

and practice, 2010, 764843-764843.

6. **Pakshir K., Bahaedinie L., Rezaei Z., Sodaifi M., Zomorodian K. (2009)**, "In Vitro Activity Of Six Antifungal Drugs Against Clinically Important Dermatophytes", Jundishapur Journal Of Microbiology (JJM), 2 (4 (S.N. 5)).
7. **Chau V. T. , Ho T. N. K, Nguyen V. T. et al. (2019)**, "Antifungal Susceptibility of Dermatophytes Isolated From Cutaneous Fungal

Infections: The Vietnamese Experience", Open access Macedonian journal of medical sciences, 7 (2), 247-249.

8. **Velasquez-Agudelo V., Antonio Cardona-Arias J. (2017)**, "Meta-analysis of the utility of culture, biopsy, and direct KOH examination for the diagnosis of onychomycosis", BMC Infect Dis, 17 (1), pp.166.

XÂY DỰNG MÔ HÌNH PHÂN TÍCH CHI PHÍ - HIỆU QUẢ RUXOLITINIB SO VỚI TRỊ LIỆU TỐT NHẤT HIỆN CÓ TRONG ĐIỀU TRỊ XƠ TỦY NGUYÊN PHÁT TẠI VIỆT NAM

Nguyễn Thị Huệ¹, Nguyễn Gia Bảo², Nguyễn Thị Thu Thủy²

TÓM TẮT

Xơ tủy nguyên phát (XTNP) là bệnh lý huyết học được tiên lượng điều trị bất lợi nhất trong nhóm bệnh tăng sinh tủy ác tính. Thuốc ruxolitinib (RUX) được chứng minh làm giảm đáng kể thể tích lách và nguy cơ tử vong so với trị liệu tốt nhất hiện có (Best available therapy - BAT) trong điều trị XTNP. Trên thực tế việc lựa chọn phác đồ điều trị không chỉ dựa trên hiệu quả và độ an toàn mà còn phụ thuộc vào tính chi phí - hiệu quả của can thiệp, trong đó xây dựng mô hình phân tích chi phí-hiệu quả (CP-HQ) được xem là một trong những bước quan trọng quyết định tính khả thi và độ tin cậy của nghiên cứu. Với phương pháp mô hình hóa kết hợp với tổng quan tài liệu và tham vấn ý kiến các chuyên gia lâm sàng, nghiên cứu đã xây dựng được mô hình phân tích CP-HQ trong điều trị XTNP tại Việt Nam dựa trên phần mềm Microsoft Excel 2020. Mô hình bao gồm ba phần cơ bản: Thông số đầu vào, Mô hình trung tâm và Thông số đầu ra. Mô hình trung tâm được xây dựng dựa trên mô hình Markov bao gồm ba trạng thái Đang điều trị, Ngưng điều trị và tử vong. Trong đó, quần thể người bệnh tương đương với người bệnh trong nghiên cứu lâm sàng COMFORT II với chu kỳ và thời gian nghiên cứu lần lượt là 1 tháng và toàn thời gian sống người bệnh. Mô hình được xây dựng cho phép phân tích CP-HQ của RUX trong điều trị XTNP và yếu tố ảnh hưởng đến tính CP-HQ của RUX.

Từ khóa: Chi phí-hiệu quả, mô hình, Ruxolitinib, xơ tủy nguyên phát.

SUMMARY

CONSTRUCT THE COST - EFFECTIVENESS MODEL OF RUXOLITINIB VERSUS BEST AVAILABLE THERAPY OF PRIMARY MYELOFIBROSIS IN VIET NAM

