

**AZ EGÉSZSÉGNYERESÉG MÉRÉSE ÉS ÉRTÉKELÉSE
KRÓNIKUS BETEGSÉGEKBEN**

MTA DOKTORI ÉRTEKEZÉS

Dr. Péntek Márta

BUDAPEST

2021

TARTALOM

1	RÖVIDÍTÉSEK, ÁBRÁK ÉS TÁBLÁZATOK JEGYZÉKE	5
2	BEVEZETÉS	9
2.1	BEVEZETŐ GONDOLATOK	9
2.2	AZ EGÉSZSÉGNYERESÉG MÉRÉSE	14
2.2.1	<i>Az egészségnyereség betegközpontú mérése.....</i>	<i>15</i>
2.2.2	<i>Preferencia-alapú kimenetel mércék: hasznosság mérés és hasznosság értékkészlet</i>	<i>16</i>
2.2.3	<i>A megnyert életek és életminőség együttes értékelése.....</i>	<i>19</i>
2.2.4	<i>Az ember a döntések mögött: az egészségnyereséget meghatározó betegközpontú tényezők értékelése.....</i>	<i>19</i>
2.3	A KUTATÁSOKBAN VIZSGÁLT BETEGSÉGEK RÖVID ISMERTETÉSE	20
2.3.1	<i>Rheumatoid arthritis (RA)</i>	<i>21</i>
2.3.2	<i>Csontritkulás (osteoporosis, OP).....</i>	<i>22</i>
2.3.3	<i>További krónikus betegségek.....</i>	<i>23</i>
2.4	A KUTATÁSOKBAN ALKALMAZOTT FŐBB KIMENETEL MÉRCÉK.....	25
2.4.1	<i>Európai Minimum Egészségmodul (MEHM).....</i>	<i>25</i>
2.4.2	<i>EQ-5D-3L és EQ-5D-5L.....</i>	<i>25</i>
2.4.3	<i>Health Assessment Questionnaire Disability Index (HAQ-DI)</i>	<i>26</i>
2.4.4	<i>WHO Jólét Kérdőív (WHO-5)</i>	<i>27</i>
2.4.5	<i>Boldogság és élettel való elégedettség vizuális analóg skálák (VAS).....</i>	<i>27</i>
2.4.6	<i>Élettel való Elégedettség Skála (SWLS)</i>	<i>27</i>
2.4.7	<i>Munkaképességre és Tevékenységcsökkenésre vonatkozó kérdőív (WPAI).....</i>	<i>28</i>
2.5	A KUTATÁSOK HÁTTERE.....	29
2.5.1	<i>A terápiás stratégiák értékelése: biológiai terápia bizonyítékokon alapuló alkalmazása RA-ban</i>	<i>29</i>
2.5.2	<i>Az egészségnyereség betegközpontú mérése: egészséggel összefüggő életminőség</i>	<i>30</i>
2.5.3	<i>Páciensek jóllétének értékelése: képességszemlélet-alapú jólét és munkaképesség.....</i>	<i>31</i>
2.5.4	<i>A betegek gondozóinál jelentkező egészségnyereség: az informális gondozók életminősége</i>	<i>34</i>
2.5.5	<i>Betegek bevonása az egészségügyi döntéshozatalba: egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága és egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások.....</i>	<i>36</i>
2.5.6	<i>Betegek részvétele az egészségügyi ellátásban: digitális egészségműveltség és betegtapasztalatok</i>	<i>37</i>

3	CÉLKITŰZÉSEK	39
3.1	BIOLÓGIAI TERÁPIÁK BIZONYÍTÉKOKON ALAPULÓ ALKALMAZÁSA RA-BAN	39
3.2	EGÉSZSÉGGEL ÖSSZEFÜGGŐ ÉLETMINŐSÉG: KÖZÉPPONTBAN AZ EQ-5D.....	39
3.3	A JÓLLÉT ÚJ MEGKÖZELÍTÉSE: A KÉPESSÉGSZEMLELET-ALAPÚ JÓLLÉT MÉRÉSE (ICECAP)...	39
3.4	INFORMÁLIS GONDOZÁS, AZ INFORMÁLIS GONDOZÓK ÉLETMINŐSÉGE (CARERQOL)	39
3.5	EGÉSZSÉGPROBLÉMÁK ÉLETKORFÜGGŐ ELFOGADOTTSÁGA ÉS A JÖVŐBELI EGÉSZSÉGGEL KAPCSOLATOS SZUBJEKTÍV VÁRAKOZÁSOK	40
3.6	DIGITÁLIS EGÉSZSÉGMŰVELTSÉG (EHEALS) ÉS BETEGTAPASZTALATOK AZ EGÉSZSÉGÜGYBEN (PREM)	40
3.7	A KUTATÁSOK ÖSSZEFOGLALÓ ÁTTEKINTÉSE	40
4	MÓDSZEREK	42
4.1	BIOLÓGIAI TERÁPIÁK BIZONYÍTÉKOKON ALAPULÓ ALKALMAZÁSA RA-BAN	42
4.1.1	<i>Első vonalbeli terápiaként alkalmazott TNF-α gátló gyógyszerek hatásossága RA-ban: szisztematikus irodalmi áttekintés és metaanalízis</i>	42
4.1.2	<i>Biohasznos infliximab terápia bevezetésének költségvetési hatás elemzése RA-ban, hat közép-kelet-európai (KKE) országban.....</i>	43
4.2	EGÉSZSÉGGEL ÖSSZEFÜGGŐ ÉLETMINŐSÉG: KÖZÉPPONTBAN AZ EQ-5D.....	44
4.2.1	<i>Lakosság egészségi állapotának felmérése és lakossági normaérték kialakítása EQ-5D- 3L kérdőívvel: online felmérés Magyarországon (2010).....</i>	44
4.2.2	<i>Mozgásszervi betegségekben a KKE régióban végzett EQ-5D vizsgálatok: szisztematikus irodalomkeresés és metaanalízis</i>	45
4.3	A JÓLLÉT ÚJ MEGKÖZELÍTÉSE: A KÉPESSÉGSZEMLELET-ALAPÚ JÓLLÉT MÉRÉSE (ICECAP)...	46
4.3.1	<i>Vizsgálati elrendezés és kérdőív</i>	46
4.3.2	<i>Alkalmazott mércék és a magyar nyelvű ICECAP-A/-O kérdőívek kifejlesztése</i>	47
4.3.3	<i>Statisztikai módszerek.....</i>	50
4.4	INFORMÁLIS GONDOZÁS, AZ INFORMÁLIS GONDOZÓK ÉLETMINŐSÉGE (CARERQOL).....	50
4.4.1	<i>A CarerQol kérdőív validálása, lakossági felmérés és értékkészlet kifejlesztése Magyarországon, Lengyelországban és Szlovéniában</i>	50
4.4.2	<i>Krónikus betegek egészségi állapota és informális gondozási ideje közötti összefüggések</i>	56
4.5	EGÉSZSÉGPROBLÉMÁK ÉLETKORFÜGGŐ ELFOGADOTTSÁGA ÉS A JÖVŐBELI EGÉSZSÉGGEL KAPCSOLATOS SZUBJEKTÍV VÁRAKOZÁSOK	57
4.5.1	<i>Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága: online lakossági felmérés (2008)</i>	57
4.5.2	<i>Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága RA betegek körében (2009)</i>	59
4.5.3	<i>Jövőbeli egészséggel, munkaképességgel és ellátásokkal kapcsolatos szubjektív várakozások: online lakossági reprezentatív felmérés (2019).....</i>	59

4.5.4	<i>Osteoporosisos nőbetegek jövőbeli csonttörésekkel kapcsolatos szubjektív várakozásai: multicentrikus keresztmetszeti felmérés (2009)</i>	61
4.6	DIGITÁLIS EGÉSZSÉGMŰVELTSÉG (eHEALS) ÉS BETEGTAPASZTALATOK AZ EGÉSZSÉGÜGYBEN (PREM)	62
4.6.1	<i>Vizsgálati elrendezés és kérdőív</i>	62
4.6.2	<i>Alkalmazott mércék, a magyar nyelvű eHEALS kérdőív kifejlesztése</i>	63
4.6.3	<i>Statisztikai elemzések</i>	66
5	EREDMÉNYEK ÉS MEGBESZÉLÉS	67
5.1	BIOLÓGIAI TERÁPIÁK BIZONYÍTÉKOKON ALAPULÓ ALKALMAZÁSA RA-BAN	67
5.1.1	<i>Első vonalbeli betegségmódosító terápiaként alkalmazott TNF-α gátló gyógyszerek hatásossága RA-ban</i>	67
5.1.2	<i>Biohasznos infliximab terápia bevezetésének költségvetési hatása RA-ban, hat KKE országban</i>	75
5.1.3	<i>Megbeszélés</i>	75
5.2	EGÉSZSÉGGEL ÖSSZEFÜGGŐ ÉLETMINŐSÉG: KÖZÉPPONTBAN AZ EQ-5D	78
5.2.1	<i>Lakosság egészségi állapota és EQ-5D-3L normaértékei Magyarországon (2010)</i>	78
5.2.2	<i>Mozgásszervi betegségekben a KKE régióban végzett EQ-5D vizsgálatok eredményei</i> .	82
5.2.3	<i>Megbeszélés</i>	86
5.3	A JÓLLÉT ÚJ MEGKÖZELÍTÉSE: A KÉPESSÉGSZEMLELET-ALAPÚ JÓLLÉT MÉRÉSE (ICECAP)...	91
5.3.1	<i>A minta jellemzői és az ICECAP-A és ICECAP-O lakossági normaértékei</i>	91
5.3.2	<i>A magyar nyelvű ICECAP-A és ICECAP-O kérdőívek validitása és megbízhatósága</i>	97
5.3.3	<i>Munkaképesség és képességszemlélet-alapú jóllét: a lakosság WPAI normaértékei és a WPAI kapcsolata az ICECAP-A és ICECAP-O kérdőívekkel</i>	99
5.3.4	<i>Megbeszélés</i>	103
5.4	INFORMÁLIS GONDOZÁS, AZ INFORMÁLIS GONDOZÓK ÉLETMINŐSÉGE (CARERQOL)	106
5.4.1	<i>A CarerQol kérdőív validálása, lakossági felmérés eredményei és értékkészlet Magyarországon, Lengyelországban és Szlovéniában</i>	106
5.4.2	<i>Krónikus betegséggel élő betegek egészségi állapota és informális gondozási ideje közötti összefüggések</i>	117
5.4.3	<i>Megbeszélés</i>	117
5.5	EGÉSZSÉGPROBLÉMÁK ÉLETKORFÜGGŐ ELFOGADOTTSÁGA ÉS A JÖVŐBELI EGÉSZSÉGGEL KAPCSOLATOS SZUBJEKTÍV VÁRAKOZÁSOK	121
5.5.1	<i>Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága a lakosság körében</i>	121
5.5.2	<i>Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága RA betegek körében</i>	124
5.5.3	<i>Jövőbeli egészséggel, munkaképességgel és időskori ellátásokkal kapcsolatos szubjektív várakozások</i>	125

5.5.4	<i>Osteoporosisos nőbetegek jövőbeli csonttörésekkel kapcsolatos szubjektív várakozásai ...</i>	130
5.5.5	<i>Megbeszélés</i>	132
5.6	DIGITÁLIS EGÉSZSÉGMŰVELTSÉG (EHEALS) ÉS BETEGTAPASZTALATOK AZ EGÉSZSÉGÜGYBEN (PREM)	137
5.6.1	<i>A minta jellemzői</i>	137
5.6.2	<i>eHEALS eredmények</i>	138
5.6.3	<i>Járóbeteg ellátáshoz hozzáférés</i>	140
5.6.4	<i>Betegtapasztalatok a járóbeteg ellátás során</i>	142
5.6.5	<i>A betegtapasztalatok (PREM) és a digitális egészségműveltség (eHEALS) összefüggései</i>	142
5.6.6	<i>Megbeszélés</i>	144
5.7	KIMENETEL MÉRCÉK EURÓPAI ÖSSZEHASONLÍTÁSBAN	147
6	ÖSSZEFOGLALÁS	150
6.1	ÚJ TUDOMÁNYOS EREDMÉNYEK	150
6.2	AZ EREDMÉNYEK GYAKORLATI JELENTŐSÉGE	154
7	RÖVID ÖSSZEFOGLALÁS	159
8	IRODALOMJEGYZÉK	160
9	PUBLIKÁCIÓK ÉS TUDOMÁNYMETRIAI ADATOK	176
9.1	AZ ÉRTEKEZÉST MEGALAPOZÓ IN EXTENSO KÖZLEMÉNYEK	176
9.2	AZ ÉRTEKEZÉSHEZ KAPCSOLÓDÓ SAJÁT KÖZLEMÉNYEK TUDOMÁNYMETRIAI ÖSSZEFOGLALÓJA	179
10	KÖSZÖNETNYILVÁNÍTÁS	180

1 RÖVIDÍTÉSEK, ÁBRÁK ÉS TÁBLÁZATOK JEGYZÉKE

Rövidítések

ACR20/50/70	American College of Rheumatology 20/50/70 (RA-ban a hatásosság mérésére szolgáló kompozit mérce, 20%/50%/70%-os javulás)
AMD	Age-related macular degeneration (időskori makula degeneráció)
AP	Arthritis psoriatica (pikkelysömörhöz kapcsolódó ízületi gyulladás)
CarerQol	Informális gondozók gondozással összefüggő életminőségét mérő kérdőív
CDAI	Clinical Disease Activity (klinikai betegségaktivitás mérce rheumatoid arthritis betegségben)
DAS28	Disease Activity Score (28 ízületet figyelembe vevő betegség-aktivitási mérce rheumatoid arthritisben)
DCE	Discrete Choice Experiment (diszkrét választás módszere)
DMD	Duchenne Muscular Dystrophy (Duchenne féle izomdisztrófia)
eHEALS	eHealth Literacy Scale (Elektronikus Egészségműveltség Skála)
EESZT	Elektronikus Egészségügyi Szolgáltatási Tér
ELEF	Európai Lakossági Egészségfelmérés
EQ-5D-3L	Egészségi állapot mérce (3 válasz szintű változat)
EQ-5D-5L	Egészségi állapot mérce (5 válasz szintű változat)
ETT-TUKEB	Egészségügyi Tudományos Tanács Tudományos Kutatásetikai Bizottsága
EULAR	European League Against Rheumatism (Európai Reumaellenes Liga)
GALI	Global Activity Limitation Indicator (globális aktivitás korlátozottsági mutató)
HAQ-DI	Health Assessment Questionnaire Disability Index (fizikai funkcionalitást mérő kérdőív)
ICC	Intra-class coefficient (összetartozási együttható)
ICD	International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems (Betegségek Nemzetközi Osztályozása)
ICECAP-A	Investigating Choice Experiments CAPability measure for Adults (képességszemlélet-alapú jóllét mérce felnőttek számára)
ICECAP-O	Investigating Choice Experiments CAPability measure for Older people (képességszemlélet-alapú jóllét mérce idősek számára)

JIA	Juvenilis idiopathiás arthritis
KKE	Közép-kelet-európai (országok vagy régió)
MEHM	Minimum European Health Module (Európai Minimum Egészségmodul)
MESH	Medical Subject Headings (orvosi tárgyszógyűjtemény)
MTX	metotrexát
NICE	National Institute for Health and Care Excellence (Egészség és Klinikai Kiválóság Nemzeti Intézete)
OA	Osteoarthritis (osteoarthrosis, artrózis)
ODM	Osteodensitometria (csont ásványianyag sűrűségének mérése)
OECD	Organisation for Economic Co-operation and Development (Gazdasági Együttműködési és Fejlesztési Szervezet)
OMERACT	Outcome Measures in Rheumatology (Kimenetel mérés a reumatológiában; szakmai munkacsoport)
OP	Osteoporosis (csontritkulás)
PL	Lengyelország
PREM	Patient Reported Experience Measure (Betegtapasztalatok kérdőív)
QALY	Quality-Adjusted Life Year (életminőséggel korrigált életév)
RA	Rheumatoid arthritis (sokízületi gyulladásoos megbetegedés)
RCT	Randomized controlled trial (randomizált kontrollált vizsgálat)
Scl	Scleroderma
SD	Standard deviáció
SDAI	Simple Disease Activity Index (egyszerűsített betegségaktivitási mérce rheumatoid arthritisben)
SI	Szlovénia
SM	Sclerosis multiplex
SPA	Spondylitis ankylopoetica
SSc	Szisztémás sclerosis
SWLS	Satisfaction with Life Scale (Élettel való Elégedettség Skála)
TB	Társadalombiztosítás
TNF- α	Tumor nekrozis faktor- α
VAS	Vizuális Analóg Skála
WHO-5	Az Egészségügyi Világszervezet (WHO) öt teteles jóllét kérdőíve
WPAI	Work Productivity and Activity Impairment questionnaire (Munkaképességre és Tevékenységcsökkenésre vonatkozó kérdőív)

Ábrák

1. ábra Az egészségnyereséget meghatározó tényezők kutatásainkban vizsgált területei	14
2. ábra Preferencia-alapú PROM mércék kifejlesztése és alkalmazása a betegek állapotfelmérése során.....	18
3. ábra Az értekezést megalapozó kutatások összefoglalása.....	41
4. ábra Egy példa a választási helyzet párokra a diszkrét választás feladatban	55
5. ábra Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottságának mérése az EQ-5D-3L leíró részével.....	58
6. ábra Jövőbeli egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások felmérése.....	60
7. ábra Randomizált kontrollált vizsgálatok metaanalízise: első vonalbeli TNF- α gátló terápia versus kontroll terápia rheumatoid arthritisben, különböző végpontokra a 2. év végén*	74
8. ábra A 2010-es EuroVaQ és a 2000-es lakossági vizsgálat [99] korcsoportos EQ-5D-3L index eredményeinek összevetése nemek szerint.....	82
9. ábra A csont-izomrendszer és kötőszövet betegségeiben végzett vizsgálatok száma és kumulatív minta nagysága diagnózisonként és országoként.....	83
10. ábra Lakossági ICECAP-A (18-64 évesek), ICECAP-O (65+ évesek) és HAQ-DI átlagos értékek korcsoportok és nemek szerint	98
11. ábra Az egyes CarerQol domének súlya a legjobb gondozási scenárió esetén a vizsgált három országban, a meglévő értékkészletekkel történő összehasonlításban	116
12. ábra Elfogadható egészség görbe és az átlagos lakosság egészségi állapota az adott életkorban	123
13. ábra RA betegek egészségi állapota és az általuk különböző életkorokban elfogadottnak tartott egészségi állapotok, lakossági eredményekkel történő összehasonlításban	125
14. ábra Idősebb életkorokra szubjektíve várt egészségi állapot az átlagos lakosság körében és különböző betegcsoportokban, az átlagos lakosság mért egészségi állapotával történő összehasonlításban	128
15. ábra A 60, 70 80 és 90 éves korra várt gondozási formák	129
16. ábra Osteoporosisos nők 10 éves törési rizikója FRAX [®] és saját becslésük alapján.....	131
17. ábra EQ-5D-3L és EQ-5D-5L országspecifikus hasznosság értékkészletek Európában .	148
18. ábra ICECAP-A és ICECAP-O nyelvi verziók Európában	148
19. ábra CarerQol nyelvi verziók és országspecifikus hasznosság értékkészletek Európában	149
20. ábra eHEALS nyelvi verziók Európában	149
21. ábra A kutatási eredmények és gyakorlati felhasználási lehetőségeik sematikus összefoglalása.....	158

Táblázatok

1. táblázat Rheumatoid arthritis kezelésére adott első vonalbeli tumor nekrozis faktor- α gátlók randomizált kontrollált vizsgálatainak főbb jellemzői	69
2. táblázat A válaszadók főbb demográfiai jellemzői	79
3. táblázat EQ-5D-3L index értékei nemek szerint öt és tíz éves korcsoportos bontásban.....	80
4. táblázat A többváltozós lineáris regresszió eredményei (eredményváltozó: EQ-5D-3L index).....	81
5. táblázat EQ-5D-3L index eredmények alcsoportok szerint	84
6. táblázat Javaslatok az EQ-5D eredmények közzlésére	86
7. táblázat A minta jellemzői valamint az ICECAP-A és ICECAP-O mércék lakossági normaértékei szocio-demográfiai alcsoportok szerint.....	92
8. táblázat Az ICECAP-A és ICECAP-O mércék egyes tételeire adott válaszok eloszlása	94
9. táblázat ICECAP-A és ICECAP-O eredmények egészségi állapot szerint.....	96
10. táblázat Az ICECAP-A és ICECAP-O indexek és a tételeik korrelációja az EQ-5D-5L index, EQ VAS, boldogság, élettél való elégedettség, WHO-5 és SWLS értékekkel	97
11. táblázat A minta szocio-demográfiai jellemzői, egészségi állapota és munkaképessége	100
12. táblázat Foglalkoztatottság, egészségi állapot és munkaképesség	102
13. táblázat Sperman-féle rangkorreláció eredmények az ICECAP-A/-O és a WPAI között	103
14. táblázat A minta főbb jellemzői Magyarországon, Lengyelországban és Szlovéniában .	107
15. táblázat Informális gondozók jellemzői a három közép-kelet-európai országban.....	108
16. táblázat Az informális gondozás jellemzői a három közép-kelet-európai országban	109
17. táblázat A magyarországi informális gondozók CarerQol-7D index és CarerQol-VAS értékei a gondozó szocio-demográfiai jellemzői szerinti alcsoportokban.....	112
18. táblázat A magyarországi informális gondozók CarerQol-7D index és CarerQol-VAS értékei a gondozási helyzet szerinti alcsoportokban	114
19. táblázat CarerQol-7D értékek a három országban	115
20. táblázat Egészségproblémák elfogadottsága 60, 70, 80, 90 éves kortól illetve soha	122
21. táblázat A válaszadók jelen jellemzői és idősebb életkorokra szubjektíve várt állapotok	126
22. táblázat A minta főbb jellemzői	137
23. táblázat eHEALS (átlag, szórás) eredmények főbb alcsoportok szerint	139
24. táblázat A betegek válaszai a PREM kérdésekre (N=666)	141
25. táblázat Többváltozós regressziós modell a kompozit PREM ^a értékekre	143
26. táblázat A standard kimenetel mércékkel kialakított alapadatok	153

2 BEVEZETÉS

2.1 Bevezető gondolatok

A krónikus betegségek kezelési lehetőségeiben számos klinikai szakterületen hatalmas változásokat figyelhattunk meg az elmúlt évtizedekben. Az orvostudomány fejlődésének köszönhetően számos olyan betegségben, amelyeknél korábban nem állt rendelkezésre hatékony terápia (pl. szív-érrendszeri, rosszindulatú daganatos, neurológiai, immunológiai betegségek), jelentősen megnőtt a túlélés [1-3]. Ezekre a kórképekre ma már sok esetben krónikus betegségként tekintünk. A megnövekedett túlélés miatt paradigmaváltásra volt szükség az orvosi gondolkodásban és hosszú (5, 10, 20 vagy több éves) időtávon kell mérlegelni ezeknek a betegségeknek a lefolyását és kimenetelét, a terápiák és a beteggondozás hatékonyságát. Az egészség két fő dimenziója, az élettartam (megnyert életévek) és életminőség közül felértékelődött az *életminőség vizsgálata* [4]. Fontos kérdés lett, hogy megismerjük és megmérjük a beteg szemszögéből releváns *egészségnyereséget*: hogyan változik a beteg egészsége és azt ő hogyan éli meg, valóban jobban érzi-e magát egy terápiától, jelentősnek érzi-e a változásokat és teljesülnek-e a számára lényeges dolgok. További olyan új szempontok és kimenetel mérések is előtérbe kerültek, amelyeket korábban nem vizsgáltak. Ilyen például a beteg munkaképessége, jólléte, boldogsága, elégedettsége, családi és szociális szerepköreire való képessége. A krónikus betegeket sokszor éveken át gondozzák, segítik a családtagok, az ún. *informális gondozók*, az ő életminőségükben bekövetkező változások is egyre nagyobb szerepet kapnak az értékelésekben.

Az orvosi gyakorlat átalakulása

Ezzel párhuzamosan az orvosi döntéshozatal gyakorlata is jelentősen átalakult, a betegségközpontú orvoslás eltolódott a betegközpontú orvoslás felé. A beteg teljes körű informálása a betegségről, a kezelési alternatívákról és azok kimeneteleiről a gyógyítás alapvető részévé vált. A beteg az orvosi döntéshozatal aktív szereplője lett, vele közösen kell kitűzni a terápiás célokat, értékelni az elért eredményeket és meghozni a döntéseket [5]. Ahhoz, hogy jól tudjuk informálni a beteget, meg kell tudnunk mérni és a beteg szempontjait figyelembe véve bemutatni a kezeléstől várható *egészségnyereséget*: milyen területeken és milyen mértékű egészség-, illetve életminőségjavulás várható a rendelkezésre álló tudományos bizonyítékok alapján. Az orvos és a beteg között megosztott döntéshozatalhoz az is szükséges, hogy az orvos jól informált legyen a betegről. A betegek közötti egyéni különbségek ismerete felértékelődött, a beteg személyes céljai figyelembevételével kell meghozni a

döntéseket. Az orvosnak meg kell ismernie a *beteg szubjektív elgondolásait* az egészségével és a terápiákkal összefüggésben. Mit tart fontosnak és mit tart kevésbé fontosnak a betegséggel kapcsolatban? Milyen eredményeket vár? Mit szeretne elérni a terápiával? Mennyire képes megérteni a különböző alternatívák előnyeit és kockázatait? Jó megosztott döntéshozatal csak jól informált pácienssel lehetséges, aki képes kérdezni, felkutatni, megérteni és adekváтан alkalmazni a kapott információkat (különösen a digitalizálódó világ információáradatában), azaz megfelelő (digitális) *egészségműveltséggel* rendelkezik. Ezért a betegek egészségműveltségének felmérésére és fejlesztésére, betegedukációra (és annak hatékonyságának mérésére) van szükség. A betegek számára azonban nem csak a betegség kimenetele, de maga a gyógyítás és gondozás folyamata is számít, adott esetben legalább annyira fontos. Ezért egyre nagyobb figyelmet kap a betegek *egészségügyben szerzett tapasztalatainak* mérése. Az egészségügyi ellátásokhoz való hozzáférés akadályozottsága, az ellátás során szerzett betegtapasztalatok jelentősen befolyásolhatják a gondozásban való részvételt és annak eredményességét.

Változások a gyógyszerfejlesztésekben

A krónikus betegségek kezelésében bekövetkezett változások visszahatnak a gyógyszerfejlesztésekre. A gyógyszerek regisztrációjához bizonyítani kell, hogy a beteg szempontjából is fontos területeken jelentkezik érdemi hatás és hogy ez a hatás nem csak rövid, de hosszú távon is jelentős. A regisztrációt megalapozó klinikai vizsgálatokban a betegek beszámolóin alapuló kimenetek és életminőség eredmények *elsődleges vagy másodlagos végpontok* lettek a krónikus betegségek jelentős részében [6]. A gyógyszerek bevezetését követően követéses vizsgálatokkal, betegregiszteren alapuló elemzésekkel kell igazolni a terápia eredményességét a valós gyakorlatban, amiben az életminőség kimenetek jelentős súllyal bírnak. A terápiás egészségnyereség értékelésének ez az új megközelítése új dimenziókat nyitott a gyógyszerek fejlesztésében. A terápiák célja és eredménye új területeken vált mérhetővé, szélesebb horizonton versengenek a kutatók és a gyártók a minél jobb terápiák előállítására érdekében. A kimenetel mérhetőségének fontosságát az is jól mutatja, hogy azokban a komplex, sok szervrendszert érintő betegségekben, ahol különösen nehéz a kimenetel és ezáltal a terápiás hatásosság mérése, a megfelelő mércék hiánya gátat szabhat a kutatásnak és gyógyszerfejlesztésnek.

Finanszírozási kérdések

A krónikus betegségek kezelésére kifejlesztett új, hatékony gyógyszerek és modern orvosi technológiák (pl. géntechnológián alapuló fehérjemolekulák) sok esetben jelentősen költségesebbek is, mint a korábbi terápiák, ami további új szempontokat hozott a klinikai gondolkodásba és tovább formálta az egészségnyereség mérését. A társadalombiztosítási (TB) finanszírozási döntések az egyéni orvosi döntéshozatalt segítő, betegség-specifikus mérésekhez képest eltérő, társadalmi megközelítést és módszereket kívánnak. A forrás allokációs döntések során mérlegelni kell, hogy egy egységnyi ráfordítás hány egységnyi egészségnyereséget hoz a különböző klinikai területeken. Ezért szükség van olyan kimenetel mércékre, amelyek klinikailag nem összehasonlítható betegségekben jelentkező egészségnyereség összehasonlítására alkalmasak és az elért eredményeket a társadalom értékrendjét tükröző módon fejezik ki. Ezek az ún. preferencia-alapú mércék (hasznosság mércék) alkalmazhatók a terápiák egészséggazdaságtani értékelésében (költséghatékonysági, költséghasznosság elemzések). Az egészségnyereség mérése az orvostudomány fontos részévé vált és az egészségügyi közgazdaságtan jelentős, dinamikusan fejlődő területe lett, ahol jellemzően klinikusok és egészségügyi közgazdászok együttműködve dolgoznak. Szakirodalma gyorsan bővül, az orvostudomány és az egészségügyi döntéshozás módszereinek fejlődésével egyre több a kimenetek mérésére alkalmas eszköz és jelentős adatállomány áll rendelkezésre nemzetközi szinten.

Változások a krónikus gyulladós reumatológiai betegségek kezelése terén

A fenti folyamatokat jól példázza a rendkívül hatékony, de költséges új gyógyszercsoport, az ún. biológiai terápiák megjelenése az immunmediált gyulladós reumatológiai (és más) betegségek kezelésére [7]. Az első biológiai gyógyszert 1998-ban regisztrálták, és a megjelent további biológiai gyógyszerek addig nem látott helyzetet teremtettek az egészségügyben. Az új gyógyszercsoport olyan betegek (pl. immunmediált sokízületi gyulladás, rheumatoid arthritis) eredményes kezelését tette lehetővé, akik betegségét addig gyakorlatilag nem lehetett érdemben befolyásolni. TB támogatás hiányában azonban a biológiai gyógyszerekhez való hozzáférés rendkívül korlátozott volt. A gyógyszerár, a költséghatékonyság kérdése, a gazdaságossági szempontok elértek a gyakorló reumatológusokhoz, a mindennapi orvosi tevékenységet meghatározó tényezővé váltak. A biológiai gyógyszerek megjelenésével a finanszírozónak is először kellett szembenéznie azzal, hogy az új gyógyszercsoport TB támogatása a korábbinál jelentősen nagyobb összegeket igényel. Ráadásul a támogatási igény jelentős növekedése várható az évről évre bővülő betegszám, az új indikációk és az újabb gyógyszerek regisztrációja

miatt. Míg 2006-ban (a biológiai terápiák TB finanszírozásának első évében) összesen 6,897 millió eurót tett ki a biológiai gyógyszerek TB támogatása Magyarországon, 2010-ben ugyanez már 55,317 millió euró volt [8]. Orvosi és finanszírozói szempontból egyaránt alapvető kérdés lett, hogyan mérhetők a krónikus immunmediált reumatológiai betegségek, hogyan érhető el a legnagyobb *egészségnyereség* egyéni és társadalmi szinten a rendelkezésre álló szűkös erőforrásokból, valamint hogyan lehet hosszú távon is fenntartható a rendszer. Azaz, kiket kezeljük? Kinél jelentkezik és mekkora lesz a várható eredmény? Hol lépjenek be a biológiai gyógyszerek a terápiás szekvenciába? Hogyan tudjuk megmérni és értékelni az elért javulásokat úgy, hogy azok segítségével megalapozott klinikai és finanszírozói döntések szülessenek? Ehhez klinikai oldalról alapvető epidemiológiai, betegségaktivitás, betegség súlyosság, betegségprogresszió és életminőség adatokra, sok esetben új validált mércékre volt szükség az immunmediált gyulladásszerű reumatológiai betegségekben. Óriási tudományos aktivitás alakult ki a reumatológiában a kimenetel mérés terén, orvosszakmai munkacsoportok alakultak (pl. 1992-ben az Outcome Measures in Rheumatology - OMERACT, 2002 óta betegekkel együttműködésben) az új igényeknek megfelelő mércék fejlesztésére és értékelésére, longitudinális mérések kialakítására, betegségek összehasonlítására alkalmas mércék vizsgálatára [9]. A kimenetel mérés a reumatológiai orvosi gyakorlat elkerülhetetlen, mindennapi részévé vált. Az Európai Reumaellenes Liga (European League Against Rheumatism, EULAR) a szakirodalom fejlődéséhez igazodva rendre frissíti és közzé teszi a klinikai gyakorlatot és terápiás stratégiát meghatározó *klinikai irányelveket* [7]. Az orvosi gondolkodás jelentős átalakulását, a klinikai és finanszírozási szempontok elválaszthatatlanságát mutatja, hogy az egészséggazdaságtani értékelések egyre nagyobb teret kapnak rangos reumatológiai szakfolyóiratokban és a gazdaságossági szempontok a kezelés fő irányelvei között szerepelnek a klinikai irányelvekben [7]. Az egyes országok biológiai terápiák *finanszírozási irányelvei* azonban jelentősen eltérnek és a mai napig nagy különbség figyelhető meg a terápiákhoz való hozzáférésben [10,11].

Hasonló kihívások különböző krónikus betegségekben

Gyakorló reumatológus szakorvosként kezdtem életminőség kutatásokat végezni, innen léptem tudományos kutatói pályára, de orvosi tevékenységemet megtartottam részmunkaidős szakorvosként a járóbeteg ellátásban. Orvosi háttérnek és érdeklődésemnek megfelelően az egészségügyi közgazdaságtan területei közül kutatásaim középpontjában az életminőség vizsgálatok, az egészségnyereség mérése áll, és a legtöbb vizsgálatot reumatológiai betegségekben végeztem. Kutatóként lehetőségem nyílt más krónikus betegségekben is

életminőség vizsgálatokat végezni. Így szélesebb rálátásom lett a különböző klinikai szakterületeken egyaránt meglévő módszertani kihívásokra és feltáratlan területekre. Egyértelművé vált számomra, hogy sok esetben az alapoktól kell elindulni. A mércék többségét nyugat-európai országokban fejlesztették ki, ezért egyrészt magyar nyelvű verzió kialakítására és validálására van szükség ahhoz, hogy alkalmazni tudjuk őket. Másrészt a kulturális, társadalmi és egészségügyi rendszerek közötti különbségek miatt azt is meg kell vizsgálni, hogy a mércék átvételekor szükség van-e azok további adaptálására? Ez különösen igaz a preferencia-alapú mércékre, ahol a nyugat-európai példák is azt mutatják, hogy az eltérő társadalmi preferenciák miatt (az ország lakossága milyen értékrendet képvisel, mit tart fontosnak) az adott országra specifikus preferencia adatokra van szükség [12,13]. Továbbá, a betegséggel összefüggő terhek és az eredmények értékeléséhez ismernünk kell az adott ország általános lakosságára jellemző normaértékeket, amihez viszonyítani tudjuk a betegeket [14]. A közép-kelet-európai (KKE) országok, így Magyarország is jelentős elmaradásban van a nyugat-európai (és más fejlett) országokhoz képest az egészségnyereség mérés terén. Ugyanakkor a korszerű terápiákhoz való hozzájárás, a klinikai és finanszírozói döntéshozatal igen sürgető, mielőbbi eredményeket kíván a klinikusoktól és az egészségügyi közgazdászoktól egyaránt. Ezért a hazai vizsgálatok felgyorsítása mellett fontosnak tartottam, hogy végezzünk nyugat-európai országok eredményeivel történő összehasonlítást célzó kutatásokat, hozzunk létre KKE szintű kutatásokat. Térképezzük fel az országok közötti hasonlóságokat és különbségeket, vizsgáljuk meg az eredmények Európán és régió belüli átvételének lehetőségeit és korlátait, és tárjuk fel az együttműködésben rejlő lehetőségeket. Ezek a megfontolások fordították a figyelmemet az általános lakosság körében végzett kutatások felé, melyek során törekedtem a nemzetközi kollaboráció kiépítésére is.

