



การประเมินความคุ้มค่าของการขยายสิทธิการรักษา ผู้ป่วยโรคโกเชอร์ด้วยเอนไซม์ทดแทน

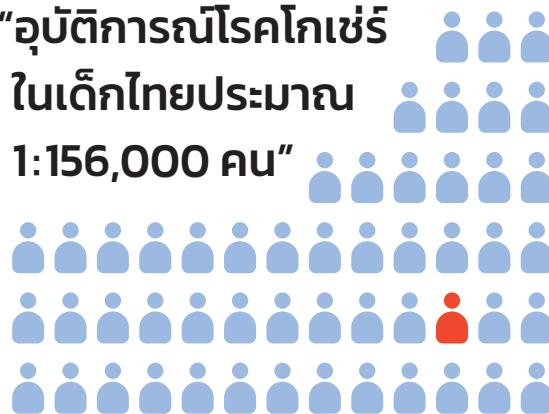
Highlight

- ปัจจุบันการรักษาโรคโกเชอร์ซึ่งเป็นโรคทางพันธุกรรมหายากอยู่ในชุดสิทธิประโยชน์เฉพาะผู้ป่วยชนิดที่ 1 ขณะที่ผู้ป่วยในประเทศไทยส่วนใหญ่เป็นผู้ป่วยชนิดที่ 3b ที่มีอาการรุนแรงมากกว่า เพราะผู้ป่วยมีอาการทางสมองร่วมด้วย การรักษาในปัจจุบันยังไม่ครอบคลุมผู้ป่วยกลุ่มนี้ จึงเป็นที่มาของการศึกษาเพื่อขยายสิทธิในการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทนสำหรับผู้ป่วยชนิดที่ 3b
- หากบริษัทยาลดราคาลงจากปัจจุบันประมาณ 50-60% จะทำให้การขยายสิทธิประโยชน์ด้านยารักษาผู้ป่วยชนิดที่ 1 และ 3b มีความคุ้มค่าสำหรับประเทศไทย
- การเพิ่มอัตราการปลูกถ่ายไขกระดูกหลังการรักษาด้วยเอนไซม์ นอกจากจะทำให้นโยบายการรักษาโรคโกเชอร์มีความคุ้มค่า ยังช่วยลดผลกระทบงบประมาณของประเทศได้มาก

โรคโกเชอร์

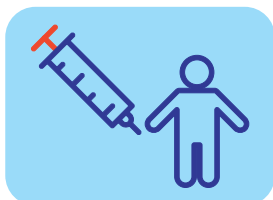
โรคโกเชอร์เป็นโรคทางพันธุกรรมหายาก เกิดจากการขาดเอนไซม์กลูโคซีรีโบซิเดส ทำให้เกิดการสะสมของสารประเภทไขมันในเซลล์ ส่งผลให้เซลล์มีขนาดใหญ่หรือมีรูปร่างผิดปกติในอวัยวะหลายระบบ เช่น ตับโต ม้ามโต มีความผิดปกติทางระบบเลือดและกระดูก เป็นต้น

“อุบัติการณ์โรคโกเชอร์
ในเด็กไทยประมาณ
1:156,000 คน”



“แม้เป็นโรคหายาก แต่สามารถรักษาได้”

การรักษา ทำได้ 2 แนวทาง ดังนี้



1 รักษาโดยใช้เอนไซม์ทดแทน
ยาที่ได้รับการขึ้นทะเบียนในไทยมี 2 รายการ ได้แก่ imiglucerase และ velaglucerase ซึ่งผู้ป่วยต้องรับยาทุก ๆ 2 สัปดาห์ ไปตลอดชีวิต



2 การปลูกถ่ายไขกระดูก HSCT (Hematopoietic Stem Cell Transplantation)
ทำให้ร่างกายสามารถสร้างเอนไซม์ได้เอง หายขาดจากโรค แต่ต้องทำตอนผู้ป่วยอายุไม่มาก

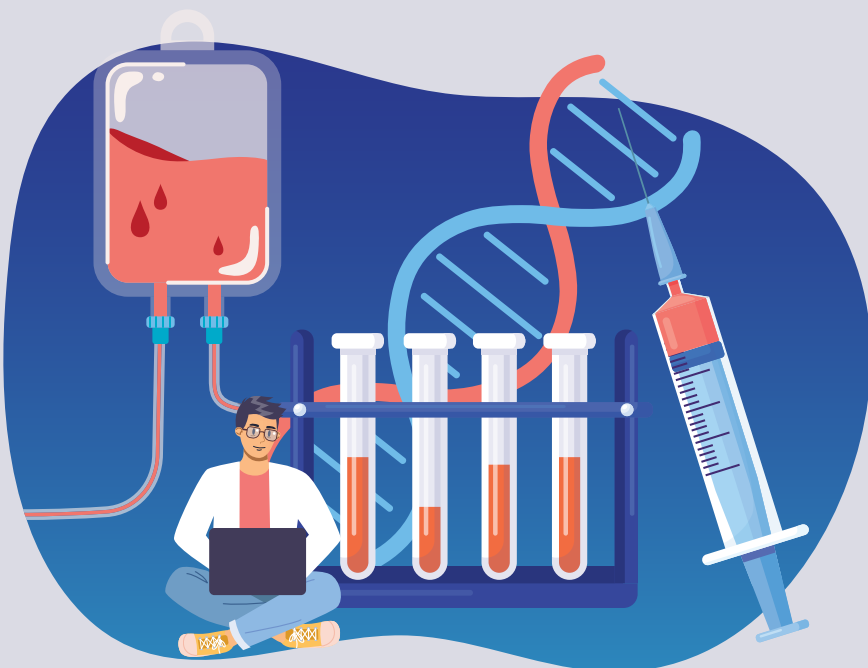
แม้ปัจจุบันจะมียา
ในบัญชียาหลักแห่งชาติ
สำหรับผู้ป่วยชนิดที่ 1 แล้ว
แต่ผู้ป่วยชนิดที่ 3b
ที่พบมากในประเทศไทยกลับ
ยังไม่สามารถ
เข้าถึงยานี้ได้

