



Comparing Quality of Life of Prophylaxis versus On Demand Treatment in Hemophilia Patients at Siriraj Hospital

การศึกษาเปรียบเทียบคุณภาพชีวิตของผู้ป่วยฮีโมฟีเลียที่รักษาด้วยแฟกเตอร์แบบป้องกันขนาดต่ำเทียบกับผู้ป่วยที่รักษาด้วยแฟกเตอร์แบบตามอาการเมื่อมีเลือดออก

Nattee Narkbunnam, MD, Kritiyada Krittiwattanapong, Pediatric Resident,

Jutarat Bunnun, RN and Bunchoo Pongtanakul, MD

Division of Hematology and Oncology, Department of Pediatrics, Faculty of Medicine Siriraj Hospital

and Pediatric Nursing Division, Nursing Department, Siriraj Hospital



Background

- **Hemophilia is an X-linked recessive bleeding disorder**
- **Deficiency of coagulation**
 - **factor VIII : hemophilia A**
 - **factor IX : hemophilia B**



Background

Treatment : clotting factor replacement therapy

- prophylaxis treatment : prevent bleeding by regular administration of clotting factors concentrate
- on-demand treatment : clotting factor concentrate given only at time of bleed



Background

การศึกษาการใช้แฟกเตอร์เข้มข้น (factor concentrate) ในต่างประเทศสำหรับการรักษาแบบป้องกันในขนาดมาตรฐาน (standard dose prophylaxis treatment)

- มุ่งเน้นให้ระดับแฟกเตอร์ในเลือดของผู้ป่วย สูงกว่า 1 IU/dL ตลอดเวลา
- ให้แฟกเตอร์เข้มข้น 25-40 ยูนิต/กก./ครั้ง ทางหลอดเลือดดำ
 - ผู้ป่วยฮีโมฟีเลียเอ : 3 ครั้งต่อสัปดาห์
 - ผู้ป่วยฮีโมฟีเลียบี : 2 ครั้งต่อสัปดาห์



- ลดความถี่ของการเกิดภาวะเลือดออกผิดปกติ
- ชะลอการเกิดภาวะข้อพิการได้



Background

standard dose prophylaxis
treatment จำเป็นต้องใช้ปริมาณ
แฟกเตอร์เข้มข้นต่อปีสูง



ประเทศไทยยังมีข้อจำกัด
ด้านงบประมาณ ในการใช้
แฟกเตอร์เข้มข้น

เกิดการศึกษาค้นคว้าให้
แฟกเตอร์เข้มข้น
แบบป้องกันในขนาดต่ำ
(low dose prophylaxis
treatment)



Objective

- Compare quality of life of hemophilia patients on low dose prophylaxis versus on-demand treatment
- The factors affect quality of life in hemophilia patients



Methods

- **Question-based research**

- Haemo-QOL kids : age 8-16 years old
- Haemo-A-QOL : age 16-25 years old

- **Population**

- Patients age 8-25 years old with moderate to severe Hemophilia A and Hemophilia B
- Follow up visit at Department of Pediatrics, Faculty of Medicine, Siriraj hospital, Mahidol University during September 2019 to November 2020



Results

Hemophilia population
(n=44)

Excluded (n=11)

- Factor inhibitors (n=2)
- Age < 8 yr. (n=5)
- Delay developmental (n=1)
- Mild hemophilia (n=3)

Enrolled
(n=33)

Age 8-16 years old
(n=23)

Age 16-25 years old
(n=10)

Low dose
prophylaxis
(n=13)

on-demand
(n=10)

Low dose
prophylaxis
(n=4)

on-demand
(n=6)



Results

Factor	Total (N=33)	Type treatment		P value
		On-demand (N=16)	Low dose Prophylaxis (N=17)	
อายุ (ปี)	11.92 (9.08,18.83)	14.67 (9.52,18.88)	11.67 (8.88,16.54)	0.42
จำนวนแพ็คเกจวัคซีนที่ใช้ (ยูนิต/กก./เดือน)	44.64 (22.00,68.15)	28.60 (20.20,52.80)	63.80 (32.10,80.63)	0.01
กลุ่มช่วงอายุ				0.40
I (8-16 ปี)	23 (69.7%)	10 (62.5%)	13 (76.5%)	
II (16-25ปี)	10 (30.3%)	6 (37.5%)	4 (23.5%)	
ประวัติโรคฮีโมฟีเลียในครอบครัว (คน)	14 (42.4%)	10 (62.5%)	4 (23.5%)	0.02
ชนิดของโรคฮีโมฟีเลีย				0.52
A	30 (90.9%)	14 (87.5%)	16 (94.1%)	
B	3 (9.1%)	2 (12.5%)	1 (5.9%)	
Severity of disease				0.23
Moderate	17 (51.5%)	10 (62.5%)	7 (41.2%)	
Severe	16 (48.5)	6 (37.5%)	10 (58.8%)	



Results

การเปรียบเทียบคุณภาพชีวิตในกลุ่มช่วงอายุ 8-16 ปี โดยใช้ Haemo-QOL Kids score โดยแบ่งตามความรุนแรงของโรค

Group I (8-16 yr.) QOL score (n=23)			
Factor	On-demand (n=10) (max, min)	Low dose Prophylaxis (n=13) (max, min)	P value
Severity			
Moderate	29.29 (27.86,32.86)	37.86 (26.61,46.96)	0.41
Severe	60.71 (44.29,0.00)	30.00 (27.50,44.64)	<u>0.036</u>

คะแนนคุณภาพชีวิต มีตั้งแต่ 0-100 คะแนน
ซึ่งคะแนนที่น้อยกว่าแสดงถึงคุณภาพชีวิตที่ต่ำกว่า



