

## 10

## ยากำพร้า

ภก.วินิต อัครกจิวิรี, ภญ.วรสุตา ยุงทอง  
สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา

“ยากำพร้า” คืออะไร ท่านผู้อ่านอาจสงสัยว่ายากำพร้าได้ด้วยหรือ ทำไมจึงต้องมาเล่าถึงยานี้ “ยากำพร้า” นับเป็นปัญหาสาธารณสุขและสุขภาพของคนไทยที่สำคัญเรื่องหนึ่งที่ปัญหามานานแต่ยังไม่เป็นที่รู้จักอย่างกว้างขวาง คำว่า “ยากำพร้า” มีที่มาจากคำภาษาอังกฤษที่ว่า “orphan drug” ซึ่งในต่างประเทศใช้เรียกยาที่ใช้ในโรคที่เกิดขึ้นได้น้อย มักไม่มีใครสนใจวิจัย พัฒนา และจำหน่ายเนื่องจากไม่ทำกำไร จึงทำให้ประเทศต่างๆ มีมาตรการเพื่อสร้างแรงจูงใจให้มีการวิจัยและพัฒนายากำพร้า

สำหรับประเทศไทยมีการให้คำจำกัดความของ “ยากำพร้า (orphan drug)” ที่ต่างไปจากประเทศตะวันตก คือ เป็นยาจำเป็นที่มีปัญหาขาดแคลน โดยไม่ได้มุ่งเน้นเฉพาะยาที่ใช้ในโรคที่เกิดขึ้นได้น้อย แต่ยังหมายรวมถึงยาที่ใช้ในระดับสาธารณสุขด้วย

การแก้ไขปัญหายากำพร้า นั้นไม่ใช่เรื่องที่เกิดขึ้นได้ง่ายๆ เราได้มีความพยายามกันมานานที่จะช่วยกันแก้ปัญหาให้เท่าที่ได้มีรายงานไว้ สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยาเริ่มมีบทบาทในการแก้ไขปัญหายากำพร้าครั้งแรก ในปี พ.ศ.2537 โดยได้มีการแต่งตั้งคณะทำงานเพื่อกำหนดรูปแบบและแนวทางการแก้ไขปัญหายากำพร้า ต่อมา มีการแต่งตั้งคณะอนุกรรมการยากำพร้าและออกประกาศรายชื่อยากำพร้า แต่ความพยายามดังกล่าวยังไม่ประสบผลสำเร็จเป็นรูปธรรม ส่งผลให้งานดังกล่าวไม่มีความคืบหน้าไประยะหนึ่ง จนกระทั่งในปี พ.ศ.2546 สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา เห็นว่ามีปัญหาการขาดแคลนยาจำเป็นเป็นระยะๆ อยู่บ่อยครั้ง เช่น การขาดแคลนยา succinylcholine อีกทั้งการปรับปรุงบัญชียาหลักแห่งชาติก็พบว่า มีปัญหาการขาดแคลนยาจำเป็นอยู่ไม่ใช่น้อย แต่การประกาศยากำพร้าไว้ในบัญชียาหลักแห่งชาตินั้น ไม่ได้เป็นวิถีทางการแก้ปัญหา แม้ได้มีการประกาศยากำพร้าไว้ในบัญชีแต่ก็ไม่ได้เพิ่มการผลิต/นำเข้ายาเท่าใดนัก จึงได้มีความพยายามที่จะแก้ปัญหาดังกล่าวอีกครั้งให้เป็นระบบมากขึ้น จึงได้เสนอคณะกรรมการยา ทบทวนแนวทางการแก้ปัญหาและมีการแต่งตั้งคณะอนุกรรมการยากำพร้าขึ้นใหม่อีกครั้ง รวมทั้งได้ทบทวนนิยาม “ยากำพร้า” ให้มีความเหมาะสมยิ่งขึ้นกับหลักสากลและคุณลักษณะเฉพาะของปัญหาในประเทศไทย ในปัจจุบัน “ยากำพร้า” จึงมีความหมายดังนี้

“ยาที่มีความจำเป็นต้องใช้เพื่อวินิจฉัย บรรเทา บำบัด ป้องกัน หรือรักษาโรคที่พบได้น้อย หรือโรคที่เป็นอันตรายร้ายแรง หรือโรคที่ก่อให้เกิดความทุกข์ทรมานอย่างต่อเนื่อง หรือยาที่มีอัตราการใช้ต่ำ โดยไม่มียาอื่นมาใช้ทดแทนได้ และมีปัญหาการขาดแคลน”

