturer and insurer/payer.

Price negotiation waivers

Price negotiation waivers accelerate the process of listing new medicines. If a pharmaceutical company accepts the weighted average price of an alternative medicine (90 or 100 % as in figure 2), it can skip the negotiation process that usually takes 60 days with the NHIS.

For medicines with no alternatives, the average price of the same medicine from the A7 countries is used as a reference price. In this case, an RSA may be applied to spread financial risk related to uncertain clinical usefulness and budget impact. For this reason, these medicines can be listed at high prices through a comparatively simple process ⁽¹²⁾.

Table 1. Criteria for P&R pathways for medicines with no alternatives

Pathway	Criteria	Comments
<i>Without alternatives</i>		
Essential Medicines	<ul style="list-style-type: none"> No alternatives Treat life threatening conditions Treat small patient groups Significant improvement in clinical efficacy or patient survival 	<ul style="list-style-type: none"> Life threatening refers 2 years or less of life expectancy Unclear definition of <i>small groups</i>
Risk Sharing Agreement	<ul style="list-style-type: none"> No alternatives Anti-cancer agent or serious life-threatening diseases Should be approved via drug review committee on severity, social and ethical influences 	<ul style="list-style-type: none"> Refund based RSA most used (mandatory PE evidence) Contract term of 4 years cannot be extended if alternatives exist No expansion of indications for P&R
Pharmacoeconomic evaluation exemption	<ul style="list-style-type: none"> Rare disease and rare cancers Clinically effective, as proven by single arm RCT or phase II trial. Medicines to be listed in at least three of A7 countries 	<ul style="list-style-type: none"> Expenditure cap RSA - with the pharmaceutical sector Price is based on lowest adjusted list price from A7 countries.
Price negotiation waiver	<ul style="list-style-type: none"> If pharmaceutical companies accept the weighted average price, the medicine is exempt from the negotiation process (which can take 60 days) 	

Monitoring and Evaluation

Although the mechanism for the Monitoring and Evaluation (M&E) of these schemes has not been reported, the South Korean government has conducted frequent audits for medicines that have been approved under the new alternative pathways programme ⁽¹³⁾. As rule of thumb, any medicine approved through

the RSA needs to submit the effectiveness evidence (i.e. no alternative treatment available, improves survival and/or quality of life) every four years in order to be eligible for extension of exemption.

In terms of impact, at HIRA, the Pharmaceutical Benefit Coverage Assessment Committee (PBCAC) meets monthly to review company submissions for medicine reimbursement. PBCAC assesses the suitability of medically essential medicines, RSA, the waiver of PE data submission, and the new mode of action, along with clinical usefulness and cost-effectiveness. Application of new modes of access have shown a positive impact⁽¹⁴⁾ on both listing for reimbursement and time to listing: more than 50% of medicines listed post alternative pathway introduction were cancer and rare disease medicines and the time to listing reduced by approximately 8 months⁽¹⁵⁾. As of 2019, 39 medicines had been reimbursed under RSAs and PE exemptions had been applied to 19 of these medicines. The impact of alternative pathways on patients was reported in an early analysis of reduced out of pocket expenditure by USD 299.8 million⁽¹⁶⁾. However, this costed the government approximately USD 75.8 million, with the largest amount for medicines listed under the RSA system followed by PE waiver system, respectively⁽¹⁷⁾.

For the list of essential medicines, since the criteria for listing medicines in the essential category are very specific, the system has so far proven to not be effective when it comes to patient access and as of year 2017, only 10 medicines evaluated by HIRA have been designated as "essential medicines"⁽¹⁷⁾.

Introduction of such schemes have led to increased possibility of listing in the benefit package. Also, a study by Kim S. et al found that the lead time i.e., time taken from market authorisation to an HTA reimbursement decision, was reduced after the introduction of new alternative pathways from median 21 months to 10.9 months. This difference is mainly attributable to pathways such as the price negotiation waiver and PE exemption. However, when RSA individually were evaluated, it took 29.1 months for medicines to be listed and reason reported was additional time to review economic evidence^(15, 18).

Conclusion

In conclusion, the introduction of alternative P&R pathways in South Korea has allowed for increased access to high-priced medicines for rare diseases and life-threatening conditions. This has been achieved through risk-sharing agreements and other non-traditional pathways, which waive the need for cost-effectiveness evidence.

However, the increased access to such medicines has led to higher government expenditure and raised concerns around price transparency. Additionally, generating cost-effectiveness evidence for medicines under the refund scheme remains challenging and stakeholders have expressed concerns about producing such evidence (15, 19). Other issues such as high administrative cost, generation of cost-effectiveness evidence for the refund type of evidence continue to pose challenges for both, the payer and the pharmaceutical company⁽²⁰⁾.

These challenges highlight the need for continued efforts towards finding a balance between access to innovative therapies and cost containment while ensuring transparency and sustainability of the healthcare system.