¹Trường Đại học Buôn Ma Thuột,

²Đại học Y Dược TP Hồ Chí Minh

Chịu trách nhiệm chính: Nguyễn Thị Thu Thủy

Email: nguyenthuthuy@ump.edu.vn

Ngày nhận bài: 25.8.2021

Ngày phản biện khoa học: 19.10.2021

Ngày duyệt bài: 27.10.2021

Primary myelofibrosis (PMF) is the hematologic disease that had the most unfavorable prognosis in the group of myeloproliferative neoplasms. Ruxolitinib (RUX) had been shown to reduce spleen volume and risk of death compared with the best available therapy (BAT) in PMF treatment. The choice of the treatment regimen is not only based on effectiveness and safety, but also the cost-effectiveness of interventions, from which the establishment of cost-effectiveness analysis (CEA) model is considered to be one of the most important steps to determine the feasibility and reliability of the analysis. This study combined modeling methods with literature review and clinical expert consultation to build up CEA model of RUX versus BAT in PMF treatment on Microsoft Excel software 2020. The model consists of three parts: input parameters, central model and output parameters. The central model was built based on the Markov model including three states On Treatment, Off treatment and Dead. In which the patient population has equivalent characteristics to the patients in the COMFORT II clinical study with the cycle of 1 month and lifetime horizon. The model helps to analyze the cost-effectiveness of RUX versus BAT in the treatment of PMF and the affecting factors to the cost-effectiveness of RUX.

Keywords: Cost - effectiveness analysis, ruxolitinib, primary myelofibrosis

I. ĐẶT VẤN ĐỀ

Xơ tủy nguyên phát (XTNP) là bệnh lý ung thư huyết học hiếm gặp với các triệu chứng kèm theo bao gồm đau xương và cơ, ngứa và sụt cân, khó chịu ở vùng bụng...[1]. Ở giai đoạn cấp độ 2 hoặc nguy cơ cao các biến chứng như lách to, thiếu máu, tăng bạch cầu ...là nguyên nhân gây tử vong hàng đầu [2]. Tiên lượng cho những bệnh nhân mắc xơ tủy nguyên phát thường kém hơn so với những bệnh nhân mắc đa hồng cầu và tăng tiểu cầu thiết yếu, bệnh thường xảy ra ở người lớn tuổi (trung bình 66 tuổi) [3]. Chính vì vậy, điều trị u xơ tủy nguyên phát luôn được quan tâm với sự ra đời của nhiều liệu pháp điều

trị mới trong đó có thể kể đến liệu pháp điều trị nhắm đích với dược phẩm điển hình là ruxolitinib nhắm vào enzym Janus-kinase. Năm 2011, FDA cấp phép cho ruxolitinib - liệu pháp đầu tiên được chỉ định cho bệnh nhân XTNP [4]. Ở nước ta, ruxolitinib được Bộ Y tế cấp phép sử dụng trong thực hành lâm sàng điều trị u xơ tủy nguyên phát từ năm 2015 [5]. Tuy nhiên, chi phí cho một chu kỳ điều trị ruxolitinib cao cùng với những hạn chế về nguồn lực y tế là rào cản rất lớn khi chỉ định thuốc cho người bệnh. Nhiều nghiên cứu đánh giá chi phí - hiệu quả của ruxolitinib đã được thực hiện tại một số quốc gia như Tây Ban Nha, Phần Lan, Canada, Chile, ...[6,7,8,9], nhưng ở Việt Nam cho đến nay vẫn chưa có nghiên cứu nào thực hiện một cách đầy đủ về phân tích chi phí - hiệu quả (CP - HQ) của ruxolitinib. Trong đó, việc xây dựng mô hình

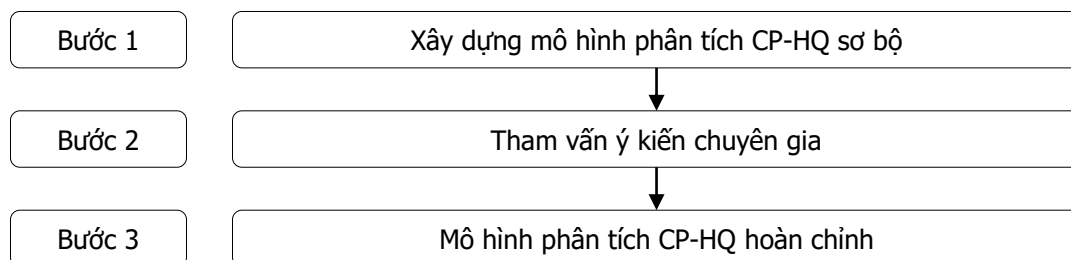
phân tích chi phí - hiệu quả là một nhiệm vụ quan trọng đầu tiên của nghiên cứu. Chính vì vậy, nghiên cứu xây dựng mô hình phân tích chi phí - hiệu quả của ruxolitinib so với các phác đồ chuẩn trong điều trị XTNP được thực hiện phù hợp với bối cảnh điều trị tại Việt Nam.