ความคุ้มค่าของการขยายสิทธิประโยชน์การรักษาผู้ป่วยโรคโกเชอร์

การรักษาผู้ป่วยโรคโกเชอร์ทั้งชนิดที่ 1 และ 3b ด้วย imiglucerase หรือ velaglucerase ยังไม่มีความคุ้มค่าในบริบทของประเทศไทย ณ ราคายาปัจจุบัน ดังตารางแสดงผลการศึกษาข้างล่างนี้

	นโยบายปัจจุบัน	นโยบายใหม่	
		Imiglucerase	Velaglucerase
ต้นทุนตลอดชีพ (บาท)	66,430,000	132,971,000	158,430,000
ปีชีวิต (ปี)	12.11	22.33	
ปีสุขภาวะ หรือ QALY (ปี)	9.15	18.98	
ผลต่างของต้นทุน (บาท)		66,541,000	92,000,000
ผลต่างของปีสุขภาวะ (ปี)		9.83	
ICER ต่อ 1 ปีสุขภาวะ		6,769,000	9,359,000

หมายเหตุ: ตัวเลขเป็นการปิดเศษให้เป็นจำนวนเต็มที่ใกล้เคียงที่สุด
 QALY, quality-adjusted life-year; ICER, incremental cost-effectiveness ratio



แต่หากบริษัทยาสามารถลดราคายาให้เหลือประมาณ 20,000 บาท ต่อ 1 vial (400 U) จะทำให้นโยบายขยายสิทธิประโยชน์การรักษาผู้ป่วยโรคโกเชอร์ทั้งชนิดที่ 1 และ 3b ด้วย imiglucerase หรือ velaglucerase มีความคุ้มค่าเมื่อเทียบกับเกณฑ์ความคุ้มค่าของประเทศไทยที่กำหนดไว้ที่ 160,000 บาทต่อปีสุขภาวะ

ภาระงบประมาณของกองทุนประกันสุขภาพ

การขยายสิทธิประโยชน์การรักษาผู้ป่วยโรคโคเชอร์ทั้งชนิดที่ 1 และ 3b มีภาระงบประมาณที่ต้องลงทุนเพิ่มประมาณ 81 ล้านบาท ถึง 138 ล้านบาท เปรียบเทียบกับนโยบายปัจจุบัน

การปลูกถ่ายไขกระดูก เพิ่มความคุ้มค่าของนโยบายใหม่

การเพิ่มอัตราการปลูกถ่ายไขกระดูกมีผลต่อความคุ้มค่าของการรักษาผู้ป่วยโรคโคเชอร์ทั้งชนิดที่ 1 และ 3b โดยหากเพิ่มอัตราการปลูกถ่ายไขกระดูกของผู้ป่วยหลังได้รับเอนไซม์จากร้อยละ 17 เป็นร้อยละ 92 นอกจากจะทำให้นโยบายนี้มีความคุ้มค่า คือใช้เงินงบประมาณน้อยกว่าสถานการณ์ปัจจุบันและได้ผลลัพธ์ทางสุขภาพมากขึ้น ยังสามารถลดผลกระทบด้านงบประมาณรวม 5 ปีอีกด้วย

ดังนั้น กลุ่มผู้ที่มีส่วนได้ส่วนเสียเสนอให้มีการจัดตั้งคณะกรรมการภายใต้คณะกรรมการพัฒนาระบบการดูแลรักษาโรคหายาก เพื่อพัฒนาและจัดบริการแบบองค์รวม รวมถึงจัดทำข้อเสนอเพื่อให้ผู้ป่วยโรคโคเชอร์เข้าถึงการปลูกถ่ายไขกระดูกให้มากขึ้น

ตารางแสดงภาระงบประมาณของนโยบายการรักษาโรคโคเชอร์ ณ สถานการณ์การปลูกถ่ายไขกระดูกที่อัตราต่าง ๆ