References

1. Kwon S. Thirty years of national health insurance in South Korea: lessons for achieving universal health care coverage. *Health Policy and Planning*. 2008;24(1):63-71.
2. Yang BM, Bae EY, Kim J. Economic evaluation and pharmaceutical reimbursement reform in South Korea's National Health Insurance. *Health Affairs (Project Hope)*. 2008;27(1):179-87.
3. Bae S, Lee S, Bae EY, Jang S. Korean guidelines for pharmacoeconomic evaluation (second and updated version) : consensus and compromise. *Pharmacoeconomics*. 2013;31(4):257-67.
4. Bae E-Y. Role of Health Technology Assessment in Drug Policies: Korea. *Value in Health Regional Issues*. 2019;18:24-9.
5. Cho E PE, Kang MS. Pitfalls in Reimbursement Decisions for Oncology Drugs in South Korea: Need for Addressing the Ethical Dimensions in Technology Assessment. *Asian Pacific Journal of Cancer Prevention*. 2013;14(6):3785-92.
6. Association KR-bPl. Proposal for Improving Patient Access to New Prescription Pharmaceuticals in South Korea. 2016.
7. Kim S-H, Lee H, Park S-Y, Park SY, Song W-J, Kim J-H, et al. The Korean Severe Asthma Registry (KoSAR): real world research in severe asthma. *Korean J Intern Med*. 2022;37(2):249-60.
8. Kim S, Kwon S. Impact of the policy of expanding benefit coverage for cancer patients on catastrophic health expenditure across different income groups in South Korea. *Social Science & Medicine* (1982). 2015;138:241-7.
9. Kim Y. Towards universal coverage: an evaluation of the benefit enhancement plan for four major conditions in Korean National Health Insurance. *Journal of the Korean Medical Association*. 2014;57:198.
10. Welfare MoHaf. Regulation for criteria for providing reimbursed services in the National Health Insurance Seoul 2017 [
11. (HIRA) HIRaAS. Detailed evaluation criteria for drugs subject to negotiation include new drugs, etc. 2017 [Available from: Available from: <http://www.hira.or.kr>.
12. 우리나라의 건강보험 약가 사후관리제도 고찰 및 발전 방안. 약학회지. 2017;61(1):55-63.
13. Welfare MoHa. A Study on the Improvement of Drug Price System for the Improvement of Accessibility of New Products. Seoul, Korea: Ministry of Health and Welfare; 2014.
14. Son K-B, Park S, You M. Manufacturers' perceptions of the decision-making process for new drug reimbursement in South Korea. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2021;37(1):e88.
15. Lee B, Bae E-Y, Bae S, Choi H-J, Son K-B, Lee Y-S, et al. How can we improve patients' access to new drugs under uncertainties? : South Korea's experience with risk sharing arrangements. *BMC Health Services Research*. 2021;21(1):967.
16. Lee JH BJ. An Overview of the Risk Sharing Management in Korean National Health Insurance, Focused on the Effect of the Patient Access and Insurance Finance. *Korean Journal of Clinical Pharmacy The Korean College of Clinical Pharmacy*. 2018;2:6.
17. Yoo SL, Kim DJ, Lee SM, Kang WG, Kim SY, Lee JH, et al. Improving Patient Access to New Drugs in South Korea: Evaluation of the National Drug Formulary System. *International journal of environmental research and public health*. 2019;16(2).
18. Kim S, Cho H, Kim J, Lee K, Lee JH. The current state of patient access to new drugs in South Korea under the positive list system: evaluation of the changes since the new review pathways. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res*. 2021;21(1):119-26.
19. Lee T-J BE-Y, Bae SJ, Son K-B, Yang DW, LEE B. Risk sharing arrangements and post management policy. *Health Insurance Review and Service (HIRA)*; 2016.
20. Kim E-S, Kim J-A, Lee E-K. National reimbursement listing determinants of new cancer drugs: a retrospective analysis of 58 cancer treatment appraisals in 2007-2016 in South Korea. *Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research*. 2017;17(4):401-9

Acknowledgement

This policy brief is a part of the research project titled "Development of policy options to support reimbursement decisions on high-cost health interventions in Thailand's public healthcare system". HITAP was commissioned by the National Health Security Office (NHSO) in Thailand to conduct this study with funding from the Health Systems Research Institute (HSRI). This policy brief was written in consultation and reviewed by Prof Alec Mortan, from University of Strathclyde UK, Saudamini Dabak & Assoc. Prof. Wanrudee Isaranuwachai from HITAP.

About the author

Dimple Butani, Project Associate, International Unit, HITAP (Thailand)



Attribution-Noncommercial
-No Derivative 4.0 International
(CC BY-NC-ND 4.0)

Contact: hiu@hitap.net
This policy brief can be downloaded from www.hitap.net

Rare diseases: talk of the town for some time but what's next?



Introduction

Rare diseases are defined as those whose incidence or rate of occurrence are so rare that they barely affect the common populace^[1]. The incidence of disease is sometimes quite small compared to the luck-possibility of lottery drawing. However, it's a lottery that no one wants to win. Once it accidentally occurs to you, the disease may not lead to a long life, because of the frequent lack of treatment to support one's symptoms.

Because of their rarity, it is often treated with what the industry refers to as, 'orphan drugs'. The phrase "orphan drug" is frequently used to describe medical technology used to treat rare disorders^[2]. These group of drugs are quite expensive because of the fewer number of people suffering from such sickness and usually provide low profit to manufacturer compared to other common drug for non-communicable diseases (NCD) as example. These characteristics might affect future investments in such drugs. Therefore, to aid in the funding of these drugs, legislative strategies are continuously being debated as to what criteria should be applied to the orphan drug policy in several countries.