II. ĐỐI TƯỢNG VÀ PHƯƠNG PHÁP NGHIÊN CỨU

2.1. Đối tượng nghiên cứu: Mô hình phân tích CP-HQ của RUX so với BAT trong điều trị XTNP.

2.2. Phương pháp nghiên cứu: Mô hình hóa kết hợp tổng quan tài liệu và tham vấn ý kiến chuyên gia.

Các bước xây dựng mô hình phân tích CP - HQ bao gồm tổng quan y văn và xây dựng mô hình sơ bộ, tham vấn ý kiến chuyên gia, hoàn thiện mô hình được mô tả theo hình 1.



Hình 1. Các bước xây dựng mô hình

2.2.1. Xây dựng mô hình sơ bộ. Mô hình sơ bộ được xây dựng dựa trên các tiêu chí rút ra từ tổng quan y văn theo hướng dẫn PRISMA thông qua các bước sau:

a) *Tìm kiếm các nghiên cứu:*

Nghiên cứu tiến hành tìm kiếm trên các nguồn dữ liệu thư viện điện tử bao gồm Pubmed, Cochrane và Google Scholar để thu thập dữ liệu mô hình các nghiên cứu phân tích CP-HQ của RUX so với BAT trong điều trị XTNP.

b) *Sàng lọc và lựa chọn nghiên cứu:*

- Từ khóa: "Cost-effectiveness", "Ruxolitinib", "myelofibrosis"

- Câu lệnh: Pubmed: "cost-benefit analysis" [Mesh] AND "Primary Myelofibrosis" [Mesh]; Google scholar and Cochrane: Cost-effectiveness

of Ruxolitinib in myelofibrosis.

- **Tiêu chí lựa chọn:** Các nghiên cứu được công bố sau năm 2010, có bài toàn văn, là nghiên cứu về CP-HQ của RUX trong điều trị XTNP.

- **Tiêu chí loại trừ:** Các nghiên cứu là nghiên cứu tổng quan, không được viết bằng tiếng Anh hoặc tiếng Việt, thư gửi ban biên tập, báo cáo ca, bình luận.

c) *Trích xuất, tổng hợp và trình bày dữ liệu:*

Các nghiên cứu đáp ứng tiêu chí lựa chọn và loại trừ được trích xuất thông tin về đặc điểm của mô hình nghiên cứu, thông số của mô hình.

d) *Xây dựng tiêu chí của mô hình sơ bộ*

Mô hình phân tích CP-HQ sơ bộ của RUX trong điều trị XTNP được xây dựng dựa trên các tiêu chí được trình bày trong bảng 1.

Bảng 1. Các tiêu chí của mô hình sơ bộ

STT	Đặc điểm	Tiêu chí
1	Cấu trúc của mô hình	- Mô tả các trạng thái của người bệnh XTNP trong quá trình điều trị - Phản ánh được thực trạng điều trị bệnh XTNP ở Việt Nam - Chu kỳ nghiên cứu: tương ứng với thời gian ổn định trạng thái trong mô hình - Thời gian nghiên cứu: tương ứng với thời gian điều trị người bệnh XTNP tại Việt Nam
2	Quần thể nghiên cứu	- Có đặc điểm tương đồng với quần thể người bệnh điều trị bệnh xơ tủy nguyên phát tại Việt Nam

3	Các can thiệp so sánh	- Bao gồm các can thiệp được sử dụng trong thực tế điều trị tại Việt Nam nằm trong danh mục chi trả bảo hiểm y tế
4	Tỉ lệ chiết khấu	Áp dụng cho cả chi phí và hiệu quả, dựa trên các khuyến cáo hiện có đối với Việt Nam
5	Quan điểm nghiên cứu	Xác định dựa trên cơ sở ứng dụng nghiên cứu

2.2.2. Tham vấn ý kiến chuyên gia. Để mô hình phân tích CP – HQ hoàn thiện hơn và phản ánh đúng thực trạng điều trị XTNP tại Việt Nam, mô hình sẽ được tham vấn ý kiến chuyên gia lâm sàng điều trị các bệnh lý huyết học tại Việt Nam. 10 chuyên gia lâm sàng là các bác sĩ đang điều trị cho người bệnh xơ tủy tại các bệnh viện Chợ Rẫy, bệnh viện Ung Bướu TP Hồ Chí Minh, Viện Huyết học Truyền máu Trung Ương, Bệnh viện truyền máu huyết học Tp. Hồ Chí Minh, được lựa chọn thỏa mãn tiêu chí lựa chọn và tiêu chí loại trừ được trình bày trong bảng 2.