ผลกระทบด้านงบประมาณ (ล้านบาท)	นโยบายปัจจุบัน	นโยบายใหม่	
		Imiglucerase	Velaglucerase
สถานการณ์ปัจจุบันของการปลูกถ่ายไขกระดูก			
◆ ผลกระทบด้านงบประมาณรวม 5 ปี	208	289	346
◆ งบประมาณที่ต้องลงทุนเพิ่ม		81	138
สถานการณ์ที่ 50% ของผู้ป่วยที่อาการดีขึ้นหลังการรักษาด้วยเอนไซม์ ได้ปลูกถ่ายไขกระดูก			
◆ ผลกระทบด้านงบประมาณรวม 5 ปี	208	286	342
◆ งบประมาณที่ต้องลงทุนเพิ่ม		78	134
สถานการณ์ที่ผู้ป่วยทั้งหมดที่อาการดีขึ้นหลังการรักษาด้วยเอนไซม์ ได้ปลูกถ่ายไขกระดูก			
◆ ผลกระทบด้านงบประมาณรวม 5 ปี	208	215	254
◆ งบประมาณที่ต้องลงทุนเพิ่ม		7	46

หมายเหตุ: ตัวเลขเป็นการปิดเศษให้เป็นจำนวนเต็มทีใกล้เคียงที่สุด

เกี่ยวกับการศึกษา

การศึกษานี้เป็นการวิเคราะห์ต้นทุนอรรถประโยชน์ (cost-utility analysis) และผลกระทบด้านงบประมาณโดยใช้แบบจำลองทางเศรษฐศาสตร์ Decision Tree และ Markov เพื่อตอบคำถามเชิงนโยบายว่า การขยายสิทธิประโยชน์ด้านยารักษาผู้ป่วยโรคโกเชอร์ทั้งชนิดที่ 1 และ 3b (นโยบายใหม่) มีความคุ้มค่าหรือไม่ การรักษาด้วย imiglucerase หรือ velaglucerase มีความคุ้มค่าต่างกันหรือไม่ และมีภาระงบประมาณเท่าไร เมื่อเปรียบเทียบกับนโยบายปัจจุบันที่ผู้ป่วยโรคโกเชอร์ชนิดที่ 1 เท่านั้นที่ได้รับการรักษาด้วย imiglucerase ที่อยู่ในบัญชียาหลักแห่งชาติ โดยระเบียบวิธีวิจัยดำเนินงานตามแนวทางการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพของประเทศไทย สำหรับตัวแปรที่ใช้ในแบบจำลองมาจากการเก็บข้อมูลการรักษาผู้ป่วยโรคโกเชอร์ในประเทศไทย การทบทวนวรรณกรรมทั้งในและต่างประเทศ และการสัมภาษณ์ผู้ป่วยโรคโกเชอร์



สแกน QR code เพื่อติดตามงานวิจัย

เอกสารฉบับนี้เป็นส่วนหนึ่งของโครงการวิจัยการประเมินความคุ้มค่าของ imiglucerase และ velaglucerase ในการรักษาผู้ป่วยโรคโกเชอร์ ชนิดที่ 1 และ 3b

โดย ญ.วรัญญา รัตนวิภาพงษ์, รศ. ดร. พญ.ธัญรัตน์ อโนทัยสินทวี, ศ. พญ.ดวงฤดี วัฒนศิริชัยกุล, ศ. ดร. พญ.กัญญา คุภะพีดิพร, พ.อ. ศ. นพ.ชาญชัย ไตรวารีย์, รศ. พญ.ทิพย์วิมล ทิมอรุณ, รศ. พญ.พิมพ์ลักษณ์ เจริญขวัญ, ผศ. นพ.กฤษณะ วิชาจารย์, ผศ. พญ.อัจฉรา เสถียรกิจการชัย และพญ.จุฬาลักษณ์ คุปตานนท์

ที่ปรึกษางานวิจัย รศ. ดร.วรรณฤดี อิศรานุกวัฒน์ชัย และดร. นพ.ยศ ตีระวัฒนานนท์

งานวิจัยนี้ได้รับการสนับสนุนจากสำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา และสำนักงานคณะกรรมการส่งเสริมวิทยาศาสตร์ วิจัยและนวัตกรรม

ผู้เขียน



ญ.วรัญญา
รัตนวิภาพงษ์



รศ. ดร. พญ.ธัญรัตน์
อโนทัยสินทวี



รศ. ดร.วรรณฤดี
อิสรานุกวัฒน์ชัย



ดร. นพ.ยศ
ตีระวัฒนานนท์



ท่านที่สนใจรับ Policy brief ฉบับ PDF สมัครงได้ที่ comm@hitap.net โดยระบุชื่อ-อีเมล เพื่อจัดส่งหรือดาวน์โหลด Policy brief ฉบับอื่น ๆ ได้ที่ <https://www.hitap.net/resources/downloads>

HITAP เป็นองค์กรวิจัยภายใต้สังกัดกระทรวงสาธารณสุข ที่ศึกษาผลกระทบทั้งบวกและลบจากการใช้เทคโนโลยี หรือนโยบายด้านสุขภาพเพื่อสนับสนุนการตัดสินใจด้านนโยบายของภาครัฐ 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



HITAPTHAILAND



HITAP_THAI



HITAP_THAI



HITAP.NET



Health Intervention and Technology Assessment Program