

**บทนำ :** แนวทางในการรักษาผู้ป่วยโรคธาลัสซีเมียชนิดรุนแรงให้หายขาดจากโรคได้มีเพียงวิธีเดียว คือ การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดโลหิต แต่หากทำการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดโลหิตในผู้ป่วยที่มีอายุมาก โดยเฉพาะวัยรุ่นและผู้ใหญ่จะมีอัตราการเสียชีวิตและอัตราการปฏิเสธ graft (Graft Rejection) ในอัตราที่สูงกว่าในผู้ป่วยเด็ก การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดโลหิตแบบ Reduced Intensity [Reduced Intensity Hematopoietic Stem Cell Transplantation : RI-HSCT] เป็นวิธีการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดแบบใหม่ที่พัฒนาขึ้นให้สามารถทำการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดโลหิตได้ในผู้ป่วยวัยรุ่นและผู้ใหญ่ ซึ่งการศึกษาที่ผ่านมาพบว่า ผลการรักษาได้ผลดี อัตราหายจากโรคธาลัสซีเมียหายขาดทุกราย มีระยะเวลาอยู่ในโรงพยาบาลที่สั้นลง และมีอาการแทรกซ้อนน้อยลงมากกว่าการรักษาแบบอื่น อย่างไรก็ตามในปัจจุบันการรักษาด้วย RI-HSCT มีต้นทุนสูงเมื่อเปรียบเทียบกับ การรักษาที่เป็นมาตรฐานในปัจจุบัน ดังนั้นจึงจำเป็นอย่างยิ่งที่จะมีการประเมินความคุ้มค่าทางการแพทย์

**วัตถุประสงค์ :** เพื่อประเมินต้นทุนอรรถประโยชน์ (Cost Utility Analysis) ของการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดโลหิตในผู้ป่วยธาลัสซีเมียที่เป็นวัยรุ่นและผู้ใหญ่ด้วย Conditioning Regimen แบบใหม่ที่เรียกว่า Reduced Intensity Regimen เมื่อเปรียบเทียบกับ การรักษาแบบประคับประคองโดยการให้เลือดแบบ Hypertransfusion และยาขับเหล็ก

**วิธีดำเนินการ :** ในการศึกษาจะใช้แบบจำลองทางเศรษฐศาสตร์ชนิด Markov Model ใช้ในการประเมินผลทางคลินิกและผลกระทบทางเศรษฐศาสตร์ อาศัยมุมมองทางสังคม ทำการศึกษาในผู้ป่วยธาลัสซีเมียชนิดร้ายแรงจำนวน 18 คนที่ได้รับการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดโลหิต จะถูกเก็บบันทึกข้อมูลทั้งในด้านคลินิก ข้อมูลค่าใช้จ่ายและประเมินคุณภาพชีวิตของผู้ป่วยโดยใช้ แบบสอบถามคุณภาพชีวิต SF36 (Short-form 36) และ EQ5D (European Quality of Life – 5 Dimensions) ผู้ป่วยทุกรายได้เซ็นยินยอมเข้าร่วมโครงการวิจัย การวิเคราะห์ข้อมูลเบื้องต้น (Base Case Analysis) ใช้อัตราคิดลด 3% ทั้งต้นทุนและผลทางคลินิกร่วมกับการวิเคราะห์ความไว (Sensitivity Analysis) นำเสนอผลการศึกษาด้วยการวิเคราะห์ต้นทุนประสิทธิผลส่วนเพิ่ม (Incremental Cost-Effectiveness Ratio: ICER) คำนวณโดยหาอัตราส่วนของต้นทุนส่วนเพิ่มจากการรักษา RI-HSCT และส่วนเพิ่มของอรรถประโยชน์

**ผลการศึกษา :** การศึกษาต้นทุน-อรรถประโยชน์เบื้องต้น (Base Case Analysis) แสดงให้เห็นว่าการรักษาด้วย RI-HSCT เมื่อเทียบกับการรักษาแบบประคับประคองที่ให้เลือดแบบ Hypertransfusion และ Iron Chelation Therapy มีค่า ICER (Incremental Cost Effectiveness Ratio) 99,548 บาทต่อปีสุขภาวะ โอกาสที่การรักษาด้วย RI-HSCT จะคุ้มค่าทางการแพทย์ มี 43% เมื่อมีความเต็มใจที่จะจ่ายต่อหนึ่งปีสุขภาวะเท่ากับ 100,000 บาทต่อปีสุขภาวะ อัตราคิดลดเป็นปัจจัยที่ส่งผลต่อผลการศึกษามากที่สุด

สรุปผลการศึกษา : การรักษาผู้ป่วยธาลัสซีเมียด้วย RI-HSCT มีความคุ้มค่าตามในทางการแพทย์ เมื่อเปรียบเทียบกับแนวทางในการรักษาแบบประคับประคองที่ให้เลือดแบบ Hypertransfusion และ Iron Chelation Therapy ตามแนวทางการประเมินเทคโนโลยีด้านสุขภาพสำหรับประเทศไทย

**Background:** Bone marrow transplantation is the only therapeutic option that can potentially eliminate thalassemic disease. However, adolescent and adult had a much worse outcome because of high non-rejection mortality and high rejection rate. Reduced Intensity Hematopoietic Stem Cell Transplantation (RI-HSCT) has demonstrated a high cure rate with minimal complications compared to other options. RI-HSCT is very costly. However there is no report yet to justify economic value.

**Objective:** This study aimed to estimate the cost-utility of RI-HSCT compared with blood transfusions combined with iron chelating therapy (BT-ICT) for adolescent and young adult with severe thalassemia in Thailand.

**Methods:** A Markov model was used to estimate the relevant costs and health outcomes over the patients' lifetimes taking a societal perspective as recommended by Thailand's health technology assessment guideline. All future costs and outcomes were discounted at a rate of 3% per annum. The efficacy of RI-HSCT was based a clinical trial including a total of 18 thalassemia patients. These patients were also administered SF-36 (Short-form 36) and EQ5D (European Quality of Life – 5 Dimensions) and the utility was derived directly from these health-related quality of life measures. Primary outcomes of interest were lifetime costs, quality adjusted life years (QALYs) gained, and the incremental cost-effectiveness ratio (ICER) in Thai Baht (THB) per QALY gained. One-way and probabilistic sensitivity analyses (PSA) were conducted to investigate the effect of parameter uncertainty.

**Results:** In base case analysis, the RI-HSCT group had a better clinical outcomes and higher lifetime costs. The incremental cost per quality adjusted life years (QALY) gained was 99,548 Baht. The acceptability curve showed that the probability of RI-HSCT being cost-effective was 43% at the willingness to pay of 100,000 THB per QALY gained. The effect of discounting rate was the most sensitive to the final outcomes.

**Conclusions:** Based on Thailand's health technology assessment guideline, RI-HSCT was a cost-effective and affordable treatment for adolescent and young adult with severe thalassemia in Thailand compared to BT-ICT.