Az értekezésben bemutatott kutatások főbb területei

Az értekezésben bemutatott kutatásokban az egészségnyereség mérés számos megválaszolatlan kérdésköre közül hat témakörre fókuszálok. (1. ábra) Ezekben nagyrészt a nemzetközi szakirodalomban is újnak számító módszertani fejlesztésekkel, új tudományos eredmények létrehozásával foglalkozunk. Másrészt regionális, illetve hazai vonatkozású kérdésekre keressük a válaszokat. Kutatásaink összeállítása során olyan értékes tudományos eredményeket kívántunk létrehozni, amelyek jól használhatók Magyarországon és a KKE régióban, valamint nemzetközi szinten is érdemben növelik az egészségnyereség mérésével kapcsolatos tudományos ismereteket.

1. ábra Az egészségnyereséget meghatározó tényezők kutatásainkban vizsgált területei



A kutatások megértéséhez szükséges alapfogalmakat, valamint a kutatások háttérét a következő alfejezetekben mutatom be.

2.2 Az egészségnyereség mérése

Az *egészségnyereség* az egészség [15] különböző területein elért eredményeket foglalja magába, beleértve az élettartam meghosszabbítását, a testi, szellemi és szociális jólétben (és az azokhoz szükséges funkciókban, képességekben) bekövetkező javulásokat, az egészséggel összefüggő életminőség javulását, az elkerült betegségeket és megelőzött fogyatékoságokat.

Az egészségnyereségre eltérő forrásokból nyerhetünk adatokat: randomizált kontrollált vizsgálatok (angolul: „randomized controlled trial”, RCT) és azok együttes statisztikai elemzése (metaanalízis); keresztmetszeti és követéses vizsgálatok, szisztematikusan gyűjtött beteg adatok, regiszterek és lakossági egészség felmérések; vagy egyedi szintű állapotfelmérések a betegek gondozása során [16]. A tudományos bizonyítékok (RCT) figyelembevételével történik a gyógyszer regisztráció és alakítják ki a klinikai gyakorlatot és a terápiákhoz való hozzáférést meghatározó klinikai és finanszírozói irányelveket. Keresztmetszeti és követéses vizsgálatokból, regiszterekben gyűjtött adatokból kapunk információt a betegcsoportok jellemzőiről, állapotáról és a beavatkozások hatékonyságáról nem vizsgálati (RCT) körülmények között. A betegek egyéni felmérése alapján történnek az orvosi döntések a gyógyítás során. Mindegyik vizsgálat típus más jellegű információt ad, de

mindegyik alapfeltétele, hogy legyenek olyan mércéink, amelyekkel megbízhatóan tudjuk megmérni az egészségben bekövetkező változásokat, releváns kimeneteleket (angol szóval: „outcome”).

Az egészségnyereség mérés különböző perspektívákból történhet: az egyén, a család, az egészségbiztosító, az egészségügyi rendszer, az egészségügyön kívüli szektorok vagy a társadalom. A beteg szempontjából egészségnyereség eredmény lehet, ha hosszabban és jobb egészségben, jobb életminőségben él. A beteget gondozó családtagok szempontjából egészségnyereség lehet a rájuk háruló terhek csökkenése, ha beteg állapota javul. A népesség szintjén egészségnyereséget jelent a lakosság létszámának, korösszetételének, egészségi állapotának javulása, a megbetegedések számának csökkenése, a várható (egészséges) élettartam növekedése vagy a munkaképesek arányának növekedése.

A krónikus betegek gondozása során elérhető egészségnyereséget számos objektív és szubjektív tényező befolyásolhatja. Az elért eredmény különbözhet aszerint például, hogy az adott terápiát milyen betegeken vagy betegségstádiumban, milyen terápiás stratégia részeként alkalmazzák és milyenek a terápiához való hozzáférés feltételei (klinikai és finanszírozói irányelvek); mennyire jó mércék állnak rendelkezésre az eredmény mérésére (kimenetel mérés); milyen a terápia elfogadottsága, hogyan gondolkodnak a betegek az egészségükről, betegségükről és a különböző terápiákról (szubjektív tényezők); mennyire képesek tájékozódni az egészségügyi információk között és milyen tapasztalataik voltak az ellátásokkal (egészségműveltség és betegtapasztalatok).

A következőkben az egészségnyereség mérés azon aspektusaira térek ki, amelyek a bemutatott kutatások megértéséhez szükségesek.

2.2.1 Az egészségnyereség betegközpontú mérése

A egészségnyereség mérésének fontos szempontja, hogy ne csak orvosi szemszögből, orvosi műszeres eszközökkel, de a páciensek szemszögéből is (ahogy ők érzékelik, megélik) képesek legyünk mérni és értékelni az állapotváltozásokat [17]. A betegek (páciensek) beszámolóin alapuló kimenetel mérések (Patient Reported Outcome Measure, PROM) erre adnak lehetőséget [18]. A PROM-k a kimenetelek széles körét foglalják magukba: ide tartoznak az egészséggel összefüggő életminőség mércék, melyek az eltért egészségváltozásokat a páciens szubjektív szempontjait figyelembe véve értékelik [4], de a PROM-k közé sorolhatók a betegek beszámolóin alapuló fizikai funkcionális, mentális egészség, jóllét és munkaképesség mércék

is. A PROM-k különféle tehát területeket fedhetnek le és eltérő mélységben vizsgálhatják azokat.

Az PROM mércék felhasználásukat tekintve két nagy csoportba sorolhatók: általános és betegség-specifikus mércék [4,18]. Míg az általános mércék az egészség általános aspektusaival foglalkoznak a mögöttes betegségtől függetlenül (pl. fájdalom, mozgékonyág, lehangoltság), addig a betegség-specifikus mércék az adott betegségre jellemző eltérésekre fókuszálnak. Az általános kérdőívek előnye, hogy összehasonlíthatóvá teszik az egymástól távol álló betegségeket (és az azokban elért egészségnyereséget), ezért egészségpolitikai és forrásallokációs döntésekhez adnak értékelhető adatokat. Továbbá, a lakosság egészségi állapotának felmérésére is használhatók. Általános jellegük miatt kevésbé érzékenyek, mint a betegség-specifikus kérdőívek. A PROM mércék számszerűsített eredményei alapján kétszorosra sorolhatók: attól függően, hogy a mérési eredményt egy vagy több számmal fejezik ki, megkülönböztetünk index és profil típusú kérdőíveket.

A PROM-k épp olyan fontos mércéi az orvoslás eredményességének, mint bármely egyéb eszközös mérések, ezért alapvető, hogy standardizálhatók legyenek és megfelelő mérési tulajdonságokkal rendelkezzenek. A mérés leggyakrabban kérdőív formájában történik a standardizálhatóság miatt, de más bevizsgált kitöltési módok is elfogadottak (pl. önkitöltős kérdőív, telefonos interjú, papír alapú vagy online kérdőív). A mérési tulajdonságoknál elvárás, hogy tudományosan megalapozott, kivitelezhető, megbízható (jól mér és ismételt mérés esetén hasonló eredményt ad), érvényes (valid, azaz azt méri, amit mérni szeretnénk) és megfelelő rezponzivitású (klinikailag fontos változás kimérésére képes) legyen. A megbízhatóságot a mérce tételei közötti összefüggések (belső konzisztencia), valamint ismételt mérések közötti kapcsolat elemzésével vizsgáljuk. Az érvényesség vizsgálata magába foglalja a tartalmi/szerkezeti validitást (fogalmi érvényesség), a kritérium validitást (releváns kritériumokkal való összefüggés), a konvergencia, illetve diszkriminációs validitást (együttjárás más hiteles mércékkel, illetve elkülönülés más, nem rokon mércék eredményeitől). A kérdőívek fejlesztésén túl vizsgálni kell egy-egy kifejlesztett új nyelvi verzió esetében is a fenti tulajdonságokat, másként nem garantálható, hogy a különböző országokban használt nyelvi verziók ugyanazt és ugyanúgy fogják mérni [4].

2.2.2 Preferencia-alapú kimenetel mércék: hasznosság mérés és hasznosság értékkészlet

A PROM mércék egy speciális csoportját képezik a preferencia-alapú mércék, melyek az adott PROM állapot ún. *hasznosságát* (preferáltságát) is kifejezik. A hasznosság (angolul: „utility”) egy közgazdasági fogalom: az anyagi vagy nem anyagi jóságok tulajdonságainak összessége,

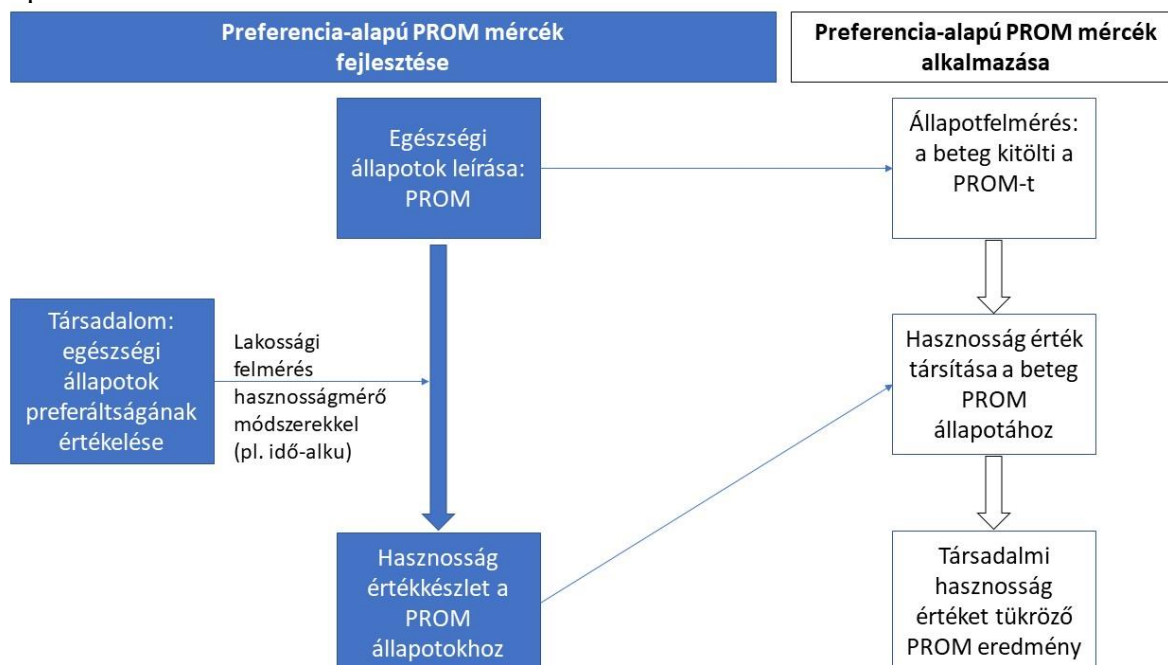
amelyek valamilyen szükséglet kielégítésére alkalmassá teszik őket. A közgazdaságtanban a fogyasztói magatartás megértéséhez alkották meg a *hasznosság* fogalmát abból kiindulva, hogy az emberek aszerint választanak a javak és szolgáltatások között, hogy melyiket (melyik hasznosságát) értékelik magasabbra (preferencia) [19]. Az egészségügyi közgazdaságtan azt vizsgálja, hogyan optimalizálható az egészségnyereség a szűkösen rendelkezésre álló erőforrások különböző allokációjával, ideértve az egészségügyön belüli és a különböző gazdasági szektorok közötti elosztást, a különböző tevékenységek és egyének közötti elosztást, valamint az emberek ezzel kapcsolatos viselkedését [16,20]. Az egészségügyi közgazdaságtanban a *hasznosság* egy egészségi állapot vagy eredmény („outcome”, kimenetel) *preferáltságának* a mércéje: az egyének mennyire tartják kívánatosnak az adott állapotot, mennyivel tartják jobbnak vagy rosszabbnak a különböző kimeneteket egymáshoz, a tökéletes egészséghez vagy a halál állapotához viszonyítva.

Azokat a PROM mércéket, amelyek *hasznosság értékeket* fejeznek ki, *preferencia-alapú mércéknek* nevezzük, a mércéhez tartozó hasznosság értékeket pedig *hasznosság értékkészletnek* hívjuk [4,16,18]. A preferencia-alapú mércék használhatók egyéni szinten az orvosi döntéshozatalban a betegek egészségi állapotokkal és kimenetekkel kapcsolatos preferenciáinak feltárására. Kifejlesztésüket azonban elsődlegesen az az igény hozta létre, hogy a különböző területeken és betegségekben jelentkező egészségnyereségeket össze tudjuk hasonlítani, és ezek figyelembevételével történjenek az erőforrások elosztásával, például a TB támogatással kapcsolatos döntések.

Az egészségi állapotok hasznosságának mérésére az egyik elfogadott módszer az ún. idő-alku (angolul: „time trade-off”) módszer [21]. Az idő-alku során az adott egészségi állapot preferáltságát aszerint értékelik, hogy a megkérdezett válaszadó hány évet áldozna fel a hátralevő életéből, hogy ne abban (a nem tökéletes) egészségi állapotban éljen. Azaz hány évvel élne inkább rövidebben, de egészségproblémák nélkül. A módszer háttérében az az elgondolás áll, hogy súlyosabbnak tartott állapotok esetén több évet áldoznának fel, mint enyhébb állapotok esetén. Hasznosság értékhez lehet jutni arányskála módszerrel is, mely egy vizuális analóg skála (VAS) meghatározott végpontokkal (elképzelt legjobb és legrosszabb egészségi állapot), ezen a skálán kell a válaszadóknak a különböző egészségi állapotokat, valamint a halál állapotát egymáshoz viszonyítottan megjelölni. További preferencia-feltáró, hasznosságmérő módszerek is léteznek (pl. standard játszma, diszkrét választás módszere, legjobb-legrosszabb skála módszere), mindegyiknek vannak előnyei és hátrányai, ezek részletes tárgyalása meghaladná a jelen értekezés kereteit [21-24].

A fentebb felsorolt, az egészségi állapot hasznosságot közvetlenül mérő módszerek kivitelezése idő- és erőforrás igényes, komplex feladat, ennek áthidalására adnak lehetőséget a preferencia-alapú PROM mércék (indirekt hasznosságmérő módszereknek is nevezik) [16]. (2. ábra)

2. ábra Preferencia-alapú PROM mércék kifejlesztése és alkalmazása a betegek állapotfelmérése során



A preferencia-alapú PROM-ok olyan kérdőívek, amelyek által az egyes egészségi állapotok és kimenetelek jól körülírhatók, a betegek állapotáról maguktól a betegektől kapunk információt, az állapot hasznosság értékét azonban korábbi felmérésből nyerjük. A preferencia-alapú PROM kifejlesztésekor a PROM által leírható állapotok hasznosság értékét lakossági felmérés keretében, direkt hasznosságmérő módszerekkel (pl. időalku, arányskála, diszkrét választás módszere, legjobb-legrosszabb skála) veszik fel (egészségi állapotok értékelése). (Nota bene: a felmérés történhet betegcsoportokon is, de mivel a mérés eredményeit leggyakrabban a társadalom által előállított erőforrások elosztásával kapcsolatos döntésekhez, például TB támogatásról való döntéshez használják fel, a társadalmi perspektívát tükröző hasznosság mércék a legelterjedtebbek.) Az így kapott, társadalmi preferenciát tükröző *hasznosság értékkészlet* már társítható az egészségi állapotokhoz a további betegvizsgálatokban, nem kell a hasznosság értéket minden egyes vizsgálatban újból közvetlenül felvenni. A preferencia-alapú mércék alkalmasak az egészségnyereség kifejezésére az egészséggazdaságtani elemzésekben, melyek egyik fő képviselője az életminőséggel korrigált életév (lásd következő alfejezet) [16].

2.2.3 A megnyert életévek és életminőség együttes értékelése

Az egészséggazdasági értékelések (költséghatékonysági és költséghasznosság elemzések) során a ráfordításokat és az egészségnyereséget kell összevetni különböző alternatívák (terápiák, egészségügyi technológiák, eljárások) esetén. Ehhez arra van szükség, hogy a megnyert életéveket és azok minőségét egyidejűleg tudjuk kifejezni. Erre ad lehetőséget az 1980-as években kifejlesztett mérce, az életminőséggel korrigált életév (Quality-Adjusted Life Year, QALY) [25]. Egy egészségben eltöltött életév (minőségi életévnek is szokták hívni) felel meg 1 QALY-nak. A QALY-hoz az életminőség rész (a QALY „Q” része) a különböző egészségi állapotokhoz társított *hasznosság értékeken* alapul. A QALY-t úgy számoljuk ki, hogy megszorozzuk az egészségi állapot hasznosság értékét azzal az idővel (évben kifejezve), amennyit az egyén abban az állapotban tölt. Egy teljes egészségben (a 0-1 skálán 1-es értékűnek mért egészség) eltöltött 1 életév értéke 1 QALY, és ugyancsak 1 QALY nyereség, ha valaki 10 évet tölt 0,1 értékű egészségi állapotban. A QALY kiszámolásához az egészségi állapot hasznosság értékek leggyakrabban EQ-5D mércékkel (2.4.2 alfejezet) történő mérésekből származnak [26]. A QALY bár jelenleg is az egészségügyi technológiák értékelésének egyik fő eleme, számos módszertani korláttal bír és méltányossági kérdések is felmerülnek a használatával kapcsolatba [27,28]. Ezek közül kiemelendő, hogy a QALY nem képes különbséget tenni különböző egészségi állapot szinteken elért eredmények között (pl. súlyos beteg javul közepes állapotra, közepes állapotú beteg válik teljesen egészségessé). Továbbá, nem tesz különbséget az egy vagy több embernél jelentkező egészségnyereség között (pl. egy ember gyógyul meg egy súlyos állapotból, vagy sok embernél érünk el kis egészségjavulást), nem veszi figyelembe az életkort, noha ezek fontos szempontok az emberek számára [29,30]. A QALY jelen formájában nem foglalja magába jóllét aspektusait és a páciens családtagjainál, gondozóinál jelentkező egészségnyereséget.

2.2.4 Az ember a döntések mögött: az egészségnyereséget meghatározó betegközpontú tényezők értékelése

Az elérhető egészségnyereséget befolyásoló tényezők közül kutatásaink jelentős részében a vizsgálatok középpontjában a páciensek (jelen betegek, jövőbeli potenciális betegek és lakosok) és az őket segítő informális gondozók jellemzői, mint az egészségnyereséget befolyásoló tényezők állnak. A páciensek személyes tulajdonságai kihatnak az egészséggel kapcsolatos döntések minden egyes pontjára. Különösen igaz ez a páciensközpontú (emberközpontú) orvoslás előtérbe kerülésével, ahol *nem csak a betegekért, hanem velük együtt* történik az ellátás; ahol a betegek beszámolóin alapuló mérések (PROM), a páciensek preferenciái és

értékei, családi és szociális körülményei, életmódja, együttműködése és aktív részvétele, valamint a családi gondozók szerepe központi szereppel bír [17,31]. A páciensek egészséggel kapcsolatos személyes elgondolásai befolyásolhatják a jelen egészséggel (pl. életmód, egészségügyi ellátásokban való részvétel) kapcsolatos döntéseiket. Az egészségnyereség mérés számos alapvető módszertanának a megfelelőségét és korlátait is jobban megértjük, ha az egyének személyes elgondolásait megvizsgáljuk. A szubjektíve várt (egészséges) élettartam igazolhatóan befolyásolja az egészségi állapotok hasznosság mérésére alkalmazott idő-alku módszer eredményét [32]. Az emberek társadalmi lények, saját helyzetüket, egészségi állapotuk elfogadhatóságát részben saját elgondolásaik, részben a környezetükben élők állapotához viszonyítják (referencia pont), ezért nem minden egészségnyereséget értékelnek egyformán fontosnak [33]. Kutatásaink során a pácienshez köthető jellemzők közül az *egészséggel kapcsolatos szubjektív elgondolásokkal*, a páciensek *digitális egészségműveltségével*, az *egészségügyben szerzett tapasztalataival* és ezek összefüggéseivel foglalkozunk. Az idevonatkozó témák háttérét részletesebben a kutatások ismertetésénél ismertetem.

2.3 A kutatásokban vizsgált betegségek rövid ismertetése

Kutatásainkat részben krónikus betegek körében, részben lakossági felmérésekben végeztük. A következőkben ismertetem azt a két reumatológiai betegséget, amelyek vizsgálataira az értekezésben részletesen kitérek. A kórképek azon aspektusaira fókuszálok, amelyek szükségesek a vizsgálatok megértéséhez. Két gyakori, az egészségnyereség mérés és a finanszírozás szempontjából is fontos reumatológiai betegséget választottam: a gyulladáso kórképek csoportjába tartozó rheumatoid arthritis-t (RA) és a nem gyulladáso betegségekhez tartozó csonttritkulást [34,35]. Mindkét betegség megfelelő kezelés hiányában jelentős életminőség csökkenéshez vezet és komoly fejlődés történt a terápiás lehetőségeikben az elmúlt két évtizedben. Ezért jó példának tartom mindkettőt az egészségnyereség és kimenetel mérés vizsgálatára.

Ugyanakkor az RA és a csonttritkulás is a tüneteit tekintve jellemzően (és erős egyszerűsítéssel élve) „egydimenziós” kórkép: RA-ban az ízületi panaszok, csonttritkulásban a következményes csonttörésekkel kapcsolatos tünetek dominálnak. A gyógyszervizsgálatokban az elsődleges végpontok ezeket a fő tüneteket célozzák meg és az életminőség kimeneteleket kiegészítő vagy másodlagos végpontként alkalmazzák. Ezzel szemben a komplexebb megjelenésű szisztémás betegségekben, ahol a legváltozatosabb tünetek egyaránt jelen vannak (pl. szisztémás

sclerosisban bőr, emésztőrendszer, tüdő, szív, vese érintettség tünetei), a betegek beszámolóin alapuló, a beteg életminőségét komplexen mérő mércék felértékelődnek. A gyakori kórképek mellett nem tekinthetünk el a ritka, de extrém költséges betegségektől sem, ahol korlátozottak a klinikai vizsgálati lehetőségek, a terápiák hatásosságát különösen nehéz mérni és a finanszírozási kérdések is különböznek a közepes vagy magas prevalenciájú kórképekétől. Kutatásaink során ezért az RA és csonttrikulás betegségeken kívül érintettünk számos különböző klinikai megjelenésű betegséget és ritka kórképeket a reumatológiából és más klinikai szakterületekről (pl. szisztémás sclerosis, pikkelysömörös ízületi gyulladás, spondylitis ankylopoetica, osteoarthritis, sclerosis multiplex, Crohn betegség, időskori macula denegeráció, ritka betegségek). Ezek részletes ismertetése meghaladná a dolgozat kereteit, ezért ez utóbbiakat csak egy-egy mondatban foglalom össze.

2.3.1 Rheumatoid arthritis (RA)

Az RA egy krónikus, progresszív, immunmediált gyulladós betegség, amelyben típusosan az ízületekben jelentkeznek tünetek (gyulladás, nyomásérzékenység, duzzanat), de valójában szisztémás betegség és ízületen kívüli, más szervrendszeri tünetek is előfordulhatnak [34]. Hatékony kezelés nélkül az ízületek károsodása alakul ki, ami jelentős életminőség veszteséghez és munkaképesség csökkenéshez vezet. Prevalenciája a felnőtt lakosságban 0,5%-1%, a fejlett országokban az RA a leggyakoribb szerzett korlátozottsággal járó kórkép, ezért komoly társadalmi és népegészségügyi probléma [36]. A kardiovaszkuláris elváltozások kiemelkedő szerepet játszanak az RA-val összefüggő magasabb mortalitásban, a korszerű terápiák megjelenése előtt a betegek 8-10 évvel rövidebb ideig éltek a kortárs átlagos lakossághoz képest [37]. A betegség értékelésében kulcsszereppel bír a betegség aktivitásának mérése standard mércékkel mérve, melyek közül az egyik legelterjedtebb a Disease Activity Score-28 (DAS28) [38]. A DAS28 értéket meghatározott 28 ízületre kiterjedő nyomásérzékenység és duzzanat, gyulladós laborparaméter (vörösvértest süllyedés vagy C-reaktív protein) és a beteg megítélése szerint a betegség állapota (vizuális analóg skálán mérve) értékekből kell kiszámolni. DAS28 abszolút értékek mentén állíthatók fel a betegségaktivitás kategóriák (magas, közepes, enyhe, remisszió). RA-ban kulcsszerepet játszik továbbá a fizikai funkcionalitás mérésére kifejlesztett Health Assessment Questionnaire Disability Index (HAQ-DI), ami szoros összefüggést mutat a betegség progressziójával [39]. (Lásd 2.4.3 alfejezet) A betegség javulási és remissziós kritériumai közül az ún. American College of Rheumatology (ACR) 20%, 50% és 70 %-os (ACR20, ACR50, ACR70) kritériumait emelném ki, amelyek kompozit mércék: meghatározott kimeneteleken kell legalább 20%, 50% illetve 70%-os

javulást elérni, azaz (a DAS28-al szemben) az ACR20/50/70 mércék a relatív javulást képesek kimutatni [40]. Az RA terápiája multidiszciplináris megközelítést kíván. A kezelést meghatározó irányelvek mindenek felett első helyen emelik ki, hogy a kezelés során a döntéseket a beteggel közösen kell meghozni [7]. A hatékony kezelés szempontjából alapvető fontosságú a korai diagnózis és terápia, a betegség kezdeti szakaszában, annak lefolyására speciális hatékonysággal bíró terápiás „lehetőség ablaka” (angolul: „window of opportunity”) kihasználása [41], a remisszió elérése [42], a célvezérelt (angolul: „treat-to-target”) kezelés [43]. Az RA terápiájában elsődleges a gyógyszeres kezelés, melyen belül az ún. betegségmódosító gyógyszerek (angolul: „Disease Modifying Antirheumatic Drugs”, DMARD) kulcsszerepet játszanak [7]. A DMARD-ok (elnevezésüknek megfelelően) képesek befolyásolni a betegség lefolyását és kimenetelét. A DMARD-k között a szintetikus gyógyszerek (sDMARD) alcsoportjában a metotrexát az arany standard, de ide tartozik még a leflunomid, a sulfasalazin, illetve a mára már héttérbe szorult azatioprin és (hydroxy)chloroquin. A 2000-es évek elején megjelent, ún. biológiai DMARD-k (bDMARD) olyan fehérjemolekulák, amelyek célzottan avatkoznak be a gyulladásos folyamatba. Első képviselőjük a tumor nekrozis faktor- α (TNF- α) gátló infliximab volt, mára azonban számos további TNF- α gátló (pl. adalimumab, certolizumab pegol, etanercept, golimumab) és különböző támadáspontú biológiai DMARD gyógyszer (pl. a B limfociták szintjén ható rituximab, a T limfocitákat befolyásoló abatacept, az interleukin gátló tocilizumab) és célzott szintetikus DMARD (pl. Janus kináz gátló tofacitinib) áll rendelkezésre [7]. A biológiai terápiák, kiemelkedő hatékonyságuknak köszönhetően, új korszakot nyitottak az RA kezelésében. Magas költségük miatt azonban a hozzáférés (országonként eltérő mértékben) korlátozott volt, vagy jelenleg is az [11]. Az originális biológiai DMARD-k jogvédeltsége lejártával megjelentek a biohasonló DMARD-k, melyek egyenértékűségét (szemben a generikus gyógyszereknél történő egyszerűsített eljárással) RCT-vel kell bizonyítani [44,45].

2.3.2 Csontritkulás (osteoporosis, OP)

A csontritkulás (osteoporosis, OP) „a csontváz generalizált, progresszív megbetegedése, amelyben a csonttömeg megfogyása, a mikroarchitektúra károsodása és a csontminőség romlása fokozott törékenységhez vezet” [35]. A csontritkulással összefüggő csonttörések incidenciája, morbiditása és mortalitása igen jelentős, ez utóbbi különösen a csípőtáji és csigolyatörések esetében kiemelkedő [46,47]. Az OP törés bármelyik csonton előfordulhat, az ún. major OP törések közé a csípőtáji, a klinikai tünetekkel járó csigolya, váll (humerus) és alkar töréseket soroljuk. A diagnózis felállítása a csont ásványianyag-sűrűségének ún.

osteodensitometriás (ODM) mérésén (valamint további radiológiai és laborvizsgálatokon, más betegségek kizárásán) alapul, de a betegség megítélésében és a terápiás döntésekben az OP csonttörések rizikófaktorait is figyelembe kell venni [48,49]. Az ODM a csont ásványianyag sűrűségét (angolul: „bone mineral density”, BMD) méri különböző testtájakon (pl. lumbalis gerinc, femur) és az ún. T-score mutatja meg az optimális csonttömegtől való eltérés mértékét, <-2,5 T-score esetén beszélhetünk csontritkulásról. A csonttörések esélyeinek megítélésére különböző rizikóbecslő módszereket fejlesztettek ki, nagy számú epidemiológiai adatok alapján. Ezek egyik képviselője a FRAX[®], amely az életkor, nem, testtömeg index, OP törés előzmény (betegnél és a szülők csípőtáji törése), dohányzás, kortikoszteroid szedés, RA betegség fennállása, másodlagos OP-t okozó állapotok, alkoholfogyasztás és a combnyakon mért ODM érték alapján becsüli meg a páciens 10 éves major OP törési, és ezen belül a csípőtáji törési rizikóját, amit %-ban fejez ki [50]. A FRAX[®] kalkulátor az interneten bárki számára szabadon hozzáférhető (<http://www.shef.ac.uk/FRAX>). A szakmai irányelv (2011) az OP gyógyszeres terápiájának kezdését >20%-os major OP törési vagy >3%-os csípőtáji törés esetén javasolja megfontolni [35]. Az OP gyógyszeres kezelésére, a megfelelő kalcium és D vitamin pótlás mellett, különböző gyógyszerek adhatók (biszfoszfonátok, teriparatid, denosumab) és a finanszírozói irányelv (2016) ezen gyógyszerek indikációhoz kötött, emelt vagy kiemelt TB támogatása is kritériumként alkalmazza a FRAX[®] >20%-os major OP törési és a >3%-os csípőtáji törés rizikó határértékeket [51].

2.3.3 További krónikus betegségek

Az alábbi betegségek kutatásaink szempontjából kiemelendő közös jellemzője, hogy többségük jelenlegi ismereteink szerint nem gyógyíthatók, megfelelő kezelés nélkül jelentősen befolyásolhatják a páciensek életminőségét, sok esetben korlátozottsághoz, a munkaképesség csökkenéséhez vagy elvesztéséhez vezethetnek. (Nota bene: több betegségben is azonban a megfelelő kezeléssel tünetmentesség érhető el vagy lassítható a betegség progressziója.)

A *pikkelysömörös ízületi gyulladás* (arthritis psoriatica, AP) egy változatos megjelenésű, immunmediált gyulladással járó ízületi megbetegedés, mely legtöbb esetben pikkelysömörrel társul és ízületeken kívüli (extraarticularis) tünetekkel is járhat. Prevalenciája 1% körülire tehető az átlagos lakosságban. [52] A *spondylitis ankylopoetica* (SPA) jellemzően a gerinc ízületeinek gyulladással járó megbetegedése, de a betegek kb. egynegyedében perifériás ízületi érintettség és enthesitis (íntapadási helyek gyulladása) is előfordul. Gyakrabban jelentkezik a férfiak között, hazai prevalenciája felnőtt férfi lakosságban 0,4%-ra tehető [53]. A *juvenilis idiopathiás arthritis* (JIA) fogalomkörbe a legalább 6 hete fennálló, 16 éves kor előtt kezdődő, egy vagy

több ízületet érintő gyulladós folyamatok tartoznak, prevalenciája 1,0-1,5/1000 [54]. A *scleroderma* (Scl) gyűjtőnév, melyen belül megkülönböztetünk egy lokalizált formát (morphea) és egy szisztémás megbetegedést (szisztémás sclerosis, SSc). Az SSc olyan autoimmun megbetegedés, amely a bőr, a mozgásszervek és a belső szervek fibrosisával és degeneratív elváltozásaival jár. Prevalenciája 4-126/100 000-re tehető [55]. Az *osteoarthritis* (OA, avagy osteoarthrosis, régebbi nevén arthrosis, ízületi „kopás”) megbetegedést az ízületi porc és a subchondralis csont károsodása jellemzi, melyek ízületi klinikai tünetekhez vezetnek. Az OA a leggyakoribb ízületi megbetegedés [56].

A *sclerosis multiplex* (SM) a központi idegrendszer gyulladós megbetegedése, melyet az axont burkoló myelin pusztulása, ezáltal az idegsejtek károsodása jellemez. Hátterében autoimmun és degeneratív folyamatok egyaránt szerepet játszanak [57]. Prevalenciája világviszonylatban 30,1/100 000 lakos [58]. A *Crohn betegség* az emésztőrendszer gyulladós megbetegedése, mely kialakulásában az immunfolyamatok jelentős szerepet játszanak. Európából közöltek legmagasabb prevalencia adatokat (Németország 322/100 000 lakos) és előfordulási gyakorisága jelentősen növekvő tendenciát mutat az elmúlt évtizedekben [59]. Az *időskori macula degeneráció* (angolul: „age-related macular degeneration”, AMD) jellemzően az 50 év feletti korosztályt érintő szemészeti megbetegedés, a gazdaságilag fejlett országokban a vakság leggyakoribb oka [60].

A *mucopolysaccharidosis*, a *cisztás fibrosis* (CF) és a *Duchenne-féle izomdisztrófia* (angolul: „Duchenne Muscular Dystrophy”, DMD) ritka, genetikailag meghatározott (öröklődő) betegségek. A mucopolysaccharidosis a tárolási betegségek csoportjába tartozik. Különböző altípusai ismertek aszerint, hogy melyik enzim termelése hiányzik, közös jellemzőjük az enzimhiány következtében a szövetekben felszaporodó glycosaminoglycan (régi nevén: mucopolysaccharid) [61]. A CF-t a külső elválasztású mirigyek kóros váladéktermelése és az érintett szervek (típusosan a légúti és emésztőszervek) másodlagos károsodása jellemzi [62]. A DMD-t az izomsejtek fokozatos pusztulása, az ezzel járó egyre kifejezettebb izomgyengeség jellemzi [63].

Informális gondozás és egészségi állapot területén végzett összesítő elemzéseink érintik továbbá a pikkelysömör [64], endometriózis [65], jóindulatú prosztata megnagyobbodás [66], húgyhólyagrák [67], demencia [68], epilepszia [69], Parkinson kór [70], skizofrénia [71] betegségeket is.

2.4 A kutatásokban alkalmazott főbb kimenetel mércék

Az alábbiakban a kutatásainkban alkalmazott kimenetel mércéket mutatom be. Azokat a mércéket (ICECAP, CarerQol, eHEALS, PREM), melyek egy-egy kutatásunk középpontjában állnak, az adott vizsgálat módszerei között ismertetem.

2.4.1 Európai Minimum Egészségmodul (MEHM)

Az Európai Minimum Egészségmodult (angolul: „Minimum European Health Module”, MEHM) társadalmi kérdőíves felmérésekben történő felhasználásra fejlesztették ki [72]. A MEHM az egészség három aspektusát vizsgálja: vélt egészség („Milyen az Ön egészsége általában?” Válaszlehetőségek: „Nagyon jó/Jó/Kielégítő/Rossz/Nagyon rossz”); tartós betegség fennállása („Van-e önnek hosszantartó betegsége vagy egészségi problémája? Hosszantartónak tekintünk egy betegséget, egészségi problémát, ha legalább 6 hónapja tart, vagy várhatóan legalább 6 hónapig fog tartani.” Válaszlehetőségek: „Van/Nincs”); egészségi állapotból fakadó tartós korlátozottság a mindennapi tevékenységekben, a globális aktivitás korlátozottsági mutató (angolul: „Global Activity Limitation Indicator”, GALI) („Korlátozza-e Önt valamilyen egészségi probléma a mindennapi tevékenységek elvégzésében?” Válaszlehetőségek: „Igen, súlyosan korlátozza/Igen korlátozza, de nem súlyosan/Nem korlátozza”; és „Fennáll-e legalább 6 hónapja ez a korlátozás?” Válaszlehetőségek: „Igen/Nem”). A GALI csak a legalább 6 hónapja fennálló korlátozást veszi figyelembe. A MEHM az Eurostat által koordinált Európai Lakossági Egészségfelmérés (ELEF) [73] és az Európai Unió Háztartási költségvetési és életkörülmény adatfelvételének [74] alapvető eleme, valamint a GALI alapján számolják az egészségesen várható élettartamot [75].

