



دانشگاه علوم پزشکی

و خدمات بهداشتی درمانی کرمان

دانشکده مدیریت و اطلاع رسانی

پایان نامه مقطع کارشناسی ارشد رشته ارزیابی فناوری سلامت

عنوان:

ارزیابی فناوری درمان پروفیلاکسی در مقایسه با درمان هنگام نیاز در بیماران مبتلا

به هموفیلی شدید نوع A و B در ایران.

توسط:

شیرین سراجی

استاد راهنما:

دکتر رضا گودرزی

استاد مشاور:

دکتر محمدرضا امیراسماعیلی

سال تحصیلی: بهمن ۱۳۹۷

## چکیده

**مقدمه و اهداف:** هموفیلی یک بیماری انعقادی ارثی مرتبط با کروموزوم X با شیوع کلی تقریباً ۱ مورد در هر ۱۰۰۰۰ نفر می‌باشد. این بیماری به دو نوع A (کمبود فاکتور انعقادی VIII) و نوع B (کمبود فاکتور انعقادی IX) تقسیم می‌شود و بسته به میزان کمبود فاکتورهای انعقادی در مقایسه با افراد سالم و طبیعی، بیماران هموفیلی را به سه دسته خفیف، متوسط و شدید تقسیم بندی می‌کنند. با توجه به اینکه عوارض حاصل باعث ازکارافتادگی و صرف هزینه بسیار می‌گردد، لذا با برخورد صحیح درمانی، به طور قابل توجهی می‌توان از این عوارض جلوگیری کرد. درمان هموفیلی شدید بر دو استراتژی استوار است: درمان هنگام نیاز و درمان پروفیلاکسی. در استراتژی درمان هنگام نیاز، فاکتور انعقادی تغلیظ شده تنها در پاسخ به خونریزی حاد، درد مفصل و محدودیت حرکت به بیماران تزریق می‌شود. اما در درمان پروفیلاکسی، به بیماران فاکتور تغلیظ شده براساس یک طرح منظم و طولانی مدت تزریق می‌شود تا از خونریزی مفاصل جلوگیری گردد. هدف مطالعه حاضر ارزیابی درمان پروفیلاکسی در درمان هموفیلی شدید به روش ارزیابی فناوری سلامت (HTA) می‌باشد.

**روش تحقیق:** در رویکرد ارزیابی فناوری سلامت درمان هموفیلی شدید با روش پروفیلاکسی در نظام سلامت کشور از پنج بعد ایمنی، اثربخشی، اقتصادی، اخلاقی و سازمانی ارزیابی می‌گردد. در این پژوهش با استفاده از مرور نظام‌مند و متاآنالیز برای ارزیابی بعد ایمنی و اثربخشی درمان پروفیلاکسی، استفاده شد. برای ارزشیابی اقتصادی، مدل مارکوف برای شبیه‌سازی هزینه‌ها و پیامدهای ناشی از درمان پروفیلاکسی در مقایسه با روش درمان هنگام نیاز بکار گرفته شد و نتایج با استفاده از نسبت هزینه-اثربخشی افزایشی تحلیل گردید. برای ارزیابی اخلاقی و سازمانی پرسشنامه‌ای شامل ابعاد مختلف مسایل اخلاقی، قانونی، سازمانی و حرفه‌ای در اختیار متخصصین خون‌شناسی و پزشکان عمومی درگیر درمان بیماران هموفیلی قرار گرفت و از تحلیل محتوا جهت بررسی پاسخ‌های دریافتی استفاده شد.

**یافته‌ها:** میانگین میزان خونریزی سالیانه، خطر بروز عوارض جانبی و عوارض جانبی شدید در بیماران تحت درمان با روش پروفیلاکسی کمتر از روش درمان هنگام نیاز بدست آمد. در ارزشیابی اقتصادی از دیدگاه نظام سلامت نسبت هزینه-اثربخشی افزایشی ۲۴۷ میلیون ریال به ازای یک سال عمر با کیفیت<sup>۱</sup> (کالی) بدست آمد که در ربع شمال شرقی نمودار هزینه-اثربخشی و پایین‌تر از مقدار آستانه<sup>۲</sup> یا تمایل به پرداخت قرار می‌گیرد. در ارزیابی‌های اخلاقی، مسئله‌ای مغایر با اصول اخلاقی در خصوص استفاده از این روش درمانی مشاهده نشد. در قسمت ارزیابی سازمانی این نتیجه حاصل گردید که تجهیز مراکز درمانی، آموزش بیماران و خانواده‌ها و نیز پرسنل درگیر هماهنگی بین بخشی بین وزارت بهداشت، سازمان‌های بیمه-گر و شرکت‌های داروئی نیاز به اصلاح و تلاش بیشتر دارند.

**بحث و نتیجه‌گیری:** با توجه به نتایج حاصل شده از بررسی‌های ایمنی، اثربخشی و هزینه-اثربخشی، استفاده از درمان پروفیلاکسی برای کلیه بیماران مبتلا به هموفیلی شدید و تا پایان عمر منطقی و هزینه-اثربخش‌تر به نظر می‌رسد. اطلاعات حاصل از ارزیابی‌های اخلاقی و سازمانی نشان می‌دهند که سیاستگذاران و مسئولین مربوطه باید برنامه‌ریزی در خصوص تجهیز مراکز درمانی، آموزش بیماران و خانواده‌ها و نیز پرسنل درگیر درمان بیماران هموفیلی را بطور جدی‌تری در دستور کار خود قرار دهند. هماهنگی بین بخشی بین وزارت بهداشت، سازمان‌های بیمه‌گر و شرکت‌های داروئی به منظور کاهش دغدغه‌های تأمین دارو و هزینه آن برای بیماران بایستی حفظ شده و حتی بیشتر شود.