This piece explores the different prioritisation criteria used for these orphan drugs in different countries. The objective of this piece is not to argue that severity must be considered as a priority setting criteria for rare disease, but rather to present the ethical underpinning of funding rare diseases and to facilitate the conversation among the decision makers to make orphan drugs more accessible as highlighted in the publication by Monica Magalhaes^[3].

The remainder of this piece is structured as follows: first we highlight the different accepted definitions of rare diseases from different countries, which is followed by the challenges in prioritisation of rarity and the suggestion of a potential criteria for priority setting for rare diseases. Case studies from other countries are presented thereafter. Lastly, we present the ethical arguments for the reimbursement options for rare diseases and a proposal to investigate the potential of using severity as a priority setting criteria for rare disease in Thailand.



What are "rare" diseases?

Nowadays, there is no universal definition of rare disease ^[1, 2, 4]. In most countries the definition of rare diseases is based on the number of cases per total population or prevalence thresholds. For example, in the United Kingdom, rare disease is a condition which affects less than 1 in 2,000 people ^[5]. Meanwhile, in Japan, it is described as disease with fewer than 50,000 prevalent cases ^[6].

In Thailand, the definition of rare disease has never been defined by law. The current data provided by National Health Security Office (NHSO) in Thailand in 2019 mentions rare disease as the disease which occur one with fewer than 10,000 cases, whereas an ultra-rare disease is defined as a disease with fewer than 1,000 cases ^[7].

Challenges with prioritising rarity

The problem of prioritising rarity or judging which disease is more deserving of attention is a difficult issue. Since treating rare illnesses usually requires exorbitant sums of money, they do not often qualify for public funding under the standard cost-effectiveness parameters. The fundamental principle of these parameters is to obtain maximum health benefits, regardless of who gets it ^[3]. Thus, paying an elevated price for the treatment of rare diseases does not agree with the maximising approach cost-effectiveness parameters ^[3]. However, cost-effectiveness alone does not capture all the elements of disease and illness ^[8]. In addition, prioritising rarity as a category will always be mired in social controversy. Equality will be a formidable challenge for any authority or system dealing with such cases to support this group of people ^[3]. The injustice in the allocation of large portions of the health care budget to minority people instead of others with common diseases makes it more challenging to prioritise rarity. Therefore, an alternative criterion is required for decision-makers.

If not rarity, what else?

Another approach that can be employed is to prioritise severity over rarity. The importance of shifting the focus to severity is well established in Norway, Finland, France and Germany. Simply put, severity matters because there is a moral reason to treat the ones that are worse off than others ^[8]. However, there are not well-defined internationally accepted criteria for defining severity. One example of a severity scale that can be employed in decision making was proposed by Nord E ^[9]. The following figure depicts the adapted proposed severity scale with the arrows representing the health gain from treatment for three hypothetical individuals. Upon prioritising severity rather than rarity, the health gain acquired by individual A would be valued more than the health gain acquired by individual B ^[10].

	Problem level	Example (in terms of mobility)
	1 None (healthy)	
	2 Slight	Can move about anywhere, but has difficulties with walking more than 2km.
	3 Moderate	Can move about without difficulty at home, but has difficulties in stairs and outdoors.
	4 Considerate	Moves about with difficulty at home. Needs assistance in stairs and outdoors.
	5 Severe	Can sit. Needs help to move about – both at home and outdoors.
	6 Very severe	To some degree bedridden. Can sit in a chair part of the day if helped up by others.
	7 Completely disabled	Permanently bedridden.
	8 Dead	

Figure 1. Severity scale proposed by Nord E [9].

Examples of prioritising severity over rarity

Successful examples from different countries prioritising severity over rarity are a testament to the possibility of a cost-effective implementation of such a strategy. One such example is Norway, where the severity of the disease is a component in drug coverage decisions [11].

In the context of rare disease, health inequalities can widen when health maximisation is the only criteria for drug coverage decisions. To tackle this unfair distribution of health, Norway developed a system which considers the disease severity into the coverage decision of new drugs. Thus, in Norway, the following three priority setting criteria plays a key role in drug appraisal:

1. Health benefit

2. Resource use

3. Disease severity

In such a system, patients with very severe conditions have a stronger claim for treatment. Therefore, when all the other factors are equal, the ones with severe diseases often get higher priority.

In addition to Norway, the United Kingdom's National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) is an organisation that incorporates severity of the illness in the decision-making process [12]. For instance, during the appraisal of a drug, riluzole, used for the treatment of motor neuron diseases, the Technical Appraisal Committee (TAC) of NICE considered the "severity and relativity short lifespan" of affected individuals and subsequently recommend the use of this drug. Interestingly, this drug was approved despite its cost being higher than NICE's approved price range [13]. Similar examples of the NICE approving drugs and technology following considerations of severity has been reported. While, the severity of illness is not an explicit criterion in the decision-making process in the UK, there are examples where the TAC used severity as a criterion for drug appraisal. Although there are only a few countries in the world that have systematically incorporated concerns of severity into health technology appraisal, evidence from these countries points towards the feasibility of the approach.