2.4.2 EQ-5D-3L és EQ-5D-5L

Az EQ-5D-3L az EuroQol Group által 1990-ben kifejlesztett első kérdőív volt [76]. Az EQ-5D-3L egy általános egészségi állapot (egészséggel összefüggő életminőség) mérce, ezért az általános lakosság körében és különböző betegségekben egyaránt alkalmazható, azok összehasonlítására is alkalmas. A kérdőív két részből áll: egy leíró rész (EQ-5D-3L) és egy egészség-hőmérő (EQ VAS). A leíró rész az egészség öt területét (domén) foglalja magába: mozgékonyág, önellátás, szokásos tevékenységek, fájdalom/rossz közérzet, szorongás/lehangoltság. Minden egyes doménben a válaszadónak egy három-fokozatú skálán kell megjelölnie az aznapi egészségi állapotára leginkább jellemző választ: 1 – nincs probléma (nincs fájdalom/rossz közérzet; nem szorong/lehangolt); 2 – némi probléma (mérsékelt fájdalom/rossz közérzet; mérsékelten szorong/lehangolt), 3 – képtelen (mozgékonyág: ágyhoz

kötött; nagyon erős fájdalom/rossz közérzet; nagyon szorong/lehangolt). A válaszokból kialakuló ötjegyű számsorhoz társítható az EQ-5D-3L index. Az EQ-5D-3L index kifejezi a kérdőív által leírt adott állapot hasznosság értékét, tehát azt, hogy az átlagos lakosság milyen relatív súlyt társít egy-egy állapothoz (preferencia-alapú mérce). Az indexben az 1 jelenti a teljes egészséget, 0 a halál állapotát, a 0-nál kisebb értékek pedig a halálnál is rosszabb egészségi állapotokra utalnak. Az index értékeket (a kérdőív ún. hasznosság értékkészletét) lakossági felmérés alapján fejlesztették ki. Az egészségi állapotokhoz tartozó hasznosság mérésnek különböző módszerei elfogadottak (pl. arányskála avagy vizuális analóg skála, idő-alku, standard játszma [4]), ezek eredményei eltérő hasznosság értékekhez vezetnek. EQ-5D esetében legelterjedtebb az idő-alku módszeren alapuló hasznosság mérés. Az egyes országok értékkészletei azonos módszerrel felvett hasznosság-mérés esetén is jelentős eltéréseket mutatnak. Egy példa: az Egyesült Királyság EQ-5D-3L értékkészletének tartománya -0,594 – 1, a kutatócsoportunk által Magyarországra kifejlesztett értékkészlet tartománya -0,865 – 1 [77,78]. A kérdőív másik része, az EQ VAS egy függőleges értékelő skála, melynek két végpontja az elképzelhető legrosszabb (értéke: 0) és legjobb egészségi állapot (értéke: 100). A válaszadónak ezen a skálán kell megjelölnie az aznapi állapotát. Az EQ-5D-3L kérdőív mérési tulajdonságainak javítása céljából a leíró rész öt doménjének megtartása mellett 2011-ben kifejlesztették az 5 válaszkálával (nincs probléma, enyhe probléma, mérsékelt probléma, súlyos probléma, képtelen/rendkívül erős) rendelkező változatot, az EQ-5D-5L-t [79] (ebben a „lehangoltság” szó „depresszió”-ra módosult), és egyre több országban áll már rendelkezésre értékkészlet ehhez a kérdőívhez is. Az EQ-5D kérdőívek az egyik legelterjedtebb általános mércék az egészséggel összefüggő életminőség mérésére, és a QALY kiszámolásához leggyakrabban használt preferencia-alapú életminőség mérce [26].

2.4.3 Health Assessment Questionnaire Disability Index (HAQ-DI)

A „Health Assessment Questionnaire” kérdőívet a fizikai funkcionális állapot mérésére fejlesztették ki [39]. Különböző krónikus betegségekből és az általános lakosság körében is alkalmazható a fizikai funkciók mérésére [80], legelterjedtebben RA betegségben használják. A mindennapi gyakorlatban a kérdőív 2 oldalas, önkitöltős, rövidített változata terjedt el, az ún. „Health Assessment Questionnaire Disability Index” (HAQ-DI). A HAQ-DI a mindennapi tevékenységek nyolc területét (domén) vizsgálja: öltözködés/testápolás, felállás, étkezés, járás, tisztálkodás, tárgyak elérése, tárgyak megragadása, tevékenységek. Összesen 20 kérdésből áll (az egyes doménekből 2-3 kérdéssel) és mindegyik kérdésre négyféle válaszadás lehetséges (0 – nehézség nélkül, 1 – némi nehézséggel, 2 – komoly nehézséggel, 3 – nem képes rá). A kérdőív

kiegészül a különböző tevékenységekhez igénybe vett segédeszközök, illetve más személy segítségének felmérésével. A HAQ-DI kiszámolása kétféle módon történhet: a segédeszköz használat vagy más személy segítsége figyelembevétele nélkül (szimpla HAQ-DI) és figyelembevételével (standard HAQ-DI). Mindkét számítási módnál tevékenységi területenként a legrosszabb választ kell figyelembe venni, azonban standard HAQ-DI esetén, ha az adott tevékenységhez segédeszközt vagy személyi segítséget vesz igénybe a beteg, a domén értéke nem lehet kisebb, mint 2. A HAQ-DI index a nyolc doménje eredményeinek átlaga, értéktartománya 0-3, magasabb érték rosszabb funkcionális állapotra utal. A mindennapi gyakorlatban a szimpla HAQ-DI elterjedtebb, mert egyrészt egyszerűbb kiszámolni, másrészt nem minden esetben egyértelmű, hogy a segédeszközt a beteg mely tevékenység(ek)hez használja.

2.4.4 WHO Jólét Kérdőív (WHO-5)

Az Egészségügyi Világszervezet öttételes, mentális jólét kérdőíve, a WHO-5 az elmúlt két hétre vonatkozik és a válaszadók egy 6-fokozatú Likert skálán (5 – mindig / 4 – az idő legnagyobb részében / 3 – az időnek több, mint a felében / 2 – az időnek kevesebb mint a felében / 1 – néha / 0 – soha) jelölik meg a rájuk legjellemzőbb választ [81]. (Az öt tétel: vidám és jókedvű; nyugodt és relaxált; aktív és élénk; ébredéskor kipihent és friss; a napjai tele voltak érdekes dolgokkal.) A kérdőív kiszámolásához a válaszok értékeit össze kell adni és 4-gyel megszorozni, értéktartománya így 0 és 100 közötti, a magasabb érték jobb jólétre utal.

2.4.5 Boldogság és étellel való elégedettség vizuális analóg skálák (VAS)

A boldogság mérésére egy 11-fokozatú vizuális analóg skálát (VAS) [82] alkalmaztunk. A VAS két végpontja a „Teljesen boldogtalan” (értéke: 0), illetve „Teljesen boldog” (értéke: 10) volt. A válaszadó a jelen boldogság szintjét jelöli meg ezen a skálán (önértékelés). Hasonlóképp alkalmazható a skála arra, hogy felmérjük, összességében mennyire elégedett jelenleg a válaszadó az életével (végpontok: „Egyáltalán nem elégedett”, illetve „Teljesen elégedett”).

2.4.6 Élettel való Elégedettség Skála (SWLS)

Az Élettel való Elégedettség Skála (angol nevén: „Satisfaction With Life Survey”, SWLS) az egyén élettel való elégedettségét hivatott mérni [83,84]. A kérdőív a jelenre vonatkozik és öt állításból áll („Sok tekintetben az életem közel van az ideálishoz”, „Az életkörülményeim kiválóak”, „Elégedett vagyok az életemmel”, „Már rendelkezem mindazokkal a fontos dolgokkal, amelyeket életemben meg szerettem volna szerezni”, „Ha újraélhetném az életemet,

gyakorlatilag semmin sem változtatnék”). Mindegyik tételhez egy 7-pontos válaszkála tartozik (végpontjai: 1 – „egyáltalán nem értek egyet, 7- „teljes mértékben egyetértek”). A kérdőív értékét a megadott válaszok értékeinek összeadásával kell kiszámolni, értéktartománya 5 és 35 közötti, a magasabb érték nagyobb elégedettségre utal.

2.4.7 Munkaképességre és Tevékenységcsökkenésre vonatkozó kérdőív (WPAI)

A Munkaképességre és Tevékenységcsökkenésre vonatkozó kérdőív (angol nevén: „Work Productivity and Activity Impairment questionnaire”, WPAI) az egészségproblémákkal, betegségekkel összefüggő munkaképességet és a mindennapi tevékenységek korlátozottságát méri [85]. Létezik az általános (WPAI-General Health, WPAI-GH) és különböző betegségekre specifikus változata, melyek lényegében annyiban térnek el egymástól, hogy a kérdésekben „egészség problémák” vagy megnevezett betegségekkel összefüggésben kérdezi a megváltozott munkaképességet, illetve a szokásos tevékenységek elvégzését. A kérdőív hat kérdésből áll: Q1 – a válaszadó fizetett munkaviszonyban van-e (igen/nem); Q2 – Q5 kérdések a fizetett munkaviszonyban levőkre és az elmúlt hét napra vonatkoznak: Q2 – hány munkaórát mulasztott egészségügyi gondjai miatt; Q3 – hány munkaórát mulasztott bármilyen egyéb ok miatt; Q4 – hány órát dolgozott ténylegesen; Q5 – az elmúlt héten a munkája közben mennyire befolyásolták egészségügyi gondjai a munkavégzését (0–10 VAS skálán mérve, 0: nem befolyásolták, 10: teljes mértékben megakadályozták); mindegyik válaszadóra vonatkozik a Q6 kérdés – az elmúlt hét nap alatt egészségügyi gondjai mennyire akadályozták abban, hogy azokat a napi szokásos tevékenységeit elvégezze, melyek nem függenek össze munkahelyi tevékenységével (0: nem befolyásolták, 10: teljes mértékben megakadályozták). A válaszokból négyféle eredmény számolható ki: a.) egészségi probléma miatti távollét a fizetett munkából (munkaidő veszteség, „absenteeism”: $Q2/(Q2+Q4)$); b.) munkahatékonyság-csökkenés munkavégzés során, „presenteeism”: $Q5/10$; c.) teljes termelékenység csökkenése: $Q2/(Q2+Q4)+[(1-(Q2/(Q2+Q4)))x(Q5/10)]$; d.) napi tevékenységek hatékonyságának csökkenése: $Q6/10$; melyeket százalékban (%) fejezünk ki. A magasabb érték alacsonyabb termelékenységet, illetve nagyobb korlátozottságot jelent.

2.5 A kutatások háttere

Kutatásaink egy része a különböző *terápiás stratégiákat meghatározó tudományos bizonyítékokkal* foglalkozik, melyek a klinikai és finanszírozói irányelvek, ezáltal a terápiás gyakorlat és a terápiákhoz való hozzáférés tudományos hátterét képezik. Kutatásokat végzünk olyan alapvető, a betegek beszámolóin alapuló *kimenetel mércékkel* (életminőség, jóllét, munkaképesség, gondozói életminőség), melyek szükségesek ahhoz, hogy a különböző terápiákkal elérhető vagy elért egészségnyereséget meg tudjuk mérni, valamint egyéni és társadalmi szinten össze tudjuk hasonlítani.

Kutatásaink másik része a betegek és a lakosság egészséggel kapcsolatos döntéseit és az egészségügyi ellátásban való részvételét meghatározó *szubjektív tényezőket* igyekeznek feltárni, a betegek, illetve a lakosság nézőpontjából. Ezek a személyes tényezők jelentős hatással lehetnek a páciensek részvételére az orvosi döntéshozatalban és meghatározóak az elért egészségnyereség értékelésében.

Vizsgálataink hat csoportba sorolhatók, ezt a hatos tagolást követem az értekezés kutatásokat bemutató alfejezeteiben:

1. Biológiai terápiák bizonyítékokon alapuló alkalmazása RA-ban
2. Egészséggel összefüggő életminőség
3. Képességszemlélet-alapú jóllét és munkaképesség
4. Informális gondozás, az informális gondozók életminősége
5. Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága és egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások
6. Digitális egészségműveltség és betegtapasztalatok

A következőkben a kutatások hátterét mutatom be. A tájékozódást segítő a kutatásokat lentebb, a Célkitűzések fejezet végén egy ábrában is összefoglalom. (3. ábra)

2.5.1 A terápiás stratégiák értékelése: biológiai terápiák bizonyítékokon alapuló alkalmazása RA-ban

Az immunmediált gyulladásos reumatológiai betegségek kezelésére regisztrált biológiai gyógyszerekhez való hozzáférésben jelentős különbségek mutatkoznak Európán belül. Munkacsoportunk kutatási adatai szerint 2013-ban Lengyelországban az RA betegek mindössze 1,3%, Bulgáriában 2,6%-a, Romániában 4,1%-a, a Cseh Köztársaságban 4,2%-a részesült biológiai terápiában, Magyarországon valamivel több, a betegek 8,4%-a és Szlovákiában 10%-a kapott biológiai terápiát [11]. Ezzel szemben a nyugat- és déleuropai

országokban átlagosan 19% körüli arányokat találtak [86]. A biológiai gyógyszerek egységes európai gyógyszerregisztrációja mellett a gyógyszerek alkalmazását meghatározó klinikai, és különösen a finanszírozói irányelvek jelentősen különböznek az európai országok között [10,87]. Adódik a feltevés, hogy azért kezelnek kevesebb RA beteget biológiai szerrel a KKE régióban, mert itt szigorúbbak a finanszírozási kritériumok (pl. csak magas betegségaktivitású RA betegeknél kezdhető biológiai gyógyszer, két szintetikus DMARD sikertelensége után) [87]. Bár kutatásaink alapján ezek a nagy hozzáférésbeli különbségek nem magyarázhatók kizárólag az egyes országok jövedelmi szintjével [88], az első biohasonló terápia (CT-P13 infliximab) 2013-as megjelenésével szembeni fő várakozás a könnyebb hozzáférés és a több beteg kezelésének lehetősége volt a biohasonló gyógyszer várhatóan kedvezőbb ára miatt [89,90]. Ennek megítéléséhez költségvetési hatás elemzésre volt szükség, amely előrejelzi, hogy TB befogadás és a terápiás gyakorlatba történő bevezetése esetén várhatóan milyen nagyságrendű megtakarítás és ezáltal mennyivel több beteg kezelése érhető el. Kutatásaink erre a kérdésre keresték a választ abban a hat KKE országban, ahol (más európai országoknál hamarabb) elsőként lépett piacra az első biohasonló gyógyszer, a CT-P13 infliximab.

A biohasonló gyógyszerek megjelenésével és elterjedésével az alacsonyabb gyógyszerár miatt ismét visszatért a szakmai kérdés, hogy a korai, hatékony kezelés szemléletét [41] követve hatékony és gazdaságos lenne-e első vonalbeli betegségmódosító terápiaként alkalmazni biológiai (originális vagy biohasonló) gyógyszert, elsősorban korai RA-ban? Az RA kezelésére 2018-ban elérhető (regisztrált) 10 biológiai DMARD közül hét hatóanyagnak megvolt a gyógyszerhatósági indikációja az első vonalbeli alkalmazásra [91-93]. Az Európai Reumaellenes Liga („European League Against Rheumatism”, EULAR) akkor érvényben levő 2016-os irányelve a metotrexátot javasolta az RA első vonalbeli terápiájának [94]. Az első vonalbeli biológiai terápiával kapcsolatos fenntartásokat, bár nem volt teljes konszenzus a szakértők között, két fő érveléssel indokolták: a.) a metotrexát és kortikoszteroid kombinációs terápiával szembeni kedvezőbb klinikai hatékonyságra vonatkozó bizonyítékok hiánya b.) a költséghatékonysági evidenciák szegényessége. Kutatásunk során arra kerestük a választ, hogy a rendelkezésre álló evidenciák alapján valóban megalapozott-e a biológiai szerek első vonalbeli alkalmazásának háttérbe szorítása.

2.5.2 Az egészségnyereség betegközpontú mérése: egészséggel összefüggő életminőség

A betegek beszámolóin alapuló mérések, az életminőség mérések térhódítása a klinikumban (a gyógyszervizsgálatoktól a mindennapi gyakorlatig) jelentős előrelépés volt a hagyományos orvosláshoz képest, amely jellemzően orvosi paraméterekre támaszkodott (pl. láz, laborok,

röntgen), esetleg a funkcionalitást mérte (pl. járástávolság). Ezzel szemben az életminőség mérés azt is magába foglalja, hogy a beteg szempontjából, az ő preferenciái és értékrendje szerint is történt-e javulás, jobb lett-e az élete, javult-e az életminősége. Gyógyszervizsgálatokban, gyógyászati segédeszköz- és orvostechnikai eszköz vizsgálatokban gyakran alkalmaznak (elsődleges vagy másodlagos végpontként) életminőség mércéket, amelyek bizonyítják, hogy a beteg szemszögéből nézve is képes a szer érdemi eredmény elérésére [95].

Az általános életminőség mércék egyik leggyakrabban alkalmazott képviselője az EQ-5D kérdőívek csoportja (2.4.2 alfejezet), de sok más általános életminőség mércét (pl. SF-36, Nottingham Health Profile) is használnak [76,96,97]. Az EQ-5D mércét különösen értékesé teszi (bár nem ez az egyetlen ilyen mérce), hogy preferencia-alapú PROM mérce: lakossági preferencia értékeket tükröz és *hasznosság értékeket* fejez ki, ezért a TB finanszírozói döntéseket támogató elemzésekben a QALY kiszámolására alkalmas (2.2.3 alfejezet).

Az EQ-5D kérdőíveket használják a lakosság általános egészségi állapotának felmérésére, de az egészségügyi szolgáltatások minőségi indikátoraként (eredményességének mérésére) is egyre többen alkalmazzák [98]. Magyarországon 2000-ben történt lakossági felmérés az EQ-5D kérdőív ún. EQ-5D-3L változatával és hazai országspecifikus értékkészlet sem áll rendelkezésre [99,100]. Kutatásaink középpontjában a lakosság és a mozgásszervi betegséggel élő páciensek EQ-5D mércékkel mért egészségi állapotának vizsgálata, hazai és regionális lakossági normaérték kialakítása, a különböző EQ-5D hasznosság értékkészletek alkalmazhatóságának vizsgálata áll. Vizsgáltuk továbbá, hogy mozgásszervi betegségekben az egyes súlyossági stádiumokhoz milyen EQ-5D index értékek rendelhetők, amelyek referencia értéként, adathiány esetén pedig közelítő becslésként használhatók klinikai és egészséggazdasági elemzésekben.

2.5.3 Páciensek jóllétének értékelése: képességszemlélet-alapú jóllét és munkaképesség

Az idősödő társadalmakban az emberek egyre hosszabban élnek krónikus betegségekkel, korlátozottságokkal, ezért egyre nagyobb az igény a szociális ellátásokra és a család által nyújtott (informális) gondozásra. Ezért egyre nagyobb figyelmet kapnak a tágabb értelemben vett egészség, a *jóllét* (angol szóval: „wellbeing”) mutatók vizsgálata: hogyan járulnak hozzá a szociális programok az egyének és a társadalom jóllétéhez és gazdaságossági szempontból hogyan értékelhetők a jóllét terén elért eredmények. Bár a jóllét mércék jelentős múltra tekintenek vissza (pl. a WHO-5 kérdőívet jelenlegi formájában 1998-ban fejlesztették ki) [81], szükség van olyan jóllét mércékre, amelyek az egészségen és az egészséggel összefüggő

életminőségen túlmutató jólléti aspektusokat mérik, társadalmi preferenciákat (*hasznosság értékeket*) fejeznek ki és ezáltal alkalmasak jóllét területén keletkező egészségnyereség mérésére és egészséggazdaságtani értékelésekben történő alkalmazására. Az ICEpop CAPability (ICECAP) mércéket ilyen céllal fejlesztették ki, az elnevezés a fejlesztést támogató kutatási program elnevezéséből származik („Investigating Choice Experiences for the Preferences of Older People, ICEpop”) [101,102].

Képességszemlélet-alapú jóllét mércék

Az ICECAP mércék elméleti háttere a jóllét képességszemlélet-alapú megközelítésén alapul, melyet Amartya Sen Nobel díjas tudós dolgozott ki [103]. A képességszemlélet-alapú jóllét középpontjában az egyének szabadsága áll: képesek-e rá, van-e tényleges (választási) lehetőségük, hogy számukra értékesnek tartott életet élhessenek, képesek-e élni a rendelkezésre álló lehetőségekkel, van-e lehetőségük saját ügyeik előmozdítására, mely folyamat már önmagában értéket képez számukra, annak eredményétől függetlenül [103-105]. Az ICECAP kérdőívcsoport első képviselője az Investigating Choice Experiments CAPability measure for Older people (ICECAP-O) volt az idősebb (65 év feletti) egyének mérésére, melyet a felnőttek (18 éves és idősebb) lakosság mérésére kifejlesztett Investigating Choice Experiments CAPability measure for Adults (ICECAP-A) és további mércék követtek [106]. Az ICECAP mércéket egyre többen alkalmazzák klinikai vizsgálatokban és (mivel preferencia-alapú mércékről van szó) egészséggazdaságtani értékelésekben [107]. Az Egyesült Királyságban az Egészség és Klinikai Kiválóság Nemzeti Intézete („National Institute for Health and Care Excellence”, NICE) javasolja az ICECAP-O mérce használatát a szociális beavatkozások hatásainak mérésére, Hollandiában pedig a krónikus állapotok értékelésére javasolt [107,108]. Bár csak az Egyesült Királyságból áll rendelkezésre hasznosság értékkészlet az ICECAP-A/-O mércékhez [109-111], számos nyugat-európai országra kifejlesztették a két mérce nyelvi verzióját (Hollandia, Németország, Spanyolország, Svédország). A KKE régióban, így Magyarországon sem áll rendelkezésre validált nyelvi verzió. Továbbá, egyik európai országból sem áll rendelkezésre lakossági normaérték ezekkel a kérdőívekkel, melyekhez speciális alcsoportokon vagy a betegség-specifikus kutatásokban mért eredményeket hasonlítani lehetne. Ismereteink szerint eddig nem vizsgálták a képességszemlélet-alapú jóllét (ICECAP-A/-O) kapcsolatát a széleskörűen használt WHO-5 jóllét mércével, az általános fizikai funkcionalitással, valamint a munkaképességgel. Kutatásaink középpontjában ezért az ICECAP-A/-O kérdőívek hazai validált verziójának kifejlesztése, lakossági normaértékek felvétele és más egészségmérccékkel (EQ-5D-5L, HAQ-DI) való kapcsolatának elemzése áll.

Vizsgáltuk továbbá a képességszemlélet-alapú jóllét (ICECAP-A) és az egészséggel összefüggő munkaképesség (lásd következő bekezdés) összefüggéseit.

Egészséggel összefüggő munkaképesség

A munkaképességet különböző tényezők befolyásolhatják, értekezésemben a továbbiakban az egészséggel összefüggő munkaképesség értelemben használom a kifejezést. Az egészségproblémák miatti munkahelyi hiányzások (betegállomány) igen jelentősek az egyén és a társadalom számára. A munkaképesség javulása az egyik fontos kimenetele (nyeresége) az egészségügyi és terápiás beavatkozásnak, különösen azokban a betegségekben, amelyek jellemzően a munkaképes korúakat érintik. A munkából való távollétre jó minőségű, idősoros statisztikai adatok érhetők el. Magyarországon 2016-ban a táppénzes napok száma 25,3 millió volt, a megközelítőleg 4 millió táppénzre jutó lakos között 1,16 millió esetet érintett és átlagosan 22 nap jutott egy táppénzes esetre [112,113]. Előfordulhat azonban az is, hogy valaki betegeskedik, de valamilyen okból (pl. félti az állását, nem akar jövedelemtől elesni, alulértékeli a betegsége jelentőségét, nem tud elszakadni a munkavégzéstől, kulcspozícióban dolgozik és mások iránt felelősséget érez) mégis bemegy dolgozni. Ilyenkor az egészségi állapota miatt esetleg nem tudja ugyanolyan hatékonyan végezni a munkáját, mint egészségesen. A munkaképesség csökkenésnek ezt a két féle változatát idegen eredetű szóval „absenteeism”-nek (munkából való hiányzás), illetve „presenteeism”-nek (hatékonyságcsökkenés) nevezzük. Presenteeismre jóval kevesebb adat áll rendelkezésre, ismereteim szerint ilyen jellegű hazai országos felmérés nem történt: nem tudjuk jellemzően kiknél fordul elő, milyen mértékű, csak néhány betegségben végzett keresztmetszeti felmérésből vannak adatok [114]. A nyugdíjkorhatár emelkedésével várható, hogy egyre nagyobb arányban fordul elő presenteeism, ezért az erre vonatkozó kutatások egyre fontosabbak lesznek az egészségügyi és munkaügyi stratégiai döntéshozók számára. Továbbá, az egészséggazdaságtani elemzések során a munkából való kieséssel kapcsolatos költségek felmérésénél is jellemzően csak az absenteeism költségeit veszik figyelembe (amely igen jelentős krónikus betegségek esetén), ezáltal valójában alábecsülve a munkaképesség csökkenés teljes költségét [115].

A munkaképesség mérésére az egyik legszélesebb körben alkalmazott mérce a WPAI, mely magába foglalja az absenteeism, a presenteeism és a (fizetett munkán kívüli) szokásos tevékenységek mérését is [85]. A lakosság munkaképességét célzó stratégiák tervezéséhez, és az egyes betegségekben mért munkaképesség változások értékeléséhez szükséges, hogy lakossági norma adatok álljanak rendelkezésre. Ezért kutatásunkban a WPAI kérdőívet

alkalmaztuk a hazai lakosság munkaképességének felmérésére és vizsgáltuk az ICECAP-A mércével való kapcsolatát.

2.5.4 A betegek gondozóinál jelentkező egészségnyereség: az informális gondozók életminősége

A betegségek hatásait és a terápiákkal elért eredményeket hagyományosan a betegnél jelentkező változások alapján ítéljük meg: javultak-e a beteg orvosi paraméterei, a funkcionalitása, az egészséggel összefüggő életminősége, jólléte és munkaképessége. A valóságban azonban a páciensek többnyire nem izolált lények, betegségük kihat a közelebbi vagy távolabbi családtagok, közeli barátok vagy ismerősök életére, pl. aggódnak érte, együttéreznek vele, félnek hogy elkapják tőle a betegséget, anyagi terhek hárulnak a családra a betegség miatt, a beteg állapota vagy hangulata befolyásolja a család hangulatát vagy életmódját, összességében a családtagok jóllétét [116]. Ez fokozottan igaz, ha a páciens a segítségükre, gondoskodásukra is szorul a betegsége vagy állapota miatt, azaz nem hivatásos, ún. informális gondozási feladatok hárulnak a családtagokra (ismerősükre, barátokra) [117]. Ebből következik, hogy a terápiákkal elért eredményeket (egészségnyereséget) csak akkor tudjuk teljes körűen értékelni, ha a páciens családtagjainál, illetve az informális gondozásban résztvevőknél jelentkező hatásokat is megmérjük. Értekezésemben az informális gondozást végzőknél fellépő hatásokkal foglalkozok.

Az informális gondozás jellemzően nem fizetett tevékenység és különböző feladatokra terjedhet ki (pl. háztartásban segítségnyújtásra, testápolásra, ápolási feladatokra), de magába foglalja az érzelmi támasz nyújtását, a gondozott felügyeletét, vizitekre elkísérést vagy adminisztratív ügyek intézését is [118,119]. Az informális gondozás ideje változó, lehet havonta pár óra, de akár heti 40 óra is (ami már egy teljes állásnak felel meg), vagy akár állandó felügyeletet is igényelhet a beteg. Az informális gondozás, különösen akkor, ha hosszú időn át tart vagy erős igénybevételt jelent vagy sok időt igényel, nagyon megterhelő lehet a gondozó számára. A gondozók túlterheltsége a páciens és a gondozó saját személyes állapotától, valamint környezeti tényezőktől egyaránt függ. Sok informális gondozó jelez gondozással kapcsolatos egészségkárosodást, depresszív tüneteket, anyagi nehézségeket, munkahelyi vagy elhelyezkedési problémákat [120,121]. Ugyanakkor a gondozók sokszor pozitív élményekről is beszámolnak az informális gondozással kapcsolatban. Ilyen pozitív élmény lehet, ha a gondozott személy állapota javul. Sokszor azonban ettől függetlenül, magát a gondozási tevékenységet is egy kellemes, természetes dologként élik meg: fontos számukra, hogy ők maguk gondozhassák a szeretteiket, különösen ha ehhez időszakosan szakmai és helyettesítő

segítséget kapnak, ha alkalmanként kiszabadulhatnak a kötöttségből hogy feltöltődjenek, elintézzék saját ügyeiket, adott esetben saját egészségükkel kapcsolatos dolgaikat [120,122]. A társadalom idősödésével egyre többen igényelnek hosszan tartó segítséget, gondozást, amit a formális ellátóhelyek (idősek otthona, házi segítségnyújtás) kapacitásai nem képesek követni. A kórházi ápolás lerövidülésével, az ambuláns és egynapos sebészeti ellátások térnyerésével tovább nő a család által nyújtott informális gondozás jelentősége. Az Európai Unióban átlagosan a felnőtt lakosság 34%-a gondoz már jelenleg is rászoruló hozzátartozót [123]. Ezért fontos, hogy megismerjük, mérni és értékelni tudjuk az informális gondozóknál jelentkező terheket, illetve egészségnyereséget. Az informális gondozást két fő paraméter mentén tudjuk mérni: a gondozók gondozással összefüggő életminősége és a gondozási tevékenységekre fordított idő (pl. óra/hét).

A gondozással összefüggő életminőség mérése viszonylag újkeletű, kevéssé ismert terület. Mérésére többféle validált kérdőív is elérhető [121,124], de ezek közül csak kettő rendelkezik hasznosság értékkészlettel, ezért egészséggazdaságtani értékelésekben csak ezek használhatók az egészségnyereség kimutatására: a Carer Experience Scale [125] és a CarerQol [13,126,127]. Mindkét mérce a gondozás pozitív és negatív aspektusait egyaránt figyelembe veszi. Ismereteink szerint egyik kérdőívvel sem történt még felmérés hazánkban, nincs validált nyelvi verziója sem Magyarországon, sem a KKE régióban, és nincs országspecifikus hasznosság értékkészlet sem hozzá. Kutatásaink során a CarerQol kérdőív nyelvi verziójának kifejlesztésével, validálásával, országspecifikus hasznosság értékkészlet kifejlesztésével és lakossági felmérésben történő alkalmazásával foglalkoztunk három KKE országban, Magyarországon, Lengyelországban és Szlovéniában.

Az informális gondozás jelentős költségvetel krónikus betegségek esetében, ezért a gondozási idő figyelembe vétele meghatározó lehet a költséghatékonysági elemzés kimenetelére [128]. Szakirodalma (bár módszertanilag heterogén) viszonylag gazdag, már hazai adatok is vannak néhány betegségben és lakossági vizsgálatokból [119,129]. Sok esetben azonban nem áll rendelkezésre az informális gondozás idejére vonatkozó adat. Felmerül, hogy tudunk-e következtetni a páciens egészségi állapota alapján a kapott informális gondozási időre és mért adatok hiánya esetén megalapozott közelítő becsléssel pótolni azokat. Hollandiában Gheorghe és mtsai. szoros kapcsolatot találtak a páciens EQ-5D-3L kérdőívvel mért egészségi állapota és az informális gondozási idő között, modellezés segítségével algoritmust tudtak felállítani az informális gondozási idő becslésére [130]. Az informális gondozási idő jelentős eltéréseket mutathat országoként (például attól függően, milyen formális ellátások állnak rendelkezésre), ezért kutatásaink során szerettük volna megismerni, hogy hazai krónikus betegek esetében

felállítható-e ilyen összefüggés. Az elemzéshez korábbi kutatásainkból rendelkezésre álló adatbázisainkra támaszkodtunk.

2.5.5 Betegek bevonása az egészségügyi döntéshozatalba: egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága és egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások

A legtöbb ember egészsége nem „tökéletes”, kisebb nagyobb eltérések előfordulnak az egészségi állapotukban, de ezek közül sokat „normálisnak”, az életkor velejárójának tartanak. Egy példa: míg a kissé meglassult járást 30 éves korban problémának látjuk, az ugyanilyen szintű járásproblémát már az életkor velejárójaként, elfogadhatónak gondoljuk 80-90 éves korban. A nem teljesen egészséges állapotok elfogadottságának megismerése klinikai, egészséggazdaságtani és egészségpolitikai szempontból egyaránt nagyon hasznos és fontos kutatási terület. Az elfogadható egészségproblémákkal élő páciensek vélhetően kisebb eséllyel veszik igénybe az egészségügyi ellátásokat vagy fogadják el az ezekre a problémákra javasolt kezeléseket. A betegek gondozása során egyre nagyobb teret kap a megosztott döntéshozatal: RA-ban és más gyulladáscsökkentő reumatológiai betegségekben a kezelési irányelv átfogó fő alapelve, hogy a döntéseket a beteggel közösen kell meghozni [7,131,132]. A terápiás stratégia és a terápiás céltértek kialakításához meg kell ismerni, mely problémákat tartanak elfogadhatónak a páciensek egy adott életkorban. Fontos, hogy reálisak legyenek ezek az elgondolások, ne álljanak nagyon távol (pozitív vagy negatív irányban) az orvosilag felállított terápiás céloktól. Társadalmi szinten lényeges lehet, ha az emberek másként értékelik azokat a beavatkozásokat, amelyek az egészségproblémák elfogadottsági szintje felett vagy alatt vannak. A TB támogatásokat segítő költséghatékonysági elemzések (költség/QALY) [133,134] jelenleg nem tesznek különbséget az egészségproblémák elfogadottsága szerint. Felmerül, hogy az egészségügyi technológiák finanszírozása ne a teljes egészségi állapot (QALY), hanem a már elfogadható egészségi állapotok figyelembevételével történjen és ahhoz viszonyítva értékeljük az eredményeket, esetleg nagyobb prioritást kapjanak az elfogadottsági küszöb alatti állapotokat célzó beavatkozások [33,135]. Hollandiában két jelentős kutatásban vizsgálták az egészségproblémák életkorfüggő elfogadottságát a lakosság körében [33,136] és azt találták, hogy az egészségproblémák elfogadottsága nő az életkorral (hány éves korban áll fenn a probléma), de az egészség különböző területein más és más életkortól tartják elfogadhatónak a problémákat, a súlyos egészségproblémákat pedig minden életkorban elfogadhatatlannak tartja az emberek többsége. A téma jelentősége ellenére nagyon szűkös a szakirodalma, ismereteink szerint más országban nem végeztek ilyen vizsgálatot, így a hollandiai eredmények általánosíthatósága más (jelentősen eltérő egészségi állapotú, egészségügyi ellátórendszerrel és

gazdasági háttérrel rendelkező) populációkra nem ismert. Tudomásunk szerint nem történt eddig specifikus betegcsoportokon ilyen jellegű felmérés. Kutatásunk során ezért a hazai átlagos lakosság és RA betegek körében vizsgáljuk az egészségi állapotok életkorfüggő elfogadottságát. Az eredmények összehasonlíthatósága miatt a Hollandiában alkalmazott módszert követtük [33,136]. Az egészségproblémák definiálására az EQ-5D-3L kérdőív kérdéseit használtuk, így az elfogadottsági eredmények összevethetők a mért lakossági, illetve RA beteg adatokkal.

Az egészséggel kapcsolatos szubjektív elgondolások másik fontos aspektusa az idősebb életkorokra várt egészségproblémák és ellátások köre. Az emberek a várható élettartamukkal, idősebb kori egészségi állapotukkal kapcsolatos szubjektív nézetei, különösen ha azok nem reálisak (felül- vagy alábecsültek), befolyásolhatják a jelen egészségmagatartásukat (pl. életmód, egészségügyi szűrővizsgálatokban és ellátásokban való részvétel), az egészségi állapotuk és a terápiákkal elért eredmények (PROM) értékelését, az idősebb életkorra vonatkozó terveiket (pl. megtakarítások, munkahely választás, munkában megmaradás) és az időskori élet tervezését (pl. lakhatási körülmények, életbiztosítások, nyugdíjtervezés).