เพื่อให้การแก้ปัญหาเป็นไปอย่างมีระบบ จึงได้กำหนดมาตรการหลักในการแก้ปัญหา คือ การทบทวนบัญชีรายการยากำพร้าให้สะท้อนถึงปัญหาและวิทยาการในปัจจุบัน การปรับปรุงหลักเกณฑ์การขึ้นทะเบียนตำรับยากำพร้า และการกำหนดช่องทางด่วนในการขึ้นทะเบียนตำรับยากำพร้าดังกล่าวควบคู่ไปกับการประสานความร่วมมือกับภาคเอกชนและองค์กรเภสัชกรรมในการที่จะร่วมแรง ร่วมใจกันแก้ปัญหา

ในปี พ.ศ.2548 สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยาได้สำรวจสถานการณ์ยากำพร้าในประเทศไทย โดยส่งแบบสอบถามไปยังสถานพยาบาล คณะแพทยศาสตร์ ราชวิทยาลัย/สมาคม/ชมรมทาง

การแพทย์และหน่วยงานที่เกี่ยวข้องรวม 119 แห่ง ผลการสำรวจพบว่ามียาจำนวน 145 รายการ ที่ผู้ตอบแบบสอบถามเห็นว่ามีปัญหาขาดแคลนและเสนอเป็นยากำพร้า

ในปี พ.ศ.2549 คณะอนุกรรมการยากำพร้าได้นำรายการยาที่สำรวจและรวบรวมได้มาพิจารณาจัดทำบัญชีรายการยากำพร้า ให้เป็นตามนิยามและหลักเกณฑ์ที่กำหนด ในปีดังกล่าว ได้พิจารณาแล้วเสร็จบางส่วนและได้ประกาศเป็นยากำพร้าจำนวน 44 รายการ ตามประกาศสำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา เรื่อง บัญชีรายการยากำพร้า พ.ศ.2549 ฉบับที่ 1 หลังจากนั้นได้ประกาศยากำพร้าเพิ่มเติมอีก 6 รายการ และแก้ไขเพิ่มข้อบ่งใช้ของยาบางรายการ รวม 52 รายการ ในปี พ.ศ.2550

ในปัจจุบันมียากำพร้า ตามประกาศสำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา เรื่อง บัญชีรายการยากำพร้า พ.ศ.2555 รวม 57 รายการ

ในส่วนของการดำเนินการเพื่อสนับสนุนให้มีการผลิตหรือนำเข้ายากำพร้าในประเทศไทยนั้นได้ดำเนินมาตรการสำคัญ คือ

- 1) ขอความร่วมมือไปยังบริษัทที่เป็นเจ้าของผลิตภัณฑ์ซึ่งตั้งอยู่ในไทยให้ผลิต/นำเข้ายากำพร้า
- 2) ประสานความร่วมมือกับบริษัทที่เป็นเจ้าของผลิตภัณฑ์ องค์การเภสัชกรรม สภากาชาดไทย และโรงงานเภสัชกรรมทหาร ในการร่วมมือให้มีการผลิต/นำเข้ายากำพร้า
- 3) จัดระบบการขึ้นทะเบียนตำรับยากำพร้าในช่องทางด่วนพิเศษ
- 4) การลดข้อกำหนดในการพิจารณายากำพร้าที่เป็นมาตรฐานการรักษาซึ่งมีประสบการณ์การใช้และขึ้นทะเบียนตำรับยาในต่างประเทศเป็นเวลานาน และเชื่อได้ว่ามีประสิทธิภาพและปลอดภัย ให้ยกเว้นไม่ต้องขึ้นทะเบียนแบบยาใหม่ โดยใช้เกณฑ์การพิจารณาแบบยาสามัญทั่วไปแทน ทำให้ยากำพร้ากลุ่มหนึ่งที่เคยประสบปัญหาไม่สามารถจัดหา preclinical study หรือ clinical study ได้ครบถ้วนสามารถขึ้นทะเบียนตำรับยาได้ สำหรับยาที่ไม่เข้าข่ายก็มีการจัดช่องทางพิเศษ ให้พิจารณายากำพร้าก่อนยาอื่นที่ขึ้นทะเบียนตำรับยาตามปกติ
- 5) การขอสนับสนุนงบประมาณจากกองทุนหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ ในการจัดซื้อยากำพร้าที่มีลำดับความสำคัญสูงและไม่สามารถจัดการแก้ปัญหาได้ด้วยวิธีการจัดการอื่น เพื่อใช้กับผู้ป่วยของทุกสิทธิหลักประกันสุขภาพของรัฐ โดยมีการวางแผนการจัดหา สำรองและกระจายยาร่วมกันระหว่างสำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา สำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ องค์การเภสัชกรรม และหน่วยงานที่เกี่ยวข้องกับการใช้ยานั้นๆ เช่น ศูนย์พิษวิทยา ราชวิทยาลัย/สมาคม/ชมรมทางการแพทย์ที่เกี่ยวข้อง กรมควบคุมโรค เป็นต้น