Tiêu chí lựa chọn

- Bác sĩ cơ hữu
- Chuyên khoa: huyết học hoặc ung thư
- Bác sĩ có kinh nghiệm điều trị trên 10 năm
- Bác sĩ đồng ý tham gia nghiên cứu

Tiêu chí loại trừ: Không cung cấp đầy đủ các thông tin cho buổi phỏng vấn

2.2.3 Xây dựng mô hình hoàn thiện. Mô hình hoàn thiện được xây dựng trên phần mềm Microsoft Excel 2020 dựa trên các tiêu chí đề ra và điều chỉnh thông qua tham vấn ý kiến chuyên gia.

III. KẾT QUẢ NGHIÊN CỨU

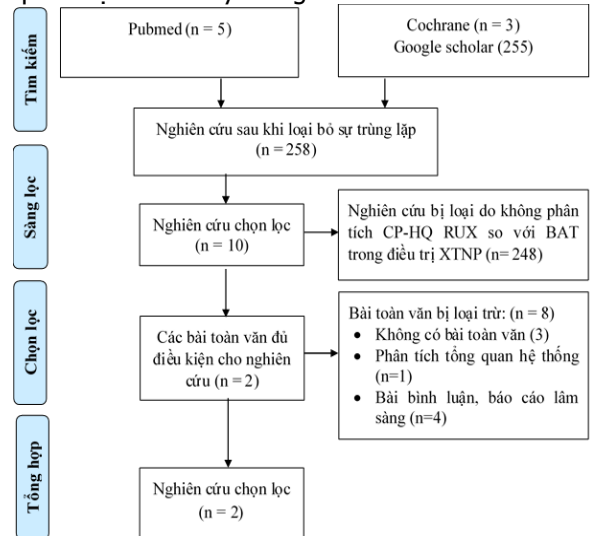
3.1. Xây dựng mô hình sơ bộ phân tích chi phí – hiệu quả

Tổng quan tài liệu. Dựa trên cơ sở dữ liệu

Bảng 3. Đặc điểm mô hình của hai nghiên cứu được lựa chọn

Tác giả (năm)	Björn Vandewalle và cộng sự (2015) [1]	María Teresa Gómez-Casares và cộng sự (2017) [6]
Mô hình	Mô hình thuần tập trạng thái rời rạc	Markov
Trạng thái	Hai trạng thái: Sống và tử vong	Hai trạng thái: Sống và tử vong
Bước chuyển của mô hình	Người bệnh từ trạng thái Sống sang trạng thái tử vong	Người bệnh từ trạng thái Sống sang trạng thái tử vong
Chu kỳ	1 tháng	1 tháng
Thời gian nghiên cứu	Toàn thời gian sống của người bệnh	15 năm
Chiết khấu	5%	3%
Can thiệp so sánh	RUX/BAT	RUX/BAT
Thông số đầu vào	CP: Trực tiếp, HQ: QALY, Tần số: từ nghiên cứu lâm sàng	CP: trực tiếp, HQ: QALY và LYG; Tần số: từ nghiên cứu lâm sàng
Thông số đầu ra	ICER	ICER
Độ nhạy	Xác suất và một chiều	Một chiều

và câu lệnh nghiên cứu, đề tài tìm thấy 263 nghiên cứu từ các cơ sở dữ liệu tìm kiếm. Sau khi loại bỏ trùng lặp, tiến hành lựa chọn và loại trừ dựa trên các tiêu chí đã đề ra, đề tài thu được 2 nghiên cứu để đưa vào phân tích. Kết quả được trình bày trong hình 2.

