



جمهوری اسلامی ایران
وزارت بهداشت درمان و آموزش پزشکی



دانشگاه علوم پزشکی تهران

تخصیص منابع جهت مداخلات تشخیصی و درمانی بیماری‌های نادر



مؤسسه ملی تحقیقات سلامت جمهوری اسلامی ایران



<http://nihr.tums.ac.ir>

موسسه ملی تحقیقات سلامت
جمهوری اسلامی ایران

بِسْمِ اللَّهِ الرَّحْمَنِ الرَّحِيمِ

مقدمه

بدون تردید سلامت حق تمام مردم است و این امر به عنوان واقعیتهایی انکار ناپذیر، مورد پذیرش همگان بویژه سیاست‌گذاران بخش سلامت قرار گرفته است (۱). امروزه همه کشورها با این واقعیت روبه‌رو هستند که بخش سلامت مانند سایر بخش‌ها با محدودیت منابع مواجه است (۲). یکی از موضوعات چالش برانگیز در تمامی کشورها در خصوص مباحث مرتبط با اولویت بندی حوزه سلامت، سیاستگذاری و مدیریت خدمات مرتبط با بیماران خاص، نادر و صعب‌العلاج است؛ آن‌چنان که جنبه‌های سیاستگذاری، ساختار تشکیلاتی، نحوه تأمین منابع مالی و مکانیزم کنترل خدمات این نوع بیماری‌ها همیشه مورد بحث واقع شده است. بیماری‌های خاص، نادر و صعب‌العلاج به دلیل مزمن بودن، نداشتن درمان قطعی، هزینه‌های کمرشکن، و نیاز به درمان‌های پیچیده، همواره بخش قابل توجهی از منابع سلامت را به خود اختصاص داده‌اند. بنابراین سیاستگذاری و سازماندهی خدمات سلامت برای این نوع بیماران و تخصیص منابع به آنان، از اهمیت ویژه‌ای برخوردار است (۳). هدف از این مطالعه، اشاره به برخی سیاست‌ها در حوزه تخصیص منابع بیماری‌های نادر و تشریح اهمیت تعیین آستانه هزینه اثر بخشی برای بیماری‌های نادر در ایران می‌باشد.

روش

این پژوهش از نوع مطالعه مروری می‌باشد. نخست مطالعه ای پیرامون نحوه اولویت بندی مداخلات سلامت در دنیا و آستانه‌های هزینه اثر بخشی در کشورهای مختلف صورت پذیرفت. سپس در پایگاه‌های اطلاعاتی قابل دسترس در کشور نظیر Google scholar، SID، و Medline، مقالات مرتبط با موضوع پژوهش جستجو گردید. در نهایت مقالات بدست آمده براساس ارتباط موضوعی غربال و مورد تحلیل و بررسی قرار گرفتند.

یافته‌ها

گسترش مراقبت‌های سلامت در سراسر دنیا و در نتیجه افزایش هزینه‌ها، بار مالی فزاینده‌ای را بر نظام بهداشت و درمان کشورها تحمیل می‌کند. این در حالی است که کشورها، به علت محدودیت منابع مالی قادر به ارائه تمامی خدمات سلامت به بیماران نیستند (۴). نتیجه محدودیت منابع، مواجه شدن با انتخاب است. زمانی که شکاف موجود بین نیاز به مراقبت بهداشتی-درمانی و میزان منابع در دسترس بیشتر می‌شود باید تصمیمات سختی اتخاذ گردد (۵). با در نظر گرفتن این نکات، ضروری است که از منابع موجود، به بهترین نحو ممکن بهره‌برداری نمود. برای اطمینان از انجام چنین امری، نیازمند اولویت بندی و تخصیص بهینه منابع هستیم (۶) اما اجماع کمی بر سر انتخاب بهینه‌ترین ابزار وجود دارد (۲). ارزیابی فناوری سلامت از ابزارهایی است که میتواند به ما در این راه کمک نماید. ارزیابی فناوری سلامت حوزه‌ای علمی است که با استفاده از یک فرآیند چند رشته‌ای به منظور تحلیل مسائل