จากการดำเนินมาตรการข้างต้นทำให้มีการผลิตหรือนำเข้ายากำพร้าบางรายการมาจำหน่ายในประเทศไทยแล้ว สรุปดังนี้

1. ยาที่ผู้ผลิต/นำเข้าเอกชนจัดหามาจำหน่าย ได้แก่

• hydralazine injection	• fludrocortisone tablet
• isoprenaline injection	• hydrocortisone oral form
• labetalol HCL injection	• dacarbazine injection
• ivermectin tablet, oral form	• methoxalen tablet
• pentamidine injection	• anti-D immunoglobulin, human injection
• pyrimethamine tablet	• diphtheria and tetanus toxoid combine (DT) injection

หมายเหตุ ข้อมูล ณ วันที่ 4 เมษายน พ.ศ. 2556

## 2. ยาที่องค์การเภสัชกรรมผลิต/นำเข้าให้ใช้ เช่น

- lidocain (preservative-free) injection
- phentolamine mesilate injection
- penicillin G Benzathine injection
- corticorelin injection
- diazoxide oral form
- dactinomycin injection
- d-penicillamine capsule
- dantrolene injection

หมายเหตุ ข้อมูล ณ วันที่ 4 เมษายน พ.ศ. 2556

และยาที่องค์การเภสัชกรรมอยู่ระหว่างขึ้นทะเบียนหรือพัฒนาการผลิต ได้แก่ procarbazine capsule, arsenic trioxide injection และ lomustine capsule

3. ยาที่สำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติจัดซื้อให้ใช้ โดยครอบคลุมทุกสิทธิการรักษา และมีการจัดระบบสำรองและกระจายยาตามความเหมาะสม ได้แก่

### 3.1 ยาด้านพิษ 11 รายการ ดังนี้

ชื่อยา	ข้อบ่งใช้
1 Sodium nitrite injection	Cyanide poisoning
2 Sodium thiosulfate injection	Cyanide poisoning
3 Methylene blue injection	Methemoglobinemia
4 Dimercaprol (BAL) injection	Heavy metal poisoning : Arsenic, gold, Mercury, Lead
5 Glucagon injection	Severe $\beta$ -blocker and calcium channel blocker overdose
6 Succimer (DMSA) capsule	Lead poisoning
7 Botulinum antitoxin injection	Botulism e.g. food-borne botulism, wound botulism
8 Calcium disodium edetate injection	Treatment of lead poisoning
9 Diphtheria antitoxin injection	Treatment of diphtheria (passive immunization)
10 Digoxin-specific Antibody Fragments injection	Digoxin toxicity
11 Monovalent/Polyvalent antivenom injection	Antivenom

หมายเหตุ ข้อมูล ณ วันที่ 4 เมษายน พ.ศ. 2556

### 3.2 ยาในกลุ่ม cardiovascular 1 รายการ ดังนี้

ชื่อยา	ข้อบ่งใช้
Esmolol injection	1. Supraventricular arrhythmia (SVT) 2. Intraoperative and postoperative tachycardia and/or hypertension

หมายเหตุ ข้อมูล ณ วันที่ 4 เมษายน พ.ศ. 2556

ดูรายละเอียดเพิ่มเติมได้ที่ website ของสำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ คือ

<http://drug.nhso.go.th/Antidotes/anonymous/index.zul>

ในปี พ.ศ. 2555 สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยาได้จัดตั้งศูนย์ประสานแก้ปัญหาหายากำพร้าและยาขาดแคลน เพื่อเป็นศูนย์กลางในการป้องกันและแก้ปัญหาหายากำพร้าและยาจำเป็นที่ขาดแคลน โดยสามารถติดต่อได้ที่ กลุ่มพัฒนาระบบ สำนักยา สำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา โทร. 02 5907155, 02 5907341 โทรสาร 02 5907341 e-mail : [drugshortages@fda.moph.go.th](mailto:drugshortages@fda.moph.go.th)

ในปัจจุบันอยู่ระหว่างการจัดทำเว็บไซต์หายากำพร้าและยาจำเป็นที่มีปัญหาขาดแคลน โดยความร่วมมือระหว่างสำนักงานคณะกรรมการอาหารและยา สำนักงานหลักประกันสุขภาพแห่งชาติ และองค์การเภสัชกรรม เพื่อเป็นสื่อกลางระหว่างผู้ไ้ยากับหน่วยงานกลางในการแก้ปัญหาหายากำพร้าและยาขาดแคลน โดยเว็บไซต์ดังกล่าวจะให้บริการรับแจ้งปัญหา/รายงาน/ติดตามผลการแก้ปัญหาหายากำพร้าและยาจำเป็นที่ขาดแคลน อันจะเป็นประโยชน์ต่อผู้ป่วยที่จำเป็นต้องใช้ยาให้สามารถเข้าถึงยาได้มากขึ้น