

รายงานการประชุมผู้เชี่ยวชาญเพื่อให้ข้อเสนอแนะต่อ
“การพัฒนาแนวทางสำหรับการวินิจฉัย ดูแลรักษาและควบคุมป้องกันโรคปอมเปย์ และโรค MPS
สำหรับผู้ป่วยในระบบหลักประกันสุขภาพถ้วนหน้า”
วันศุกร์ที่ 5 กุมภาพันธ์ 2564 เวลา 13.00-16.00 น.

Zoom Meeting ID: 921 7736 9682

ผู้เข้าร่วมประชุม

1	ศ.พญ.ดวงฤดี วัฒนศิริชัยกุล	คณะแพทยศาสตร์ โรงพยาบาลรามาริบัติ มหาวิทยาลัยมหิดล
2	ผศ.พญ.ทิพย์วิมล ทิมอรุณ	คณะแพทยศาสตร์ โรงพยาบาลรามาริบัติ มหาวิทยาลัยมหิดล
3	พญ.จุฬาลักษณ์ คุปตานนท์	สถาบันสุขภาพเด็กแห่งชาติมหาราชินี กรมการแพทย์ กระทรวงสาธารณสุข
4	ผศ.พญ.อัจฉรา เสถียรกิจการชัย	คณะแพทยศาสตร์ศิริราชพยาบาล มหาวิทยาลัยมหิดล
5	ศ.ดร.พญ.กัญญา สุภปิติพร	คณะแพทยศาสตร์ จุฬาลงกรณ์มหาวิทยาลัย
6	ผศ.ดร.นพ.อุดมศักดิ์ แซ่โจ้ว	สถาบันวิจัยวิทยาการสุขภาพ มหาวิทยาลัยวลัยลักษณ์
7	ภญ.ณัฐญา เจริญภักดี	สมาคมผู้วิจัยและผลิตเภสัชภัณฑ์
8	คุณบุญ พุฒิพงศ์ธนโชติ	ประธานมูลนิธิโรคพันธุกรรมแอลเอสดี
9	คุณธนพล ดอกแก้ว	นายกสมาคมเพื่อนโรคไตแห่งประเทศไทย
10	คุณบุศราภรณ์ เพชรรุ่ง	สถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข
11	ทพ.จเร วิชาไทย	สถาบันวิจัยระบบสาธารณสุข
12	คุณนริศา มั่นทางกูร	สำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ
13	รศ.ดร.ภญ. มนทร์ธัมภ์ ถาวรเจริญทรัพย์	คณะเภสัชศาสตร์ มหาวิทยาลัยมหิดล
14	รศ.ดร.ภญ. อุษา ฉายเกล็ดแก้ว	คณะเภสัชศาสตร์ มหาวิทยาลัยมหิดล
15	ผศ.ดร.ภญ. ศิตาพร ยังกง	คณะเภสัชศาสตร์ มหาวิทยาลัยมหิดล
16	ภก. พลกร กิจศิริวัฒนกุล	คณะเภสัชศาสตร์ มหาวิทยาลัยมหิดล

กำหนดการประชุมผู้เชี่ยวชาญ

การประชุมเพื่อให้ข้อคิดเห็นในการพัฒนาโครงร่างงานวิจัยการศึกษาการประเมินด้านเศรษฐศาสตร์ สาธารณสุขของการวินิจฉัยดูแลรักษาผู้ป่วยและควบคุมป้องกันโรคเพื่อการเข้าถึงบริการ กลุ่มโรค พันธุกรรม แอลเอสดี: โรค Mucopolysaccharidosis (MPS) และโรค Pompe

วันศุกร์ที่ 5 กุมภาพันธ์ พ.ศ. 2564 เวลา 13.00 – 16.00 น.

ผ่านสื่ออิเล็กทรอนิกส์ โปรแกรม ZOOM Topic: Stakeholder meeting for Pompe and MPS, Meeting ID: 921 7736 9682, Passcode: PompeMPS

- | | |
|------------------|--|
| 13.00 – 13.10 น. | กล่าวชี้แจงวัตถุประสงค์ของการประชุม
โดย รศ.ดร.ภญ. มนทร์ดี ถาวรเจริญทรัพย์ |
| 13.10 – 13.35 น. | นำเสนอโครงร่างงานวิจัยและกรอบในการประเมินความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ฯ ของการวินิจฉัยดูแลรักษาผู้ป่วยและควบคุมป้องกันโรคเพื่อการเข้าถึงบริการ กลุ่มโรคพันธุกรรม แอลเอสดี: โรค Mucopolysaccharidosis (MPS) |
| 13.35 – 14.30 น. | ผู้เชี่ยวชาญร่วมอภิปรายและให้ข้อเสนอแนะ |
| 14.30 – 14.55 น. | นำเสนอโครงร่างงานวิจัยและกรอบในการประเมินความคุ้มค่าทางเศรษฐศาสตร์ฯ ของการวินิจฉัยดูแลรักษาผู้ป่วยและควบคุมป้องกันโรคเพื่อการเข้าถึงบริการ กลุ่มโรคพันธุกรรม แอลเอสดี: โรค Pompe |
| 14.55 – 15.45 น. | ผู้เชี่ยวชาญร่วมอภิปรายและให้ข้อเสนอแนะ |
| 15.45 – 16.00 น. | สรุปข้อเสนอแนะจากที่ประชุม |