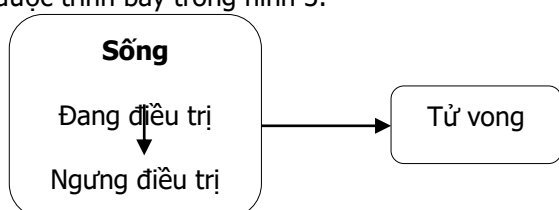


Hình 2. Lưu đồ PRISMA

Tổng hợp các đặc điểm chính của mô hình trong hai nghiên cứu được lựa chọn, đề tài ghi nhận kết quả được trình bày trong bảng 3.

Theo bảng 3, hai nghiên cứu được thực hiện tại 2 quốc gia bao gồm Bồ Đào Nha (2015) và Tây Ban Nha (2017). Trong đó, nghiên cứu của Björn Vandewalle và cộng sự (2015) [1] sử dụng mô hình thuần tập trạng thái rời rạc và nghiên cứu của tác giả María Teresa Gómez-Casares và cộng sự (2017) [6] sử dụng mô hình Markov với hai trạng thái Sống và Tử vong với chu kì là 1 tháng và chiết khấu khác nhau (3-5%). Phương pháp phân tích độ nhạy một chiều xác suất được thực hiện để xem xét các yếu tố ảnh hưởng đến mô hình.

Mô hình sơ bộ phân tích chi phí – hiệu quả. Nghiên cứu xây dựng mô hình phân tích CP-HQ sơ bộ bằng mô hình Markov với cấu trúc được trình bày trong hình 3.



Hình 3. Mô hình phân tích CP-HQ sơ bộ của người bệnh XTNP

Theo hình 3, cấu trúc của mô hình Markov bao gồm các đặc điểm sau đây:

- Cấu trúc mô hình: Mô hình Markov 2 trạng thái (sống và tử vong). Người bệnh ở trạng thái Sống có hai giai đoạn bệnh là đang điều trị và ngưng điều trị. Tương ứng với mỗi chu kỳ nghiên cứu mà số lượng người bệnh ở giai đoạn đang

điều trị có thể chuyển sang giai đoạn ngưng điều trị. Người bệnh ở trạng thái sống có thể chuyển sang trạng thái tử vong.

- Chu kỳ Markov: 1 tháng điều trị.
- Thời gian mô hình: 15 năm nghiên cứu
- Quần thể nghiên cứu: người bệnh được đưa vào mô hình ở trạng thái đang điều trị với độ tuổi trung bình tương ứng với người bệnh trong nghiên cứu lâm sàng COMFORT-II
- Can thiệp so sánh: liệu pháp điều trị tốt nhất hiện có cho người bệnh trong điều trị bao gồm điều trị các triệu chứng, cắt lách, xạ trị ,..
- Tỷ lệ chiết khấu: 3% tương ứng với tỷ lệ được khuyến cáo tại Việt Nam
- Quan điểm nghiên cứu: cơ quan chi trả bảo hiểm y tế

Giả định của mô hình. Người bệnh có đặc điểm dịch tễ, tỷ lệ biến chứng và tác dụng phụ tương đương với dân số nghiên cứu COMFORT-II.

Chức năng của mô hình

- Ước lượng và phân tích được chi phí điều trị ở các phương án điều trị nghiên cứu.
- Đánh giá được tác động của RUX trong điều trị xơ tủy nguyên phát với các phương án điều trị khác nhau
- Cho phép cập nhật các tham số đầu vào của mô hình để thu được kết quả phản ánh thực tế chính xác nhất.

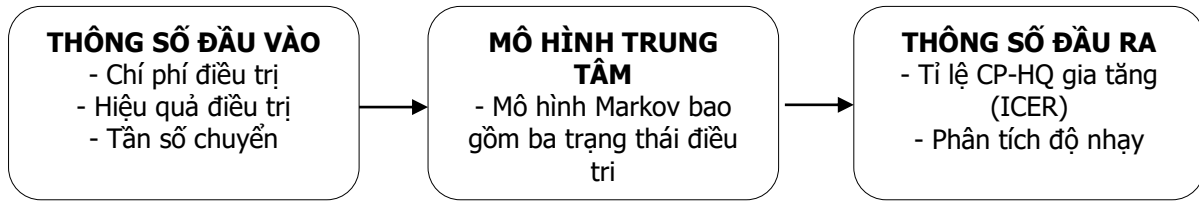
3.2. Tham vấn ý kiến chuyên gia. Dựa trên tham vấn ý kiến nhóm chuyên gia, đề tài ghi nhận những hiệu chỉnh cần được thực hiện với kết quả trình bày trong bảng 4.