Hollandiában végeztek elsőként a jövőbeli egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozásokat felmérő, EQ-5D-3L kérdőíven alapuló vizsgálatot [137]. Kutatócsoportunk korábban hazai kényelmi lakossági mintán, pikkelysömör és RA betegcsoportban hasonló módszerrel mérte fel az egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozásokat [138-140]. Új kutatásunkban ezért egyrészt reprezentatív lakossági mintán kívántuk megvizsgálni a lakosság idősebb életkorokra várt egészséggel kapcsolatos szubjektív elgondolásait, melyhez az EQ-5D-3L mellett az EQ-5D-5L és GALI kérdőíveket is használtuk, és a felmérést kiterjesztettük a várt boldogságra (VAS), jóllétre (WHO-5), a fizetett munkavégzés tartamára, valamint arra, hogy milyen állami, magán, illetve családi ellátásokra és segítségre (informális gondozás) számítanak idősebb korukban az emberek, ha egészségi állapotuk miatt szükségük lesz rá. A jövőbeli egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozásokat hasonló módon (EQ-5D-3L-lel) mértük fel Crohn és AMD betegek körében. Az OP gondozásban megjelenő csontritkulásos nőbetegek esetében pedig arra voltunk kíváncsiak, hogyan vélekednek a csonttörési esélyeikről és az mennyire különbözik az epidemiológiai adatokon alapuló, statisztikailag várható törési esélyektől.

2.5.6 Betegek részvétele az egészségügyi ellátásban: digitális egészségműveltség és betegtapasztalatok

A betegközpontú egészségügy vitathatatlan előnyei mellett egyre több feladatot is jelent a betegeknek, akik aktív részesei a gyógyítás folyamatának, döntő szavuk van az egészségükkel

kapcsolatos választásokban. Az egészségügy digitalizálódása további új kihívásokat és felelősséget jelent a pácienseknek: képesnek kell lenniük az internet (és más digitális eszközök, applikációk) adta információáradatban való eligazodásra, a digitális eszközök használatára, beleértve az egészségügyi adatok elektronikus úton való rögzítését és áramlását. Ehhez a betegeknek megfelelő *digitális egészségműveltséggel* kell rendelkezniük, mely definíció szerint „az egészséggel kapcsolatos információk elektronikus forrásokban történő megtalálása, megértése és értékelése, és az így megszerzett tudás alkalmazása egy egészségprobléma kezelésére vagy megoldására” [141]. Irodalmi adatok szerint a magasabb egészségműveltség jobb szubjektív egészségi állapottal, egészségesebb életmóddal társul [142]. Az eHEALS kérdőívet a digitális egészségműveltség mérésére fejlesztették ki 2006-ban, a digitális egészségügyi beavatkozások egyik betegbeszámolón alapuló mércéje (PROM) [143]. Magyarországi validált verzió hiánya korlátozza hazai alkalmazását.

A betegközpontú gyógyításban a PROM-k mellett egyre nagyobb szerepet kapnak a betegek egészségügyi tapasztalatait mérő mércék (angol nevén: „Patient Reported Experience Measure”, PREM). A Gazdasági Együttműködési és Fejlesztési Szervezet (angol nevén: „Organisation for Economic Co-operation and Development”, OECD) a PREM-t az egészségügyi rendszer teljesítményének indikátoraként értékeli, az általuk javasolt, a járóbeteg ellátásban alkalmazható PREM pedig a különböző országokban történő adatgyűjtés harmonizálását kívánja elősegíteni (illetve motiválni ott, ahol nem gyűjtenek adatokat) [144]. Ez a PREM kérdéssor egyrészt az egészségügyi ellátásokhoz való hozzáférést, részben az ellátás során szerzett tapasztalatokat vizsgálja, melyben fontos szerepet kap a beteg és az orvos közötti kommunikáció. Kutatásunk során a hazai lakosság egészségműveltségét, járóbeteg ellátásban szerzett tapasztalatait, valamint azt szeretnénk volna megismerni, hogy a betegek digitális egészségműveltsége (eHEALS) hogyan befolyásolja a járóbeteg ellátásban szerzett tapasztalataikat (PREM).

3 CÉLKITŰZÉSEK

3.1 Biológiai terápiák bizonyítékokon alapuló alkalmazása RA-ban

Kutatásunk célkitűzései:

- Biológiai gyógyszerek első vonalbeli betegségmódosító terápiaként történő alkalmazása megalapozottságának vizsgálata RA-ban [93].
- Biohasznó gyógyszerek RA-ban történő alkalmazásának költségvetési hatás elemzése és szerepe a terápiához való hozzáférés javításában [145].

3.2 Egészséggel összefüggő életminőség: középpontban az EQ-5D

Kutatásunk célkitűzései:

- A magyarországi lakosság egészségi állapotának felmérése és összevetése korábbi felmérés eredményeivel, frissített lakossági normaérték kialakítása az EQ-5D-3L kérdőívvel [146], ennek tükrében KKE regionális EQ-5D-3L lakossági normaérték és hasznosság értékkészlet kialakítási lehetőségeinek vizsgálata [147].
- Mozgásszervi betegségekben végzett EQ-5D-3L vizsgálatok metaanalízise, betegcsoportokra jellemző referenciaértékek kialakítása a KKE régióra vonatkozóan [148].

3.3 A jóllét új megközelítése: a képességszemlélet-alapú jóllét mérése (ICECAP)

Kutatásunk célkitűzései:

- Az ICECAP-A és ICECAP-O képességszemlélet-alapú jóllét mércék magyar nyelvű változatának kifejlesztése és validálása, más egészségi állapot, fizikai funkciók és jóllét mércékkel való kapcsolatának elemzése, valamint magyarországi felnőtt lakossági normaértékek kialakítása [149].
- A képességszemlélet-alapú jóllét és a munkaképesség kapcsolatának vizsgálata; lakossági normaérték kialakítása a WPAI mércével [113].

3.4 Informális gondozás, az informális gondozók életminősége (CarerQol)

Kutatásunk célkitűzései:

- Az informális gondozók gondozással összefüggő életminőségének és meghatározó tényezőinek összehasonlító felmérése Magyarországon, Lengyelországban és Szlovéniában [150].
- Az informális gondozással összefüggő életminőséget mérő CarerQol mérce nyelvi verziójának kialakítása Magyarország, Lengyelország és Szlovénia számára [151].

- A CarerQol mérce országspecifikus hasznosság értékészletének kifejlesztése Magyarország, Lengyelország és Szlovénia számára, összehasonlítás más országok értékészleteivel [152].
- Krónikus betegségekben az informális gondozási idő és a betegek egészségi állapota közötti összefüggések vizsgálata [119].

3.5 Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága és a jövőbeli egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások

Kutatásunk célkitűzései:

- Megvizsgálni a különböző szintű egészségproblémák életkorfüggő elfogadottságát a lakosság és RA betegek körében, valamint elemezni a meghatározó tényezőket [153,154].
- Felmérni a hazai lakosság élettartással, jövőbeli egészséggel, munkaképességgel és időskori ellátásokkal kapcsolatos szubjektív várakozásait [155], közvetve összehasonlítani krónikus betegséggel élők várakozásaival [156,157].
- Feltárni a csonttritkulásos nőbetegek csonttörésekkel kapcsolatos szubjektív várakozásait és összevetni epidemiológiai adatokon alapuló rizikóbecslő módszer eredményeivel [158,159].

3.6 Digitális egészségműveltség (eHEALS) és betegtapasztalatok az egészségügyben (PREM)

Kutatásunk célkitűzései:

- Felmérni a hazai (online) lakosság digitális egészségműveltségét, melyhez validálni kívánjuk az Elektronikus Egészségműveltség Skála (eHealth Literacy Scale; eHEALS) kérdőívet Magyarországra [160].
- Felmérni a hazai lakosság járóbeteg szakellátáshoz való hozzáférését és az ott szerzett tapasztalatait az OECD által javasolt standard kérdőívvel (PREM) [161].
- Megvizsgálni, hogy a lakosság digitális egészségműveltségi szintje (eHEALS) hogyan befolyásolja a járóbeteg szakellátással kapcsolatos tapasztalatokat [142].

3.7 A kutatások összefoglaló áttekintése

A következőkben az értekezésben az 1. alfejezetekben kifejezetten RA betegségben végzett kutatásokról számolok be. A 2. alfejezetekben lakossági és mozgásszervi betegségekben végzett EQ-5D vizsgálatokat ismertetem. A 3. és 4. alfejezetekben két viszonylag új mérce (ICECAP-A/-O és CarerQol) áll a kutatások középpontjában, ezért itt a lakossági vizsgálatok kapnak nagyobb hangsúlyt. Az 5. és 6. alfejezetekben lakossági, RA és OP-os nőbetegek körében történt vizsgálatok eredményeiről számolok be részletesen. Rövidebben ismertetem az idevonatkozó kutatásainkat egyéb krónikus betegségekben. (3. ábra)

3. ábra Az értekezést megalapozó kutatások összefoglalása

		TERÁPIÁK ÉRTÉKELÉSE				PÁCIENSEK RÉSZVÉTELE AZ EGÉRSÉGŰGYI DÖNTÉSHOZATALBAN ÉS ELLÁTÁSOKBAN			
TERÜLET	TERÁPIÁS STRATÉGIA, IRÁNYELVEK	AZ EGÉRSÉGNYERESÉG BETEGKÖZPONTÚ MÉRÉSE: BETEGEK BESZÁMOLÓIN ALAPULÓ KIMENETEL MÉRCÉK				EGÉRSÉGSEL KAPCSOLATOS SZUBJEKTÍV ELGONDOLÁSOK		EGÉRSÉG MŰVELTSÉG ÉS BETEGTAPASZTALATOK	
TÉMAKÖR	Terápiák hatásossága és költségvetési hatása	Egészséggel összefüggő életminőség (EQ-5D)	Képesség-szemlélet-alapú jóllét (ICECAP)	Munkaképesség (WPAI), funkciók (HAQ-DI)	Informális gondozás (CarerQol)	Egészség-problémák életkorfüggő elfogadottsága	Egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások	Digitális egészségmŰveltség (eHEALS)	Egészségügyi ellátásokhoz való hozzáférés és betegtapasztalatok (PREM)
LAKOSSÁGI VIZSGÁLATOK		- EQ-5D-3L lakossági norma Magyar.-ra (N=2281) és - a KKE régióra, (N=8850) - EQ-5D-3L/5L értékkészlet (N=1000)	- ICECAP-A/-O magyaro.-i validálása; lakossági normaérték ICECAP-A/-O és a WPAI, HAQ-DI kérdőívvel (N=2021)	- CarerQol validálása és országspecifiku értékkeszlet 3 KKE orszagra (N=3000)	- EQ-5D-3L állapotok elfogadottsága (N=9281) - EQ VAS állapotok elfogadottsága, (N=200)	- Jövöbeli várt egészség, ellátások és munkaképesség (N=1000)	- eHEALS kérdöiv magyarországi validálása, lakossági norma; betegtapasztalatok a járöbeteg ellátásban; (N=1000)		
BETEGSÉG-SPECIFIKUS VIZSGÁLATOK	- RA elsövonalbeli biológiai terápia metaanalizise; - RA biohasonló terápia költségvetési hatása 6 KKE országban - RA+onkológia biohasonló terápia költségvetési hatása 28 országban - RA terápia választás, 12 EU országban (N=559)	- EQ-5D-3L metaanalizis mozgásszervi betegségekben a KKE régióban - EQ-5D-3L értékkészlet alkalmazhatósága RA, AP, Scl és 15 más krónikus betegségben (N=2421)	- RA megváltozott munkaképesség regulációja 44 európai országban - Munkaképesség SM-ben (N=521)	- Informális gondozási idő RA, AP, SSc és más krónikus betegségekben (N=2047) - Informális gondozás ritka betegségekben (SSc, JIA), 8 EU országban - Informális gondozás SM-ben (N=521)	- Egészség-problémák elfogadottsága RA-ban (N=77)	- Osteoporosisos nöbetegek szubjektív 10 éves rizikója, hazai felmérés (N=1301) - Crohn (N=206) és AMD (N=122) betegek jövöbeli egészséggel kapcsolatos várakozásai	- RA ellátási standardok megvalósulása RA betegek és reumatológusok szemszögéből 35 európai országban		
MŰ	1. alfejezetek	2. alfejezetek	3. alfejezetek	4. alfejezetek	5. alfejezetek	6. alfejezetek			

Megjegyzés: A vastag betűvel szedett lakossági és betegség-specifikus vizsgálatok azokat a felméréseket jelölik, amelyeket részletesen bemutatok a doktori műben. A többi vizsgálatot terjedelmi okokból röviden ismertetem. Ahol nem jelöltem külön, a felmérések hazai mintákon történtek.

4 MÓDSZEREK

4.1 Biológiai terápiák bizonyítékokon alapuló alkalmazása RA-ban

4.1.1 Első vonalbeli terápiaként alkalmazott TNF- α gátló gyógyszerek hatásossága RA-ban: szisztematikus irodalmi áttekintés és metaanalízis

Szisztematikus irodalomkeresést végeztünk [93], melyhez kiindulásként két szisztematikus összefoglaló közleményt vettünk alapul a 2015. januárig záruló időszakra vonatkozóan [91,92]. Kiegészítő keresést végeztünk a 2015 január – 2018. július közötti időszakra a PubMed és a Cochrane Central Register (CENTRAL) adatbázisokban, melyhez az RCT-kre a Cochrane szűrőt használtuk [162], az RA betegségre az orvosi tárgyszógyűjteményt (angolul: „Medical Subject Headings”, MeSH) kifejezéseit [163], valamint a biológiai betegségmódosító gyógyszerek kémiai neveit (abatacept, adalimumab, anakinra, certolizumab, etanercept, golimumab, infliximab, rituximab, sarilumab, tocilizumab) használtuk. Az első vonalbeli terápiák vizsgálatainak azonosításához az irodalomban gyakran használt keresőszavakat alkalmaztuk (naiv, korai RA). A 2015-ig bezáruló áttekintő közleményekben [91,92] felsorolt RCT-k azonosító kódjaival és akronimjaival végeztünk további kiegészítő keresést a PubMed és Google Scholar adatbázisokban az RCT-k hosszú távú kiterjesztéséről szóló közlemények felkutatására. Azokat a vizsgálatokat válogattuk be, ahol metotrexát-naiv RA betegek vettek részt az RCT-ben (a 4 héten belül indított MTX kezelést kapó betegeket még naivnak tekintettük) és a kezelést a biológiai gyógyszerekhez tartozó tumor nekrozis faktor- α (TNF- α) gátló terápiával kezdték. A hatásosság kimenetel mérésére az ACR20, ACR50, ACR70, klinikai remisszió (ACR kritériumok; 28 vagy 44 ízületet figyelembe vevő betegségaktivitás mérce – Disease Activity Score, DAS28/DAS44; egyszerű betegségaktivitás – Simple Disease Activity Index, SDAI; klinikai betegségaktivitás – Clinical Disease Activity, CDAI) [164-166] és a HAQ-DI mércéket [39], illetve kimeneteleket vettük figyelembe, a vizsgálat 2. illetve 5. évében. Ha több karú volt a vizsgálat, azokat két csoportba összesítettük (első vonalbeli TNF- α gátló terápia; egyéb terápia) az elemzésekhez. A nyílt fázisban a placebo karon adott biológiai terápiát nem első vonalbeli TNF- α gátló terápiának vettük és a kontroll csoportba soroltuk. Az alcsoportok kiindulási értékeit ANOVA, illetve Chi-négyzet próbával hasonlítottuk össze, az előre meghatározott kimeneteleket DerSimonian és Laird szerinti random hatásos metaanalízissel elemeztük [167] és az elemzések során $p < 0,05$ szignifikancia szintet alkalmaztunk.

4.1.2 Biohasonló infliximab terápia bevezetésének költségvetési hatás elemzése RA-ban, hat közép-kelet-európai (KKE) országban

Kutatásunk során a biohasonló infliximab (CT-P13) terápia bevezetésének költségvetési hatását modelleztük RA-ban három éves időtávon hat KKE országban (Bulgária, Cseh Köztársaság, Magyarország, Lengyelország, Románia és Szlovákia) [145]. A prevalencia alapú modellünk segítségével azt vizsgáltuk, milyen költségvetési hatással járna, ha a rendelkezésre álló biológiai terápiák mellé bevezetnék a biohasonló infliximab (CT-P13) készítményt, szemben azzal az esettel, ha nincs biohasonló infliximab (referencia scenárió). A modell negyedéves ciklusokkal futott és ciklusonként válhattak (vagy sem) terápiát a betegek. Az egyes ciklusokban a kezelt betegek száma az előző ciklus betegszáma és a becsült betegszám növekedés összegéből adódott. Az új biológiai terápiát kezdő betegek száma az előző ciklusban terápiát abbahagyó betegek számának és a becsült betegszám növekedés összegéből adódott. A költségeket 2013-as listaárakon számoltuk (részletes egységköltség adatok és azok forrásai a közölt publikációban találhatóak meg [145]) és a gyógyszer költsége mellett számoltunk annak beadási és monitorozási költségével is. A biohasonló infliximab árát az originális infliximab ára 75%-ának vettük. Az egyes országokban a betegszámokat a biológiai terápia felhasználásra vonatkozó szakirodalmi adatok alapján vettük figyelembe [11]. A testsúlyfüggő gyógyszerdózis kiszámolásához 75 kg-os átlagos testsúllyal számoltunk és a kiszereleésből esetleg fennmaradó adagot úgy vettük, hogy felhasználásra került egy következő betegnél. A modellben azzal a feltételezéssel éltünk, hogy a biológiai gyógyszer abbahagyásának a valószínűsége (3 havonta) 0,049% mindegyik terápia esetében. Az egyes biológiai gyógyszerek második vonalbeli adásának valószínűségét a hazai gyógyszerfelhasználási adatokból becsültük meg [8]. Az elsőként adott originális infliximab terápia 65%-ában számoltunk azzal, hogy biohasonló infliximab terápiát kapna a beteg, és a más (originális) TNF- α gátlók esetében 25%-nál kapna biohasonló infliximab terápiát a beteg (1 év alatt fokozatosan elérve, majd a 2. és 3. évben megtartva ezeket a szinteket). Alapesetben azzal számoltunk, hogy nem cserélhető fel az originális infliximab terápia biohasonló infliximab terápiára. Alternatívaként megvizsgáltuk azt a változatot is, hogy az esetek 80%-ában (1 év alatt fokozatosan) felcserélhető az originális a biohasonló infliximab terápiára. Érzékenységi elemzés során megvizsgáltuk, hogy a modell paraméterek (biohasonló infliximab ára, kezdeti betegpopuláció nagysága és növekedése, biológiai gyógyszerek abbahagyási aránya, originális infliximabról biohasonló infliximabra váltás aránya) $\pm 10\%$ -os változtatása hogyan befolyásolja az eredményeket [145].

4.2 Egészséggel összefüggő életminőség: középpontban az EQ-5D

Két vizsgálatot részletesen mutatok be [146,148] és az Eredmények részénél további jelentősebb idevonatkozó eredményeinket ismertetem röviden, majd együtt tárgyalom ezeket a fejezet végén.

4.2.1 Lakosság egészségi állapotának felmérése és lakossági normaérték kialakítása EQ-5D-3L kérdőívvel: online felmérés Magyarországon (2010)

Az Európai Bizottság által finanszírozott European Value of a Quality Adjusted Life Year (EuroVaQ) nemzetközi kutatási program keretében (melyben a magyarországi kutatás koordinátora voltam) online lakossági kérdőíves vizsgálatot végeztünk 2010-ben, piackutató cég bevonásával [168]. Az EuroVaQ program célja a QALY monetáris értékelése volt, azaz azt vizsgáltuk, hogy pénzben kifejezve hogyan értékeli egy minőségi életévet (egészségben eltöltött életévet) az átlagos lakosság. Reprezentativitás eléréséhez kvótákat határoztunk meg korcsoport, nem és lakóhely szerint, az online mintavétel miatt a 65+ korcsoportot egy csoportként kezelve és tudottan, hogy online toborzással 65 év alatt esélyes reprezentativitást elérni. A kérdőíves felmérés során felvettük a válaszadók főbb szocio-demográfiai jellemzőit és egészségi állapotát az EQ-5D-3L kérdőívvel (2.4.2 alfejezet). Hazai hasznosság értékkészlet hiányában az Egyesült Királyság értékkészletét használtuk [77] az EQ-5D-3L index érték kiszámolásához, az elemzéseket erre a kimenetelre végeztük el. (Az EuroVaQ programban a válaszadók két alcsoportra voltak osztva, a másik alcsoportban EQ VAS-t vettek fel a válaszadóktól, jelen elemzésben ezzel az alcsoporttal nem foglalkozunk.) Eredményeinket a 2000-ben végzett magyarországi lakossági egészségfelmérés eredményeivel vetettük össze [99]. A statisztikai módszereket idézem saját közleményünkből: „Az EQ-5D-index-értékeket kor és nem szerinti bontásban közöljük, valamint a populációs nemi arányokkal számított súlyozott átlagot is kiszámítottuk. Az EQ-5D index iskolai végzettség és jövedelmi decilisenkénti eltéréseinek elemzését varianciaelemzéssel (ANOVA) végeztük. Az életminőség és a válaszadók társadalmi és demográfiai jellemzőinek kapcsolatát többváltozós lineáris regressziós elemzéssel vizsgáltuk. A modellben a függő (eredmény) változó az EQ-5D-index, míg a magyarázó változók az életkor, nem, a válaszadó iskolai végzettsége (van-e felsőfokú végzettsége, egyetem vagy főiskola), és a háztartás havi nettó ekvivalens jövedelme. A 2010-es és a 2000-es EQ-5D-index-eredmények korcsoport és nem szerinti összehasonlítását Student-féle kétoldali t-próbával végeztük. Az elemzésekhez 5%-os szignifikanciaszintet alkalmaztunk. A számításokhoz és az elemzéshez Stata 11 szoftvert használtunk.” [146].

4.2.2 Mozgásszervi betegségekben a KKE régióban végzett EQ-5D vizsgálatok: szisztematikus irodalomkeresés és metaanalízis

A kutatás előzményeként szisztematikus irodalomkeresést végeztünk nyolc KKE országban (Ausztria, Bulgária, Cseh Köztársaság, Magyarország, Lengyelország, Románia, Szlovákia, Szlovén Köztársaság) EQ-5D kérdőívekkel végzett vizsgálatokra, helyi szakértő kollégákkal együttműködésben, 2015. júliusig bezárólag [100]. Az EQ-5D kérdőív valamennyi verzióját figyelembe vettük, valamint lakossági és különböző betegségekben történt vizsgálatokat egyaránt bevontuk a keresésbe és az elemzésbe.

Három betegségterületen időben kiterjesztettük a keresést:

- A csont-izomrendszer és kötőszövet betegségei: 2016. szeptember [148];
- A keringési rendszer betegségei: 2016. november [169];
- Az idegrendszer betegségei: 2018. április [170],

és elvégeztük az EQ-5D eredmények összehasonlító elemzését ezeken a területeken.

Ebben az alfejezetben a csont-izomrendszer és kötőszövet betegségei területen végzett kutatásról és eredményekről számolok be [148]. Nyolc KKE országra vonatkozóan kiterjesztettük a fentebb hivatkozott keresést [100] 2016. szeptember 1-ig. A következő adatbázisokban kerestünk: MEDLINE (via PubMed), EMBASE, Web of Science, CINAHL, PsychINFO, Cochrane Library, EuroQol Group; a keresőszavak a következők voltak: (euroqol OR euro qol OR Eq 5d OR Eq-5d OR eq-5d) AND (Austria* OR Bulgaria* OR Hungar* OR Czech OR Poland OR Polish OR Romania* OR Slovak* OR Sloven*). Ezen kívül kézi keresést is alkalmaztunk a fentebb hivatkozott adatbázisokban nem indexált, helyi reumatológiai folyóiratokban a résztvevő nemzetközi társszerzők segítségével. Azokat a közleményeket vontuk be az elemzésekbe, amelyek csont-izomrendszeri vagy kötőszöveti betegséggel (Betegségek Nemzetközi Osztályozása – International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems – ICD 10 – 2016, XIII fejezet: M00–M99) [171] élő páciensek bevonásával történt; a vizsgálati csoport Ausztria, Bulgária, Cseh Köztársaság, Lengyelország, Magyarország, Románia, Szlovákia vagy Szlovénia területéről származott; a vizsgálatban EQ-5D kimeneteli eredményt közöltek. Duplikált közlés esetén azt a közleményt vettük figyelembe, ahol nagyobb esetszámról adtak meg adatot. A találatokat két kutató (Péntek M., Zrubka Zs.) vizsgálta át egymástól függetlenül és egyeztetést követően véglegesítettük a beválogatott közlemények listáját. A közleményekből a releváns kivont adatokat Microsoft Excel programcsomaggal készített adatbázisban rögzítettük. A publikációkban vizsgáltuk az alkalmazott módszerek és a leírások EuroQol (EQ-5D kérdőívek tulajdonosa) irányelvei

szerinti megfelelőségét [172]. A Cochrane Kollaboráció módszerével [173] vizsgáltuk a torzítási esélyt azon közleményeknél, ahol EQ-5D kimenetellel mért terápiás hatást közöltek. Leíró statisztikai elemzéseket végeztünk, hiányzó standard deviáció érték esetén a konfidencia intervallumok, interkvartilis tartományok, tartományok, illetve a leginkább hasonló vizsgálatokból származó adatok alapján végeztünk becslést [173]. A találatok alapján a vizsgálatokat hét nagy betegségcsoportba rendeztük el: SPA, krónikus fájdalom, arthrosis (osteoarthritis, OA), csontritkulás (OP), AP, RA, Scl. Metaanalízist végeztünk (random hatás, Der-Simonian és Laird módszere szerint [167]) a kinyert adatokból, ahol ez lehetséges volt.

4.3 A jóllét új megközelítése: a képességszemlélet-alapú jóllét mérése (ICECAP)

4.3.1 Vizsgálati elrendezés és kérdőív

Keresztmetszeti kérdőíves vizsgálatot végeztünk 2019-ben a hazai felnőtt lakosság körében, komputerrel segített interjúk formájában [113,149]. A válaszadók toborzását és az adatgyűjtést piackutató cég végezte, kutatócsoportunkkal történt együttműködésben. Kvótás mintavételt alkalmaztunk, hogy a minta reprezentatív legyen a hazai felnőtt lakosságra életkorcsoport, nem, lakóhely és iskolai végzettség (felsőfokú vagy alacsonyabb) szerint. A tervezett minta 2000 fő volt. Azok a felnőtt (18 éves vagy idősebb) résztvevők kerülhettek bevonásra, akik a felmérés megkezdését megelőzően beleegyezésüket adták a vizsgálatban való, önkéntes részvételbe. Az interjúk során a válaszadók négy standard kérdőívet (EQ-5D-5L, EQ-5D-3L, ICECAP-A és ICECAP-O; lásd lentebb) papíralapú, önkitöltős formában töltötték ki, ezek az adatok utólag kerültek elektronikus rögzítésre. A mintából random 50 fő ismételt is kitöltötte az ICECAP-A/-O mércéket azok megbízhatóságának teszteléséhez. A kutatást az Egészségügyi Tudományos Tanács Tudományos Kutatásetikai Bizottsága (ETT-TUKEB) hagyta jóvá (engedélyszám: 10058-3/2019/EKU). A kutatást az Emberi Erőforrások Minisztériuma által meghirdetett Felsőoktatási Intézményi Kiválósági Program támogatta, a Budapesti Corvinus Egyetem „Pénzügyi és Lakossági Szolgáltatások” tématerületi programja (20764-3/2018/FEKUTSTRAT) „Egészségügy, társadalmi teher: jelenlegi és jövőbeli költségek, innovációk igénye és értékelése alprojekt” keretében. (Az alprojekt kutatásvezetője voltam.)

A vizsgálatához első lépésben kifejlesztettük az ICECAP-A és ICECAP-O mércék (lásd lentebb) magyar nyelvű verzióját. A kutatás egy, a kutatócsoportunk által végzett nagyobb lakossági egészségfelmérés része volt, melyben egy általunk összeállított kérdéssort (továbbiakban:

kérdőívet) és standard mércéket alkalmaztunk (lásd következő alfejezet). A teljes kutatási kérdőív hét fő témakört foglalt magába:

- 1.) Szocio-demográfiai jellemzők (életkor, nem, iskolai végzettség, lakóhely, családi állapot, foglalkoztatottság, a háztartás jellemzői)
- 2.) Egészségi állapot (MEHM, EQ-5D-5L, EQ-5D-3L, egészségproblémák és diagnózisok az ELEF önbevalláson alapuló kérdései alapján), fizikai funkcionális (HAQ-DI)
- 3.) Jólét (ICECAP-A, ICECAP-O, WHO jólét skála – WHO-5, boldogság és étellel való elégedettség vizuális analóg skála – VAS, Étellel való Elégedettség skála/Satisfaction with Life Scale – SWLS)
- 4.) Jelentősebb életesemények az elmúlt 12 hónapban (közeli családtag vagy barát halála; válás, külön költözés, szakítás; a háztartásban az egyik kereső elvesztette az állását, munkahely váltás; súlyos anyagi problémák, adósságok; költözés; szülőkkel vagy közeli családtagokkal / gyerekekkel / szomszédokkal kapcsolatos / munkahelyi problémák; súlyos baleset vagy sérülés; más súlyos betegség)
- 5.) Informális gondozással kapcsolatos tapasztalatok (gondozó vagy gondozottként)
- 6.) Egészségügyi ellátások igénybevétele az elmúlt 12 hónapban
- 7.) Egészséggel összefüggő munkaképesség (WPAI)

Ebben a fejezetben az 1.-5. és a 7. témakörökre fókuszálunk, a felhasznált standard mércéket a következő alfejezetben ismertetem.

4.3.2 Alkalmazott mércék és a magyar nyelvű ICECAP-A/-O kérdőívek kifejlesztése

4.3.2.1 ICECAP-A és ICECAP-O mércék és a magyar nyelvű változat kifejlesztése

Az Investigating Choice Experiments CAPability measure for Adults (ICECAP-A) és az Investigating Choice Experiments CAPability measure for Older people (ICECAP-O) preferencia-alapú mércéket a képességszemlélet-alapú jólét mérésére felnőttek (18+ évesek), illetve az idősebb korosztály (65+ évesek) számára fejlesztették ki, mindkettő egészséggazdaságtani elemzésekben történő használatra is alkalmas [101,102]. Mindkét mérce a jelen állapotra vonatkozik és öt doménből áll.

Az ICECAP-A a következő állításokat (és válasz-szinteket) tartalmazza, a válasz-szintektől függően a mondatok szórendje és a ragozás is értelemszerűen módosul, külön nem jelöltem:

- **Stabilitás:** „Stabilitás és biztonságérzet: A élet ... területén képest vagyok azt érezni, hogy stabil vagyok és biztos a helyzetem.” (minden/sok/néhány/egyetlen területén sem)

- **Kötődés:** „Szeretet, barátság, támogatás: ... szeretetben, barátságban és támogatásban lehet részem” (Sok/Elég sok/Egy kevés/Semennyi)
- **Autonómia:** „Függetlenség: ... független tudok lenni” (Teljesen/Sok dologban/Néhány dologban/Egyáltalán nem tudok)
- **Teljesítés:** „Eredmények és fejlődés: Az életem ... területén eredményes tudok lenni és tudok fejlődni” (minden/sok/néhány/egyetlen területén sem)
- **Élvezetek:** „Kellemes élmények és öröm: ... kellemes élményben és örömben lehet részem” (Sok/Elég sok/Egy kevés/Semennyi)

Az ICECAP-O a következő állításokat (és válaszlehetőségeket) tartalmazza:

- **Kötődés:** „Szeretet és barátság: ... szeretetet és barátságot megkaphatok, amit csak szeretnék” (Minden/Sokat/Keveset/Semennyit se kaphatok meg abból a szeretetből és barátságból, amit szeretnék)
- **Biztonságérzet:** „Jövőről való gondolkodás: ... tudok a jövőre gondolni” (Minden aggodalom nélkül/Kevés/Csak valamennyi/Csak sok aggodalommal)
- **Szerep:** „Tevékenységek, amelyektől értékesnek érzi magát: Képes vagyok olyan dolgot elvégezni, amitől értékesnek érzem magam” (minden/sokat/néhányat azokból a dolgokból/Egyetlen olyan dolgot sem)
- **Élvezetek:** „Kellemes élmények és öröm: ... olyan kellemes élményben és örömben részem lehet, amit csak szeretnék” (Minden/Sok/Kevés/Egyáltalán nem)
- **Kontroll:** „Függetlenség: ...független tudok lenni” (Teljesen/Sok dologban/Néhány dologban/Egyáltalán nem)

Mindegyik válaszlehetőséghez egy szám rendelhető (a teljes képesség értéke 4, a képesség teljes hiányáé 1). A kérdőív kiszámolása (index érték) nem ezekből a számjegyekből történik, hanem lakossági felmérésből származó hasznosságértékek rendelhetők a számjegyekkel leírható állapotokhoz. A vizsgálatkor elérhető egyetlen hasznosság értékkészletet, az Egyesült Királyságot alkalmaztuk mindkét ICECAP kérdőív esetében (a magyarországi ICECAP-A hasznosság értékkészlet kialakításán kutatócsoportunk dolgozik), melyben az 1 érték a „teljes képesség”-t jelenti, a 0 érték pedig a „képesség teljes hiánya”-t [109,110]. (Példa: A 43211 számsorral leírható ICECAP-A állapot hasznosság értéke 0,513.) A felmérés során az ICECAP-A kérdőívet a 18-70 éves, az ICECAP-O kérdőívet az 50 éves és idősebb válaszadók töltötték ki. Jelen kutatásunkban a 18-65 éves korcsoportban az ICECAP-A, a 65+ korcsoportban az ICECAP-O kérdőívre adott válaszokat vettük figyelembe a nemzetközi gyakorlatnak

megfelelően. (Folyamatban levő kutatásunk keretében vizsgáljuk az 50-70 éves korcsoportban a két kérdőív összehasonlító érvényességét.)

Nemzetközileg elfogadott módszert követtük a (fent ismertetett) magyar nyelvű verziók kialakítása során [174]. A kérdőívek alapkoncepciójának megfelelően a képességeket, a lehetőségeket („I can” „I am able”) kell az állításoknak kifejezni, ezt tartottuk szem előtt a fordításoknál. Röviden összefoglalva, három, egymástól függetlenül készült, angolról magyarra történt fordításból alakítottunk ki egy egyeztetett magyar nyelvű verziót a kérdőív tulajdonosokkal (Phil Kinghorn, Bristoli Egyetem; Joanna Coast, Birminghami Egyetem; Egyesült Királyság) konzultálva a kérdéses mondatokról (pl. „...able to feel stable and secure” fordítás változatok: „... rendezett életet élek és biztonságban vagyok”, „...stabilnak és biztonságban tudom érezni magam”, „képes vagyok biztonságban érezni magam és úgy érezni, hogy a helyemen vagyok”; egyeztetett verzió: „képes vagyok stabilnak és biztonságban érezni magam”). Erről független visszafordítás készült, amit áttekintett a kérdőív tulajdonos és javaslatot tett néhány kifejezés átgondolására (pl. „to feel secure” – biztonságban vs. biztos helyzetben lenni, az eredeti koncepció az utóbbihoz áll közelebb), ami nyelvész szakember bevonásával meg is történt, néhány kérdéses állításnál két változatot is meghagyva tesztelésre. Az így kialakított magyar nyelvű verziót tíz fő (ICECAP-A: 5 fő, ICECAP-O: 5 fő) bevonásával teszteltük (tartalom, érthetőség, kérdéses verzióknál a változatok közötti választás) félig strukturált interjúk keretében. Ezek figyelembevételével alakítottuk ki a végleges magyar nyelvű változatot, melyet az eredeti kérdőív szerinti formátumra alakítottunk. Ezt a végleges magyar nyelvű változatot a kérdőív tulajdonos hagyta jóvá.