เริ่มประชุมเวลา 13.15 น. (โรคเอ็มพีเอส, Mucopolysaccharidosis MPS)

รศ.ดร.ภญ. มนทรัตม์ ถาวรเจริญทรัพย์ กล่าวต้อนรับผู้เข้าร่วมประชุมและชี้แจงที่มาของโครงการฯ และวัตถุประสงค์ของการประชุม โดยแจ้งว่าทางทีมวิจัยกำลังพัฒนาโครงร่างงานวิจัยเกี่ยวกับ การวินิจฉัย ดูแลรักษาผู้ป่วยและควบคุมป้องกันโรค เพื่อการเข้าถึงบริการ กลุ่มโรคพันธุกรรมแอลเอสดี: โรค Mucopolysaccharidosis (MPS) และโรค Pompe ซึ่งเป็นหัวข้อที่ได้รับการจัดลำดับความสำคัญในปี พ.ศ. 2563 ที่ต้องมีการศึกษา/ประเมินเพื่อเป็นข้อมูลประกอบการพิจารณาสำหรับพัฒนาเป็นสิทธิประโยชน์ในระบบหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ โดยวัตถุประสงค์ของการจัดประชุมในครั้งนี้คือ เพื่อรับฟังข้อคิดเห็นจากผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย เกี่ยวกับวิธีการวิจัย วัตถุประสงค์การวิจัยและระเบียบวิธีวิจัยเบื้องต้น เพื่อนำไปปรับปรุงโครงร่างงานวิจัยให้มีความเหมาะสมมากขึ้น

รศ.ดร.ภญ. มนทรัตม์ ถาวรเจริญทรัพย์ ได้นำเสนอโครงร่างการวิจัยเกี่ยวกับโครงร่างงานวิจัย การวินิจฉัย ดูแลรักษาผู้ป่วยและควบคุมป้องกันโรค เพื่อการเข้าถึงบริการกลุ่มโรคพันธุกรรมแอลเอสดี: โรค Mucopolysaccharidosis (MPS) ซึ่งได้กล่าวถึง ความชุก อาการ และวิธีการคัดกรองและรักษา โรค MPS ชนิดต่างๆ และได้แนะนำวัตถุประสงค์ของการวิจัยในครั้งนี้ซึ่งได้แก่ เพื่อ 1) ศึกษาสถานการณ์โรค MPS ในประเทศไทย 2) ศึกษาต้นทุนบริการทางการแพทย์ (คัดกรอง วินิจฉัย รักษา และฟื้นฟู) สำหรับผู้ป่วยโรค MPS ชนิดต่างๆ 3) ศึกษาสถานการณ์การให้บริการ (ระบบคัดกรอง วินิจฉัย รักษา และ ฟื้นฟู) ในประเทศไทย ตลอดจนปัญหาและอุปสรรค 4) ทบทวนวรรณกรรม (4.1 ประสิทธิภาพ/ความปลอดภัย ของการคัดกรอง วินิจฉัย รักษา ด้วยวิธีการต่างๆ จำแนกตามชนิดของโรค MPS, 4.2) แนวทางเวชปฏิบัติสำหรับการคัดกรอง วินิจฉัย รักษาและฟื้นฟูของประเทศไทยและต่างประเทศ (สหราชอาณาจักร ออสเตรเลีย) จำแนกตามชนิดของโรค MPS และ 4.3) Reimbursement policy (patient management program, risk sharing program) ของ ประเทศสหราชอาณาจักร ออสเตรเลีย) 5) พัฒนาแนวทาง การวินิจฉัย ดูแลรักษาผู้ป่วยและควบคุมป้องกันโรค เพื่อการเข้าถึงบริการสำหรับโรค MPS และ 6) ศึกษาความเป็นไปได้ของแนวทางที่พัฒนาขึ้น (ความพร้อมของระบบบริการ ผู้ป่วย และภาระงบประมาณ) โดยมีรูปแบบการดำเนินงาน ได้แก่ วิเคราะห์ฐานข้อมูลของศูนย์โรคหายาก มูลนิธิโรคพันธุกรรมแอลเอสดี ทบทวนวรรณกรรม สืบค้นข้อมูล สัมภาษณ์เชิงลึก จัดประชุมผู้มีส่วนได้ส่วนเสีย วิเคราะห์ผลกระทบงบประมาณและ gap analysis