Discussion

With a small potential market for such orphan drugs and no incentive for profit, such drugs often are very expensive when they find their way into the market. This high cost often makes these drugs non-ideal for public funding. The tension between the desire to yield maximum benefits from the finite resources and the rule of rescue makes the reimbursement of orphan drugs a subject of debate.

The utilitarian principle upon which cost-effectiveness heavily relies focuses on maximising the benefits for a fixed amount of money spent. Thus, funding these drugs goes against the utilitarian ethical view. On the other hand, the egalitarian ethical standpoint highlights the need for everyone to be treated equally and consequently posing an ethical imperative for the funding of rare diseases [14]. Additionally, some ethicists even agree that sometimes certain compensations are required, especially by the disadvantaged, in order to achieve equality [15]. However, this can lead to the using up of a significant amount of a finite public funds, thus leaving out another larger group of the population without access to healthcare. Therefore, the decision to choose rarity or severity as a parameter for public funding of drugs is not as black and white as it may seem.

In conclusion, considering the various ethical and moral trade-offs that are bound to occur, incorporating severity as an additional parameter in the decision-making process could be worth considering. The appropriateness of using this severity criteria can be witnessed from its successful incorporation into priority-setting by countries such as Norway and the United Kingdom. With Health Technology Assessment (HTA) at the heart of discussion around rare diseases, additional research is needed to assess the effectiveness of using severity criterion in Thailand. However, undoubtedly it is time that we jump on the wagon to explore new and innovative policy changes that can make healthcare accessible to everyone. We hope that this piece promotes the much-needed discussion and collaboration between policy makers and researchers to enhance access to rare and severe drugs.

References

1. Abozaid, G.M., et al., Criteria to define rare diseases and orphan drugs: a systematic review protocol. *BMJ Open*, 2022. 12(7): p. e062126.
2. Richter, T., et al., Rare Disease Terminology and Definitions-A Systematic Global Review: Report of the ISPOR Rare Disease Special Interest Group. *Value Health*, 2015. 18(6): p. 906-14.
3. Magalhaes, M., Should rare diseases get special treatment? *J Med Ethics*, 2022. 48(2): p. 86-92.
4. Pingali, V. and N. Das, Rare diseases require support too. *Vikalpa*, 2021. 46(2): p. 129-134.
5. Department of Health and Social Care, The UK Rare Diseases Framework. 2021.
6. Hayashi, S. and T. Umeda, 35 years of Japanese policy on rare diseases. *The Lancet*, 2008. 372(9642): p. 889-890.
7. National Health Security Office, "Golden Patent" prepares to find a way to organize a care system. "Rare Disease Patients". 2019; Available from: <https://www.hfocus.org/content/2019/08/17472>.
8. Barra, M., et al., Severity as a Priority Setting Criterion: Setting a Challenging Research Agenda. *Health Care Anal*, 2020. 28(1): p. 25-44.
9. Nord, E., The trade-off between severity of illness and treatment effect in cost-value analysis of health care. *Health Policy*, 1993. 24(3): p. 227-38.
10. Shah, K.K., Severity of illness and priority setting in healthcare: a review of the literature. *Health Policy*, 2009. 93(2-3): p. 77-84.
11. Tranvag, E.J., et al., Appraising Drugs Based on Cost-effectiveness and Severity of Disease in Norwegian Drug Coverage Decisions. *JAMA Netw Open*, 2022. 5(6): p. e2219503.
12. Shah, K.K., et al., NICE's social value judgements about equity in health and health care. *Health Economics, Policy and Law*, 2013. 8(2): p. 145-165.

Acknowledgement

This paper is a part of research project titled "Development of policy options to support reimbursement decisions on high-cost health interventions in Thailand's public healthcare system". HITAP was commissioned by the National Health Security Office (NHSO) in Thailand to conduct this study with funding from the Health Systems Research Institute (HRSI). This policy brief was written in consultation with Soudamini Dabak and Assoc. Prof. Wanrudee Isaranuwachai from HITAP

About the author

- Annapoorna Prakash, Project Associate, International Unit, HITAP
- Phornnaphat Chertchinnapa, Research Assistant, HITAP



Horizon Scanning in the European Union

Nyi Nyi Zayar

Dian Faradiba

Dimple Haresh Butani



Issue#22 March 2023



Key messages

- Horizon Scanning (HS) is the process of identifying new and emerging technologies before uptake into practice to evaluate the potential impact to inform decision-making.
- In the European Union (EU), the EuroScan International Network was established in 1997 and over time, given its expanded geographic scope, was renamed as the International HealthTechScan (i-HTS).
- The HS process in the EU generally consists of identification, filtration, prioritization, assessment, dissemination and monitoring. HS is mostly used for pharmaceutical products.
- Cross-country collaboration through an HS network reduces resources required to develop an HS system and offers opportunities to learn from other countries' experiences.
- HS agencies, including publicly funded agencies, need to work hand-in-hand with government bodies to ensure use of the outputs of the HS process.

What is Horizon Scanning (HS)?