**کلید واژه:** ارزیابی فناوری سلامت، ایمنی و اثربخشی، هزینه-اثربخشی، هموفیلی شدید، درمان پروفیلاکسی، درمان هنگام نیاز.

---

<sup>1</sup> QALY

<sup>2</sup> Threshold

## **Abstract**

**Introduction:** Hemophilia is a hereditary X chromosome related coagulation disease with a prevalence of approximately 1 in 10,000. There is two type of hemophilia: type A (coagulation factor VIII deficiency) and type B (coagulation factor IX deficiency). Depending on the coagulation factor deficiency, hemophiliacs are classified into mild, moderate and severe group. Since hemophilia results in complications that cause disability and cost a lot, correct treatment approach will considerably reduce complications. There is two hemophilia treatment method: On-Demand treatment and prophylaxis treatment. In On-demand strategy, the coagulation factor is only injected in response to acute bleeding, joint pain, and movement constraints. But, in prophylaxis method; the concentrated factor is injected in a regular and long-term plan to prevent bleeding. The aim of this study was to evaluate prophylaxis method in severe hemophilia treatment by means of Health Technology Assessment (HTA).

**Methods:** In the health technology assessment approach, severe hemophilia treatment with prophylaxis in the health system of the country, is assessed in five dimensions of safety, effectiveness, economic, ethical and organizational. In this study we used systematic review and meta-analysis to safety and efficacy assessment and results assessed by means of annual bleeding rate (ABR), adverse effects (AE) and severe adverse effects (SAE). For economic evaluation, the Markov model was used to simulate the costs and outcomes of prophylaxis treatment compared to the on-demand treatment, and the results were analyzed using an incremental cost-effectiveness ratio. For ethical and organizational evaluation, a questionnaire including various aspects of ethical and organizational issues was given to oncologists and general physicians involved in hemophilic treatment. Content analysis was used to analysis received responses.

**Results:** the ABR, AE and SAE was less in patients treated by prophylaxis than those who traded by on-demand. In economic evaluation in perspective of the health system, ICER was identified as cost-effective with prophylaxis treatment with values of 247157528 Rials (58850 \$) per QALY and located in the northeastern regions of acceptability plane, below the threshold. In ethical evaluations, there was no issue with ethical principles regarding the use of prophylaxis. In the organizational evaluation section, improve in equipment of medical centers, patient and families' education, personnel involved in treatment, inter-segment coordination between the Ministry of Health, insurance organizations and pharmaceutical partners, is needed.

**Discussion:** According to the results of safety, efficacy and cost-effectiveness studies, the use of prophylaxis for all patients with severe hemophilia for life time, seems to be more rational and cost-effective. Information from ethical and organizational assessments suggests that policymakers and relevant authorities should follow equipping health centers, educating patients and families and personnel involved in the treatment of hemophilic patients in their plan seriously. Inter-segment coordination between the Ministry of Health, insurance organizations and pharmaceutical companies should be maintained and even further increased to reduce drug supply concerns and costs for patients.

**Keyword:** On-demand treatment, Prophylaxis, cost-effectiveness, Health Technology Assessment, severe hemophilia, safety and efficacy



**KERMAN UNIVERSITY  
OF MEDICAL SCIENCES**

**Faculty of Management and Information**

**In Partial Fullfilment of the Requirements for Degree MSc**

Title

**Technology assessment of prophylaxis treatment in compare with  
on-demand in patients with severe hemophilia A&B in Iran.**

By  
**Shirin Seraji**

Supervisor:  
**Dr. Reza Goudarzi**

Advisor:  
**Dr. Mohammad Reza Amirsmaili**

Date **July 2019**



دانشگاه علوم پزشکی کرمان  
تحصیلات تکمیلی دانشگاه

بسمه تعالی

صور تجلسه دفاع از پایان نامه

تاریخ .....

شماره .....

پیوست .....

جلسه دفاعیه پایان نامه تحصیلی خانم شیرین سراجی دانشجوی رشته ارزیابی فناوری سلامت دانشکده مدیریت و اطلاع رسانی پزشکی دانشگاه علوم پزشکی کرمان تحت عنوان : : ارزیابی فناوری درمان پروفیلاکسی بیماران مبتلا به هموفیلی شدید نوع A و B در ایران در ساعت ۹ روز چهارشنبه مورخ ۹۸/۵/۹ با حضور اعضای محترم هیات داوران متشکل از:

امضا	نام و نام خانوادگی	سمت
	آقای دکتر گودرزی	الف: استاد راهنما
—	آقای دکتر امیر اسماعیلی	ب: استاد مشاور
	آقای دکتر بارونی	ج: عضو هیات داوران (داخلی)
	آقای دکتر معاضد	د: عضو هیات داوران (خارجی)
	خانم دکتر شجاعی	ه: نماینده تحصیلات تکمیلی

تشکیل گردید و ضمن ارزیابی به شرح پیوست با درجه ..... الف ..... و نمره ..... ۱۹ ..... مورد تأیید قرار گرفت.

مهر و امضاء معاون آموزشی