

# แนวทางการกำกับการใช้ยา mercaptamine (cysteamine bitartrate) เงื่อนไข nephropathic cystinosis

## 1. ระบบอนุมัติการใช้ยา

- 1.1 ขออนุมัติการใช้ยา mercaptamine (cysteamine bitartrate) จากหน่วยงานสิทธิประโยชน์ก่อนการรักษา (pre-authorization) โดยมีการลงทะเบียนแพทย์ สถานพยาบาลและผู้ป่วยก่อนทำการรักษากับหน่วยงานสิทธิประโยชน์
- 1.2 กรอกแบบฟอร์มกำกับการใช้ยาบัญชี จ (2) ในครั้งแรก และขออนุมัติครั้งต่อไปทุก ๆ 6-12 เดือน
- 1.3 การขออนุมัติการใช้ยาเริ่มต้น การใช้จ่ายต่อเนื่อง และการหยุดยาของผู้ป่วยแต่ละรายนั้น แพทย์ผู้ทำการรักษาทั้งหลักและสมทบควรมีการนำผลการรักษา ข้อมูลผู้ป่วย และแบบฟอร์มกำกับการใช้ยาบัญชี จ (2) เสนอต่อหน่วยงานสิทธิประโยชน์ โดยใช้แนวทางตามที่หน่วยงานกำหนดไว้หรือคณะกรรมการที่เกี่ยวข้องกำหนด และเมื่อมีการแต่งตั้งหน่วยงานกลางเพื่อดำเนินการในเรื่องนี้ให้เป็นหน้าที่ของหน่วยงานนั้นแทน

## 2. คุณสมบัติของสถานพยาบาล

- 2.1 สถานพยาบาลหลัก หมายถึง สถานพยาบาลที่มีการใช้ยาต้องเป็นสถานพยาบาลที่มีความพร้อมในการวินิจฉัยและรักษาโรคคือ
  - 2.1.1 เป็นสถานที่มีแพทย์ที่ระบุไว้ในข้อที่ 3 โดยให้สถานพยาบาลนั้นแจ้งความประสงค์ต่อหน่วยงานสิทธิประโยชน์เพื่อขออนุมัติและลงทะเบียนสถานพยาบาลแต่ละแห่งเป็นกรณีไป โดยมีการลงทะเบียนสถานพยาบาลกับหน่วยงานสิทธิประโยชน์หรือหน่วยงานกลางที่ได้รับมอบหมาย
  - 2.1.2 มีแพทย์เฉพาะทางตามที่ระบุไว้ในข้อ 3 และมีแพทย์เฉพาะทางสาขาอื่นที่พร้อมจะร่วมดูแลรักษาปัญหาแทรกซ้อนที่อาจเกิดจากโรคและ/หรือการรักษา
- 2.2 สถานพยาบาลสมทบ หมายถึง สถานพยาบาลที่รับส่งต่อ หรือดูแลผู้ป่วยร่วมกับสถานพยาบาลหลัก

## 3. คุณสมบัติของแพทย์ผู้ทำการรักษา

- 3.1 แพทย์ผู้ทำการรักษาหลัก เป็นแพทย์ผู้เชี่ยวชาญที่ได้รับหนังสืออนุมัติหรือวุฒิบัตรจากแพทยสภาในอนุสาขาเวชพันธุศาสตร์ ซึ่งปฏิบัติงานในสถานพยาบาลตามข้อ 2.1
- 3.2 แพทย์ผู้ทำการรักษาสมทบ ได้แก่ กุมารแพทย์ หรือ อายุรแพทย์ ในสถานพยาบาลสมทบที่ได้รับการแต่งตั้งจากผู้อำนวยการโรงพยาบาลให้เป็นผู้ดูแลผู้ป่วย

## 4. เกณฑ์อนุมัติการใช้ยา

- 4.1 ไม่เป็นผู้ป่วยระยะสุดท้าย (terminally ill)<sup>†</sup>
- 4.2 ได้รับการตรวจยืนยันการวินิจฉัย nephropathic cystinosis ด้วยอาการทางคลินิกร่วมกับผลทางห้องปฏิบัติการด้วยวิธีข้อใดข้อหนึ่งต่อไปนี้
  - 4.2.1 การวัดระดับ cystine ในเม็ดเลือดขาวที่สูงกว่าปกติ
  - 4.2.2 การตรวจพบ cystine crystal ที่กระจกตาด้วยการตรวจพิเศษ (slit lamp) โดยจักษุแพทย์
  - 4.2.3 การตรวจทางพันธุกรรมพบการกลายพันธุ์ที่ก่อโรคของสองแอลลีลของยีน CTNS
- 4.3 มีการกรอกแบบฟอร์มกำกับการใช้ยาบัญชี จ (2) ทุกครั้งที่จะใช้ยากับผู้ป่วย<sup>††</sup>