Bảng 4. Đặc điểm cần hiệu chỉnh của mô hình phân tích CP- HQ

Nội dung	Ý kiến của các chuyên gia
	a) Các tiêu chí của mô hình
Cấu trúc mô hình	- Mô hình nên hiệu chỉnh từ hai trạng thái Sống và Tử vong thành ba trạng thái Đang điều trị, Ngưng Điều Trị và Tử vong. - Thời gian chu kỳ là toàn thời gian sống người bệnh
Quần thể nghiên cứu	Độ tuổi và số lượng người bệnh theo nghiên cứu COMFORT II phù hợp với số lượng người bệnh đang được theo dõi tại bệnh viện
Các can thiệp so sánh	Phù hợp với tình hình điều trị người bệnh tại Việt Nam
Tỉ lệ chiết khấu	Chấp nhận sự linh động của mô hình để phù hợp với sự thay đổi của nền kinh tế
Quan điểm nghiên cứu	Phù hợp với cơ sở sử dụng kết quả nghiên cứu
	b) Các đặc điểm khác của mô hình sơ bộ
Về giả định của mô hình	Nên bổ sung một số giả định về tần số chuyển, giá thuốc và đặc điểm người bệnh cho phù hợp với tình trạng điều trị xơ tủy ở Việt Nam
Về chức năng của mô hình	Nên bổ sung một số chức năng về số lượng người bệnh, xem xét các yếu tố ảnh hưởng để phản ánh đầy đủ tình trạng điều trị xơ tủy ở Việt Nam

3.3. Mô hình đánh giá chi phí – hiệu quả hoàn thiện

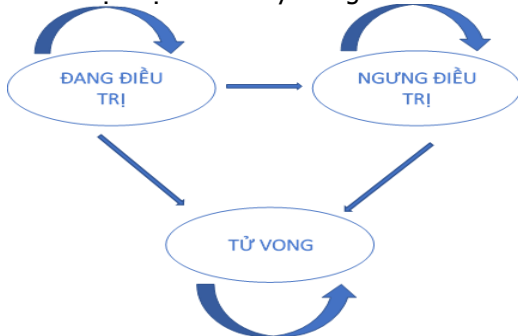
Mô hình hoàn thiện được xây dựng dựa trên phần mềm Microsoft Excel 2020, bao gồm ba thành phần chính là thông số đầu vào, mô hình trung tâm và thông số đầu ra được trình bày trong hình 4.



Hình 4. Mô hình phân tích CP-HQ hoàn chỉnh

Ghi chú: ICER: Incremental cost-effectiveness ratio

Cấu trúc mô hình. Mô hình Markov cho phép theo dõi diễn tiến người bệnh XTNP được lựa chọn là mô hình trung tâm bao gồm ba trạng thái điều trị được trình bày trong hình 5.



Hình 5. Mô hình trung tâm

Theo hình 5, cấu trúc mô hình Markov bao gồm các đặc điểm sau:

- Trạng thái Markov: gồm 3 trạng thái Đang điều trị, Ngưng điều trị, Tử vong. Tùy vào từng giai đoạn, người bệnh được điều trị bằng thuốc RUX hoặc BAT. Các trạng thái này có thể luân chuyển qua lại lẫn nhau. Người bệnh ở trạng thái Đang điều trị có thể chuyển sang trạng thái Ngưng điều trị hoặc tử vong, hay vẫn ở lại trạng thái ban đầu. Người bệnh ở trạng thái Ngưng điều trị có thể chuyển sang trạng thái tử vong hoặc ở lại trạng thái ban đầu.

- Chu kỳ Markov: 1 tháng

- Thời gian Markov: toàn thời gian sống người bệnh
- Quần thể người bệnh: tương đương với nghiên cứu lâm sàng COMFORT II
- Khấu hao cho chi phí và hiệu quả là 3%.