بالینی، اجتماعی، اقتصادی و اخلاقی مرتبط با کاربرد یک فناوری در نظام سلامت به عنوان یک نوع پژوهش مرتبط با سیاستگذاری تعریف می‌گردد (۷). در حال حاضر بسیاری از کشورها برای هدایت تصمیمات خود در مورد تخصیص منابع و مقایسه کارایی مداخلات سلامتی جایگزین، از آنالیزهای هزینه اثربخشی استفاده می‌کنند. آستانه هزینه اثر بخشی ابزاری است جهت شناسایی مداخلات هزینه اثر بخش در هر یک از وضعیت‌های سلامت و بیماری‌ها. سازمان جهانی بهداشت، آستانه‌ای برای هزینه اثربخشی تعریف کرده است که بر اساس سرانه تولید ناخالص داخلی هر کشور تعیین و محاسبه می‌گردد. شایان ذکر است آستانه هزینه- اثربخشی مذکور براساس پیامد کالی (QALY) یا هزینه‌ای که برای اضافه کردن یک سال عمر با کیفیت به افراد لازم است در نظر گرفته شده و آستانه مذکور در نظام‌های سلامت جهان متفاوت می‌باشد که در ذیل به برخی از آن‌ها اشاره می‌گردد (۸) (جدول ۱).

جدول ۱: نسبت آستانه به سرانه تولید ناخالص داخلی (برای تمام مداخلات سلامت) در برخی از کشورها

کشور	نسبت آستانه به سرانه تولید ناخالص داخلی (برای تمام مداخلات سلامت)
استرالیا	۱,۵۳
لهستان	۳
تایلند	۰,۸
انگلستان	۰,۶۶

بیماری نادر شناسایی شده است که بیشتر منشا ژنتیکی دارند و با تظاهرات بالینی شدید همراه می‌باشند (۱۴). بیماری‌های نادر ایران که بر اساس اطلاعات موجود تعیین گردیده در حال حاضر شامل ۳۰۹ بیماری می‌باشد (۱۵). در اکثر موارد هزینه درمان بیماری‌های نادر بسیار بالا بوده و برای به دست آوردن یک سال زندگی با کیفیت می‌بایست مبلغی بسیار بیشتر از سه برابر سرانه تولید ناخالص داخلی یعنی بیش از آستانه هزینه اثر بخشی افزایشی اعلام شده توسط سازمان جهانی بهداشت هزینه کرد. به عنوان مثال در ایران هزینه سالیانه درمان بیماران ذخیره ای لیزوزومی ام پی اس ۱۷ برابر سرانه تولید ناخالص داخلی می‌باشد. این امر نشان دهنده ضروری بودن طراحی چارچوبی کارآمد برای نحوه تخصیص منابع برای درمان بیماران نادر را نشان می‌دهد (۱۶). بین کشورها در حوزه سیاست‌های مرتبط با درمان‌های بیماری‌های نادر، داروها، بودجه خدمات درمانی و میزان دسترسی بیماران، اختلافات زیادی وجود دارد. آستانه هزینه اثر بخشی برای بیماری‌های نادر در انگلستان متفاوت از سایر بیماری‌هاست. فرآیندی که هم اکنون سازمان تعالی خدمات بالینی انگلستان (NICE) برای ارزیابی فناوری‌های بیماری نادر در نظر می‌گیرد استفاده از آستانه ۱۰۰ هزار پوندی به ازای هر QALY بوده (۳/۳) سرانه تولید ناخالص داخلی آن کشور) به شرط آنکه تاثیر بودجه سالانه آنها در