4.3.2.2 *További alkalmazott mércék*

A válaszadók egészségi állapotát a MEHM-mel (lásd 2.4.1 alfejezet) vizsgáltuk, melyben a Vélt egészség skálát felvettük a Kitűnő / Nagyon jó / Jó / Tűrhető / Rossz skála változattal is [175]. Az egészségi állapotot vizsgáltuk továbbá az EQ-5D-5L és EQ-5D-3L kérdőívekkel (lásd 2.4.2 alfejezet), a fizikai funkcionalitást a HAQ-DI kérdőívvel (lásd 2.4.3 alfejezet), a mentális jóllétet a WHO-5 kérdőívvel (lásd 2.4.4 alfejezet), a boldogságot és élettel való elégedettséget vizuális analóg skálával (VAS) (lásd 2.4.5 alfejezet), valamint az Élettel való Elégedettség skálával (SWLS) (lásd 2.4.6 alfejezet). A munkaképességet a WPAI kérdőívvel vizsgáltuk (lásd 2.4.7 alfejezet). Az EQ-5D-5L és EQ-5D-3L kérdőíveknél a vizsgálatkor még nem állt rendelkezésre hazai hasznosság értékkészlet [78], ezért Anglia [176], illetve az Egyesült Királyság [77] értékkészletét alkalmaztuk.

4.3.3 Statisztikai módszerek

Az adatokat IBM SPSS Statistics 25 (IBM SPSS, Version 25.0. Armonk, NY, USA: IBM Corp., 2012) programcsomag segítségével készült adatbázisban rögzítettük, az elemzéseket ezzel, illetve Stata 13 verzióval végeztük. Leíró elemzéseket végeztünk. Az ICECAP-A és-O mércék belső konzisztenciájának mérésére kiszámoltuk a Cronbach- α értékét (értéktartománya 0–1, 0,8 felett jónak tekinthető). A szerkezeti validitást alcsoportok szerinti (ANOVA) és regresszió (legkisebb négyzetek módszere) elemzésekkel vizsgáltuk. Hipotézisünk az volt, hogy az ICECAP-A/-O pozitív összefüggést mutat a családi állapottal (házas vagy partnerrel él), a magasabb jövedelemmel, a fizetett munkavégzéssel és ha másokkal együtt él egy háztartásban, de nem vártunk összefüggést (vagy negatívát) a nemmel és az életkorral [107,177-180]. A konvergencia validitást Pearson-féle korreláció elemzéssel teszteltük az ICECAP-A/-O és az EQ-5D-5L index, EQ VAS, WHO-5, boldogság és elégedettség VAS, SWLS viszonylatában; a domének közötti összefüggéseket Spearman-féle rangkorrelációval elemeztük. Ugyancsak Spearman-féle rangkorrelációval elemeztük az ICECAP-A/-O és a HAQ-DI, illetve WPAI mércék kapcsolatát. A korreláció erősségére vonatkozóan a következő r koefficiens határértékeket alkalmaztuk: $<0,3$ gyenge, $0,3-0,5$ közepes, $>0,5$ erős [181]. Az ICECAP mércék és a jóllét (SWLS, WHO-5), valamint az EQ-5D-5L között vártunk pozitív kapcsolatot. Az ismételhetőség (teszt-ismételt teszt) elemzésére az 50 fős almintán megvizsgáltuk minden egyes tételre vonatkozóan a válasz azonosságot (%), valamint összetartozási együttható (angolul: „intra-class coefficient”, ICC) elemzéssel vizsgáltuk az abszolút egyezést ($<0,5$ gyenge, $0,5-0,749$ közepes, $0,750-0,900$ jó, $>0,900$ kiváló) [182]. Az elemzések során 5%-os szignifikancia szintet alkalmaztunk.

4.4 Informális gondozás, az informális gondozók életminősége (CarerQoL)

4.4.1 A CarerQoL kérdőív validálása, lakossági felmérés és értékkészlet kifejlesztése Magyarországon, Lengyelországban és Szlovéniában

4.4.1.1 Vizsgálati elrendezés és kérdőív

Keresztmetszeti, online kérdőíves vizsgálatot végeztünk 2018-2019 folyamán három KKE országban: Magyarországon, Lengyelországban és Szlovéniában [150,152]. A kérdőív online felületre történő programozását, a válaszadók toborzását és az adatgyűjtést piackutató cég végezte, kutatócsoportunkkal együttműködésben, melyben lengyel és szlovén kutatók is részt vettek. A toborzás egy nemzetközi online panelből történt és kvótás mintavételt alkalmaztunk,

hogy a minta reprezentatív legyen az egyes országok felnőtt lakosságára életkorcsoport, nem, iskolai végzettség és lakóhely szerint 64 éves korig bezárólag, de törekedtünk a 65 éves és idősebb korcsoportban is elemzésre alkalmas minta elérésére. A tervezett minta 1000 fő volt országonként. Azok a felnőtt (18 éves vagy idősebb) résztvevők kerülhettek bevonásra, akik a felmérés megkezdését megelőzően beleegyezésüket adták a vizsgálatban való részvételbe. A kutatás etikai engedélyeztetése az egyes országok illetékes testületei hagyták jóvá: Magyarország: ETT-TUKEB (35286-2/2018/EKU); Lengyelország: a Varsói Orvostudományi Egyetem Bioetikai Bizottsága (AKBE/204/2018); Szlovénia: Nemzeti Orvostikai Bizottság (No. 0120-458/2018/4). A kutatást az Emberi Erőforrások Minisztériuma által meghirdetett Felsőoktatási Intézményi Kiválósági Program támogatta, a Budapesti Corvinus Egyetem „Pénzügyi és Lakossági Szolgáltatások” tématerületi programja (20764-3/2018/FEKUTSTRAT) „Egészségügy, társadalmi teher: jelenlegi és jövőbeli költségek, innovációk igénye és értékelése alprojekt” keretében. (Az alprojekt kutatásvezetője voltam.)

A vizsgálathoz első lépésben kifejlesztettük a CarerQol mérce magyar, lengyel és szlovén nyelvű verzióját, erről a következő alfejezetben számolok be. A kérdőíves felmérés során a nemzetközi összehasonlíthatóság miatt a korábban Hollandiában, Ausztráliában, Németországban, Svédországban, az Egyesült Királyságban és az USA-ban már alkalmazott módszert alkalmaztuk az egyik fő célkitűzésünk, a CarerQol hasznosság értékkészletének kialakításához [13,127]. Ezért az ott használt kérdéssort adaptáltuk, kiegészítettük és harmonizáltuk a három országra az eredeti kérdőív fejlesztőkkel együttműködésben, majd az egységes változatból magyar, lengyel és szlovén nyelvű verziót alakítottunk ki. A kutatási kérdőív hat modulból állt:

- 1.) Főbb demográfiai adatok (kor, nem, családi állapot, foglalkoztatottság)
- 2.) CarerQol állapotok értékelése diszkrét választás módszerrel, a CarerQol hasznosság értékkészlet kialakítása céljából. A modul elején részletes magyarázatot adtunk a résztvevőknek az informális gondozásról.
- 3.) A válaszadó saját tapasztalatai informális gondozással kapcsolatban, mint gondozott vagy gondozó. Azon válaszadónál, akik jelenleg vagy elmúlt egy évben informális gondozó voltak saját bevallásuk szerint, felmértük a gondozási helyzetet (egy háztartásban élnek-e, illetve milyen távolságra lakik tőle), a gondozott személy jellemzőit egészségi állapotát (EQ-5D-5L Proxy 1, vélt egészség skála, főleg fizikai/ főleg mentális/mindkettő egészségproblémái vannak, vélhetően várható-e javulás az állapotában) és kapcsolati viszonyát a gondozóval, a gondozás

tartamát és az átlagos gondozási időt (óra/hét), a válaszadó CarerQol értékét és a gondozás hatását a gondozó életére (pozitív/se nem pozitív se nem negatív/negatív).

4.) Informális gondozási helyzetek (CarerQol állapotok) monetáris értékelése fizetési hajlandóság módszerrel

5.) A válaszadó egészségi állapota (EQ-5D-5L, vélt egészség skála)

6.) A válaszadó háztartásának főbb jellemzői (létszám, lakóhely, havi nettó jövedelem)

A következő alfejezetben az alkalmazott standard mércéket mutatom be részletesen, majd a 2.) modulban alkalmazott módszert fejtem ki bővebben. Értekezésemben a 4.) modullal nem foglalkozom, ezért ennek részletes ismertetésétől eltekintek.

4.4.1.2 Alkalmazott mércék

CarerQol (és a magyar, lengyel és szlovén nyelvi verziók kifejlesztése)

A CarerQol mércét az informális gondozással összefüggő életminőség mérésére fejlesztették ki Hollandiában [126]. A kérdőív két részből áll, a jelenre vonatkozik és az informális gondozóknak szól. Az első, leíró rész (CarerQol-7D) az informális gondozás két pozitív (elégedettség, segítség) és öt negatív (kapcsolat, mentális egészség, napi tevékenységek, pénzügyek, testi egészség) aspektusát vizsgálja:

Engem/Nekem/Én...

„...elégedettséggel tölt el a gondozási feladataim elvégzése” (**Elégedettség**),

„...kapcsolati problémám van a gondozottal (például a gondozott nagyon követelőző vagy másként viselkedik, problémáink vannak a kommunikációval).” (**Kapcsolat**),

„...problémám van a saját mentális egészségemmel (például stressz, félelem, borús hangulat, depresszió, jövővel kapcsolatos aggodalmak).” (**Mentális egészség**),

„...problémám van a gondozási feladataim és a saját napi tevékenységeim összeegyeztetésével (például háztartási feladatok, munka, tanulás, család és szabadidős tevékenységek).” (**Napi tevékenységek**),

„...pénzügyi problémám van a gondozási feladataim miatt.” (**Pénzügyek**),

„...segítséget kapok a gondozási feladataim elvégzéséhez, amikor szükségem van rá. (például családtól, barátoktól, szomszédoktól, ismerősektől).” (**Segítség**)

„...problémám van a saját testi egészségemmel (például gyakori betegség, fáradtság, fizikai igénybevétel).” (**Testi egészség**).

Mind a hét tételnél három válasz (semmi/semennyi, némi, sok) közül kell a válaszadónak azt megjelölni, ami legjobban illik a jelenlegi gondozási helyzetére. Az így leírható gondozási helyzethez hasznosság értéket (CarerQol-7D index) lehet rendelni, melynek értéktartománya 0–100 (0 az elképzelhető legrosszabb, a 100 pedig a legjobb gondozási helyzetet jelenti) [127]. A CarerQol-7D index társadalmi szemszögből mutatja meg, mennyire preferált az adott állapot. Ilyen lakossági felmérésen alapuló hasznosság értékkészletet a CarerQol mércéhez eddig Hollandiában, Ausztráliában, Németországban, Svédországban, az Egyesült Királyságban és az USA-ban fejlesztettek ki [13,127]. Hazai értékkészlet hiányában (mely kifejlesztése Magyarország, Lengyelország és Szlovénia számára egyik kutatási célkitűzésünk volt, lásd lentebb) és az országok közötti összehasonlíthatóság miatt, a 3 országos felmérés adatelemzése során egységesen a holland hasznosság értékkészletet alkalmaztuk [127]. A kérdőív második része (CarerQol-VAS) egy 11 fokozatú vizuális analóg skála, mely két vége a „teljesen boldogtalan” (értéke: 0) és a „teljesen boldog” (értéke 10). Az informális gondozónak ezen kell megjelölnie, mennyire érzi magát boldognak jelenleg.

A CarerQol magyar, lengyel és szlovén nyelvű verziójának kialakításához a nemzetközi standardokat követtük [174]. Az angol nyelvű CarerQol kérdőívből két független fordítás készült a három célnyelvre, melyből a helyi (magyar, lengyel, illetve szlovén) vizsgálatvezető kialakított egy konszenzusos verziót. Ebből két, független visszafordítás történt angolra, professzionális fordítók bevonásával. A visszafordítás során észlelt eltérések javítását az eredeti CarerQol kérdőív fejlesztőinek bevonásával elvégeztük, majd országonként öt-öt fő részvételével pilot vizsgálatot végeztünk, mely során teszteltük a kérdőívet (értelmezés, érthetőség és elfogadhatóság). A véglegesített változatot az eredeti kérdőív mintájára megformáztuk.

EQ-5D-5L

A válaszadók egészségi állapotát az EQ-5D-5L kérdőívvel (lásd 2.4.2 alfejezet) mértük fel (önkitöltős, digitális verzió). A gondozott egészségi állapotára vonatkozóan az EQ-5D-5L Proxy 1 változatot használtuk, mely ugyanazokat a tételeket és válaszlehetőségeket tartalmazza, mint az önkitöltős EQ-5D-5L, de kifejezetten a gondozó véleménye szerinti egészségi állapotra kérdez rá (pl. „Kérjük, kattintson arra az EGY négyzetre, amely Ön szerint a legjobban jellemzi az Ön által gondozott személy MAI egészségi állapotát!”). Az EQ-5D-5L indexek kiszámolásához (a vizsgálat idején még hazai értékkészlet hiányában) Anglia hasznosság értékkészletét alkalmaztuk mindhárom országban, az index értéktartománya -0,285 (mind az öt

doménben képtelen/rendkívül erős válaszok) és 1 (mind az öt doménben problémamentes) közötti értékeket vehet fel [176].

Vélt egészség skála

A válaszadó saját egészségi állapotára vonatkozóan a nemzetközileg is használatos vélt egészség skálát alkalmaztuk („Hogyan értékelné az egészségét? Kitűnő/Nagyon jó/Jó/Tűrhető/Rossz”) (lásd. 2.4.1 alfejezet) [183]. Ugyanezt a skálát alkalmaztuk a válaszadó által gondozott személy egészségi állapotának felmérésére („Hogyan értékelné az Ön által gondozott személy egészségét?”), melyről a válaszadó nyilatkozott (közvetett értékelés).

4.4.1.3 CarerQol állapotok értékelése diszkrét választás módszerrel, hasznosság értékkészlet fejlesztése Magyarország, Lengyelország és Szlovénia számára

A diszkrét választás módszernél (angol nevén: „discrete choice experiment”, DCE) a korábban Hollandiában és más országokban sikeresen alkalmazott elrendezést alkalmaztuk, így eredményeink összehasonlíthatóvá válnak a meglévő értékkészletekkel [13,127]. A DCE és az állapotleírás párok (választási helyzetek) kialakításának részletei az eredeti vizsgálatban kerültek közlésre, ezért itt csak röviden foglalom össze. A válaszadókat arra kértük, képzeljék el, hogy egy családtagjukat vagy ismerősüket gondozzák és ugyanerre az egy helyzetre gondoljanak végig a feladat során. A CarerQol-7D-vel leírható állapotok közül 40 pár állapotleírást alkalmaztunk, melyet négy blokkra osztottunk, így az 1000 fős mintákban minden válaszadó 10 választási helyzetet értékelt. Egy példát a választás párokra az alábbi mutatunk be. (4. ábra) A pozitív válasz-szinteket zölddel, a negatívakat pirossal, a közteseket narancssárgával jelöltük. A DCE-t követően megkérdeztük a válaszadókat, mennyire volt számukra nehéz elvégezni ezt a feladatot, milyen gondozási helyzetre gondoltak közben, illetve mennyire ismerik az informális gondozást. Majd a jelenleg is informális gondozást végzők kitöltötték a CarerQol kérdőívet is.

4. ábra Egy példa a választási helyzet párokra a diszkrét választás feladatban
Melyik gondozási helyzetet szeretné inkább?

Gondozási helyzet "A"	Gondozási helyzet "B"
Engem sok elégedettséggel tölt el a gondozási feladataim elvégzése.	Engem némi elégedettséggel tölt el a gondozási feladataim elvégzése.
Nekem nincs kapcsolati problémám a gondozottal.	Nekem sok kapcsolati problémám van a gondozottal.
Nekem sok problémám van a saját mentális egészségemmel.	Nekem nincs problémám a saját mentális egészségemmel.
Nekem sok problémám van a gondozási feladataim és a saját napi tevékenységeim összeegyeztetésével.	Nekem némi problémám van a gondozási feladataim és a saját napi tevékenységeim összeegyeztetésével.
Nekem némi pénzügyi problémám van a gondozási feladataim miatt.	Nekem nincs pénzügyi problémám van a gondozási feladataim miatt.
Én némi segítséget kapok a gondozási feladataim elvégzéséhez, amikor szükségem van rá.	Én semennyi segítséget se kapok a gondozási feladataim elvégzéséhez, amikor szükségem van rá.
Nekem nincs problémám a saját testi egészségemmel.	Nekem nincs problémám a saját testi egészségemmel.
□	□

Forrás: [152] alapján, saját szerkesztés

4.4.1.4 Statisztikai elemzések

Az adatokat IBM SPSS Statistics 25 (IBM SPSS, Version 25.0. Armonk, NY, USA: IBM Corp., 2012) programcsomag segítségével készült adatbázisban rögzítettük. Leíró elemzéseket végeztünk a teljes mintán és az informális gondozók alcsoportjain. A három ország eredményeinek összehasonlítására Chi-négyzet (χ^2) próbát (az eloszlás különbségei) illetve ANOVA (az átlagok különbségei) tesztet alkalmaztunk. Logisztikus regresszió (legkisebb négyzetek módszere, angol nevén: „Ordinary Least Squares”, OLS) segítségével elemeztük, hogy a vizsgált jellemzők közül melyek meghatározóak az informális gondozóvá válás, a gondozási idő (óra/hét) valamint a gondozó gondozással összefüggő életminősége (CarerQol-7D index érték) szempontjából a három országban. A jelenlegi informális gondozók alcsoportjának elemzéséhez non-parametrikus teszteket végeztünk (alcsoportok összehasonlítása: Mann-Whitney U, Kruskal-Wallis tesztek; folytonos változók korrelációja: Spearman-féle rang korreláció elemzés). A korreláció erősségének meghatározásához a

következő határértékeket alkalmaztuk: $r < 0.1$: triviális; $0.1 \leq r < 0.3$: gyenge; $0.3 \leq r < 0.5$: közepes; $0.5 \leq r < 0.7$: erős; $0.7 \leq r < 0.9$: nagyon erős és $0.9 \leq r$: majdnem tökéletes [184]. Az elemzések során 5%-os szignifikancia szintet alkalmaztunk. Az informális gondozók alcsoportjának eredményeit felhasználva a magyar nyelvű CarerQol kérdőív pszichometriai elemzése során vizsgáltuk a klinikai, konvergens, diszkriminációs validitást. A klinikai validitás értékeléséhez a gondozási helyzet jellemzőivel (a gondozott egészségi állapota, kapcsolata a gondozóval [126,185,186], a gondozás tartama és heti óraszama, egy háztartásban élnek) vetettük össze a CarerQol eredményeket, rosszabb CarerQol értékeket várva a gondozott rosszabb egészségi állapota [186,187], mentális problémái [126], a hosszabb gondozási idő [185,187] és együttélés [126] esetén. Konvergens validitás tekintetében pozitív összefüggést vártunk a CarerQol-7D két pozitív doménje és a CarerQol-VAS között (és negatívát a többi doménnel), a CarerQol értékek és a gondozó egészségi állapotát mérő EQ-5D-5L értékei között. Továbbá magasabb CarerQol értékeket vártunk, ha a válaszadó a gondozás hatását a saját életére összességében pozitívnak értékelte. A diszkriminációs validitás elemzése során azt vizsgáltuk, hogy a CarerQol-7D domének három szintje között jelentősen eltértek-e a CarerQol-VAS és a gondozott egészségi állapotát mérő EQ-5D-5L (Proxy 1) értékei.

Tanulmányunkban a korábbi tanulmányokban alkalmazott D-hatásosság szerint optimalizált statisztikailag hatásos vizsgálati elrendezést alkalmaztunk, mely az Ngene szoftver (ChoiceMetrics, Australia), segítségével került kialakításra. A DCE-modell szerint a válaszadó az egyes attribútumokhoz és szintekhez hasznosságot rendel, és ez határozza meg az informális gondozási helyzetből származó hasznosságot. Hasonlóan a korábbi cikkek módszertanához, a hasznosság függvényt ún. mix-multinomiális logisztikus (MMNL) regresszióval becsültük. Az MMNL módszer számol a preferenciák nem megfigyelhető heterogenitásával, és figyelembe veszi a válaszok közötti korrelációt egyénenként, vagyis az adatok panel-szerkezetét. Minden országra külön regressziós modellt építettünk. A regressziós modellekben random paramétereket alkalmaztunk, melyek korrelálhattak az egyének között. A tarifákat az MNL modelltől becsült egyén-specifikus paraméterekből számítottuk ki átskálázással, úgy, hogy a CarerQol hasznossági pontszám 0–100 közé essen, ahol 0 jelenti a lehető legrosszabb gondozói állapotot, és 100 a legjobb gondozói állapotot.

4.4.2 Krónikus betegek egészségi állapota és informális gondozási ideje közötti összefüggések

Terjedelmi okokból ezt a kutatást rövidebben ismertetem. Munkacsoportunk (Budapesti Corvinus Egyetem, Egészségügyi Közgazdaságtan Tanszék és jogelődjei) által végzett

betegségteher kutatásokból rendelkezésre álló betegszintű adatokat elemeztük. Az informális gondozási idő és EQ-5D-3L adat megléte volt a bevonási kritérium. Ezekben a felmérésekben a betegek önbevallásából származó informális gondozási időt rögzítettük. Egységes adatbázisba rendeztük az adatokat az elemzésekhez (IBM SPSS Statistics (IBM SPSS, Version 21.0. Armonk, NY: IBM Corp.)). Az informális gondozási időt konzervatív megközelítéssel, betegenként alapesetben 168 óra/hétben maximáltuk. Leíró statisztikai elemzéseket, nem parametrikus statisztikai próbákat végeztünk, az informális gondozási időt magyarázó tényezőket lineáris regressziós modellel kívántuk felderíteni [119].

4.5 Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága és a jövőbeli egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások

A kutatás során keresztmetszeti felméréseket végeztünk:

- Online lakossági felmérés (2008; N=9281) [153], és multicentrikus vizsgálata RA betegek körében (2009; N=77): egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága
- Online felmérés reprezentatív lakossági mintán (2019): jövőbeli egészséggel, munkaképességgel, időskori ellátásokkal kapcsolatos szubjektív várakozások (N=1000) [155]
- Osteoporosisos nőbetegek vizsgálata keresztmetszeti multicentrikus felmérés keretében (2009): csonttörésekkel kapcsolatos szubjektív várakozások (N=1301) [159]

Az egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága és az egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások terén végeztünk további felméréseket is az általános lakosság körében [188] és különböző betegségekben (RA [139], Crohn betegség [156], AMD [157]), ezeket azonban terjedelmi okokból nem ismertetem részletesen, hanem az eredményeknél és a megbeszélésben tárgyalom a fent felsorolt vizsgálatok eredményeinek tükrében, a publikációinkra hivatkozva.

4.5.1 Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága: online lakossági felmérés (2008)

Keresztmetszeti kérdőíves vizsgálatot végeztünk 2008-ban, mely két fő részből állt: 1.) az egészségproblémák életkorfüggő elfogadottságának vizsgálata 2.) a jövőbeli egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások vizsgálata. A kutatás második részéről (szubjektív várakozások) már korábban beszámolt munkacsoportunk [138]. A résztvevőket egy internetes folyóirat felületén keresztül toboroztuk, a részvétel teljes mértékben anonim és önkéntes volt. A kutatási kérdőív egy napig volt elérhető a folyóirat honlapján (2008. november 26-án:

<http://index.hu>; 4 órán át a címloldalon majd egy linken keresztül). Az egészségproblémák életkorfüggő elfogadottságát két korábbi holland vizsgálatban már sikerrel alkalmazott módszer szerint végeztük azért, hogy azokkal összehasonlítható eredményeket kapjunk [33,136]. Az EQ-5D-3L kérdőív (lásd 2.4.2 alfejezet) leíró része segítségével vizsgáltuk, milyen szintű egészségproblémákat tartanak elfogadhatónak az emberek 30, 40, 50, 60, 70, illetve 80 éves korban vagy soha az egészségnek abban az öt dimenziójában, amit az EQ-5D-3L vizsgál (Mozgékonyosság, Önellátás, Szokásos tevékenységek, Fájdalom/rossz közérzet, Szorongás/lehangoltság; válaszlehetőségek: nincs probléma – 1, némi probléma – 2, képtelen rá – 3). (5. ábra)

5. ábra Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottságának mérése az EQ-5D-3L leíró részével
Kérjük jelölje X-szel, hány éves kortól kezdve tartja elfogadhatónak az alábbi probléma szinteket a járással?

	Életkor						
	30 éves kortól	40 éves kortól	50 éves kortól	60 éves kortól	70 éves kortól	80 éves kortól	Soha
Némi probléma van a járással	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Ágyhoz kötött	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Megjegyzés: Hasonló elrendezésben kérdeztük az EQ-5D-3L többi négy doménjében az egészségproblémák elfogadottságát.

Forrás: [153] Creative Commons Attribution 4.0. nemzetközi licenz alapján

(<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Letölthető:

<https://hqlo.biomedcentral.com/articles/10.1186/s12955-020-01568-w>

Az öt dimenzióra adott válaszokból kétféle módszerrel számoltunk EQ-5D-3L index értéket, hazai értékkészlet hiányában az Egyesült Királyság hasznosság értékkészletének felhasználásával (értéktartománya: -0.549 – 1.0) [77]. Az ún. aggregált módszer esetében egyes kérdésekre adott válaszok számértékeiből kialakult állapotleíráshoz rendeltük a hasznosság értékeket. Például, ha egy válaszadó azt jelölte, hogy 70 éves kortól elfogadható, hogy némi problémát jelent a „Mozgékonyosság” és képtelen elvégezni a „Szokásos tevékenységek”-et, de a többi doménben semmilyen probléma sem fogadható el ebben a korban, akkor a 70 éves korra elfogadott állapot „21311” számsorral írható le, melynek hasznosság értéke 0,487. Az így kapott értékekből alakítottuk ki a minta „elfogadható egészség görbéjét” (angolul: „acceptable health curve”, AHC), pontosabban annak „aggregált” változatát (AHC_{AGGR}) utalva arra, hogy az egyes dimenziókra (külön-külön feltett kérdésekre) adott válaszok egyidejű fennállásával számoltunk, aggregáltan vettük figyelembe. Ugyanakkor elképzelhető az is, hogy ha a

különböző doménekben jelentkező egészségproblémákat mint egyszerre fennálló nehézségeket kellett volna értékelnie a válaszadónak, akkor már más életkort jelölt volna meg. (Például lehet, hogy ha némi probléma van a járással ÉS képtelen elvégezni a szokásos tevékenységeit, azt együtt csak 80 éves kortól tartja valaki elfogadhatónak, míg külön-külön már 70 éves kortól.) Ezért kiszámoltuk az elfogadható egészség görbét úgy is, hogy az adott életkorra az egészségprobléma elfogadottságát a legrosszabb állapot hasznosságértéke határozza meg (és a többi doménben nem feltételeztünk problémát). A fenti példa ez esetben „11311” számsorral írható le, melynek hasznosságértéke 0,556. Ezt a módszert a „csak a legrosszabb domén” (angolul: „worst”) változatnak neveztük el (AHC_{WORST}). A válaszadók jelen egészségi állapotát ugyancsak az EQ-5D-3L kérdőívvel vettük fel. Megkérdeztük továbbá, mit gondolnak hány éves korukig fognak élni, valamint a főbb szocio-demográfiai jellemzőiket. Leíró elemzéseket végeztünk és lineáris regresszióval vizsgáltuk az egyes életkorokra az egészségproblémák elfogadottságának meghatározó tényezőit. Leíró összehasonlításokat végeztünk életkorra egyeztetett lakossági egészségi állapot adatokkal, valamint a Hollandiában végzett hasonló lakossági kutatás eredményeivel [33].

4.5.2 Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága RA betegek körében (2009)

Az előző alfejezetben ismertetett módszerrel mértük fel az egészségproblémák életkorfüggő elfogadottságát olyan, a rutin szakellátásban megjelenő olyan RA betegek körében, akik a felméréskor az első biológiai terápiát kezdték [154]. A vizsgálatot 2009-ben folytattuk le 12 reumatológiai centrum bevonásával, etikai engedély száma ETT-TUKEB 8-66/2009-1018EKU.

4.5.3 Jövőbeli egészséggel, munkaképességgel és ellátásokkal kapcsolatos szubjektív várakozások: online lakossági reprezentatív felmérés (2019)

Online keresztmetszeti kérdőíves vizsgálatot végeztünk 2019. elején a hazai felnőtt lakosság körében, a résztvevők toborzását és az adatgyűjtést piackutató cég végezte, kutatócsoportunkkal együttműködésben [155]. A toborzás egy nagy hazai online panelből történt és kvótás mintavételt alkalmaztunk, hogy a tervezett minta (N=1000) reprezentatív legyen a hazai felnőtt lakosságra (életkorcsoport, nem, iskolai végzettség és lakóhely szerint 64 éves korig bezárólag, de az idősebbek körében is gyűjtöttünk adatokat). A résztvevők írásos beleegyezésüket adták a vizsgálatban való részvételhez. A kutatást az ETT-TUKEB engedélyezte (5113-2/2018/EKU). A kutatást az Emberi Erőforrások Minisztériuma által meghirdetett Felsőoktatási Intézményi Kiválósági Program támogatta, a Budapesti Corvinus

Egyetem „Pénzügyi és Lakossági Szolgáltatások” tématerületi programja (20764-3/2018/FEKUTSTRAT) „Egészségügy, társadalmi teher: jelenlegi és jövőbeli költségek, innovációk igénye és értékelése alprojekt” keretében. (Az alprojekt kutatásvezetője voltam.)

A válaszadók jövőbeli egészségükkel kapcsolatos szubjektív várakozásait korábbi felmérésekben Hollandiában [137] és munkacsoportunk által végzett (nem reprezentatív lakossági és betegség-specifikus csoportokon végzett) kutatásokban [138-140,156,157] már sikeresen alkalmazott módszerrel vizsgáltuk, melyet kiegészítettünk további kérdésekkel. Arra kértük a válaszadókat, jelöljék meg, hogy szerintük milyen lesz az egészségi állapotuk 60, 70, 80, illetve 90 éves korukban (mindenkinél csak az aktuális életkoránál idősebb életkorok jelentek meg), melyhez különböző standard kérdőíveket alkalmaztunk: EQ-5D-3L és EQ-5D-5L (lásd 2.4.2 alfejezet), GALI (lásd 2.4.1 alfejezet), boldogság VAS (lásd 2.4.5 alfejezet), egyszerűsített WHO-5 (lásd 2.4.4 alfejezet). (6. ábra)

6. ábra Jövőbeli egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások felmérése

Példa az EQ-5D-3L kérdőív leíró részéből kialakított kérdésre

Úgy gondolom, 60 éves koromban...

nem	némi	nagyon sok	
<input type="radio"/> 1	<input type="radio"/> 2	<input type="radio"/> 3	problémám lesz a járással.
<input type="radio"/> 1	<input type="radio"/> 2	<input type="radio"/> 3	problémám lesz a tisztálkodással és öltözködéssel.
<input type="radio"/> 1	<input type="radio"/> 2	<input type="radio"/> 3	problémám lesz a szokásos tevékenységek elvégzésével.
<input type="radio"/> 1	<input type="radio"/> 2	<input type="radio"/> 3	fájdalmam / rossz közérzetem lesz.
<input type="radio"/> 1	<input type="radio"/> 2	<input type="radio"/> 3	szorongok / lehangolt leszek.

Megjegyzés: Hasonló elrendezésben kérdeztük a 70, 80 és 90 éves korokra várt egészségi állapotokat az EQ-5D-3L kérdőívvel, valamint mind a négy életkorra az EQ-5D-5L, GALI és WHO-5 kérdőívekkel.

Forrás: [155] Creative Commons Attribution 4.0 nemzetközi licenz alapján

(<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető:

<https://link.springer.com/article/10.1007/s10198-019-01059-w>

Hasonló elrendezésben kérdeztük meg, mit gondolnak, heti hány órában lesz szükségük mások segítségére és milyen ellátási formát fognak tudni igénybe venni idősebb korukban (60/70/80/90 évesen), ha tartósan gondozásra vagy mások segítségére lenne szükségük. Megkérdeztük azt is, mit gondolnak hány éves korukig fognak végezni fizetett munkát és hány éves korukig fognak élni. A válaszadók jelen egészségi állapotát a szubjektív várakozások felmérésére is alkalmazott mércékkel (EQ-5D-5L, MEHM – GALI, boldogság VAS, egyszerűsített WHO-5) vettük fel (lásd 2.4 alfejezet), az EQ-5D-5L index értékeket (hazai értékkészlet hiányában a vizsgálat idején) Anglia értékkészletével számoltuk ki [176].

Rögzítettük a főbb szocio-demográfiai jellemzőiket és egészséggel összefüggő életmódjukat önbevallás alapján, az EHIS kérdéseit [73] alkalmazva. Leíró statisztikai elemzéseket végeztünk és regresszió (legkisebb négyzetek módszere) elemzésekkel vizsgáltuk a 60/70/80/90 éves korra szubjektíve várt egészséget (EQ-5D-5L) és boldogságot (VAS) meghatározó tényezőket.

4.5.4 Osteoporosisos nőbetegek jövőbeli csonttörésekkel kapcsolatos szubjektív várakozásai: multicentrikus keresztmetszeti felmérés (2009)

Hazai OP centrumok bevonásával keresztmetszeti kérdőíves vizsgálatot végeztünk 2009-ben (Budapesten öt centrum és további egy-egy centrum: Balf, Kistarcsa, Miskolc, Székesfehérvár, Tatabánya, Visegrád). A vizsgálatba olyan osteoporosisos nőbetegeket vontunk be, akik rutin ellátás keretében megjelentek az OP centrumban és írásos beleegyezésüket adták a részvételhez [158,159]. A kutatást az ETT-TUKEB hagyta jóvá (84-347 12008-1018EKU). A kérdőíves felmérés során felvettük a betegek főbb OP törési rizikófaktorait, valamint a kezelőorvosok megadták a legutóbbi csontsűrűségmérés (osteodensitometria, ODM) eredményét, melyből az ún. T-score-t vettük figyelembe [48]. Kiszámoltuk a betegek 10 éves OP csonttörési rizikóját a FRAX[®] kalkulátor segítségével, a Magyarországra vonatkozó értékekkel [50]. A FRAX[®] egy olyan, epidemiológiai adatok alapján kifejlesztett rizikóbecslő módszer, mely százalékban adja meg a beteg 10 éven belül várható major OP törés (váll, alkar, csípőtáji és tünetekkel járó csigolyatörések) és ezen belül a csípőtáji törés esélyét. Ezeket a beteg jellemzői (neme, életkora, testsúlya és testmagassága, szülők között előfordult csípőtörések, a beteg saját OP törés előzményei, dohányzás, tartós kortikoszteroid terápia, RA betegség, másodlagos OP, alkohol fogyasztás) és a femuron mért ásványianyag csontsűrűség értéke alapján becsüli meg. A FRAX[®] az OP gyógyszeres kezelés és gyógyszer-finanszírozás sarokkövévé vált az utóbbi években [50].

Megkérdeztük a betegeket mit gondolnak, mekkora eséllyel lesz major OP törésük 10 éven belül („Ön szerint hány százalék az esélye annak, hogy 10 éven belül jelentős csonttörése (csukló- vagy váll- vagy csigolya- vagy csípőtörése) lesz?”) és a választ %-ban kértük, valamint a csípőtörésre külön is rákérdeztünk ugyanígy. Mivel a %-ok értelmezése nehézséget jelenthet sokak számára [189], ugyanezeket a kérdéseket vizuális analóg skála (VAS) válaszlehetőséggel is feltettük, melynek a két végpontja a „Biztos nem lesz”, illetve a „Biztosan lesz” elnevezést kapta. Megkérdeztük továbbá, mit gondolnak hány éves korukig fognak élni. A betegek jelen egészségi állapotát az EQ VAS mércével (2.4.2 alfejezet) mértük és rögzítettük a főbb szocio-demográfiai jellemzőiket. A FRAX[®] alapján várható és a szubjektíve várt 10 éves törési rizikó

összehasonlító elemzéséhez a következő kategóriákat alakítottuk ki: major OP törés rizikó (<10% alacsony, közepes 10%-19%, magas $\geq 20\%$); csípőtáji törés rizikó alacsony <3%, közepes 3–9%, magas $\geq 10\%$ [190]. Megvizsgáltuk a törési rizikó alábecslését (akik legalább 10%-ponttal alábecsülték a törési rizikójukat a FRAX[®]-hoz képest) meghatározó tényezőket logisztikus regresszió segítségével. Regresszió (legkisebb négyzetek módszere) segítségével vizsgáltuk, hogy a (FRAX[®] által is használt) törési rizikófaktorok, valamint a törések száma, az egészségi állapot (EQ VAS) és a szubjektíve várt élettartam (<10 év) milyen hatással vannak a szubjektív major OP és csípőtáji törési rizikóbecslésre [158,159].