Giả định của mô hình

- Người bệnh có đặc điểm dịch tễ, tỷ lệ biến chứng và tác dụng phụ tương đương với dân số của nghiên cứu lâm sàng COMFORT-II.
- Tần số chuyển giữa các trạng thái ổn định và không thay đổi
- Người bệnh tuân thủ điều trị.

Chức năng của mô hình

- Ước lượng số lượng người bệnh ở mỗi trạng thái sau mỗi chu kỳ Markov
- Ước lượng và so sánh được chi phí và hiệu quả điều trị qua các năm ở các phương án điều trị nghiên cứu.
- Đánh giá sự thay đổi các tham số đầu ra khi thay đổi các tham số đầu vào

Thông số đầu vào và đầu ra của mô hình. Các thông số đầu vào và đầu ra của mô hình được thể hiện dưới các trạng tính toán trong phần mềm Microsoft Excel. Các trạng thông số được liên kết với nhau bằng các hàm và công thức sao cho khi nhập giá trị một thông số đầu vào ta nhận được thông số đầu ra tương ứng, kết quả được trình bày trong bảng 5.

Bảng 5. Thành phần các thông số đầu vào và đầu ra của mô hình

STT	Thông số	Thành phần	Trang tính toán
THÔNG SỐ ĐẦU VÀO			
1	Tần số chuyển	Các bước chuyển ở các trạng thái	Trang tính toán "Tần số chuyển"
2	Chi phí điều trị	Chi phí thuốc liên quan đến phác đồ điều trị	Trang tính toán "Chi phí điều trị"
		Chi phí điều trị tác dụng phụ	
		Chi phí truyền máu cho người bệnh XTNP	
		Chi phí quản lý bệnh	
		Chi phí cắt lách, xạ trị lách	
		Chi phí điều trị bệnh bạch cầu cấp tính	
Chi phí chăm sóc giảm nhẹ			
3	Hiệu quả điều trị	Số năm sống có chất lượng của người bệnh XTNP (QALY)	Trang tính toán "Hiệu quả điều trị"
THÔNG SỐ ĐẦU RA			

4	ICER	Chi phí điều trị chi trả thêm khi người bệnh sử dụng phác đồ RUX so với BAT cho 1 năm sống có chất lượng	Trang tính toán "ICER"
5	Phân tích độ nhạy	Phân tích độ nhạy một chiều	Trang tính toán "Phân tích độ nhạy"

IV. BÀN LUẬN

Nghiên cứu đã tiến hành tìm kiếm dữ liệu bằng phương pháp tổng quan hệ thống với câu lệnh và từ khóa chặt chẽ trên các nguồn dữ liệu đáng tin cậy bao gồm Pubmed, thư viện Cochrane và Google scholar. Kết quả tìm kiếm có 2 nghiên cứu thỏa tiêu chí được lựa chọn để tổng hợp. Giới hạn về số lượng nghiên cứu thỏa tiêu chí có thể được giải thích bởi số lượng nghiên cứu công bố về phân tích CP-HQ của RUX vẫn còn hạn chế do bệnh lý XTNP là bệnh hiếm và RUX là can thiệp mới. Hơn nữa việc lựa chọn ngôn ngữ tiếng Anh hoặc tiếng Việt có thể giới hạn những nghiên cứu bằng ngôn ngữ khác.

Dựa trên tổng quan tài liệu, các yêu cầu xây dựng mô hình và tham vấn chuyên gia, nghiên cứu đã xây dựng được mô hình hoàn thiện nhằm phân tích CP-HQ của RUX trong điều trị XTNP. Mô hình bao gồm ba thành phần là thông số đầu vào, mô hình trung tâm và thông số đầu ra. Mô hình trung tâm là một mô hình Markov cho phép theo dõi diễn tiến người bệnh điều trị bao gồm ba trạng thái Đang điều trị, Ngưng điều trị và Tử vong. Mỗi giai đoạn người bệnh tương ứng với số lượng người bệnh giai đoạn điều trị khác nhau dẫn đến phương pháp điều trị, chi phí điều trị, hiệu quả điều trị khác nhau. Khung thời gian nghiên cứu được xem xét là toàn thời gian sống của người bệnh với chu kỳ Markov là 1 tháng, điều này tương đồng với nghiên cứu tại CP- HQ trong điều trị XTNP tại Bồ Đào Nha [1].