انتقاداتی به آستانه‌های مبتنی بر تولید ناخالص داخلی وجود دارد، زیرا مردم زندگی را در ابعادی که فراتر از درآمد است ارزیابی می‌کنند (۹). به بیانی دیگر، از دیدگاه مردم، ارزش زندگی قابل قیاس با درآمد افراد نیست. اطلاعاتی که بر مبنای آن، آستانه هزینه اثر بخشی تعیین شده است، تقریباً به طور کامل از کشورهای پردرآمد آمریکای شمالی، اروپای غربی و استرالیا گرفته شده است (۱۰). در تصمیم‌گیری‌ها برای تعیین قیمت یا ارزش بازپرداخت یک دارو یا مداخله جدید نباید از آستانه هزینه اثر بخشی به عنوان تنها معیار استفاده کرد (۱۱). بلکه می‌بایست در کنار هزینه اثر بخشی، بودجه، عدالت، امکان سنجی و سایر معیارهایی که در سطح ملی مهم تلقی می‌شوند، مورد توجه قرار گیرند (۱۲). این موضوع در خصوص ارزیابی فناوری‌های مرتبط با بیماری‌های نادر اهمیت دوچندانی می‌یابد، زیرا که چنین فناوری‌هایی مانند داروهای این بیماری‌ها به دلیل قیمت بالا و اثر بخشی محدود، به ندرت هزینه اثر بخش بوده و عدم پوشش فناوری‌های غیر هزینه اثر بخش اغلب با مقاومت سیاسی و اجتماعی در سطح جامعه مواجه می‌گردد (۷). بیماری‌های نادر، موارد غیر معمول و جدی هستند که در اتحادیه اروپا (EU) به عنوان وضعیتی تعریف شده‌اند که زندگی فرد را تهدید کرده و یا منجر به بروز ناتوانی مزمن می‌شوند و شیوع چنین بیماری‌هایی بیش از پنج در ده هزار نفر نیست (۱۳). بین ۶۰۰۰ تا ۸۰۰۰

هر سال کمتر از ۲۰ میلیون پوند باشد) در سه سال اول استفاده در بالین (۱۷). برخی از کشورها به دنبال روش‌های جدید برای ارزیابی هزینه اثربخشی داروهای بیماری‌های نادر هستند، از جمله لهستان که تصمیم دارد از روش MCDA (تجزیه و تحلیل تصمیم‌گیری چند شاخصه) در سیاست‌گذاری بیماری‌های نادر خود استفاده کند (۱۴). درمان بیماری‌های نادر فراتر از هزینه استاندارد در هر کالی است. تجزیه و تحلیل تصمیم‌گیری چند شاخصه (MCDA) رویکردی است که می‌تواند برای لحاظ کردن سایر جنبه‌های فناوری بکار گرفته شود. این نوع تحلیل با وزن دهی به عوامل تاثیرگذار بر مداخله خاص، نتایجی را فراهم می‌کند که می‌توان از آن برای مقایسه بین فناوری‌ها استفاده کرد (۱۸، ۱۹). روش تجزیه و تحلیل تصمیم‌گیری چند شاخصه در چهار مرحله تعریف می‌گردد، در مرحله اول شاخصه‌ها مانند شیوع بیماری، شرایط اجتماعی و اقتصادی، بودجه و... تعیین می‌گردد. در مرحله دوم به هریک از شاخصه‌ها وزن داده می‌شود. در مرحله سوم ارزیابی هر دارو بر اساس شاخصه‌ها صورت می‌گیرد. نهایتاً در مرحله آخر رتبه بندی داروها صورت می‌گیرد و داروهایی که بیشترین اولویت را بدست می‌آورند مورد مذاکره ذی نفعان قرار می‌گیرند که می‌تواند مذاکرات آنان، رتبه بندی فنی بدست آمده را تا حدی تغییر دهد تا بتوان شرایط اقتصادی اجتماعی محیط را در این تحلیل کمی لحاظ نمود.



بحث و نتیجه‌گیری

چنانکه مطالعات مرتبط جهانی نشان می‌دهد، در برخی کشورهای توسعه یافته و در حال توسعه مانند انگلستان، اسکاتلند و تایلند، حد آستانه مشخصی برای استفاده در مطالعات ارزیابی اقتصادی مداخلات سلامت مورد استفاده قرار می‌گیرد و در ایران نیز از حد آستانه مشخصی مرتبط با سرانه تولید ناخالص داخلی در مطالعات ارزیابی اقتصادی استفاده می‌گردد. (۲۰) البته بدلیل هزینه بسیار بالای درمان بیماری‌های نادر، استفاده از حد آستانه ای که برای مداخلات بیماری‌های عمومی استفاده می‌شود در بیماری‌های نادر غیر ممکن است و در این زمینه حتماً می‌بایست از حد آستانه بالاتر استفاده نمود که گاهی تا چندین برابر آستانه هزینه اثربخشی عمومی می‌باشد. در خصوص بیماری‌های نادر به نظر می‌رسد نیاز به تحقیق جداگانه‌ای برای استخراج آستانه تمایل به پرداخت جامعه برای این نوع بیماران می‌باشد. علاوه بر این، استفاده صرف