4.6 Digitális egészségműveltség (eHEALS) és betegtapasztalatok az egészségügyben (PREM)

4.6.1 Vizsgálati elrendezés és kérdőív

Internet-alapú (online), keresztmetszeti kérdőíves vizsgálatot végeztünk 2019. elején a hazai felnőtt lakosság körében [160,161,191-193]. A résztvevők toborzását és az adatgyűjtést piacutató cég végezte, kutatócsoportunkkal együttműködésben. A toborzás egy nagy hazai online panelből történt, a tervezett minta 1000 fő volt és kvótás mintavételt alkalmaztunk, hogy a minta reprezentatív legyen a hazai felnőtt lakosságra életkorcsoport, nem, iskolai végzettség és lakóhely szerint 64 éves korig bezárólag, de a részvételt nem kötöttük felső korhatárhoz. A résztvevők írásos beleegyezésüket adták a vizsgálatban való részvételhez. A kutatást az ETT-TUKEB engedélyezte (47654-2/2018/EKU). A kutatást az Emberi Erőforrások Minisztériuma által meghirdetett Felsőoktatási Intézményi Kiválósági Program támogatta, a Budapesti Corvinus Egyetem „Pénzügyi és Lakossági Szolgáltatások” tématerületi programja (20764-3/2018/FEKUTSTRAT) „Egészségügy, társadalmi teher: jelenlegi és jövőbeli költségek, innovációk igénye és értékelése alprojekt” keretében. (Az alprojekt kutatásvezetője voltam.)

A kutatási kérdőív részben kutatócsoportunk által összeállított kérdésekből, részben standard kérdőívekből (mércek) állt és három fő modulra tagolódott: 1. Digitális egészségműveltség (eHEALS kérdőív és az egészséggel kapcsolatos információkeresés jellemzői: gyakoriság, internetes források preferálása, internet használat fontossága és hasznossága egészségügyi kérdésekben, egészségügyi végzettség és egészségügyi anyagok megértése önbevallás alapján, Elektronikus Egészségügyi Szolgáltatási Tér – EESZT használat) [160]; 2. Megosztott döntéshozatal az egészségügyben [192,193] és 3. Betegtapasztalatok az egészségügyben (az OECD PREM kérdőíve)[161,191]. A jelen tanulmányban az 1. és 3. modulok főbb eredményeit

ismertetem. Felvettük továbbá a válaszadók alapvető szocio-demográfiai és háztartás jellemzőit, valamint egészségi állapotát és egészséges életmódra vonatkozó jellemzőit (dohányzás, alkoholfogyasztás, testmozgás, életmód saját megítélése) és az egészséggel kapcsolatos internethasználati szokásait.

4.6.2 Alkalmazott mércék, a magyar nyelvű eHEALS kérdőív kifejlesztése

4.6.2.1 eHEALS kérdőív és a magyar nyelvű változat kialakítása

Az eHEALS önkitöltős kérdőívet az elektronikus (digitális) egészségműveltség mérésére fejlesztették ki (tudás, jártasság és vélt készségek az elektronikus egészségügyi információk megtalálására, értékelésére és alkalmazására az egészségügyi problémákra vonatkozóan, a válaszadó saját megítélése szerint) [143]. Az eHEALS a jelen állapotra vonatkozik és nyolc tételből áll (a kérdőívet magyar nyelven mutatom be, a magyar nyelvű verzió kialakításáról és validálásáról lentebb számolok be):

- „Tudom, hogy milyen egészséggel kapcsolatos információforrások érhetők el az interneten.
- Tudom, hogy hol található az interneten az egészséggel kapcsolatos hasznos információforrások.
- Tudom, hogyan kell az interneten keresni az egészséggel kapcsolatos hasznos információforrásokat.
- Tudom, hogyan használjam az internetet, ha az egészséggel kapcsolatos kérdéseimet akarom megválaszolni.
- Tudom, hogyan hasznosítsam az interneten talált egészséggel kapcsolatos információkat.;
- Megvan a szükséges tudásom, hogy minősítsem az interneten talált egészséggel kapcsolatos információforrásokat.
- Meg tudom egymástól különböztetni az interneten található jó és rossz minőségűegészséggel kapcsolatos információforrásokat.
- Úgy érzem, magabiztosan használom az internetről származó információkat az egészséggel kapcsolatos döntéseim során.” [160]

Mind a nyolc állításra egy öt-fokozatú Likert skálán kell válaszolni („Egyáltalán nem értek egyet/Nem értek egyet/Egyet is értek meg nem is/Egyetértek/Teljesen egyetértek”), melyek értéke 1-5. Az eHEALS értéket a 8 tétel értékeinek összeadásával kell kiszámolni, értéktartománya 8-40, a magasabb érték jobb digitális egészségműveltségre utal. A kérdőív kiegészül két kérdéssel, ami a válaszadó digitális egészségüggyel kapcsolatos általános érdeklődését méri fel. („Mennyire jelent hasznos segítséget Önnek az internet az egészségét

érintő döntések során? Mennyire fontos Önnek, hogy hozzáférjen egészséggel kapcsolatos információforrásokhoz az interneten?” Válaszlehetőségek: „Egyáltalán nem hasznos/Nem hasznos/Nem tudom/Hasznos/Nagyon hasznos”, illetve ugyanezen fokozatok „fontos” válasszal.)

A magyar nyelvű verzió kifejlesztése során a nemzetközileg használt standard módszert követtük [174]: független fordításokat történtek angolról magyarra és konszolidált magyar verzió kialakítása; független visszafordítás magyarról angolra hivatásos fordító bevonásával; problémás vagy kérdéses szavak egyeztetése a kérdőív tulajdonossal; öt résztvevő bevonásával tesztelés, értelmezés, érthetőség és elfogadhatóság szempontjából, valamint a kérdőív szövegének pontosítása és véglegesítése; formázás.

4.6.2.2 *Betegtapasztalatok az egészségügyben kérdéssor (PREM) és a magyar változat kialakítása*

Az OECD által jóváhagyott PREM kérdéssor (továbbiakban PREM) az elmúlt 12 hónapra vonatkozik és két részre tagolódik: a járóbeteg ellátáshoz való hozzáférés és betegtapasztalatok a járóbeteg ellátással kapcsolatban (beleértve a háziorvosi, szakorvosi és más egészségügyi szakemberek által nyújtott ellátásokat is) [144].

A járóbeteg ellátáshoz való hozzáférést a kérdőív négy (meg nem valósult ellátások) plusz kettő (várakozási idő) aspektusból vizsgálja:

- 1.) Utazási okok miatt meg nem valósult egészségügyi vizitek;
- 2.) Anyagi okok (saját költség) miatt meg nem valósult egészségügyi vizitek
- 3.) Anyagi okok (saját költség) miatt meg nem valósult kezelések;
- 4.) Anyagi okok (saját költség) miatt meg nem valósult receptköteles gyógyszereszedés;
- 5.) Előjegyzési idő konzultációra;
- 6.) Várakozási idő a konzultáció napján.

A járóbeteg ellátás során szerzett tapasztalatok rész az egészségügyi szakemberrel történt konzultációt öt szempontból értékeli:

- 1.) Elegendő idő („Elegendő időt töltött Önnel ez a szakember a konzultáció (vizit, vizsgálat) során?”);
- 2.) Érthető magyarázatok („Úgy magyarázta el ez a szakember Önnek a dolgokat, hogy azt könnyű volt megérteni?”);
- 3.) Kérdésfeltevés lehetősége („Adott Önnek lehetőséget ez a szakember, hogy feltegyen kérdéseket vagy felvesse az aggodalmait a javasolt kezeléssel kapcsolatban?”);
- 4.) Döntésekbe bevonás („Bevonta ez a szakember Önt az Ön ellátásával és kezelésével kapcsolatos döntésekbe olyan mértékben, amennyire Ön akarta?”).

Mind a négy kérdésre egy négy-fokozatú válaszkálán („Igen, egyértelműen igen./Igen, bizonyos mértékig./„Nem, nem igazán.”/„Nem, egyértelműen nem.”) jelölhetik meg a válaszadók a rájuk leginkább jellemző választ. A kérdőív kiegészül a konzultációt globálisan értékelő ötödik kérdéssel („Összességében hogyan értékelné ennek a konzultációnak (vizitnek, vizsgálatnak) a minőségét?” Válaszlehetőségek: „Kitűnő/Nagyon jó/Jó/Tűrhető/Rossz”). A válaszadók minden esetben választhatják a „Nem tudom” vagy a „Nem kívánok válaszolni” lehetőséget is. A kérdőív kiegészül néhány kérdéssel (milyen típusú ellátóhelyen járt, mikor történt a legutóbbi vizit, a szokásos ellátóhelyen járt-e) [144]. A PREM kérdéssor leíró elemzésekhez készült, nincs hivatalosan elfogadott index vagy profil érték számítási módja. A „Várakozási idő” válaszokat folytonos változókká alakítottuk és a középértéket vettük figyelembe az elemzések során. A PREM tételeiből kompozit értékeket képeztünk [142]:

„*Meg nem valósult ellátások*” (0-4) a négy vizsgált okból mennyinél fordult elő;

„*Bármilyen okból meg nem valósult ellátás*” bináris érték (ha legalább egy okból történt ilyen);

„*A várakozási idő probléma*” bináris változót használtuk, ha az előjegyzési idő vagy a konzultáció napján a várakozási idő problémát jelentett a betegnek;

„*Betegtapasztalatok probléma*” kompozit értéket a betegtapasztalatok rész négy kérdéséből (Elegendő idő; Érthető magyarázatok; Kérdésfeltevés lehetősége; Döntésekbe bevonás) hoztuk létre, a négyfokozatú válaszkála elemeinek 1-től 4-ig történő megszámozásával és az egyes válaszok összeadásával (értéktartománya 4-16, a magasabb érték több problémára utal);

„*Negatív tapasztalatok*” kompozit érték azt mutatja meg, hogy a négy betegtapasztalat tétel (Elegendő idő; Érthető magyarázatok; Kérdésfeltevés lehetősége; Döntésekbe bevonás) közül hány esetben nem az „Igen, egyértelműen igen.” választ adták meg a résztvevők. Értéktartománya 0-4, magasabb érték több negatív tapasztalatra utal;

„*Bármilyen negatív tapasztalat*” bináris érték pedig azt mutatja meg, hogy legalább egy tétel (Elegendő idő; Érthető magyarázatok; Kérdésfeltevés lehetősége; Döntésekbe bevonás) esetében nem az „Igen, egyértelműen igen.” választ adták meg a résztvevők.

A kutatáshoz az eredeti angol nyelvű PREM kérdéssorból [144] független oda-visszafordításokkal alakítottuk ki a magyar nyelvű verziót, mely során konzultáltunk az OECD illetékes szakértőivel. Az így kifejlesztett kérdőívet pilot interjúk során teszteltük, mely során vizsgáltuk a kérdések érthetőségét és elfogadhatóságát (ez az ún. „cognitive debriefing”) és a kitöltés megvalósíthatóságát [161].

4.6.2.3 Egészségi állapot mércék

A válaszadók egészségi állapotát a MEHM (lásd 2.4.1 alfejezet) és az EQ-5D-5L (lásd 2.4.2 alfejezet) mércékkel mértük fel.

4.6.3 Statisztikai elemzések

Az adatokat IBM SPSS Statistics 25 (IBM SPSS, Version 25.0. Armonk, NY, USA: IBM Corp., 2012) programcsomag segítségével készült adatbázisban rögzítettük, leíró elemzéseket végeztünk, az alcsoportokat a releváns próbákkal (ANOVA, Kruskal-Wallis teszt, Levene-próba, Chi-négyzet próba) hasonlítottuk össze. Az eHEALS kérdőív belső konzisztenciáját Cronbach- α és a tételek egymással való korrelációjának elemzésével vizsgáltuk. A szerkezeti validitást exploratív faktorelemzéssel teszteltük. Továbbá pozitív kapcsolatot vártunk az egészséggel kapcsolatos információkeresés jellemzőivel (gyakoriság, internetes források preferálása, internet használat fontossága és hasznossága egészségügyi kérdésekben, egészségügyi végzettség és egészségügyi anyagok megértése önbevallás alapján, Elektronikus Egészségügyi Szolgáltatási Tér – EESZT használat). A konvergencia validitást az eHEALS érték és az egészségi állapot, illetve az egészséggel összefüggő rizikófaktorok közötti kapcsolat vizsgálatával elemeztük (pozitív, illetve negatív kapcsolatot vártunk). A diszkriminációs validitást az eHEALS érték és a demográfiai jellemzők közötti kapcsolatok elemzésével vizsgáltuk mintegy feltételezve, hogy az eHEALS egy viszonylag független entitás, ezért csak közepes erősségű kapcsolatot mutat az életkorral, az iskolázottsággal és a jövedelmi szinttel. Dichotóm tételeknél pont-biserial, a folytonos változóknál Pearson, a polytom ordinális tételeknél polyserial korrelációt alkalmaztunk. A megbízhatóságot (ismételhetőséget) a mintából egy 50 fős alcsoport bevonásával végzett teszt-ismételt teszt eredmények ICC elemzésével végeztük. A PREM és az eHEALS közötti kapcsolat elemzéséhez azt az alcsoportot vettük figyelembe, akik az elmúlt 12 hónapban igénybe vettek járóbeteg ellátást személyes megjelenés (és nem telefonos) formájában saját egészségproblémájuk miatt, mégpedig olyan ellátóhelyen, ahova szokásosan (legtöbbször) járnak. Elemeztük az eHEALS és a PREM tételek korrelációját és többváltozós regresszió elemzéssel vizsgáltuk az eHEALS kvartilisek és a kompozit PREM eredmények kapcsolatát a szocio-demográfiai, egészségi állapot (MEHM) és az ellátóhely típusa változókra korrigálva.

5 EREDMÉNYEK ÉS MEGBESZÉLÉS

5.1 Biológiai terápiák bizonyítékokon alapuló alkalmazása RA-ban

5.1.1 Első vonalbeli betegségmódosító terápiaként alkalmazott TNF- α gátló gyógyszerek hatásossága RA-ban

A korábbi két szisztematikus irodalmi áttekintésből [91,92] 149, illetve 6 publikációt vettünk át [93]. A 2015. január – 2018. július időszakra vonatkozó szisztematikus irodalomkeresésünk során további 829 közleményt azonosítottunk (összesen 984 közlemény). A duplikátumok (259 közlemény) kizárása után további 359 közleményt zártunk ki (áttekintő cikkek, esettanulmányok, konferencia közlemények). A fennmaradók közül 312 közleményt kizártunk (nem metotrexát-naiv betegek: 288, nem TNF- α gátló: 20, nem RA: 1, vizsgálati protokoll: 3). További 17 közlemény kizárásra került, mert nem közölt kimenetel eredményt 2. vagy 5. évre, 18 közleményt nem releváns kimenetel alkalmazása miatt, és 5 közleményt mert a 2. vagy 5. évre közölt kimenetel nem volt összevethető a kiindulási jellemzőkkel. Összesen 14 közlemény került beválogatásra. Az RCT-k akronimjaival és kódjaival végzett kiegészítő kereséssel további 7 közleményt azonosítottunk, így összesen 21 közleményt (ami 10 RCT-ről számolt be) vontunk be a kvalitatív elemzésbe és 15 közleményt (10 RCT-ről) a kvantitatív elemzésbe. Az RCT-k részleteit és kvalitatív elemzését publikáltuk [93], értekezésemben ezeket csak röviden ismertetem az RCT-t releváns hivatkozásaival és a kvantitatív elemzésre (metaanalízis) fókuszálók.

A 10 RCT-be (BeSt [194-196], C-OPERA [197,198], COMET [199,200], Enbrel ERA [201,202], GO-BEFORE [203-205], IDEA [206], NEO-RACo [207,208], OPTIMA [209,210], PREMIER [211-213] és Quinn 2005 [214]) összesen 4697 RA beteget válogattak be (TNF- α gátló csoport 2625 beteg, kontroll csoport 2072 beteg), az életkor átlagosan 51 év volt. A betegek metotrexát terápiában még nem részesültek (metotrexát naiv betegek, de más szintetikus betegségmódosító terápia előfordulhatott): az IDEA, NEORACo és Quinn 2005 vizsgálatokban szintetikus DMARD naiv betegek vettek részt, a BeSt, COMET, COPERA, PREMIER és OPTIMA vizsgálatokban nem metotrexát szintetikus betegségmódosító terápia az előzményben megengedett volt, az Enbrel ERA és GO-BEFORE vizsgálatokban csak a korábbi metotrexát terápia volt a kizáró ok. A vizsgálatokban a betegeknek többségben korai, aktív RA betegségük volt: az átlagos betegségstartam 12,4-49,2 hónap között változott, az átlagos betegségaktivitás DAS28 érték 5,85 – 6,95 közötti volt. A legtöbb RCT infliximabbal készült (N=4) (BeSt, IDEA,

NEORACO, Quinn 2005), etanercepttel 2 RCT (COMET, Enbrel ERA), adalimumabbal szintén 2 RCT (PREMIER, OPTIMA), certolizumab pegollal 1 RCT (C-OPERA) és golimumabbal is 1 RCT (GO-BEFORE). A vizsgálatok többsége kettősvak RCT volt, 6-24 hónapos időtávval, ami nyílt vizsgálatban folytatódott különböző ideig (maximum 10 évig). A BeSt vizsgálat nyílt, célértékre tervezett (treat-to-target) terápiás stratégiai vizsgálat volt. A PREMIER vizsgálatban volt leghosszabb a kettősvak szakasz (2 év), 5. évnél már mindegyik RCT nyílt volt. Összességében tehát eléggé heterogének voltak az RCT-k [93]. (1. táblázat)

Sajnos nem volt olyan végpont, amire mind a 10 RCT-ből közöltek volna adatot azonos időtávra és ezáltal metaanalízisre alkalmas lett volna. A legtöbb azonos kimenetelt a 2. év végén találtuk (9 RCT-ben ACR70 és valamelyik remissziós kritérium), míg az ACR20 és ACR50 javulási kritériumok nyolc RCT-ben voltak elérhetők és a HAQ-DI pedig öt RCT-ben. Az 5. év végén remisszió kimenetelt négy, ACR70-t három, ACR20-t és ACR50-t pedig 2 RCT-ben közöltek.

A 2. év végén mért eredményekből végzett metaanalízis eredményeit a az alábbi ábrán mutatjuk be. (7. ábra) Az elsőként adott TNF- α gátló terápia nem különbözött szignifikánsan a kontroll csoporttól az ACR20 végponton (részletes adatokat lásd a publikációban [93]), de az ACR50, az ACR70 és a remissziós végpontokon szignifikáns volt a különbség a kettősvak RCT-kben (az első vonalbeli TNF- α gátló javára), azonban a nyílt vizsgálatokban nem. Mindegyik vizsgálatot együtt nézve az ACR70 és a remisszió kritériumok végpontokon volt szignifikáns a különbség. A HAQ-DI esetében nem találtunk szignifikáns különbséget.

Az ötödik év végén a 10 RCT-ből mindössze öt RCT esetében találtunk legalább egy releváns végpontra közölt adatot (BeSt, Enbrel RA, GO-BEFORE, NEO-RACo and PREMIER). Ezek mind nyílt vizsgálatok voltak ebben az időpontban és nem találtunk szignifikáns különbséget az ACR20/50/70 és a remissziós kritérium végpontokon, a HAQ-DI pedig adathiányok miatt nem volt elemezhető.

1. táblázat Rheumatoid arthritis kezelésére adott első vonalbeli tumor nekrozis faktor- α gátlók randomizált kontrollált vizsgálatának főbb jellemzői

Vizsgálat [hivatkozás]	Betegek	Randomizált karok	A metaanalízisbe bevont karok	N	Kettősvak fázis	Nyílt fázis
BeSt [194-196]	Korai RA (ACR 1987 kritérium) Betegségtartam \leq 24 hónap Életkor \geq 18 év Aktív betegség \geq 6/66 SJC, \geq 6/68 TJC, We \geq 28 mm/h vagy a globális egészség skála \geq 20 mm (legjobb=0, legrosszabb=100 mm) Kizáró ok: korábbi sDMARD kezelés nem antimaláriás szerrel.	Kezdet IFX kombináció: MTX + IFX (3 \rightarrow 10 mg/kg) \rightarrow előre meghatározott sDMARD mono/kombinációs szekvencia	Első vonalbeli TNF- α gátló	128	Nem volt kettősvak fázis.	10 éves stratégiai vizsgálat. Randomizálás kiinduláskor: 4 csoport. Terápia igazítás 3 havonta: ha DAS44 \geq 2,4, \rightarrow következő lépcső a meghatározott terápias sorrendben. Ha DAS44 \leq 2,4 volt 6 hónapon át, a gyógyszert csökkentették \rightarrow 1 gyógyszer fenntartó adagban. Mindig a PRD és IFX-t csökkentették először. Ha a DAS44 \geq 2,4 a gyógyszer csökkentés után, az utolsó hatásos dózissra álltak vissza.
		Szekvenciális monoterápia: MTX \rightarrow előre meghatározott sDMARD szekvencia	Kontroll	380		
		Felépítő (step-up) kombináció: MTX \rightarrow MTX + előre meghatározott sDMARD kombináció szekvencia	Kontroll			
		Kezdeti PRD kombináció: MTX + SSZ + PRD (60 \rightarrow 7,5 mg/hét) \rightarrow előre meghatározott sDMARD mono/kombinációs szekvencia	Kontroll			
COMET [199,200]	Felnőtt korban indult RA Betegségtartam 3–24 hónap Életkor \geq 18 év DAS28 \geq 3,2; We \geq 28 mm/h vagy CRP \geq 20 mg/L Kizáró ok: korábbi MTX, ETN vagy más TNF- α gátló terápia valaha, sDMARD vagy kortikoszteroid injekció kiindulás előtt 4 héten belül.	ETN (1 x 50 mg/hét sc) + MTX \rightarrow ETN (1 x 50 mg/hét sc) + MTX	Első vonalbeli TNF- α gátló	137	104 hét Randomizálás kiinduláskor: 4 csoport A két kezelési csoportot (ETN vs PLA) négy csoportra osztották a 2. évre a kezdeti randomizálásnak megfelelően.	
		ETN (1 x 50mg/hét sc) + MTX \rightarrow ETN (1 x 50 mg/hét sc) monoterápia	Kizárva	-		
		PLA + MTX \rightarrow ETN (1 x 50 mg/hét sc) + MTX	Kontroll	268		
		PLA + MTX \rightarrow PLA + MTX	Kontroll			
C-OPERA [197,198]	RA (ACR/EULAR 2010 kritériumok alapján) Tünetek fennállása: \leq 12 hónap Életkor: 20–64 év	CZP + MTX \rightarrow MTX	Első vonalbeli TNF- α gátló	159	52 hét Randomizáció kiinduláskor: 2 csoport Non-reszponderek (DAS28 $>$ 3,2) a 24. hét	52 hét CZP felfüggesztették az 52. hét után, a kettősvak fázist teljesítők MTX
		PLA + MTX \rightarrow MTX	Kontroll	157		

Vizsgálat [hivatkozás]	Betegek	Randomizált karok	A metaanalízisbe bevont karok	N	Kettősvak fázis	Nyílt fázis
	DAS28 We $\geq 3,2$, rossz prognosztikai tényezők: ACCP $\geq 3x$ -a a normál felső határának és RF+ vagy kéz/láb erózió Kizáró ok: korábbi MTX, LEF vagy biológiai DMARD terápia				után nyílt vizsgálatban CZP-t kaptak mindkét karon.	monoterápiával folytatták mindkét karon.
Enbrel ERA [201,202]	RA Betegségtartam ≤ 36 hónap Életkor ≥ 18 év RF pozitív, ≥ 3 erózió a kezeken, csuklókon vagy lábakon, ≥ 10 SJC, ≥ 12 TJC, We ≥ 28 mm/h, CRP ≥ 20 mg/L, reggeli kézmelegség ≥ 45 perc MTX- naïve, korábbi sDMARDs (HCQ, SSZ, LEF), ANA, kísérleti gyógyszerek megengedettek voltak kimosási idővel. Kizáró ok: korábbi IFX, RTX, ETN, ADA, NAT, cytotoxikus ágensekkel terápia.	ETN (2 x 10 mg/hét sc) + PLA per os -> ETN (2 x 10 mg/hét sc) -> ETN (2 x 25 mg/hét sc)	Első vonalbeli TNF- α gátló	415	52 hét Randomizálás kiinduláskor: 3 kar. Fokozatos áttérés nyílt fázisba, a kiindulási fázis átlagos időtartama: 18,4 hónap (tartomány: 13,8–23,6 hónap).	10 év PLA-t felfüggesztették az 52. héten, a randomizált kezelést folytatták a 104. hétig. A 104. héttől minden beteg ETN monoterápiát kapott (beleértve a 2 évet befejezőket és az 1 évnél kiesőket). Három hónap után a hosszútávú kiterjesztés alatt NSAID-k, sDMARD-k és PRD adható/elvonható vagy dózisa módosítható volt.
		ETN (2 x 25 mg/hét sc) + PLA per os -> ETN (2 x 25 mg/hét sc)	Első vonalbeli TNF- α gátló	217		
		PLA sc + MTX per os -> MTX per os -> ETN (2 x 25 mg/hét sc)	Kontroll			
GO-BEFORE [203-205]	RA (ACR 1987 kritériumok alapján) Tünetek fennállása: ≥ 3 hónap Életkor ≥ 18 év Aktív RA ≥ 4 SJC, ≥ 4 TJC, legalább 2 az alábbiak közül (CRP ≥ 15 mg/L vagy We ≥ 28 mm/h vagy reggeli merevség ≥ 30 perc vagy ≥ 1	GOL 100 mg/hó sc + PLA per os (ha korai „menekülő út”: GOL 100 mg/hó + MTX)	Első vonalbeli TNF- α gátló	477	52 hét Randomizáció kiinduláskor: 4 csoport 24 hét után korai „menekülő út”: ha $\leq 20\%$ javulás kiinduláshoz képest a SJC és TJC végpontokon	4 év Ha nem került korai „menekülő út”-ra a 24. héten, akkor PLA + MTX csoport ≥ 1 TJC vagy ≥ 1 SJC -> GOL 50 mg/hó + MTX. A nyílt, hosszútávú kiterjesztés vizsgálatban MTX, kortikoszteroid
		GOL 50 mg/hó sc + MTX per os (ha korai „menekülő út”: GOL 100 mg/hó + MTX)	Első vonalbeli TNF- α gátló			
		GOL 100 mg/hó sc + MTX per os	Első vonalbeli TNF- α gátló			
		PLA sc + MTX per os (ha korai „menekülő út”: GOL 50 mg/hó + MTX)	Kontroll	160		

Vizsgálat [hivatkozás]	Betegek	Randomizált karok	A metaanalízisbe bevont karok	N	Kettősvak fázis	Nyílt fázis
	csont erózió vagy ACCP+ vagy RF+) ≤3 hét per os MTX					módosítható volt, a GOL-t emelheték 50 mg/hó-ra.
IDEA [206]	RA (ACR 1987 kritériumok alapján) Tünetek fennállása: 3–12 hónap Életkor 18–80 év Aktív betegség (DAS44 > 2,4) DMARD-naïve Kizáró ok: bármilyen korábbi sDMARD, kortikoszteroid használat kiindulás előtt 1 hónapon belül	IFX (3 mg/kg) + MTX	Első vonalbeli TNF-α gátló	55	26 hét Randomizálás kiinduláskor: 2 csoport Ha DAS44 > 2,4, célérték kezelés (treat-to-target): MPD 120 mg ia/sc a 6., 14., 22., 38., 50.	52 hét Pragmatikus kiterjesztés protokoll: sDMARD változtatás vagy kiterjesztés, ha DAS > 5,2 és két sDMARD kudarcos volt -> másik biológiai szer; ha DAS44 < 1,6 hat hónapon át -> IFX visszavonás
		MPD (250 mg iv a 2., 6., 14., 22. héten) + MTX	Kontroll	57		
NEO-RACo [207,208]	RA (ACR 1987 kritériumok alapján) Tünetek fennállása ≤ 12 hónap Életkor 18–60 év Nem munkaképtelen tartósan vagy nem nyugdíjas Aktív betegség ≥ 6 SJC és ≥ 6 TJC, és legalább egy az alábbiak közül: reggeli merevség ≥ 45 perc, We ≥ 30 mm/óra, CRP ≥ 20 mg/L DMARD-naïve Kizáró ok: per os glukokortikoid az elmúlt 6 hónapban, ia glukokortikoid az elmúlt 1 hónapban	IFX (3 mg/kg a 4., 6., 10., 18., 16. héten) + nyílt intenzifikált FIN-RACo protokoll (MTX + SSZ + HCQ + PRD) -> előre meghatározott sDMARD-k	Első vonalbeli TNF-α gátló	50	26 hét Kettősvak infúziós indukció hozzáadva a nyílt FIN-RACo protokollhoz. A terápia a remisszióra van megcélözva az egész vizsgálat alatt.	5 év A terápiás stratégia remisszióra van megcélözva. Kötelező váltások, ha az ACR remissziót nem éri el, mindig hármas sDMARD + PRD kombinációval. Ha <ACR50 válasz a 26. hét után egymást követő viziteken, korlátok nélküli terápia adható, beleértve a más TNF-α gátlóra váltást is.
		PLA (4., 6., 10., 18., 16. héten) + nyílt intenzifikált FIN-RACo protokoll (MTX + SSZ + HCQ + PRD) -> előre meghatározott sDMARD-k	Kontroll	49		
PREMIER [211-213]	RA (ACR 1987 kritériumok alapján) Betegségtartam 3 év Életkor ≥ 18 év	ADA (40 mg/2 hetente sc) + MTX	Első vonalbeli TNF-α gátló	542	104 hét Randomizáció kiinduláskor: 3 kar	10 év A 104. héttől mindegyik beteg ADA monoterápiát kapott (40 mg/2 hetente
		ADA (40 mg/2 hetente sc) + PLA	Első vonalbeli TNF-α gátló			

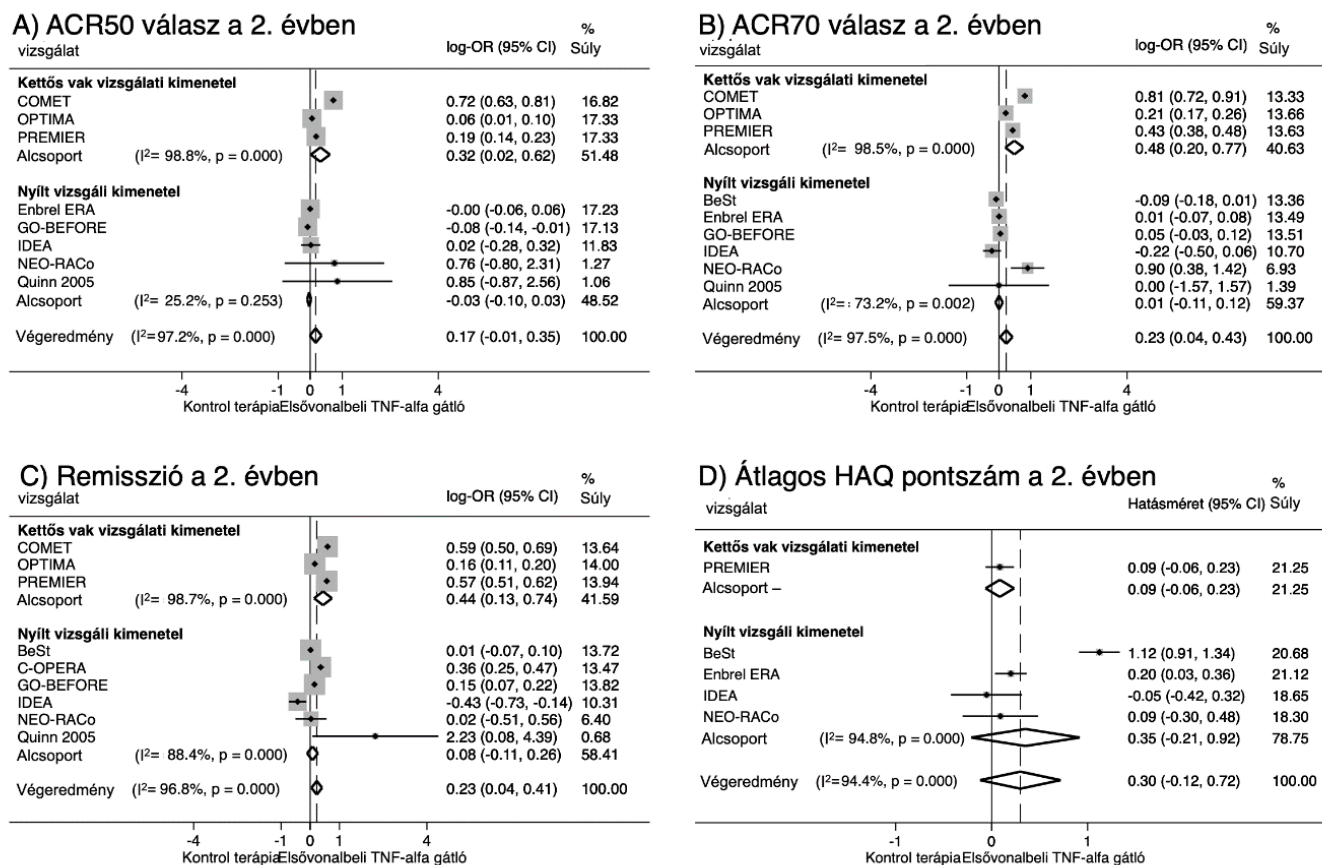
Vizsgálat [hivatkozás]	Betegek	Randomizált karok	A metaanalízisbe bevont karok	N	Kettősvak fázis	Nyílt fázis																								
	<p>≥ 8 SJC ≥ 10 TJC, ESR ≥ 28 mm/óra vagy CRP ≥ 15 mg/L, és vagy RF+ vagy ≥ 1 ízületi erózió Kizáró ok: korábbi MTX, CSA, AZA, CPA, 2 sDMARD</p>	PLA + MTX	Kontroll	257		sc). MTX-t kaphatott hozzá bármikor																								
OPTIMA [209,210]	<p>RA (ACR 1987 kritériumok alapján) Betegségtartam < 1 év Életkor ≥ 18 év Aktív RA Kizáró ok: korábbi TNF-α gátlói, MTX vagy > 2 sDMARD</p>	<table border="1"> <tr> <td rowspan="2">ADA + MTX</td> <td>Ha stabilan alacsony a betegségaktivitás (1:1)</td> <td>-> PLA + MTX (ADA visszavonás, 49.3%)</td> <td>Kizárva</td> <td>-</td> <td rowspan="4">78 hét Periódus 1 (26 hét): 1:1 randomizáció kiinduláskor: 2 csoport (ADA + MTX vs PLA + MTX) Periódus 2 (26–78 hét) – terápia változtatás aBA (DAS28 < 3,2 a 22. és 26. héten) statusztól függően: ADA betegek stabilan aBA, 1:1 randomizáció: ADA visszavonás vs ADA folytatás MTX betegek stabilan aBA, MTX monoterápia folytatása ADA betegek nem aBA -> ADA folytatása MTX betegek nem aBA -> ADA „menekülő út”</td> </tr> <tr> <td></td> <td>-> ADA + MTX (ADA folytatás)</td> <td>Első vonalbeli TNF-α gátló súly: 50.7%</td> <td>261</td> </tr> <tr> <td></td> <td>Ha az alacsony betegségaktivitást nem éri el -> ADA + MTX (ADA folytatása, súlya = 50.7%)</td> <td></td> <td>Első vonalbeli TNF-α gátló</td> <td></td> </tr> <tr> <td rowspan="2">PLA + MTX</td> <td>Ha stabilan alacsony a betegségaktivitás -> PLA + MTX (MTX mono)</td> <td></td> <td>Kontroll</td> <td>517</td> </tr> <tr> <td>Ha az alacsony betegségaktivitást nem éri el -> ADA + MTX (ADA „menekülő út”)</td> <td></td> <td>Kontroll</td> <td></td> </tr> </table>	ADA + MTX	Ha stabilan alacsony a betegségaktivitás (1:1)	-> PLA + MTX (ADA visszavonás, 49.3%)	Kizárva	-	78 hét Periódus 1 (26 hét): 1:1 randomizáció kiinduláskor: 2 csoport (ADA + MTX vs PLA + MTX) Periódus 2 (26–78 hét) – terápia változtatás aBA (DAS28 < 3,2 a 22. és 26. héten) statusztól függően: ADA betegek stabilan aBA, 1:1 randomizáció: ADA visszavonás vs ADA folytatás MTX betegek stabilan aBA, MTX monoterápia folytatása ADA betegek nem aBA -> ADA folytatása MTX betegek nem aBA -> ADA „menekülő út”		-> ADA + MTX (ADA folytatás)	Első vonalbeli TNF-α gátló súly: 50.7%	261		Ha az alacsony betegségaktivitást nem éri el -> ADA + MTX (ADA folytatása, súlya = 50.7%)		Első vonalbeli TNF-α gátló		PLA + MTX	Ha stabilan alacsony a betegségaktivitás -> PLA + MTX (MTX mono)		Kontroll	517	Ha az alacsony betegségaktivitást nem éri el -> ADA + MTX (ADA „menekülő út”)		Kontroll					
ADA + MTX	Ha stabilan alacsony a betegségaktivitás (1:1)	-> PLA + MTX (ADA visszavonás, 49.3%)		Kizárva	-	78 hét Periódus 1 (26 hét): 1:1 randomizáció kiinduláskor: 2 csoport (ADA + MTX vs PLA + MTX) Periódus 2 (26–78 hét) – terápia változtatás aBA (DAS28 < 3,2 a 22. és 26. héten) statusztól függően: ADA betegek stabilan aBA, 1:1 randomizáció: ADA visszavonás vs ADA folytatás MTX betegek stabilan aBA, MTX monoterápia folytatása ADA betegek nem aBA -> ADA folytatása MTX betegek nem aBA -> ADA „menekülő út”																								
		-> ADA + MTX (ADA folytatás)	Első vonalbeli TNF-α gátló súly: 50.7%	261																										
	Ha az alacsony betegségaktivitást nem éri el -> ADA + MTX (ADA folytatása, súlya = 50.7%)		Első vonalbeli TNF-α gátló																											
PLA + MTX	Ha stabilan alacsony a betegségaktivitás -> PLA + MTX (MTX mono)		Kontroll	517																										
	Ha az alacsony betegségaktivitást nem éri el -> ADA + MTX (ADA „menekülő út”)		Kontroll																											
Quinn 2005 [214]	<p>RA (ACR 1987 kritériumok alapján)</p>	IFX (3 mg/kg) + MTX	Első vonalbeli TNF-α gátló	10	54 hét Randomizáció kiinduláskor: 2 csoport	8 év IFX-t felfüggesztették az 54. héten. A non-																								