Advancement of new technologies fosters significant benefits for the healthcare system, resulting in improved clinical outcomes of patients.¹ Majority of new technologies tend to have a high price point due to their complexity and substantial production costs.² This presents challenges for sustainable and fair access to medicines and health interventions even in high-income countries (HICs).^{3,4} In addition, some innovations may not be effective or may not lead to additional health benefits compared to established practices.⁵ Therefore, an innovative mechanism is required to identify and evaluate the

potential outcomes and healthcare costs of such new technologies before widely used. To fill this gap, Horizon Scanning (HS) has been developed to inform policy-makers to use evidence to make strategic decisions and prioritize efforts before such high-cost medicines enter into the market.^{4,6} HS is recommended as the first step of Health Technology Assessment (HTA) for countries in the European Union (EU) where HTA systems have been well established for over 20 years.⁷

What is the definition and objective of horizon scanning?

HS is defined as identification of new and emerging technologies before uptake into practice to evaluate potential impact for inform decision-making.⁸ It is intended to assess the extent of potential impact of new and emerging technologies including their economic impact, safety and efficacy, social and ethical considerations and any changes that may be needed at the system level in order to be recommended for use.



policy brief

Which countries use Horizon Scanning in the European Union (EU)?

According to a survey conducted in 2019, 10 out of 27 countries in the EU had already established their own national HS system.⁹ Among them, six countries systematically use HS (Iceland, Italy, the Netherlands, Norway, Sweden and the United Kingdom), and a further four countries (Austria, Denmark, France and Ireland) have established ongoing HS activities.⁹ The HS system in Italy was established in 2006 and is the oldest HS system in the EU region.¹⁰

Who are collaborating on Horizon Scanning in the EU?

In 1997, a network comprising representatives from Denmark, the Netherlands, Spain, Sweden, the United Kingdom (UK), Canada, and Switzerland was established with the aim of facilitating cross-country collaboration. The objectives of this network are to foster knowledge sharing and exchange of skills and experiences related to the identification and evaluation of emerging technologies, as well as to develop methodologies for early awareness and alert activities. Furthermore, the network serves as a platform for exchanging information on the safety and efficacy of new technologies.⁹ Two years later, it was set-up as the EuroScan International Network and expanded into a collaboration of 12 countries.¹¹

The network has since become a global one and renamed as the "International HealthTechScan (i-HTS)". This network includes regional groups, such as Africa (AfroScan), America (ScanAmericas), Asia (AsiaScan) and Europe (EuroScan).

In addition, other cross-national collaborations have emerged in the EU region such as the Valletta Declaration, Nordic Pharmaceutical Forum and International Horizon Scanning Initiative. Countries without national HS systems such as Croatia, Cyprus, Finland, Greece, Malta, Portugal, Romania, Slovenia and Spain have joined at least one of these networks with plans to establish an HS system in the near future.¹²

What is the process for Horizon Scanning in the EU?

HS in EU countries is used to identify pharmaceutical products, technologies for diagnosis and health interventions, public health interventions, and treatment delivery systems.¹³ However, based on a survey conducted in 2019, it was found that only Italy, Norway and the UK had HS systems in place to identify any type of health technologies, while other countries focused on identifying pharmaceutical products exclusively.⁹ In 2017, more than one-third of the requests for HS to the European Medicine Agency were related to anti-cancer and immunomodulating agents.¹⁴ Generally, there are six steps in the HS system in the EU, namely, identification, filtration, prioritization, assessment, dissemination and monitoring as shown in Figure 1.