Khi sử dụng hợp lý các phương pháp phân tích kinh tế dược, mô hình Markov xây dựng có thể tạo cơ sở lựa chọn phác đồ điều trị tối ưu nhất cho người bệnh và từ đó có thể đề xuất các chính sách y tế để tăng tuổi thọ và chất lượng sống, giảm gánh nặng kinh tế, cho người bệnh, xã hội và cho ngân sách y tế.

Mô hình nghiên cứu này có thể ứng dụng phân tích đánh giá kinh tế cho các thuốc sinh học đối với bệnh lý XTNP. Nghiên cứu có thể mở rộng theo hướng ứng dụng mô hình này vào trong các bệnh lý huyết học hiếm gặp từ đó tạo điều kiện thuận lợi, thúc đẩy nghiên cứu phân tích kinh tế các bệnh lý hiếm tại Việt Nam.

Nghiên cứu còn có một số hạn chế nhất định. Số lượng chuyên gia tham vấn tập trung ở các thành phố lớn ở Việt Nam có thể chưa đại diện

cho toàn Việt Nam. Tuy nhiên là bệnh lý hiếm gặp, các bệnh viện nghiên cứu là cơ sở điều trị chủ yếu đã phản ánh đầy đủ thực trạng bệnh lý tại Việt Nam.

V. KẾT LUẬN

Mô hình phân tích chi phí – hiệu quả trên phần mềm Microsoft Excel 2020 được xây dựng như công cụ đánh giá chi phí – hiệu quả của RUX so với BAT trong điều trị XTNP và cho phép cập nhật các tham số đầu vào để thu được kết quả phù hợp nhất cho từng thời điểm nghiên cứu nhất định.

TÀI LIỆU THAM KHẢO

- Björn Vandewalle, Valeska Andreozzi, João Almeida & Jorge Félix (2016)**, Pharmacoeconomics of ruxolitinib therapy in patients with myelofibrosis, *Journal of Medical Economics*, 19:4, 424-431
- Mesa RA, Niblack J, Wadleigh M, et al (2006)**, The burden of fatigue and quality of life in myeloproliferative disorders (MPDs): an international Internet-based survey of 1179 MPD patients. *Cancer*, Volume 109, Issue 1 p. 68-76
- Heppner J et al (2019)**, Incidence of myeloproliferative neoplasms in Calgary, Alberta, Canada.
- John Mascarenhas and Ronald Hoffman (2012)**, Ruxolitinib: The First FDA Approved Therapy for the Treatment of Myelofibrosis, *Clinical Cancer Research*, volume 18, Issue 11.
- Bộ Y tế (2015)**, "Hướng dẫn chẩn đoán và điều trị một số bệnh lý huyết học", 4194/QĐ – BHYT, Hà Nội. 44-46.
- Gómez-Casares, María & Hernández-Boluda et al (2017)**, Cost-effectiveness of Ruxolitinib vs Best Available Therapy in the Treatment of Myelofibrosis in Spain, *Journal of Health Economics and Outcomes Research*. 5. 162-174. 10.36469/9808.
- Hahl, J et al (2015)**, Cost-Effectiveness of Ruxolitinib for The Treatment of Myelofibrosis In Finland. *Economic Evaluation Based on Finnish Auria Biobank Data on Health Care Resource Utilization, Value in Health, Volume 18, Issue 7, A669.*
- Ouagari, Khalid & Knight, Christopher & Mendelson, Estella (2012)**, Cost-Effectiveness of Ruxolitinib Versus Best-Available Therapy for Medical Treatment of Myelofibrosis: Canadian Societal Perspective, *Blood*. 120. 4255-4255. 10.1182/blood.V120.21.4255.4255.
- Rojas, R et al (2016)**, Cost Effectiveness of Ruxolitinib Versus Best Available Therapy For The Treatment of Myelofibrosis From Public Health Perspective In Chile, *Value in Health, Volume 19, Issue 7, A590.*