Results

การเปรียบเทียบคุณภาพชีวิตในกลุ่มช่วงอายุ 16-25 ปี โดยใช้
Haemo-A-QOL score โดยแบ่งตามความรุนแรงของโรค

Group II (16-25 yr.) A-QOL score (n = 10)			
Factor	On-demand (n=6) (max, min)	Low dose Prophylaxis (n=4) (max, min)	P value
Severity			
Moderate	40.56 (39.44,42.22)	36.11 (25.00,44.02)	<u>0.70</u>
Severe	48.89 (46.67,51.67)	34.44 (34.44,34.44)	<u>0.50</u>



คุณภาพชีวิตของผู้ป่วย severe hemophilia ในด้านต่างๆ

Domain	Group I (8-16 yr.) <u>severe hemophilia</u> (n=12)		
	On-demand (n=3)	Low dose Prophylaxis (n=9)	P value
<u>Physical health</u>	<u>58.33 ± 23.66</u>	<u>36.11 ± 11.60</u>	<u>0.04</u>
Feelings	43.75 (6.25,0.00)	6.25 (0.00,25.00)	0.15
View of yourself	50.00 ± 16.54	43.06 ± 23.06	0.65
<u>Family</u>	<u>70.83 ± 13.01</u>	<u>51.39 ± 10.72</u>	<u>0.03</u>
Friend	41.67 (41.67,0.00)	33.33 (25.00,70.83)	0.37
Others	62.50 (56.25,0.00)	31.25 (18.75,43.75)	0.06
<u>Sports/ Leisure</u>	<u>91.67 ± 9.55</u>	<u>63.89 ± 15.56</u>	<u>0.02</u>
Dealing	50.00 (25.00,0.00)	25.00 (15.63,31.25)	0.15
<u>Treatment</u>	<u>25.00 (18.75,0.00)</u>	<u>6.25 (0.00,15.63)</u>	<u>0.04</u>



Results

ผลการวิเคราะห์ความสัมพันธ์ระหว่างปัจจัยต่างๆกับคุณภาพชีวิตในผู้ป่วย
ฮิโมฟีเลีย กลุ่มช่วงอายุ 16-25 ปี พบว่า

- ระยะเวลาจากบ้านถึงโรงพยาบาลที่เพิ่มขึ้น 1 นาที จะมีคะแนนคุณภาพชีวิตสูงขึ้น 0.09 คะแนน (P value = 0.01)
- การมี target joint จะมีคะแนนคุณภาพชีวิตสูงขึ้น 9.37 คะแนน (P value = 0.05)



สรุป

- ผู้ป่วยฮีโมฟีเลียชนิดรุนแรงมาก ช่วงอายุ 8-16 ปี ที่ได้รับการรักษาแบบป้องกัน มีคุณภาพชีวิตที่ดีกว่ากลุ่มที่ได้รับการรักษาแบบตามอาการ อย่างมีนัยสำคัญทางสถิติ
- จากการศึกษาปัจจัยแต่ละด้านที่อาจมีผลต่อคุณภาพชีวิตของผู้ป่วยฮีโมฟีเลียระดับรุนแรง ช่วงอายุ 8-16 ปี พบว่า ด้านกายภาพ ด้านครอบครัว ด้านกีฬาและงานอดิเรก และด้านการรักษา กลุ่มที่ได้รับการรักษาแบบป้องกันมีคุณภาพชีวิตที่ดีกว่ากลุ่มที่ได้รับการรักษาแบบตามอาการ อย่างมีนัยสำคัญทางสถิติ



สรุป

กลุ่มอายุ 16-25 ปี เมื่อนำมาศึกษาคุณภาพชีวิต ไม่พบความแตกต่างกัน
อย่างมีนัยสำคัญทางสถิติ

- ผู้ป่วยกลุ่มนี้อาจมีความสามารถดูแลตนเองได้เมื่อมีอาการเบื้องต้น และเข้าใจการดำเนินโรคได้ดีกว่ากลุ่มผู้ป่วยอายุน้อย
- ผู้ป่วยที่อายุ >10 ปีจะได้ปริมาณแฟกเตอร์เมื่อเทียบกับน้ำหนักตัวน้อยกว่าผู้ป่วยที่อายุ < 10 ปี เนื่องจากข้อจำกัดด้านงบประมาณ เมื่อได้รับแฟกเตอร์แบบป้องกันขนาดต่ำ จึงไม่เพียงพอที่จะทำให้คุณภาพชีวิตดีขึ้นได้ เมื่อเทียบกับกลุ่มรับการรักษาแบบตามอาการเมื่อมีเลือดออก



สรุป

ปัจจัยที่ส่งผลต่อคุณภาพชีวิตที่ลดลงจากการศึกษานี้ ได้แก่

- ระยะเวลาที่ใช้ในการเดินทางจากบ้านมาถึงโรงพยาบาล
ที่มากขึ้น
- ผลของการเกิด target joint



สรุป

การรักษาแบบป้องกันโดยใช้แฟลคเตอร์ขนาดต่ำ
เป็นทางเลือกการรักษาที่ช่วยให้ผู้ป่วยจำนวนหนึ่ง
มีคุณภาพชีวิตที่ดีขึ้นกว่าการรักษาเดิม
ที่ทำให้การรักษาผู้ป่วยตามอาการเมื่อมีเลือดออกเท่านั้น



...Thank you...

กิตติกรรมประกาศ

การศึกษานี้ได้รับทุนสนับสนุนจากทุนวิจัยพัฒนาการวิจัย
คณะแพทยศาสตร์ศิริราชพยาบาล มหาวิทยาลัยมหิดล