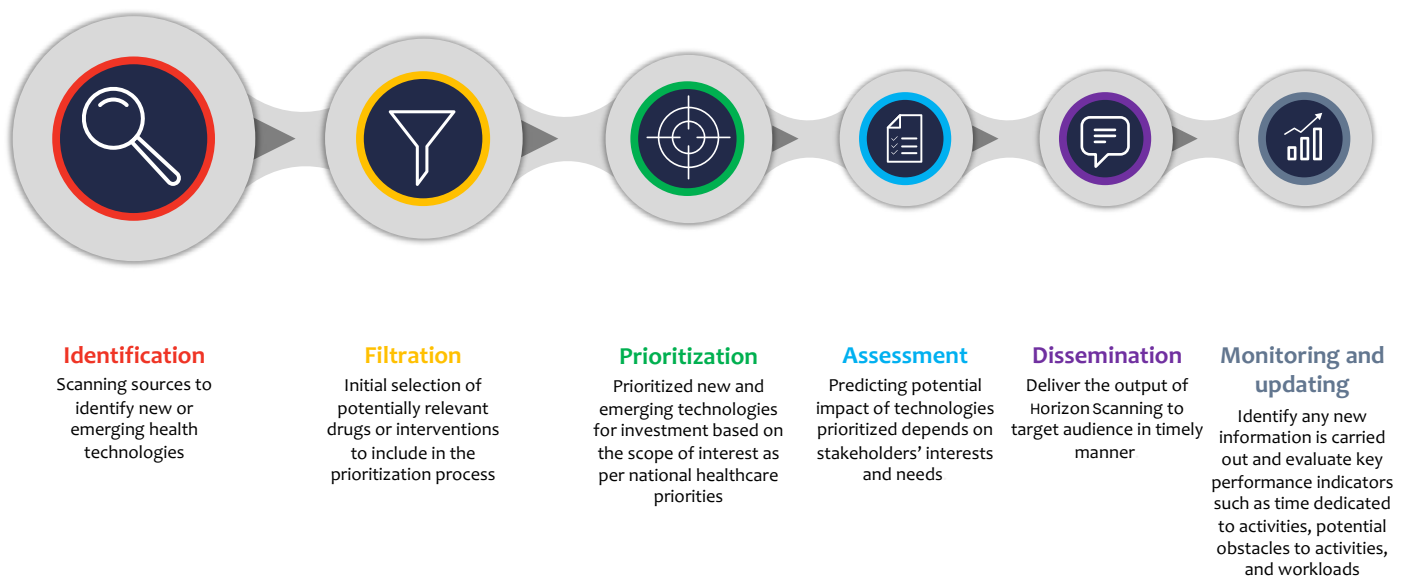


Figure 1 Steps in the HS System in the EU

Identification

Identification, the first step of HS, is the process of scanning sources to identify new or emerging health technologies.^{10,13,15-20} Majority of agencies involved in the EuroScan network, started the identification process from the "experimental" phase (phase II - III) of technologies or within two years before roll out into the market.²¹ Generally, sources for identification can be divided into four types as shown in Table 1.

Type of source	Country
Primary: The manufacturer, company websites, including press releases and investor report	EU-countries ¹³ , Sweden ¹⁶ , Italy ¹⁰ , UK ¹⁸ , Austria ¹⁹
Secondary: Regulatory agencies like FDA, scientific journals, internet news releases, conference proceedings, and health technology media outlets	EU-countries ¹³ , Sweden ¹⁶ , Austria ¹⁹ , Italy ¹⁰ , UK ^{18,22} , Norway ¹⁷
Tertiary: Other EAA systems or registries of clinical studies	EU-countries ¹³ , Sweden ¹⁶ , Italy ¹⁰ , Austria ¹⁹
Consultation with stakeholders including clinical experts and technical developers	Italy ¹⁰ , UK ¹⁸ ,
Open call to stakeholders for submission of new and emerging technologies by using structured notification form	Italy ¹⁰
Patients' suggestion	Netherlands ²⁷ , UK ¹⁸

Table 1. Type of sources involved in identification process

Primary sources include direct information from manufacturers or investors.^{8,10,13,16,19} Secondary sources such as the media or other channels as well as published articles.^{8,10,13,16,17,19,22} Tertiary sources include information from other organizations engaged in identifying new healthcare technologies.^{10,13,16}

Identification is usually conducted by staff from HS agencies²⁰ and stakeholders representing government bodies, clinical experts, medical associations and patient associations.^{10,15}

Filtration

Filtration refers to identifying an initial list of potentially relevant drugs or interventions to include in the prioritization process.²³ There are three criteria to filter new and emerging technologies: 1) early phase of development (phase II - III) or early post-marketing stage^{16,19,23,2} the targeted technology of interest¹⁵ (for instance, pharmaceutical products or surgical procedures), and 3) completeness of information available in sources.¹⁵

Prioritization

Following the filtration process, new and emerging technologies are prioritized for investment based on the scope of interest as per national healthcare priorities.¹³ Generally, it is based on criteria related to patient, disease, health systems and technology perspectives, as shown in Table 2. Prioritization is usually conducted through stakeholder consultations or focus group discussions.¹⁷ During the consultation, individual stakeholders provide scores to products based on the four criteria and products are prioritized based on the total score received.¹⁰

Assessment

Assessment is the process of determining the potential impact of technologies prioritized depends on stakeholders' interests and needs.^{10,23} It involves developing HTA model or having focus group discussions with relevant experts.¹⁷

Prioritization criteria	Country
Patient perspective <ul style="list-style-type: none"> Number of patients eligible for the drug under considerations; Applicable to a small proportion of the population but with obvious and far-reaching benefits; Intended use of the new therapy; Anticipated clinical benefit; Ethical issue; Risk; Cost 	Austria ²³ , EU-countries ¹³ , Italy ¹⁵ , Sweden ¹⁶ , Norway ¹⁷ , UK ¹⁸
Disease perspective <ul style="list-style-type: none"> Burden of disease 	Sweden ¹⁶
Health system perspective <ul style="list-style-type: none"> Level of resource utilization 	Austria ²³ , EU-countries ¹³ , Sweden ¹⁶ , Norway ¹⁷ , UK ¹⁸
Technology perspective <ul style="list-style-type: none"> Novelty; Level of interest from media; Anticipated sub-optimal market uptake 	Sweden ¹⁶ , Norway ¹⁷ , UK ¹⁸

Table 2. Prioritization Criteria for new and emerging technologies

The assessment criteria take three perspectives: patient, economic evaluation and type of new drug or technology. The patient perspective considers the potential impact at the patient, in terms of level of satisfaction, level of effectiveness, and level of utility.^{10,17,18} The economic evaluation perspective focuses on estimating accurate economic impact following the uptake.^{10,18} Lastly, the level of innovation and probability of implementation in the near future are taken into account from the technology perspective.¹⁷

Internal peer-review is conducted to check for accuracy and consistency of the assessment report before being published.¹⁰ The assessment report is distributed to experts from the medical advisory committees such as Medical Services Advisory Committee or other dedicated organizations assessing the safety and efficacy of new drugs or interventions.¹⁶

Dissemination

Dissemination is the process of delivering the output of HS to the target audience in a timely manner.²³ Fundamentally, dissemination reports provide information on: target population, description of the procedure and technology, clinical importance and epidemiological data of the disease, current development stage, potential benefit of the technology over current alternatives, safety, effectiveness, cost-effectiveness, social, ethical and organizational impact.