از ارزیابی اقتصادی در مطالعات ارزیابی فناوری سلامت مربوط به این بیماران کفایت نمی‌کند و همچون سایر مداخلات سلامت باید به سایر ابعاد مداخلات درمانی برای این بیماران از جمله تأثیر بودجه ای مداخلات نیز توجه کرد. در این رویکرد، مطالعات ارزیابی فناوری‌های سلامت مرتبط با بیماری‌های نادر، از چارچوب محاسبات هزینه / کالی فراتر رفته و در یک چارچوب جامع تصمیم‌گیری با استفاده از تحلیل تصمیم‌گیری چند شاخصه و نیز مذاکره و اجماع ذی‌نفعان، به ارزیابی این مداخلات می‌پردازند. بر اساس تجربیات این کشورها در خصوص ارزیابی فناوری سلامت مرتبط با بیماری‌های نادر، ملاحظات گسترده تری در مورد ماهیت و نوع این بیماری‌ها و تجربیات درمان آنها از دیدگاه ذی‌نفعان، همراه با اقدامات فنی برای کاهش سطح عدم قطعیت در مورد چهارچوب هزینه - اثربخشی محاسبه شده مورد نیاز می‌باشد. برخی از مهمترین معیارهای این چارچوب عبارتند از:

تخصیصی به این نوع بیماری‌ها از کل منافع و منابع عمومی سلامت جدا و مشخص گردد. همچنین می‌بایست سطح تمایل به پرداخت در جامعه برای این بیماران را مشخص نمود. سپس بسته دارویی و خدمات مراقبت سلامت بیماران نادر را مورد بازبینی قرار داده و بر اساس مطالعات ارزیابی فناوری سلامت و به کارگیری اصول تصمیم‌گیری چند شاخصه، سیاستگذاری نهایی برای بسته دارویی و خدمات مراقبت سلامت این بیماران را صورت داد.

شرایط اجتماعی و اقتصادی هر کشور، هزینه‌های خدمات سلامت ملی و تاثیر بودجه‌ای هر مداخله، نسبت هزینه-اثربخشی و نیز تاثیر غیر مستقیم مداخله بر ارائه خدمات عمومی و تخصصی و بر سایر بخش‌های نظام سلامت آن کشور (۷، ۲۱).

بر این اساس جهت سیاستگذاری هزینه‌ای برای مداخلات درمانی بیماری‌های نادر، در ابتدا لازم است با استناد به محاسبات بهینه‌سازی، سهم بودجه



منابع

1. Ghiyasvand H, Zandiyan H, Moghadam TZ, Naghdi S. Cost of radiology services using the activity based costing (ABC) method. *Payesh (Health Monitor)*. 2013;12(6):595-605.
2. Dehnavieh R, Rashidian A, Maleki MR. Challenges of determining basic health insurance package in Iran. *Payesh (Health Monitor)*. 2011;10(2):273-83.
3. yazdani, karimi, tofighi. Comparative study of special patients' health management and suggestion of a model for Iran. *research in Medicine* 2008;32(4):271-8.
4. Nouraei Motlagh S, Yusefzadeh H, Nabilou B, Chalesh V. COST EFFECTIVENESS ANALYSIS OF TYPE 2 DIABETES SCREENING IN MAHABAD PUBLIC HEALTH CENTERS, IRAN. *Pharmacophore*, 8 (6S) 2017, e-1173604, pages 8. 2017;8(6s).
5. Williams A. QALYs and ethics: a health economist's perspective. *Social science & medicine*. 1996;43(12):1795-804.
6. Segal L, Chen Y. *Priority setting models for health*. Melbourne: Centre for Health Program Evaluation. 2001.
7. Simoens S. Health technologies for rare diseases: does conventional HTA still apply? *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res*. 2014;14(3):315-7.
8. Bertram MY, Lauer JA, De Joncheere K, Edejer T, Hutubessy R, Kieny M-P, et al. Cost-effectiveness thresholds: pros and cons. *Bulletin of the World Health Organization*. 2016;94(12):925.
9. Shillcutt SD, Walker DG, Goodman CA, Mills AJ. Cost effectiveness in low-and middle-income countries. *Pharmacoeconomics*. 2009;27(11):903-17.
10. Briggs A, Gray A. Handling uncertainty when performing economic evaluation of healthcare interventions. *Health Technol Assess*. 1999;3(2):1-134.
11. Angelis A, Kanavos P. Value-based assessment of new medical technologies: towards a robust methodological framework for the application of multiple criteria decision analysis in the context of health technology assessment. *Pharmacoeconomics*. 2016;34(5):435-46.
12. Ottersen T, Førde R, Kakad M, Kjellevoid A, Melberg HO, Moen A, et al. A new proposal for priority setting in Norway: open and fair. *Health policy*. 2016;120(3):246-51.
13. Medic G, Korchagina D, Young KE, Toumi M, Postma MJ, Wille M, et al. Do payers value rarity? An analysis of the relationship between disease rarity and orphan drug prices in Europe. *Journal of market access & health policy*. 2017;5(1):1299665.