<sup>†</sup> ผู้ป่วยระยะสุดท้าย (terminally ill) หมายถึง ผู้ป่วยโรคทางกายซึ่งไม่สามารถรักษาได้ (incurable) และไม่สามารถช่วยให้ชีวิตยืนยาวขึ้น (irreversible) ซึ่งในความเห็นของแพทย์ผู้รักษา ผู้ป่วยจะเสียชีวิตในระยะเวลาอันสั้น

หมายเหตุ ผู้ป่วยดังกล่าวควรได้รับการรักษาแบบประคับประคอง (palliative care) โดยมุ่งหวังให้ลดความเจ็บปวด และความทุกข์ทรมานเป็นสิ่งสำคัญ

<sup>††</sup> โปรดเก็บรักษาข้อมูลไว้เพื่อใช้เป็นหลักฐานในการตรวจสอบการใช้ยา โดยหน่วยงานกำกับดูแลการสั่งใช้ยาบัญชี จ (2)

## 5. ขนาดยาและวิธีการใช้ยา

Mercaptamine (cysteamine bitartrate) ชนิด immediate-release cap

5.1 **กรณีผู้ป่วยเด็ก:** ให้ยาขนาด 60-90 มิลลิกรัม/กิโลกรัม/วัน แบ่งให้ทุก 6 ชั่วโมง (1.3-1.95 กรัม/ตารางเมตร/วัน)

5.2 **กรณีผู้ป่วยผู้ใหญ่:** ให้ยาขนาด 500 มิลลิกรัม ทุก 6 ชั่วโมง

หมายเหตุ ขนาดยาสูงสุดไม่เกิน 2 กรัม/วัน

## 6. การติดตามและประเมินผลการรักษา

6.1 ให้ทำการประเมินผลการรักษาทุก 6-12 เดือน

6.2 การเริ่มให้ยาครั้งแรก ต้องสั่งโดยแพทย์ผู้ทำการรักษาหลักที่ลงทะเบียนให้ผู้ป่วย และในสถานพยาบาลของแพทย์ผู้ทำการรักษาหลัก และสำหรับการสั่งยาครั้งถัดไปสามารถทำการสั่งยาโดยแพทย์ผู้ทำการรักษาสมทบได้

6.3 ผู้ป่วยทุกรายต้องได้รับการตรวจประเมินโดยแพทย์ผู้ทำการรักษาหลักเพื่อติดตามอาการอย่างน้อยทุก 6-12 เดือน ก่อนที่จะสั่งยาต่อไป

6.4 แพทย์ผู้ทำการรักษาหลักต้องส่งรายงานการประเมินติดตามอาการและผลการตอบสนองต่อการรักษาหลังการรักษา ได้แก่ ค่าการทำงานของไต (BUN/Cr) อาการทางระบบอื่น ๆ ที่เกี่ยวข้อง และอาการไม่พึงประสงค์จากการรักษาด้วยยา mercaptamine (cysteamine bitartrate) ให้แก่หน่วยงานสิทธิประโยชน์โดยใช้แนวทางตามที่หน่วยงานกำหนดไว้หรือ คณะทำงานที่เกี่ยวข้องกำหนด และเมื่อมีการแต่งตั้งหน่วยงานกลางเพื่อดำเนินการในเรื่องนี้ให้เป็นหน้าที่ของหน่วยงานนั้น แทน ทุก 6-12 เดือน

## 7. เกณฑ์การหยุดยา

ให้พิจารณาหยุดยาเมื่อผู้ป่วยมีลักษณะที่เข้าได้กับเกณฑ์ข้อใดข้อหนึ่ง ดังต่อไปนี้

7.1 ผู้ป่วยมีภาวะแทรกซ้อนจากยาซึ่งอาจเป็นอันตรายถึงแก่ชีวิต

7.2 ผู้ป่วยเกิดปฏิกิริยาการแพ้ยา mercaptamine (cysteamine bitartrate) ชนิดรุนแรง

7.3 ผู้ป่วยไม่ให้ความร่วมมือในการรับยาตามกำหนดการรักษาหรือไม่ยินยอมที่จะใช้ยา mercaptamine (cysteamine bitartrate)

7.4 ผู้ป่วยขาดการติดตามผลการรักษา โดยไม่มีเหตุผลอันสมควร

7.5 สถานะโรคเดิมของผู้ป่วยเปลี่ยนเป็นผู้ป่วยระยะสุดท้าย (terminally ill)