The reports are disseminated in the forms of alert report, brief, early assessment report or newsletters to the target audience from government bodies, pharmaceutical and technology industries, medical and patient associations.¹⁵ For members of the EuroScan network, the HS reports are uploaded on EuroScan database for an international audience.¹⁵ However, some of the reports like internal reports are confidential and distributed only to decision-makers, the HTA department, and other internal stakeholders for peer review.¹⁰

Monitoring and updating

It is important to periodically monitor key performance indicators such as time dedicated to activities, potential obstacles to activities, and the workload of conducting HS.¹⁰ It is also important to keep abreast and update the information. This is because of the nature of uncertainty of the information in early assessment which can change or be updated frequently before the technology is implemented. It may be necessary to consider re-assessment in some cases.^{10,19,23}

How is Horizon Scanning used as a policy tool?

Countries with national systems with systematic use of HS such as Italy, the Netherlands, Norway and the UK have fully integrated the HS system into their pharmaceutical policy frameworks and is used in the decision-making process.⁹ The HS system is widely used to assess new technologies in the area of oncology, preventing infectious diseases such as vaccines, immunological and rare diseases due to their nature of rapidly evolving and limited treatment options.^{14,24,25}

What are the challenges of Horizon Scanning in the EU?

The HS system in the EU is one of the most established system that is established since 1985.²⁶ However, it is not a system without challenges.

First, there are limited resources available for short-term and long-term operations in terms of finances, appropriate expertise and logistical constraints.¹⁰ In some instances, there is low participation of stakeholders, possibly due to limited interest and knowledge especially of new technologies such as Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs).^{10,13,15,18} This is reflected in that fact that only 10 out of 27 of the EU countries have established an HS system to date.⁹

Second, accuracy of prediction in assessing possible implications of new and emerging technologies might be insufficient because of limited knowledge of drugs and technologies at the early development stage.^{8,10,18,23}

Third, the ultimate goal of HS is to support the managed entry of new technologies into the health system and it is crucial that this information reaches policy makers. Nevertheless, there are some challenges in coordination and communication between technical experts and government bodies.⁹ For instance, some of the internal reports on HS results are only delivered within HTA agency and without being distributed to decision makers.¹⁰ There is also a risk that the findings may not be used by policy-makers if the HS process is conducted by organizations that are not directly connected with the government health system.⁹

What are the strengths of international collaboration and networking for Horizon Scanning?

International collaboration and networking can alleviate many of the limitations of the national HS process. The i-HTS network is one of the best examples of an HS network where working groups among members in the network are set up for HS of specific technologies such as ATMPs, and by collaborating together, can reduce the extent of resources required and expand the availability of expertise.⁹ Additionally, it creates opportunities to develop an effective HS system by taking lessons learnt from HS experiences of other countries. Last but not least, sharing HS information in the network is time-saving, avoids duplication and enhances learning best-practices of HS methodologies and activities across the system.^{10,15}