14. Czech M, Baran-Kooiker A, Atikeler K, Demirtshyan M, Gaitova K, Holownia-Voloskova M, et al. A Review of Rare Disease Policies and Orphan Drug Reimbursement Systems in 12 Eurasian Countries. *Frontiers in Public Health*. 2020;7.
15. Atlas of rare diseases.
16. nabizade a. Drug therapy for selected metabolic patients; are we doing the right thing? 2019.
17. <https://pharmaphorum.com/views-and-analysis/three-nice-thresholds-for-cost-effectiveness-does-that-make-sense> [
18. Roberts M, Russell LB, Paltiel AD, Chambers M, McEwan P, Krahn M. Conceptualizing a model: a report of the ISPOR-SMDM modeling good research practices task force–2. *Medical Decision Making*. 2012;32(5):678-89.
19. Thokala P, Devlin N, Marsh K, Baltussen R, Boysen M, Kalo Z, et al. Multiple criteria decision analysis for health care decision making—an introduction: report 1 of the ISPOR MCDA Emerging Good Practices Task Force. *Value in health*. 2016;19(1):1-13.
20. Moradi N, Rashidian A, Nosratnejad S, Olyaeemanesh A, Zanganeh M, Zarei L. Willingness to pay for one quality-adjusted life year in Iran. *Cost Effectiveness and Resource Allocation*. 2019;17(1):4.
21. Nicod E, Annemans L, Bucsics A, Lee A, Upadhyaya S, Facey K. HTA programme response to the challenges of dealing with orphan medicinal products: Process evaluation in selected European countries. *Health Policy*. 2019;123(2):140-51.

مؤسسه ملی تحقیقات سلامت جمهوری اسلامی ایران، سازمانی است که برای دیده‌بانی وضعیت سلامت، تولید و ترویج به‌کارگیری شواهد علمی مورد نیاز برنامه‌ریزان و سیاستگذاران سلامت در سطح ملی ایجاد شده است.

تمرکز اصلی مؤسسه فعالیت بر روی نتایج و پیامدهای اقدامات و مداخلات انجام شده در حوزه سلامت است.

مؤسسه ملی تحقیقات سلامت جمهوری اسلامی ایران در تلاش است با عمل به رسالت خود به‌عنوان دیده‌بان سلامت کشور با استفاده از همه توان دانشی داخل کشور و به‌کارگیری ظرفیت‌های بین‌المللی، ضمن پیش‌بینی روندها و رصد شاخص‌های نظام سلامت؛ و با استفاده از تجربیات سایر نظام‌های سلامت؛ مداخلات مؤثر برای اصلاحات در نظام سلامت را طراحی و توصیه کند و در صورت اجرای آنها به ارزیابی و پایش مداخلات می‌پردازد؛ از سویی به‌عنوان مرجع و مشاور تأمین شواهد علمی تصمیم‌گیران سلامت در کشور و دیده‌بانی منطقه شناخته شده و از این طریق مجریان و متولیان حوزه سلامت را در دستیابی به جامعه سالم یاری می‌کند.

مؤسسه ملی تحقیقات سلامت جمهوری اسلامی ایران



تهران، بلوار کشاورز، خیابان وصال شیرازی، خیابان
بزرگمهر شرقی، پلاک ۷۰

nihr.tums.ac.ir