โดยผู้เข้าร่วมประชุมได้อภิปรายและให้ข้อเสนอแนะซึ่งมีข้อสรุปที่สำคัญ ดังนี้

1. การขอความเห็นเกี่ยวกับรูปแบบการทำวิจัย

ที่ประชุมมีความเห็นร่วมกันว่าควรดำเนินการในรูปแบบของ rapid assessment

2. ชนิดของ MPS ที่จะครอบคลุมในการดำเนินงานในครั้งนี้

ที่ประชุมได้อภิปรายถึงความชุกของโรค MPS แต่ละชนิด และความเป็นไปได้ในการรักษา เช่น ประสิทธิภาพของการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทนและการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดสำหรับโรค MPS ชนิดต่างๆ รวมถึงการเข้าถึงการรักษาในประเทศไทย โดยสรุปที่ประชุมมีความเห็นว่า ควรทำการศึกษาให้ครอบคลุมโรค MPS ทุกชนิดโดยไม่จำกัดเฉพาะชนิดที่มีความชุกมากหรือมีวิธีการรักษาด้วยเอนไซม์ทดแทน/ การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเท่านั้น เนื่องจากโครงการนี้ยังครอบคลุมไปถึงแนวทางในการคัดกรองซึ่งจะเป็นประโยชน์กับผู้ป่วยโรค MPS ทุกชนิด

/ 3.ขอบเขต...

3. ขอบเขตในการทบทวนวรรณกรรม

ที่ประชุมได้ให้ข้อเสนอแนะว่าในการทบทวนวรรณกรรมนอกจากจะครอบคลุมเรื่องแนวทางในการรักษาแล้วควรครอบคลุมถึงแนวทางในการ management ด้วย โดยที่ประชุมได้เสนอให้มีการทบทวนข้อมูลแนวทางเวชปฏิบัติสำหรับการคัดกรอง วินิจฉัย รักษาและฟื้นฟูจากประเทศแคนาดาซึ่งมี Lifesaving program เพิ่มเติมจาก ประเทศอังกฤษ ประเทศออสเตรเลีย โดยแนะนำให้ทบทวนจากเว็บไซต์ของหน่วยงานที่เกี่ยวข้องเพิ่มเติมจากการทบทวนจากฐานข้อมูล PubMed นอกจากนี้ที่ประชุมได้แนะนำให้มีการทบทวนเกี่ยวกับ Risk sharing program ของประเทศสเปนรวมถึงทบทวนเกี่ยวกับนโยบาย Risk Sharing สำหรับยารักษาโรคมะเร็ง และนโยบายเบิกจ่ายเอนไซม์สำหรับโรคเอ็มพีเอส ในสิทธิรักษาพยาบาลข้าราชการเพิ่มเติม

4. การรักษาด้วยการปลูกถ่ายเสต็มเซลล์

ในส่วนของการรักษาด้วยการปลูกถ่ายเสต็มเซลล์ที่ประชุมเสนอให้ทบทวนในส่วนของประสิทธิภาพและแนวทางในการรักษาด้วยการปลูกถ่ายเสต็มเซลล์สำหรับโรค MPS ชนิดต่างๆ นอกจากนั้นประชุมได้เสนอให้มีการอภิปรายในประเด็นของค่าตรวจความเข้ากันได้ของเนื้อเยื่อของผู้บริจาคและผู้รับบริจาค ในกรณีที่ตรวจแล้วไม่เข้ากันและไม่สามารถทำการปลูกถ่ายเสต็มเซลล์ว่าค่าใช้จ่ายในกรณีดังกล่าวควรครอบคลุมอยู่ในสิทธิประโยชน์ด้วย

5. การศึกษาต้นทุน

ทางทีมวิจัยได้ชี้แจงเรื่องการเก็บข้อมูลต้นทุนว่าจะเป็นการเก็บ Medical direct cost เป็นหลัก โดยอาจไม่รวมถึง indirect cost โดยทางทีมวิจัยฯ ยังไม่ได้ตัดสินใจ ณ เวลานี้ ซึ่งจะสรุปในการประชุมครั้งต่อไป

ปิดประชุมเวลา 14.30 น.

ภก.พลกร กิจศิริวัฒนกุล

ผู้บันทึกรายงานการประชุม

รศ.ดร.ภญ.มนทรัตม์ ถาวรเจริญทรัพย์

ผู้ตรวจรายงานการประชุม