References

1. Ortiz E, Clancy CM. Use of Information Technology to Improve the Quality of Health Care in the United States. *Health Serv Res.* 2003 Apr;38(2):xi-xxii.
2. Partners OC. High Cost of R&D Innovation in Healthcare [Internet]. Objective. 2019 [cited 2023 Feb 17]. Available from: <https://objectivecp.com/high-cost-of-rd-innovation-in-healthcare/>
3. Vogler S. Fair prices for medicines? Exploring competent authorities' and public payers' preferences on pharmaceutical policies. *Empirica.* 2019 Aug 1;46(3):443-69.
4. Council conclusions on strengthening the balance in the pharmaceutical systems in the EU and its Member States [Internet]. [cited 2022 Nov 16]. Available from: <https://www.consilium.europa.eu/en/press/press-releases/2016/06/17/epsco-conclusions-balance-pharmaceutical-system/>
5. Medicine I of M (US) C on TI in, Gelijns AC, Halm EA. The Diffusion of New Technology: Costs and Benefits to Health Care [Internet]. The Changing Economics of Medical Technology. National Academies Press (US); 1991 [cited 2023 Feb 17]. Available from: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK234309/>
6. Vogler S, Paris V, Panteli D. Ensuring access to medicines: How to redesign pricing, reimbursement and procurement? :37.
7. Topic Identification, Selection and Prioritisation - EUneHTA [Internet]. 2018 [cited 2022 Dec 5]. Available from: <https://www.eunetha.eu/ja3services/horizon-scanning/>
8. Simpson S, Hyde C, Cook A, Packer C, Stevens A. Assessing the accuracy of forecasting: Applying standard diagnostic assessment tools to a health technology early warning system. *Int J Technol Assess Health Care.* 2004 Aug;20(3):381-4.
9. Vogler S. "Ready for the future?" - Status of national and cross-country horizon scanning systems for medicines in European countries. *Ger Med Sci.* 2022 Mar 31;20:Doc05.
10. Marangi M, Ivanovic J, Pistrutto G. The Horizon Scanning System at The Italian Medicines Agency. *Drug Discovery Today.* 2019 Jun;24(6):1268-80.
11. About us - International HealthTechScan [Internet]. [cited 2022 Nov 19]. Available from: <https://www.i-hits.org/about-us>
12. World Health Organization. Regional Office for Europe. Cross-country collaborations to improve access to medicines and vaccines in the WHO European Region [Internet]. World Health Organization. Regional Office for Europe; 2020 [cited 2023 Feb 21]. 50 p. Available from: <https://apps.who.int/iris/handle/10665/332933>
13. Wild C, Simpson S, Douw K, Geiger-Gritsch S, Mathis S, Langer T. Information service on new and emerging health technologies: Identification and prioritization processes for a European Union-wide newsletter. *Int J Technol Assess Health Care.* 2009 Dec;25(S2):48-55.
14. Denis H, Bermudez E, Krol A, Negellen S, Duperray M. Horizon scanning systems applied for Cancer control in Europe [Internet]. Innovative Partnership for Action Against Cancer (IPAAAC); 2020. Report No.: 1. Available from: <https://www.ipaac.eu/res/file/outputs/wp9/horizon-scanning-systems-cancer-control-europe.pdf>
15. Migliore A, Perrini MR, Jefferson T, Cerbo M. Implementing a National Early Awareness and Alert System for New and Emerging Health Technologies in Italy: The Cote Project. *Int J Technol Assess Health Care.* 2012 Jul;28(3):321-6.
16. Eriksson I, Wettermark B, Persson M, Edström M, Godman B, Lindhé A, et al. The Early Awareness and Alert System in Sweden: History and Current Status. *Front Pharmacol.* 2017 Oct 5;8:674.
17. A Kjelsnes A, Feiring E. Models of integrated care for older people with frailty: a horizon scanning review. *BMJ Open.* 2022 Apr;12(4):e060142.
18. Simpson S, Cook A, Miles K. Patient and Public Involvement in Early Awareness and Alert Activities: An Example from the United Kingdom. *Int J Technol Assess Health Care.* 2018;34(1):10-7.
19. Grössmann N, Wolf S, Rosian K, Wild C. Pre-reimbursement: early assessment for coverage decisions. *Wien Med Wochenschr.* 2019 Sep;169(11-12):254-62.
20. Smith J, Cook A, Packer C. Evaluation criteria to assess the value of identification sources for horizon scanning. *Int J Technol Assess Health Care.* 2010 Jul;26(3):348-53.
21. Packer C, Simpson S, de Almeida RT. Euroscan International Network Member Agencies: Their Structure, Processes, and Outputs. *Int J Technol Assess Health Care.* 2015;31(1-2):78-85.
22. Chase D, Milne R, Stein K, Stevens A. What are The Relative Merits of The Sources Used to Identify Potential Research Priorities for The NHS HTA Programme? *J of Inter Tech of Health Care.* 2000 Jul;16(03):743-50.
23. Nachtnebel A, Geiger-Gritsch S, Hintringer K, Wild C. Scanning the horizon—Development and implementation of an early awareness system for anticancer drugs in Austria. *Health Policy.* 2012 Jan;104(1):1-11.
24. Sheikh S, Biundo E, Courcier S, Damm O, Launay O, Maes E, et al. A report on the status of vaccination in Europe. *Vaccine.* 2018 Aug 9;36(33):4979-92.
25. Godman B, Bucsics A, Vella Bonanno P, Oortwijn W, Rothe CC, Ferrario A, et al. Barriers for Access to New Medicines: Searching for the Balance Between Rising Costs and Limited Budgets. *Frontiers in Public Health [Internet].* 2018 [cited 2023 Feb 19];6. Available from: <https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fpubh.2018.00328>
26. Carlsson P, Jorgensen T. Early Identification and Assessment of Emerging Health Technology.
27. Uzerman MJ, Steuten LMG. Early Assessment of Medical Technologies to Inform Product Development and Market Access: A Review of Methods and Applications. *Applied Health Economics and Health Policy.* 2011 Sep;9(5):331-47.

Acknowledgement

The policy brief is part of a series reflecting international experience to expand access to high-cost drugs. HITAP was commissioned by the National Health Security Office (NHSO) in Thailand to conduct this study with funding from the Health System Research Institute (HSRI). This policy brief benefitted from the insights and advice provided by Saudamini Vishwanath Dabak, Head of International Unit from HITAP (Thailand).

About the author

1. Nyi Nyi Zayar, Project Associate, International Unit, HITAP (Thailand)
2. Dian Faradiba, Project Associate, International Unit, HITAP (Thailand)
3. Dimple Haresh Butani, Project Associate, International Unit, HITAP (Thailand)