Vizsgálat [hivatkozás]	Betegek	Randomizált karok	A metaanalízisbe bevont karok	N	Kettősvak fázis	Nyílt fázis
	Tünetek fennállása \geq 12 hónap Nem volt korábban sDMARD vagy per os kortikoszteroid, MCP ízületi érintettség, stabil NSAID \geq 2 héten át a szűrés előtt, rossz prognózis a PISA értékelőrendszer szerint. Kizáró ok: olyan gyulladásos betegség, ami kétségesse teheti a diagnózist, korábbi TNF- α gátló, CPA, nitrogen mustár, chlorambucil vagy más ankiláló ágens.	PLA + MTX	Kontroll	10		reszponderek felépítő (step-up) kombinációs terápiát kaptak (+ SSZ -> + HCQ)

Rövidítések: aBA: alacsony betegségaktivitás, ACCP antibodies against cyclic citrullinated peptides (ciklikus citrullinált peptid ellenes antitestek), ACR American College of Rheumatology (Amerikai Reumatológiai Kollégium), ADA adalimumab, ANA anakinra, AZA azathioprin, CPA cyclophosphamid, CRP C-reaktív protein, CSA cyclosporine A, CZP certolizumab pegol, DAS disease activity score (betegségaktivitás), DAS28 DAS 28 ízületben, DAS44 DAS 44 ízületben, ETN etanercept, EULAR European League Against Rheumatism (Európai Reumaellenes Liga), GOL golimumab, HCQ hydroxychloroquin, ia intra-artikuláris (izületbe adott), IFX infliximab, iv intravénás, LEF leflunomid, MCP metacarpophalangealis (izület), MPD methylprednisolon, MTX metotrexát, NAT natalizumab, NSAID non-steroidal anti-inflammatory drug (nem-szteroid gyulladáscsökkentő), PISA Persistent Inflammatory Symmetrical Arthritis (tartós szimmetrikus ízületi gyulladás), PLA placebo, PRD prednisolon, RA rheumatoid arthritis, RCT randomized controlled trial (randomizált kontrollált vizsgálat), RF rheumatoid faktor, RTX rituximab, sc bőr alá adott (injekció), (s)DMARD synthetic disease-modifying antirheumatic drug (szintetikus betegségmódosító terápia), SJC swollen joint count (duzzadt ízületek száma), SSZ sulfasalazin, TJC tender joint count (nyomásérzékeny ízületek száma), TNF- α gátló tumor nekrosis faktor- α gátló (gyógyszer); We vörösvértest süllyedés.

Forrás: [93] A Springer Nature kiadó engedélyével, az engedély száma: 4918031372528.

7. ábra Randomizált kontrollált vizsgálatok metaanalízise: első vonalbeli TNF- α gátló terápia versus kontroll terápia rheumatoid arthritisben, különböző végpontokra a 2. év végén*



*Azokat a kettősvak randomizált kontrollált vizsgálatokat, amelyek nyíltak voltak a 2. év végén, a nyílt vizsgálatok között vettük figyelembe. Az OPTIMA vizsgálatban közölt 18. havi adatokat a 2. év végén vettük figyelembe kettősvak vizsgálati eredményként.

ACR=American College of Rheumatology (javulási kritérium), CI=konfidencia intervallum, HAQ-DI=Health Assessment Questionnaire Disability Index (fizikai funkcionáltságot mérő index), OR=odds ratio (esélyhányados); SMD=standardised mean difference (az átlagok standardizált különbsége; hatásméret), TNFi=tumor nekrozis faktor- α gátló. Forrás: [93] A Springer Nature kiadó engedélyével, az engedély száma: 4918031372528.

5.1.2 Biohasonló infliximab terápia bevezetésének költségvetési hatása RA-ban, hat KKE országban

A hat közép-kelet-európai országban megközelítőleg 17 300 RA beteg részesült biológiai terápiában 2013-ban [11]. Modell eredményeink alapján a biohasonló infliximab terápia bevezetésével alapesetben első évben 945 241 euró, második évben 4 872 462 euró, harmadik évben 9 612 331 euró, összesen 15 340 034 euró megtakarítás érhető el a hat országban [145]. Ha az originális infliximabról biohasonló infliximabra váltás megengedett (alternatív scenárió), akkor ezek az eredmények (megtakarítások) a következőként módosulnak: 2 394 545, 6 968 620, 11 463 059, illetve 20 826 224 euró [145]. Ha ezeket a megtakarításokat új RA betegek biohasonló infliximabbal történő kezelésére fordítanánk, akkor ezek az összegek az 1., 2. illetve 3. évben (alapesetben) 165, 672, 1205, illetve (alternatív scenárió szerint) 242, 1002, 1790 új RA beteg biohasonló infliximab kezelését tennék lehetővé. A kezdeti biológia terápiával kezelt betegszám és a feltételezett biohasonló infliximab ára bizonyultak jelentős hatásúnak a modellben az érzékenységi elemzés alapján [145].

5.1.3 Megbeszélés

A két ismertett kutatásunk során RA-ban az első vonalbeli terápiaként alkalmazott biológiai gyógyszerek (TNF- α gátlók) hosszú távú hatásosságára vonatkozó bizonyítékokat elemeztük [93], valamint megvizsgáltuk, milyen költségvetési hatással járna az elsőként regisztrált biohasonló TNF- α gátló (CT-P13 infliximab) TB-i támogatásba történő bevezetése RA betegség kezelésére, hat KKE országban [145] és ez hogyan módosítaná a terápiához való hozzájutás lehetőségeit.

Az eredmények jelenkori értékeléséhez fontosnak tartom hangsúlyozni, az ismertett költségvetési hatás kutatást 2014-ben, az első biohasonló gyógyszer megjelenését követő évben publikáltuk, ez volt az első ilyen témájú szakcikk a nemzetközi szakirodalomban [145,215,216]. Ekkor még nagyon intenzív szakmai viták folytak a biohasonló gyógyszerek elfogadhatóságáról, várható előnyeiről és hátrányairól, az originális és a biohasonló közötti váltás lehetőségeiről és kockázatairól, melyre még sem RCT-ből, és értelemszerűen a gyakorlatból sem álltak rendelkezésre klinikai bizonyítékok [217]. A biohasonló gyógyszer pontosan nem ismert, de az originális szer áránál várhatóan jelentősen alacsonyabb ára és ezáltal a szélesebb körű hozzáférés lehetősége általános fő pozitív érv volt a biohasonló gyógyszer mellett. Eredményeink alapján igen jelentős megtakarítás érhető el a biohasonló infliximab bevezetésével (3 év alatt összesen 15,3 millió euró) a vizsgált hat KKE országban együttesen.

(A megtakarítások még jelentősebbek lehetnek, ha az originális – biohasonló váltás megengedett.) Ezek az összegek 1205, illetve 1790 (ha az originális – biohasonló váltás megengedett) új RA beteg biohasonló infliximabbal való kezelésére lennének elegendők, azaz ennyivel bővíthetne a kezelt RA betegszám 3 éves időtávon. Figyelembe véve, hogy 2013-ban megközelítőleg 17 300 RA beteg részesült biológiai gyógyszeres kezelésben a hat KKE országban [11], az 1790 új beteg kb. 10%-os biológiai terápiában részesülő betegszám növekedésre adna lehetőséget [145]. Költségvetési hatás elemzésünk korlátja, hogy a valós terápiás gyakorlathoz képest a modellben egyszerűsítéseket alkalmaztunk, átlagos költségekkel számoltunk, nem vettük figyelembe a társadalmi költségeket (munkából hiányzás költsége), nem számoltunk a gyógyszerárak csökkenésével 3 éves időtávon, és főleg hogy a biohasonló infliximab árát az originális 75%-ának vettük (becslés alapján, a pontos valós gyógyszerár nem volt ismert), amit már akkor is felülbecslésnek valószínűsítettünk és ma is úgy gondolom, hogy erősen az volt. A kutatás mégis kiemelkedően fontos volt a reumatológiai indikációban adható első biohasonló szer megjelenésekor.

A biohasonló gyógyszerekben rejlő társadalmi szintű potenciális lehetőség kezdetektől egyértelműen óriási volt [218,219]. Kérdés volt azonban a klinikusok számára a jelentős megtakarítási lehetőség kellően vonzó lesz-e ahhoz, hogy elfogadják és alkalmazzák a biohasonló gyógyszert a gyakorlatban? A biológiai/biohasonló gyógyszerekkel és áraikkal kapcsolatos akkori gondolkodás pro és kontra érveit jól tükrözi a 2014 végén – 2015 elején, 12 európai ország (Belgium, Egyesült Királyság, Franciaország, Hollandia, Magyarország, Németország, Norvégia, Olaszország, Portugália, Románia, Spanyolország, Svédország) reumatológusai körében végzett keresztmetszeti kérdőíves kutatásunk (melyben a nemzetközi kutatás egyik tervezője voltam, illetve a hazai felmérés vizsgálatvezetőjeként dolgoztam) [220]. Azt vizsgáltuk, hogy a reumatológus szakorvosok milyen szempontokat vesznek elsődlegesen figyelembe a terápiák kiválasztásánál az RA betegek kezelése során. A reumatológusok (N=559, ebből Magyarország N=71, itt sikerült bevonni a legtöbb reumatológus szakorvost) mindegyik országban a hatékonyságot helyezték első helyre a terápia választásnál, amit rögvest második helyen egyértelműen a gazdaságossági szempontok követtek, és a betegek preferenciái a harmadik helyen szerepeltek. (Magyarországon a hatékonyság 46%, a beteg preferenciája 16%, a költséghatékonyság 14%, a gyógyszer költsége 12% és a gyógyszer biztonságossága 12% súllyal vett részt.) Alcsoport elemzés során azt találtuk, hogy magas betegségaktivitás esetén – szemben a közepes betegségaktivitással – a hatékonyság fontossága szignifikánsan nőtt, míg a beteg preferenciájának jelentősége szignifikánsan csökkent [221]. Az eredmények tehát

nyitottságot tükröztek a kedvezőbb árral bíró gyógyszerek irányába a klinikus körében, de egyértelműen igazolták az igényt az egyes alternatívák hatékonyságára vonatkozó erős evidenciákra.

Az első biohasonló gyógyszer regisztrációja óta eltelt 7 évben számos további biohasonló szert (adalimumab, etanercept, infliximab, rituximab hatóanyagokkal) regisztráltak RA és más gyulladásos reumatológiai és nem reumatológiai betegségek kezelésre és a biohasonlók szakirodalma is jelentősen bővült [44]. Piaci részesedésük (országoként jelentős eltérésekkel) megjelenésüktől kezdve azonnal jelentős volt, pl. 2015-ben a biohasonló infliximab a teljes TNF- α gátlók piacának 29%-t tette ki Norvégiában, 32%-t Dániában, 15%-t Lengyelországban [219]. Kutatócsoportunk 2017-ben a biohasonló rituximab (CT-P10) terápia költségvetési hatáselemzését végezte el a 28 EU országra vonatkozóan RA és onkológiai betegségek (non-Hodgkin limfóma, krónikus limfocitás leukémia) terén, ugyancsak 3 éves időtávon [222,223]. Ezzel az egy biohasonló szerrel három éves időtávon (a biohasonló rituximab 30%, 40% illetve 50%-os piaci részesedésével számolva) összesen kb. 570 millió euró megtakarítás érhető el, ami 47 695 új beteg kezelését teszi lehetővé. Ez a 2017-es elemzés is azt vetítette előre, hogy a biohasonlók egymást követő megjelenése jelentősen átrendezi a biológiai gyógyszerek piacát és az általuk elérhető jelentős megtakarítások megteremtik annak a lehetőségét, hogy újragondoljuk a biológiai terápiához jutás feltételeit és gyakorlatát.

A TNF- α gátlók első vonalbeli terápiaként való alkalmazásának bizonyítékait kutatva (2018-ig bezárólag végzett) szisztematikus irodalomkeresésen alapuló metaanalízisünk igazolta, hogy RCT-k alapján az első vonalbeli TNF- α gátló terápiák 2 éves időtávon is hatásosabbak, mint más (nem bDMARD) terápiás stratégiák metotrexát naiv (korai) RA betegségben [93]. Ennél hosszabb távú, jó minőségű (RCT alapú) evidenciák nem állnak rendelkezésre. Célzottan az infliximab (originális és biohasonló) terápia hosszú távú hatásosságára és költséghatékonyságára (2018-ig bezárólag) végzett szisztematikus irodalomkeresésünk és metaanalízisünk [224] során hasonló eredményre jutottunk: a legerősebb végpontokon, úgymint ACR70 válasz és remisszió, 6 hónapos időtávon szignifikánsan jobb eredmény volt elérhető az első vonalbeli infliximab terápiával a kontrollhoz képest RA-ban, 1 éves időtávon pedig az ACR20 és ACR50 végpontokon is szignifikáns volt a különbség az első vonalbeli infliximab javára. A 2. év végén a különbség nem volt szignifikáns és a hosszú távú hatásosság elemzéseket az alkalmazott végpontok rendkívül-rendkívül nagy variabilitása jelentősen korlátozta. A költséghatékonysági kérdésre vonatkozóan mindössze négy költséghatékonysági elemzést találtunk infliximabbal, melyekben 2005-2008-as (tehát a biohasonló infliximab

megjelenése előtti) gyógyszerárakkal számoltak, és olyan elemzés, amely a biohasonló infliximabbal (és annak kedvezőbb gyógyszerárával) történt volna, nem volt fellelhető a szakirodalomban [224].

Összefoglalva, a biohasonló gyógyszerek megjelenése jelentős költségmegtakarítást tett lehetővé, ami javíthatja a hatékony biológiai/biohasonló terápiákhoz való hozzáférést RA (és más betegségek) kezelésében. Ennek egyik lehetséges iránya a több beteg bevonása a jelen feltételrendszer mellett. Másik lehetséges irány a gyógyszerek indikációja és a finanszírozási kritériumok közelítése, beleértve a biológiai/biohasonló szerek első vonalbeli betegségmódosító szerként történő alkalmazását is. Kutatásaink alapján a TNF- α gátlók első vonalbeli adása korai RA kezelésére egy reális opció. Lépéseket kell tenni azonban az RCT-kben közepes és hosszú távon alkalmazott kimenetel mércék harmonizálására, hogy azok széleskörű metaanalízise elvégezhető legyen, valamint aktuális gyógyszerárakkal történő egészséggazdaságtani elemzések is szükségesek.

5.2 Egészséggel összefüggő életminőség: középpontban az EQ-5D

5.2.1 Lakosság egészségi állapota és EQ-5D-3L normaértékei Magyarországon (2010)

Összesen 2281 válaszadó töltötte ki az EQ-5D-3L kérdőív leíró részét az online felmérésben, főbb szocio-demográfiai jellemzőiket a 2. táblázatban foglaltuk össze [146]. Leggyakrabban a Fájdalom/rossz közérzet doménben jeleztek problémát (35% mérsékelt, 2% nagyon erős), a Szorongás/lehangoltság doménben összesen 32%-nak volt mérsékelt vagy erős szorongása vagy lehangoltsága, a többi doménben alacsonyabb százalékban voltak a problémát jelzők (Mozgékonyosság összesen 20%, Szokásos tevékenységek 14%, Önellátás 7%).

2. táblázat A válaszadók főbb demográfiai jellemzői

Jellemzők (N=válaszadók száma)	N	%	Átlag	Szórás
Nem	2281	100%		
nő	1422	62,3%	-	-
férfi	859	37,7%	-	-
Életkor, év	2281	100%	40,8	13,3
18-24	297	13,0%	-	-
25-34	566	24,8%	-	-
35-44	498	21,8%	-	-
45-54	509	22,3%	-	-
55-64	337	14,8%	-	-
65+	74	3,2%	-	-
Lakhely, régió				
Budapest	460	20,2%	-	-
Pest megye	316	13,9%	-	-
Közép-Dunántúl	278	12,2%	-	-
Nyugat-Dunántúl	179	7,8%	-	-
Dél-Dunántúl	221	9,7%	-	-
Észak-Magyarország	265	11,6%	-	-
Észak-Alföld	264	11,6%	-	-
Dél-Alföld	298	13,1%	-	-
Háztartás jövedelme, nettó Ft/év (N=1973)	-	-	2 649 784	1 703 574
A válaszadó jövedelme, nettó Ft/hó (N=1200)	-	-	156 534	467 154
A válaszadó háztartásának havi ekvivalens jövedelme*, nettó Ft/hó (N=1972)	-	-	129 479	91 578
Iskolai végzettség				
Általános iskola	45	2,0%	-	-
Szakiskola	186	8,2%	-	-
Szakközépiskola	485	21,3%	-	-
Gimnázium	331	14,5%	-	-
Főiskola, felsőfokú szakképzés	833	36,5%	-	-
Egyetem	401	17,6%	-	-
Foglalkoztatottság				
Főállásban foglalkoztatott	1315	57,7%	-	-
Részmunkaidőben foglalkoztatott (kevesebb mint 32 óra/hét)	133	5,8%	-	-
Nyugdíjas / rokkantnyugdíjas / munkaképtelen	349	15,3%	-	-
Tanuló	147	6,4%	-	-
Nem dolgozik / munkát keres	213	9,3%	-	-
Háztartásbeli	124	5,4%	-	-

*Az OECD módszertana [225] alapján számított ekvivalens jövedelem, amely 1-es súllyal veszi figyelembe az 1. háztartásban élő első személyt, 0,7-es súllyal minden további felnőttet, és 0,5-ös súllyal a gyermekeket.

Forrás: [146] Creative Commons (CC BY 2.0) nemzetközi licenz alapján. Letölthető: <https://akjournals.com/view/journals/650/156/50/article-p2035.xml>

Az EQ-5D-3L index eredményeket a 3. táblázatban mutatjuk be korcsoportos bontásban, az összehasonlíthatóság miatt 5 és 10 éves korcsoportokban egyaránt. A legfiatalabb korcsoportban kissé alacsonyabb átlagos értéket mértünk (0,902), mint a következő korcsoportban (0,910), de onnan fölfelé az átlagos EQ-5D-3L index csökkenő tendenciát

mutatott az életkorral a nagyobb létszámmal bíró, 10 évenkénti csoportok között. A nőknél rosszabb egészségi állapotot találtunk, mint a férfiaknál.

3. táblázat EQ-5D-3L index értékei nemek szerint öt és tíz éves korcsoportos bontásban

Korcsoport, év	Férfi átlag / szórás / N	Nő átlag / szórás / N	Összesen átlag / szórás / N	A populációs nemi arányok kal súlyozott átlag* / szórás / N	Férfi átlag / szórás / N	Nő átlag / szórás / N	Összesen átlag / szórás / N	A populációs nemi arányok kal súlyozott átlag* / szórás / N
18-24	0,913 0,139 90	0,890 0,158 207	0,897 0,153 297	0,902 0,149 297	0,913 0,139 90	0,890 0,158 207	0,897 0,153 297	0,902 0,149 297
25-29	0,933 0,124 86	0,933 0,124 86	0,897 0,153 297	0,897 0,145 286	0,936 0,125 190	0,883 0,153 376	0,901 0,146 566	0,910 0,142 566
30-34	0,939 0,127 104	0,881 0,151 200	0,897 0,145 286	0,905 0,148 280				
35-39	0,889 0,199 99	0,885 0,156 176	0,905 0,148 280	0,883 0,194 250	0,876 0,199 183	0,854 0,191 315	0,862 0,194 498	0,865 0,195 498
40-44	0,861 0,198 84	0,880 0,191 151	0,883 0,194 250	0,841 0,192 248				
45-49	0,855 0,180 88	0,830 0,189 164	0,841 0,192 248	0,846 0,189 187	0,841 0,196 198	0,786 0,249 311	0,807 0,231 509	0,813 0,226 509
50-54	0,829 0,208 110	0,838 0,198 99	0,846 0,189 187	0,785 0,249 322				
55-59	0,802 0,257 90	0,762 0,266 212	0,785 0,249 322	0,781 0,270 203	0,812 0,234 155	0,782 0,246 182	0,796 0,241 337	0,796 0,241 337
60-64	0,826 0,199 65	0,765 0,279 113	0,781 0,270 203	0,817 0,188 134				
65-74	0,857 0,178 38	0,765 0,181 30	0,816 0,184 68	0,803 0,185 68	0,844 0,218 43	0,766 0,178 31	0,811 0,205 74	0,795 0,197 148
75+	0,742 0,440 5	0,796 - 1	0,751 0,394 6	0,778 0,254 6				

*A populációs nemi arányokat a 2011-es népszámlálás adataiból vettük. Forrás: KSH Népszámlálás 2011 – 3. Országos adatok http://www.ksh.hu/nepszamlalas/tablak_teruleti_00 (Letöltve:2020. Október 30.)

Megjegyzés: Az EQ-5D-3L index értékeket az Egyesült Királyság értékészletével számoltuk ki [77].

Forrás: [146] Creative Commons (CC BY 2.0) nemzetközi licenz alapján

<https://creativecommons.org/licenses/by/2.0/>). Letölthető:

<https://akjournals.com/view/journals/650/156/50/article-p2035.xml>

Többváltozós lineáris regressziós elemzés szerint (4. táblázat) a válaszadók neme, életkora, iskolai végzettsége, a háztartás jövedelme szignifikáns meghatározó tényezőnek bizonyult az EQ-5D-3L index (a válaszadók egészségi állapota) szempontjából. Tehát a férfiak EQ-5D-3L

index értéke szignifikánsan magasabb a nőknél, a felsőfokú végzettségüké a középfokú vagy annál alacsonyabb végzettségükénél, és a jövedelem emelkedésével is nő az EQ-5D-3L index értéke.

4. táblázat A többváltozós lineáris regresszió eredményei (eredményváltozó: EQ-5D-3L index)

Magyarázó változók	Együttható (standard hiba)
Nem (referencia=férfi)	-0,042*** (0,01)
Életkor (év)	-0,003*** (0,00)
Felsőfokú iskolai végzettség (referencia: középfokú, vagy alacsonyabb)	0,047*** (0,01)
Válaszadó háztartásának jövedelme (havi nettó 10 ezer)	0,002*** (0,00)
Konstans	0,961*** (0,02)
Mintaelemszám	1972
F-teszt	$F_{(4,1967)}= 35,12$ $p=0,000$
R^2	$R^2=0,0752$

*** $p<0,01$

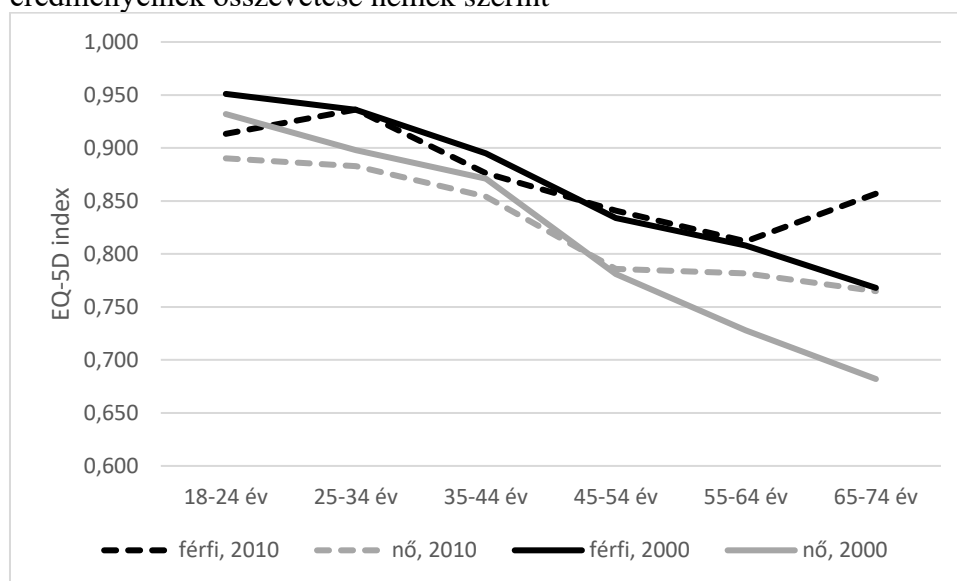
Forrás: [146] Creative Commons (CC BY 2.0) nemzetközi licenz alapján

(<https://creativecommons.org/licenses/by/2.0/>). Letölthető:

<https://akjournals.com/view/journals/650/156/50/article-p2035.xml>

A 2000-ben végzett lakossági felmérés [99] adataival összevetve eredményeinket két csoportban találtunk statisztikailag szignifikáns ($p<0,05$) eltérést: férfiaknál és nőknél egyaránt a 18-24 éves korcsoportban, valamint a nők között az 55-64 éves korcsoportban, mindkettőnél alacsonyabb értéket (rosszabb állapot) mértünk jelen felmérésünkben. (8. ábra)

8. ábra A 2010-es EuroVaQ és a 2000-es lakossági vizsgálat [99] korcsoportos EQ-5D-3L index eredményeinek összevetése nemek szerint



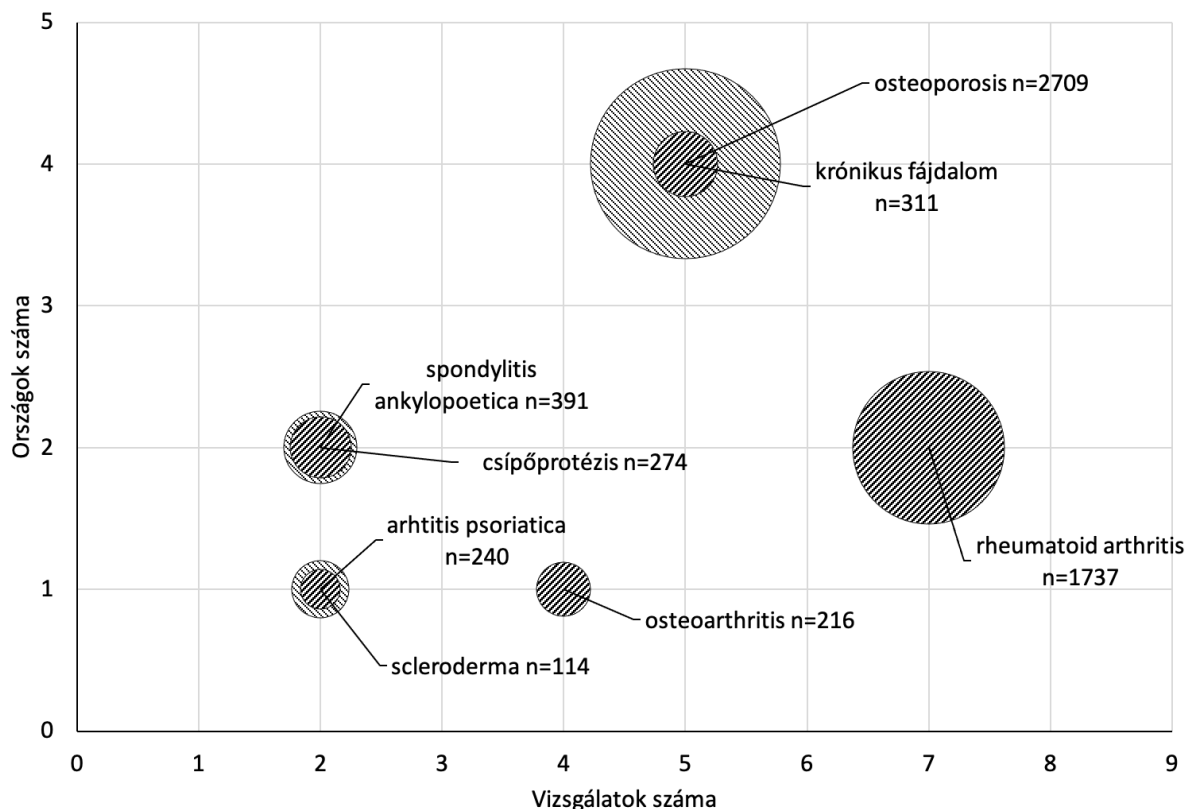
Forrás: [146] Creative Commons (CC BY 2.0) nemzetközi licenz alapján
<https://creativecommons.org/licenses/by/2.0/>. Letölthető:
<https://akjournals.com/view/journals/650/156/50/article-p2035.xml>

Lineáris regressziós eredményeink egybevágóak voltak a magyarázóváltozók (az együtthatók nagysága is előjele) tekintetében a 2000-ben felvett eredményekkel [99].

5.2.2 Mozgásszervi betegségekben a KKE régióban végzett EQ-5D vizsgálatok eredményei

A nyolc országban összesen 143 EQ-5D publikációt azonosítottunk 2015-ig bezárólag, ezek közül 23 (17%) történt A csont-izomrendszer és kötőszövet betegségei (továbbiakban: mozgásszervi betegségek) területén [100]. Kiegészítő keresésünk [148] során további olyan hat közleményt azonosítottunk, amelyek megfeleltek a beválogatási kritériumainknak, így összesen 29 közleményt elemeztünk. Hat esetben nem adtak meg EQ-5D-3L index adatot, ezért a metaanalízist 23 közlemény alapján végeztük. A legtöbb vizsgálat RA-ban történt (N=7, 24%) és Magyarországon végezték (beleértve kutatócsoportunk munkáit is) a legtöbb vizsgálatot (N=18, 62%). (9. ábra)

9. ábra A csont-izomrendszer és kötőszövet betegségeiben végzett vizsgálatok száma és kumulatív minta nagysága diagnózisonként és országonként



Forrás: [148] A kiadó (Springer Nature) engedélyével, engedélyszám: 4907580674808.

A 29 vizsgálat közül 21 vizsgálatban mérték terápiás hatást. Hat RCT történt, mindegyik Magyarországon: OA-ban (4 vizsgálat, betegszám N=319) illetve krónikus fájdalomban (2 vizsgálat) a balneo- vagy iszapterápia hatását vizsgálták (N=5, illetve N=1). Két keresztmetszeti és öt prospektív vizsgálatban a biológiai terápia hatását elemezték RA-ban, SPA-ban illetve AP-ban. A többi vizsgálatban más gyógyszerek, sebészeti beavatkozások, fizioterápia, illetve mágnes kezelés hatását vizsgálták. Az egyes vizsgálatok pontosabb jellemzőit és referenciáit a publikációnkban részletesen közöltük [148]. Mindössze egy vizsgálatban használták az EQ-5D-5L verziót, illetve 12 közleményben nem specifikálták, melyik verziót használták. (Nota bene: az EQ-5D-5L megjelenése előtt az EQ-5D-3L kérdőív EQ-5D néven szerepelt hivatalosan is.) Huszonnégy közleményben adtak meg EQ-5D index értéket, ezeket többségében (N=11) az Egyesült Királyság értékkészletével számolták ki, egy vizsgálatban Szlovénia értékkészletét, egy másikban az Európai értékkészletet alkalmazták, a többi vizsgálatban (N=11) nem jelölték meg, melyik értékkészletet használták.

A metaanalízisbe összesen 6876 beteg megfigyelést (mérést) vontunk be az előre meghatározott kritériumaink alapján. Összesen hét diagnózisban, 42 különböző betegcsoportot alakítottunk ki és 25 betegség állapotba soroltuk őket a metaanalízis során. Az EQ-5D-3L index eredményeket alcsoportok szerint az 5. táblázatban mutatjuk be.

5. táblázat EQ-5D-3L index eredmények alcsoportok szerint

Diagnózis	Betegség állapot	Első szerző, dátum [hiv.]	Torzítás esélye	N	EQ-5D index	95CI	Kombinált eredmények		
							N	EQ-5D index	95CI
SPA	Biológiai terápia	Mlcoch 2016 [226]	Magas (nyílt vizsgálat)	230	0,73	0,71-0,75			
	Hagyományos terápia	Kawalec 2015 [227]	na	78	0,51	0,47-0,55	161	0,59	0,44-0,73
Mlcoch 2016 [226]		Magas (nyílt vizsgálat)	83	0,66	0,62-0,70 ^f				
Krónikus fájdalom	Vállfájdalom, kiinduláskor	Tefner 2015 ^{a,i} [228]	Alacsony (kiindulási értékek)	46	0,52	0,46-0,58			
	Derékfájdalom, kiinduláskor	Tefner 2012 ^{a,i} [229]	Alacsony (kiindulási értékek)	57	0,52	0,46-0,58			
Osteoarthrosis (OA)	Kéz OA kiinduláskor	Kovács 2012 ^{a,i} [230]	Alacsony (kiindulási értékek)	45	0,48	0,42-0,54			
	Térd OA kiinduláskor	Kulisch 2014 ^{a,i} [231]	Alacsony (kiindulási értékek)	77	0,61	0,56-0,66	130	0,57	0,48-0,65
		Tefner 2013 ^{a,i} [232]	Alacsony (kiindulási értékek)	53	0,52	0,47-0,57			
	Csípő OA kiinduláskor	Kovács 2016 ^{a,i} [233]	Alacsony (kiindulási értékek)	41	0,48	0,41-0,55			
Osteoporosis (OP)	Kiinduláskor (40% törött)	Péntek 2003 ⁱ [234]	Alacsony (kiindulási értékek)	45	0,65	0,58-0,72			
	Nincs törés	Borgström 2013 ^a [235]	na	450	0,78	0,76-0,80	538	0,78	0,76-0,79
		Vokó 2013 [236]	na	88	0,77	0,74-0,80 ^c			
	Felső végtag törés (≤ 2 hónap)	Borgström 2013 [235]	na	113	0,49	0,44-0,54	255	0,58	0,40-0,76
		Vokó 2013 ^a [236]	na	142	0,67	0,61-0,73 ^c			
	Felső végtag törés után (≥ 4 hónap)	Borgström 2013 [235]	na	113	0,76	0,72-0,81	263	0,71	0,61-0,81
		Vokó 2013 ^a [236]	na	150	0,66	0,61-0,71 ^c			
	Csigolyatörés (≤ 2 hónap)	Borgström 2013 [235]	na	71	0,37	0,30-0,45	297	0,50	0,25-0,74
		Vokó 2013 ^a [236]	na	226	0,62	0,57-0,67 ^c			
	Csigolyatörés után (≥ 4 hónap)	Borgström 2013 [235]	na	71	0,67	0,60-0,74			
Csípőtörés (≤ 2 hónap)	Borgström 2013 [235]	na	266	0,19	0,16-0,22	346	0,40	-0,02-0,82	
	Vokó 2013 ^a [236]	na	80	0,62	0,53-0,71 ^c				

Diagnózis	Betegség állapot	Első szerző, dátum [hiv.]	Torzítás esélye	N	EQ-5D index	95CI	Kombinált eredmények		
							N	EQ-5D index	95CI
	Csípőtörés után (≥ 4 hónap)	Borgström 2013 [235]	na	266	0,65	0,61-0,68	347	0,66	0,63-0,68
		Vokó 2013 [236]	na	81	0,66	0,63-0,69 ^c			
	Férfiak, major csonttörés, műtét előtt	Dimitrov 2015 ⁱ [237]	Alacsony (kiindulási értékek)	24	-0,28	-0,38-0,18			
	Férfiak, major csonttörés után (≥ 6 hónap)	Dimitrov 2015 ⁱ [237]	Magas (nyílt kohorsz)	24	0,73	0,65-0,81			
Arthritis psoriatica	Biológiai terápia	Rencz 2014 [238]	Magas (nyílt vizsgálat)	27	0,49	0,34-0,64			
	Nem kapszisztémás kezelést	Rencz 2014 [238]	Magas (nyílt vizsgálat)	12	0,57	0,34-0,80			
	Hagyományos szisztémás kezelés	Brodsky 2010 ^h [239]	na	177	0,50	0,46-0,54	195	0,47	0,39-0,56
	Rencz 2014 [238]	Magas (nyílt vizsgálat)	18	0,40	0,26-0,54				
Rheumatoid arthritis (RA)	Biológiai terápia (≥ 3 hónap)	Horák 2013 ^{b,i} [240]	Magas (nyílt vizsgálat)	316	0,68	0,65-0,71 ^e	2124	0,66	0,63-0,69
		Inotai 2012 [241]	Magas (nyílt vizsgálat)	85	0,61	0,56-0,66			
		Péntek 2014 [139]	Magas (nyílt vizsgálat)	77	0,63	0,56-0,66			
		Závada 2014 ^b [242]	Magas (nyílt vizsgálat)	1646	0,69	0,67-0,71 ^d			
	Nem biológiai terápia	Inotai 2012 [241]	Magas (nyílt vizsgálat)	168	0,48	0,43-0,53	1490	0,38	0,23-0,53
		Mészáros-Vincze 2003 ⁱ [243]	na	81	0,43	0,36-0,50 ^g			
		Péntek 2008 [244]	na	255	0,46	0,42-0,50			
		Péntek 2014 [139]	Magas (nyílt vizsgálat)	92	0,36	0,29-0,43			
		Szűcs 2016 ⁱ [245]	Magas (nyílt vizsgálat)	71	0,38	0,30-0,46			
		Závada 2014 [242]	Magas (nyílt vizsgálat)	823	0,16	0,14-0,18 ^d			
Scleroderma	Szisztémás sclerosis	Minier 2010 ^a [246]	na	80	0,58	0,52-0,64	102	0,62	0,55-0,69
		Péntek 2015 ^h [247]	na	22	0,65	0,60-0,70			
	Lokalizált szkleroderma	Péntek 2015 ^h [247]	na	6	0,64	0,44-0,84			

na=nem alkalmazható (nem volt beavatkozás), 95CI=95% konfidencia intervallum, N EQ-5D index megfigyelések száma, a Alcsoportokból kombinált adat, b Ismételt mérések, c Interkvatrilis értéktartományból becsülve, d Értéktartományból becsülve, e Imputálva: Péntek et al. 2014 [139], f Imputálva: Kawalec et al. 2015 [227], g Imputálva: Péntek et al. 2014 [139], h A minta nagyságát korrigáltuk a hiányzó EQ-5D értékekre, i Nem közölték az értékkészletet

Forrás: [148] A kiadó (Springer Nature) engedélyével, engedélyszám: 4907580674808.

Szakirodalmi elemzésünk során talált módszertani és adatközlési hiányosságok alapján megfogalmaztunk néhány javaslatot, melyeket a 6. táblázatban foglaltuk össze.

6. táblázat Javaslatok az EQ-5D eredmények közlésére

- Adja meg a kérdőív kitöltésének módját és a válaszarányt
- Adja meg, melyik kérdőív változatot használta (EQ-5D-3L, EQ-5D-5L vagy EQ-5D-Y).
- Adja meg, hogy melyik hasznosság értékkészletet használta (ország, évszám, módszer – időalku, VAS, diszkrét választás módszere, hybrid).
- EQ-5D-3L vizsgálatok esetén adja meg, ha hozzáférhető, az index értéket a helyi és az Egyesült Királyság értékkészletével egyaránt a nemzetközi összehasonlíthatóság érdekében.
- A kevés, de várhatóan gyorsan növekvő számú EQ-5D-5L adatokra tekintettel javasolt az EQ-5D-5L index érték megadása (hasznosság értékek) olyan értékkészlet alkalmazásával, amit leginkább használnak az általános lakosságban és a releváns betegség-csoportokban, illetve amennyiben elérhető, a helyi értékkészlettel is.
- Adja meg az EQ-5D index értékek variancia értékeit.
- Adja meg az EQ VAS eredményeket és a leíró rész (egészség profil) eredményeket is az index érték mellett

Forrás: [148] A kiadó (Springer Nature) engedélyével, engedélyszám: 4907580674808.

5.2.3 Megbeszélés

Kutatásaink során hazai online lakossági mintán vizsgáltuk a felnőtt lakosság egészségi állapotát EQ-5D-3L kérdőívvel és összehasonlítottuk a 10 évvel korábban végzett felmérés eredményeivel, valamint szisztematikus irodalmi áttekintést végeztünk mozgásszervi betegségekben folytatott EQ-5D felmérésekre a KKE régió nyolc országára vonatkozóan és elvégeztük azok metaanalízisét.

2010-ben végzett lakossági felmérésünk ismereteink szerint a második jelentős lakossági EQ-5D-3L vizsgálat volt Magyarországon. Eredményeink egybevágoók a hazai és nemzetközi szakirodalommal [14]: átlagosan az egészségi állapot az életkorral rosszabbodik, a nők egészségi állapota rosszabb a férfiakénál, a magasabb iskolai végzettségűek, illetve a magasabb jövedelmű emberek egészségi állapota jobb. Vizsgálatunkban hasonló átlagos EQ-5D-3L index értékeket kaptunk, mint Szende és Németh 2000-ben végzett felmérésében [99], a 18-24 éves korcsoportban talált szignifikáns eltérést részben módszertani eltérések is magyarázhatják. Egyik fontos különbség, hogy jelen felmérésünkben a toborzás és a kérdőíves adatfelvétel online zajlott, ami szelekciós torzításhoz vezethet még akkor is, ha az előre meghatározott demográfiai kvóták többségében teljesültek. A női nem kissé felülreprezentált (62% vs. 58%), az idősebb (65+ éves) korosztály pedig kissé alulreprezentált (3% vs. 21%) volt a 2011-es népszámlálási adatokhoz képest, így eredményeink elsősorban a 65 év alatti korcsoportokban tekinthetők érvényesnek. Az internetet használók vélhetően sok más tekintetben is különböznek

az online nem elérhető lakosságtól, egyes társadalmi csoportok pedig kimaradnak a vizsgálatokból (pl. intézetben élők, súlyos állapotú betegek, hajléktalanok). Úgy gondolom, ez a kutatás a korlátai ellenére fontos volt 2010-ben. Szisztematikus szakirodalmi áttekintésünk alapján [100] 2015-ig bezárólag lakossági EQ-5D-3L normaérték a KKE régió nyolc országából mindössze három országban (Magyarország [99], Lengyelország [248-250] és Szlovénia [251]) volt elérhető (és egy városi adat Bulgáriában [252]). Ismételt lakossági felmérés nem volt fellelhető, kutatásunk e tekintetben is első volt a régióban. A kérdőíves vizsgálatok az online felmérések irányába tolódnak el, így felmérésünknek köszönhetően Magyarországon, elsőként a KKE régióban, már 2010-ből rendelkezésre állnak az első online lakossági EQ-5D-3L adatok. Kutatócsoportunk 2019-ben végzett ismét jelentős mintaelemszámú felmérést reprezentatív lakossági mintán az EQ-5D-3L kérdőívvel (5.3.3 alfejezet, 11. táblázat, [113]), ahol (szintén az Egyesült Királyság értékkészletét alkalmazva) kissé magasabb átlagos EQ-5D-3L index értékeket találtunk (az átlagok különbségei korcsoportonként 18-24 év: 0,021; 25-34 év: 0,047; 35-44 év: 0,063; 45-54 év: 0,112; 55-64 év: 0,060) a nem online mintában.

A lakosság egészségi állapot eredményekből kiemelendő a Szorongás/lehangoltság doménben problémát jelzők magas aránya: a 2000-es hazai felmérésben 35%, a 2010-es mintánkban pedig 31% volt, azaz megközelítőleg minden harmadik ember mérsékelt vagy nagyon erős szorongással/lehangoltsággal él [99,146]. Ezzel szemben például a Dániában, Finnországban, Franciaországban, illetve Németországban 4%-16% közötti értékeket mértek, és az EuroQol által vizsgált 18 országban Svédországban (26%) és Thaiföldön (47%) volt még 25% feletti a problémát jelzők aránya a Szorongás/lehangoltság doménben [14]. A régióinkban Szlovéniában (36,4%) [14] és Lengyelországban (33,4%) [250] is hasonlóan sokan jeleztek problémát a Szorongás/lehangoltság doménben, ezért gyanítható egy, a KKE-re talán jellemző regionális hasonlóság, melynek okai nem tisztázottak, további kutatást érdemelnek.

A három KKE ország eredményei közötti hasonlóságokat látva kutatócsoportunk összehasonlító elemzést végzett a magyar, szlovén és lengyel lakossági felmérések EQ-5D-3L adatbázisainak egyesítésével, a kutatás részleteit publikáltuk [147], terjedelmi okokból csak röviden ismertetem. A kutatás során a három ország adatain alapuló, regionális EQ-5D-3L lakossági normaérték kialakítási lehetőségeit kívántuk felmérni és megvizsgálni, hogy a hasznosság értékkészletek közötti választás hogyan befolyásolja az eredményeket. Összesen 8850 egyén adatait elemeztük (Magyarország 1924 fő EQ VAS és 2281 fő EQ-5D-3L index eredménnyel [146], Lengyelország 3937 fő [250] és Szlovénia 708 fő [253] teljes EQ-5D-3L

eredménnyel). Az EQ-5D-3L indexet a KKE régióban leginkább használatos [100], négy féle értékkészlettel számoltuk ki (az Egyesült Királyság [77] és Lengyelország [254] idő-alku módszeren alapuló értékkészletével; Szlovénia [253] és az EuroQol Group Európai [255] VAS módszeren alapuló értékkészletével) és hasonlítottuk össze a három ország eredményeit. Szignifikáns különbséget találtunk az EQ-5D-3L index eredményekben a három ország között a demográfiai változókra történt kontrollálás után is. Bár az eltérő mintavételi módszer, vizsgálati időpontok és a kérdőíves felmérés módja (Szlovénia 2000-ben postai úton küldött kérdőív, Magyarország 2010-ben online, Lengyelország 2014-ben személyes interjú) miatt összehasonlító elemzésünk korlátokkal bír, eredményeink alapján az iskolázottságnak jelentős, de országonként eltérő hatása van az EQ-5D-3L index eredményre a három KEE országban. Ezért a vizsgálati csoportok és lakossági EQ-5D-3L index eredmények összehasonlítása esetén az életkor és a nem mellett az iskolázottságot is javasolt figyelembe venni. Ennek megfelelően a regionális normaérték kialakításánál az adatokat kalibráltuk életkorra, nemre és iskolázottságra is. Az így kapott regionális normaértékek a lengyel értékkészlettel voltak a legmagasabbak és a szlovén értékkészlettel a legalacsonyabbak mindkét nemnél és mindegyik korcsoportban [147].

A hasznosság értékkészlet választás jelentőségét igazoltuk 18 krónikus betegségben is [256]. Eredményeink alapján önmagában az értékkészlet választás akár 0,2 különbséget is generálhat pl. egy hazai az RA minta átlagos EQ-5D-3L index eredményében, ami öt éves időtávon már 1 QALY (!) különbségnek felel meg. Ezért többszörös vizsgálatokban, még ha rendelkezésre is áll országspecifikus értékkészlet, javasolt egy kiválasztott értékkészlettel is közölni az eredményeket. Továbbá javasolt a betegség altípusok és/vagy súlyossági stádiumok szerint is megadni az eredményeket, ami a metaanalízishez is elengedhetetlen. (5. táblázat) Emiatt alkalmaztuk mi magunk is 2015-ben SM-ben végzett, 16 európai országra kiterjedő vizsgálat keretében végzett, jelentős betegszámú hazai (N=521) felmérésünkben az Egyesült Királyság értékkészletét és súlyosság stádiumonkénti értékeket [257]. Ezáltal eredményeink összevethetők maradtak a többi 15 országgal [258], egy korábbi SM tanulmányunkkal [259], más betegségekben végzett EQ-5D-3L hazai felmérésekkel [100,247,256,257,260,261] és lakossági normaértékekkel [99]. A betegség stádiumok szerinti elemzés (és adatközlés) progresszív betegségekben alapvető [257] és lehetővé teszi, hogy betegség-specifikus mércék validitásának vizsgálatához használjuk az EQ-5D adatokat [262].

Csont-, izomrendszeri és kötőszöveti betegségekben végzett szisztematikus szakirodalmi áttekintésünk és metaanalízisünk [148] alapján egyértelmű, hogy a KKE régióban jelentősek az

országok közötti különbségek az EQ-5D kimenetel mérce használat elterjedtségére vonatkozóan. Számos reumatológiai betegségben sajnos egyáltalán nem találtunk EQ-5D kimenetelt magába foglaló tanulmányt (pl. nyaki fájdalom, szisztémás lupus erythematosus, köszvény, scoliosis, JIA, osteonecrosis). Sajnálatosan kevés esetben történt meg az eredmények összehasonlítása lakossági normaértékekkel. Sok a javítani való az alkalmazott módszertanok és eredmények közzéadási módjában is, ami nem csak a kutatók, de a közlemények fölött végső döntést meghozó folyóiratszerkesztők felelőssége is. Reményeink szerint a megfogalmazott specifikus javaslataink praktikus eszközként használhatók a publikációk minőségének javításához és standardizálásához [148]. Metaanalízis eredményeink jó minőségű becsléshez használhatók azokban az országokban, ahol nem állnak rendelkezésre mért adatok.

Az elmúlt 10 évben rendkívüli fejlesztések történtek az EQ-5D mércék terén [12], ezekre ki kell térjek ahhoz, hogy reális perspektívába helyezzem a fent ismertetett kutatásaink jelenkori értékelését és hatását az azóta végzett, illetve folyamatban levő kutatásainkra. Az EuroQol Group 2011-ben kifejlesztette az 5 válaszlehetőséggel („5 levels”, 5L) bíró EQ-5D változatot, az EQ-5D-5L-t [79]. Nagy ütemben folynak a kutatások egyrészt az új mérce validitásának és megbízhatóságának elemzésére, a két mérce közötti átjárhatóságra, valamint standardizált módon történő országspecifikus hasznosság értékkészletek kialakítására vonatkozóan [263]. Bár az elmúlt 30 évben hatalmas adatkincs gyűlt össze az EQ-5D-3L verzióval, az EQ-5D-5L mellett szól, hogy egyértelműen jobb mérési tulajdonsággal bír, amit munkacsoportunk kutatásai pikkelysömör betegségben is alátámasztottak [264,265]. Kutatócsoportunk is intenzíven foglalkozik az EQ-5D-5L mércével, két jelentős területen már komoly előrelépést értünk el. Egyrészt az utóbbi években végzett lakossági felméréseinkben már az EQ-5D-5L változatot alkalmaztuk (lásd lentebb 4.3, 4.4, 4.6 alfejezetek), így több mint 5000 fő bevonásával hazai online mintán [152,155,161,266], 3000 fő bevonásával pedig számítógéppel segített interjúk keretében [78,149] felvett EQ-5D-5L adatállományt hozunk létre, melyek összehasonlító elemzésével, a toborzás és az adatfelvétel módját is figyelembe vevő, EQ-5D-5L hazai lakossági normaértékek kialakítása a célunk. Másik fontos új eredmény, hogy munkacsoportunk (a KKE régióban Lengyelország után másodikként) kifejlesztette az EQ-5D-3L és EQ-5D-5L hazai hasznosság értékkészletet, 1000 fős hazai lakossági minta bevonásával, komputerrel segített interjúk segítségével [78]. A hazai értékkészlet értéktartománya (EQ-5D-3L: -0,865 – 1, EQ-5D-5L: -0,848 – 1) jelentősen eltér a korábbiakban használt Egyesült Királyság (EQ-5D-3L: -0,594 – 1) [77] és Anglia (EQ-5D-5L: -0,285 – 1) [176] értékkészletétől. Mozgásszervi szempontból különösen fontos, hogy a hazai értékkészletben a

„Mozgékonyosság” domén bír legnagyobb súllyal (és nem a „Fájdalom/rossz közérzet” domén), azaz a mozgékonyosság (járás) terén jelentkező problémák okoznak legnagyobb életminőség csökkenést [78]. Kutatásunknak nemzetközi szinten is jelentős újdonsága, hogy Európában elsőként végeztük parallel vizsgálat keretében (tehát azonos válaszadói mintán) a EQ-5D-3L és EQ-5D-5L változatok lakossági hasznosság értékkészletét, ami közvetlen összehasonlító elemzésekre ad lehetőséget [78].

A jövő egyik jelentős kutatási iránya véleményem szerint az értékkészletek és lakossági normaértékek országok közötti transzferálhatóságának (adatok átvételének) vizsgálata [147]. További fontos kutatási irány a különböző mintavételek és kérdezési módok (online, papíralapú önkitöltős, számítógéppel segített interjú) közötti átjárhatóság elemzése. A régióinkban elsősorban egy-egy kutatócsoporthoz köthetők a fellelhető EQ-5D eredmények, költséges és népegészségügyi szempontból is fontos betegségekben egyáltalán nem vagy alig van adat [100,148,169,170]. Regionális stratégiák és együttműködések kialakítása kívánatos lenne a hatékony és költséghatékony, szisztematikus haladáshoz az EQ-5D kimenetel mérés terén, hogy legalább azokon a területeken, ahol a költséges új egészségügyi technológiák, gyógyszerek fejlesztése várható vagy már látható, legyen megfelelő minőségű EQ-5D alapadat a klinikai és egészséggazdaságtani értékeléshez. Fontos lenne erősíteni az együttműködést és harmonizálni az egészség-kimenetel méréseket a különböző szakmák között is. Jelenleg a mércék használatának összehangolása gyakorlatilag nem, vagy alig történik meg. A klinikai és gyógyszerfejlesztési vizsgálatokban, az egészséggazdaságtani elemzésekben a PROM-k, a preferencia-alapú mércék (pl. EQ-5D) használatát kívánják meg [267], az Eurostat által kordinált lakossági egészség felmérésekben [73] azonban más, a klinikum és az egészségügyi közgazdaságtan szempontjából nem, vagy kevésbé használható kimeneteleket alkalmaznak (pl. MEHM). Az utóbbi években végzett kutatásainkban az Eurostat által használt egészségmércéket (MEHM) is szisztematikusán felvettük, így terveink szerint egyre bővülő adatbázis áll majd rendelkezésre az országos statisztikákban használt kategóriák, valamint a klinikai és egészséggazdaságtani elemzésekben alkalmazott kimenetelek közötti átjárhatóság elemzésére és az adatok összehasonlítására.

Összefoglalva, kutatásunk során létrehozott EQ-5D-3L magyarországi és KKE regionális lakossági normaértékek képet adnak a lakosság egészségi állapotáról és referenciaértékként használhatók betegség-specifikus kutatásokban. Hét mozgásszervi betegségben kialakított, metaanalízisen alapuló regionális EQ-5D-3L index adatok összehasonlítási alapként alkalmazhatók, illetve adathiány esetén közelítő becslésre adnak lehetőséget klinikai és

egészséggazdaságtani vizsgálatokban. A KKE régióban rendelkezésre álló értékkészletek közötti eltérések jelentős különbségekhez vezetnek lakossági és betegségfelmérésekben. A régióban, Lengyelország után másodikként, már Magyarországon is rendelkezésre áll országspecifikus EQ-5D-3L és EQ-5D-5L értékkészlet és jelentős számú lakossági referencia adatok a korszerűbb EQ-5D-5L kérdőívvel.

5.3 A jóllét új megközelítése: a képességszemlélet-alapú jóllét mérése (ICECAP)

5.3.1 A minta jellemzői és az ICECAP-A és ICECAP-O lakossági normaértékei

Összesen 2023 fő (nők: 50,1%) vett részt a kérdőíves felmérésben, átlagos (SD) életkoruk 48,7 (17,9) év volt [113,149]. Az EQ-5D-5L index (N=2020) és EQ VAS (N=2023) átlagos (SD) értéke 0,92 (0,15), illetve 81,6 (17,4) volt; a boldogság VAS (N=2021) és az élettél való elégedettség VAS (N=2022) 7,6 (2,0), illetve 7,5 (2,0) volt. Az átlagos WHO-5 (N=2023) és SWLS (N=2023) érték 72,0 (18,0), illetve 24,6 (6,2) volt. Két válaszadó nem töltötte ki teljesen az ICECAP-A kérdőívet, ezért az ICECAP mércékre vonatkozó elemzéseinket 2021 fős mintán végeztük [113,149]. A minta főbb jellemzőit a 7. táblázatban mutatjuk be. Az ICECAP-A és ICECAP-O kérdőívekre adott válaszok gyakoriságát a 8. táblázatban mutatjuk be. A leggyakoribb válasz a legjobb állapotra utaló válasz (számjele: 4) volt az ICECAP-A kérdőív mind az öt tétele esetén (43,4% és 59,4% között) a 18-64 éves korcsoportban. Ezzel szemben az ICECAP-O esetén a második legjobb állapotra utaló válasz (számjele: 3) volt a leggyakoribb (45,9%-58,5% között) a 65 éves és idősebb korosztályban.

7. táblázat A minta jellemzői valamint az ICECAP-A és ICECAP-O mércék lakossági normaértékei szocio-demográfiai alcsoportok szerint

Változók	18-64 éves korcsoport			65- éves korcsoport		
	N	%	ICECAP-A index, Átlag (SD)	N	%	ICECAP-O index, Átlag (SD)
Teljes minta	1568		0,89 (0,13)	453		0,83 (0,15)
Nem			p=0,4673			p=0,8391
Nő	787	50,2%	0,89 (0,13)	226	49,9%	0,83 (0,14)
Férfi	781	49,8%	0,90 (0,13)	227	50,1%	0,83 (0,16)
Korcsoport, év			p=0,0000			p=0,0000
18-24	208	13,3%	0,92 (0,10)	-	-	-
25-34	308	19,6%	0,92 (0,10)	-	-	-
35-44	386	24,6%	0,89 (0,13)	-	-	-
45-54	332	21,2%	0,91 (0,11)	-	-	-
55-64	334	21,3%	0,84 (0,15)	-	-	-
65-74	-	-	-	267	58,9%	0,85 (0,13)
75-84	-	-	-	145	32,0%	0,81 (0,16)
85+	-	-	-	41	9,1%	0,72 (0,18)
Iskolai végzettség*			p=0,0000			p=0,0025
Alapfokú	576	36,7%	0,87 (0,15)	268	59,2%	0,81 (0,16)
Középfokú	662	42,2%	0,91 (0,11)	106	23,4%	0,86 (0,11)
Felsőfokú	330	21,0%	0,92 (0,09)	79	17,4%	0,86 (0,15)
Foglalkoztatottság**			p=0,0000			p=0,0682
Teljes munkaidőben dolgozik/egyéni vállalkozó	1197	52,8%	0,92 (0,10)	14	3,1%	0,89 (0,14)
Részmunkaidőben dolgozik	42	1,9%	0,80 (0,18)	4	0,9%	0,92 (0,06)
Nyugdíjas	84	3,7%	0,84 (0,14)	429	94,7%	0,83 (0,15)
Rokkantsnyugdíjas	48	2,1%	0,66 (0,21)	6	1,3%	0,73 (0,19)
Nappali tagozatos tanuló/egyetemi hallgató	776	34,2%	0,92 (0,10)	-	-	-
Munkanélküli (munkát keres)	53	2,3%	0,79 (0,18)	-	-	-
Munkanélküli (nem keres munkát)	12	0,5%	0,82 (0,13)	-	-	-
Háztartásbeli	25	1,1%	0,93 (0,12)	-	-	-
Egyéb	31	1,4%	0,87 (0,17)	-	-	-
Fizetett állásban van			p=0,0000			p=0,0151
Nem	312	19,9%	0,83 (0,17)	422	93,2%	0,82 (0,15)
Igen	1256	80,1%	0,91 (0,11)	31	6,8%	0,89 (0,12)
Lakóhely			p=0,4265			p=0,9968
Budapest	309	19,7%	0,90 (0,09)	90	19,9%	0,83 (0,11)
Egyéb város	811	51,7%	0,89 (0,13)	249	55,0%	0,83 (0,16)
Falu, község	448	28,6%	0,89 (0,13)	114	25,2%	0,83 (0,16)
Családi állapot			p=0,0000			p=0,0000
Házas	714	45,5%	0,90 (0,11)	224	49,4%	0,86 (0,11)
Élettársi kapcsolatban él	292	18,6%	0,91 (0,13)	8	1,8%	0,86 (0,14)
Nőtlen / hajadon	378	24,1%	0,89 (0,14)	9	2,0%	0,77 (0,31)

Változók	18-64 éves korcsoport			65- éves korcsoport		
	N	%	ICECAP-A index, Átlag (SD)	N	%	ICECAP-O index, Átlag (SD)
Özvegy	42	2,7%	0,80 (0,19)	165	36,4%	0,80 (0,17)
Elvált	139	8,9%	0,86 (0,15)	46	10,2%	0,80 (0,17)
Egyéb	3	0,2%	0,90 (0,01)	1	0,2%	0,27 (0,00)
Házass/élettársi kapcsolatban él			p=0,0000			p=0,0000
Nem	562	35,8%	0,88 (0,15)	221	48,8%	0,80 (0,18)
Igen	1006	64,2%	0,90 (0,11)	232	51,2%	0,86 (0,11)
Valakivel (valakikkel) egy háztartásban él			p=0,0003			p=0,0333
Nem	201	12,8%	0,86 (0,16)	170	37,5%	0,81 (0,17)
Igen	1367	87,2%	0,90 (0,12)	283	62,5%	0,84 (0,13)
Egy főre jutó nettó havi jövedelem a háztartásban (kvintilis)			p=0,0000			p=0,0012
1.kvintilis (legalacsonyabb)	211	20,5%	0,82 (0,18)	60	19,2%	0,76 (0,20)
2.kvintilis	250	24,2%	0,89 (0,12)	77	24,7%	0,85 (0,11)
3.kvintilis	206	20,0%	0,90 (0,11)	106	34,0%	0,82 (0,16)
4.kvintilis	183	17,7%	0,91 (0,10)	49	15,7%	0,87 (0,10)
5.kvintilis (legmagasabb)	181	17,6%	0,93 (0,09)	20	6,4%	0,87 (0,10)

Megjegyzés: Az ICECAP-A/-O index értékek alcsoportok közötti összehasonlításához ANOVA tesztet alkalmaztunk.

*Alapfokú: nincs érettségije, Középfokú: érettségizett; Felsőfokú: felsőoktatásban szerzett diploma (Bsc, Msc) vagy PhD.

**Arra kértük a válaszadókat, hogy többféle foglalkoztatottsági kategória esetén (pl. tanuló és dolgozik) azt jelöljék meg, amelyik az idejük legnagyobb részében jellemző rájuk.

Forrás: [149] Creative Commons CC BY 4.0 nemzetközi licenz alapján

(<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető: <https://link.springer.com/article/10.1007/s11136-020-02542-1>

8. táblázat Az ICECAP-A és ICECAP-O mércék egyes tételeire adott válaszok eloszlása

ICECAP-A (korszoport <65), N=1568	N	%	ICECAP-O (korszoport 65+), N=453	N	%
Stabilitás és biztonságérzet (Stabilitás)			Szeretet és barátság (Kötődés)		
4 Az életem minden területén képes vagyok azt érezni, hogy stabil vagyok és biztos a helyzetem	813	51,8%	4 Minden szeretetet és barátságot megkaphatok, amit csak szeretnék	159	35,1%
3 Az életem sok területén képes vagyok azt érezni, hogy stabil vagyok és biztos a helyzetem	602	38,4%	3 Sokat megkaphatok abból a szeretetből és barátságból, amit szeretnék	238	52,5%
2 Az életem néhány területén képes vagyok azt érezni, hogy stabil vagyok és biztos a helyzetem	132	8,4%	2 Keveset kaphatok meg abból a szeretetből és barátságból, amit szeretnék	53	11,7%
1 Az életem egyetlen területén sem vagyok képes vagyok azt érezni, hogy stabil vagyok és biztos a helyzetem	21	1,3%	1 Semennyit se kaphatok meg abból a szeretetből és barátságból, amit szeretnék	3	0,7%
Szeretet, barátság és támogatás (Kötődés)			A jövőről való gondolkodás (Biztonságérzet)		
4 Sok szeretetben, barátságban és támogatásban lehet részem	932	59,4%	4 Minden aggodalom nélkül tudok a jövőre gondolni	110	24,3%
3 Elég sok szeretetben, barátságban és támogatásban lehet részem	564	36,0%	3 Kevés aggodalommal tudok a jövőre gondolni	208	45,9%
2 Egy kevés szeretetben, barátságban és támogatásban lehet részem	69	4,4%	2 Csak valamennyi aggodalommal tudok a jövőre gondolni	94	20,8%
1 Semennyi szeretetben, barátságban és támogatásban sem lehet részem	3	0,2%	1 Csak sok aggodalommal tudok a jövőre gondolni	41	9,1%
Függetlenség (Autonómia)			Tevékenységek, amelyektől értékesnek érzi magát (Szerep)		
4 Teljesen független tudok lenni	825	52,6%	4 Képes vagyok minden olyan dolgot elvégezni, amitől értékesnek érzem magam	123	27,2%
3 Sok dologban független tudok lenni	616	39,3%	3 Képes vagyok sokat elvégezni azokból a dolgokból, amiktől értékesnek érzem magam	210	46,4%
2 Néhány dologban független tudok lenni	115	7,3%	2 Képes vagyok néhányat elvégezni azokból a dolgokból, amiktől értékesnek érzem magam	111	24,5%
1 Egyáltalán nem tudok független lenni	12	0,8%	1 Egyetlen olyan dolgot sem vagyok képes elvégezni, amitől értékesnek érzem magam	9	2,0%
Eredmények és fejlődés (Teljesítés)			Kellemes élmények és öröm (Élvezetek)		
4 Az életem minden területén eredményes tudok lenni és tudok fejlődni	681	43,4%	4 Minden olyan kellemes élményben és örömben részem lehet, amit csak szeretnék	98	21,6%
3 Az életem sok területén eredményes tudok lenni és tudok fejlődni	699	44,6%	3 Sok olyan kellemes élményben és örömben részem lehet, amit csak szeretnék	265	58,5%
2 Az életem néhány területén eredményes tudok lenni és tudok fejlődni	172	11,0%	2 Kevés olyan kellemes élményben és örömben részem lehet, amit csak szeretnék	85	18,8%
1 Az életem egyetlen területén sem tudok eredményes lenni és fejlődni	16	1,0%	1 Egyáltalán nem lehet részem azokban a kellemes élményekben és örömeinkben, amiket szeretnék	5	1,1%

ICECAP-A (korcsoport <65), N=1568	N	%	ICECAP-O (korcsoport 65+), N=453	N	%
Kellemes élmények és öröm (Élvezetek)			Függetlenség (Kontroll)		
4 Sok kellemes élményben és örömben lehet részem	887	56,6%	4 Teljesen független tudok lenni	131	28,9%
3 Elég sok kellemes élményben és örömben lehet részem	581	37,1%	3 Sok dologban független tudok lenni	220	48,6%
2 Egy kevés kellemes élményben és örömben lehet részem	95	6,1%	2 Néhány dologban független tudok lenni	89	19,6%
1 Semennyi kellemes élményben és örömben sem lehet részem	5	0,3%	1 Egyáltalán nem tudok független lenni	13	2,9%

Forrás: [149] Creative Commons CC BY 4.0 nemzetközi licenz alapján (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető: <https://link.springer.com/article/10.1007/s11136-020-02542-1>

Mindkét kérdőív eredménye szignifikánsan különbözött a vizsgált szocio-demográfiai alcsoportok szerint, kivéve a nem és a lakóhely változókat (foglalkoztatottságra a „Fizetett állásban van: igen/nem” kategóriát vettük figyelembe). (7. táblázat) Szignifikánsan eltérő eredményeket kaptunk a MEHM kategóriák alcsoportjai között (vélt egészség skála, tartós betegség, GALI: jobb állapot esetén jobb ICECAP-A/-O értékek), valamint ha informális gondozásban részesült a válaszadó. (9. táblázat) Nem volt szignifikáns a különbség aszerint, hogy a válaszadó maga informális gondozó volt vagy sem. (A „Vélt egészség skála” másik változata szerint is szignifikáns volt a különbség mindkét mérce esetén; ICECAP-A átlagos értékek - Nagyon rossz (N=7): 0,75 (SD=0,12), Rossz (N=51): 0,64 (SD=0,20), Kielégítő: (N=299): 0,82 (SD=0,15), Jó (N=804): 0,91 (SD=0,10), Nagyon jó (N=407): 0,95 (SD=0,07); ICECAP-O átlagos értékek - Nagyon rossz (N=11): 0,59 (SD=0,20), Rossz (N=76): 0,71 (SD=0,19), Kielégítő: (N=245): 0,85 (SD=0,11), Jó (N=111): 0,88 (SD=0,12), Nagyon jó (N=10): 0,93 (SD=0,08).

9. táblázat ICECAP-A és ICECAP-O eredmények egészségi állapot szerint

Változók	18-64 éves korcsoport			65 éves és idősebb korcsoport		
	N	%	ICECAP-A index, átlag (SD)	N	%	ICECAP-O index, átlag (SD)
Vélt egészség			p=0.0000			p=0.0000
Rossz	24	1,5%	0,63 (0,2)	44	9,7%	0,65 (0,2)
Tűrhető	155	9,9%	0,74 (0,18)	207	45,7%	0,8 (0,14)
Jó	585	37,3%	0,89 (0,11)	166	36,6%	0,88 (0,11)
Nagyon jó	461	29,4%	0,93 (0,08)	28	6,2%	0,94 (0,07)
Kitűnő	343	21,9%	0,95 (0,09)	8	1,8%	0,97 (0,04)
Tartós betegség			p=0,0000			p=0,0000
Nincs	1235	78,9%	0,92 (0,1)	145	32,3%	0,9 (0,09)
Van	330	21,1%	0,8 (0,17)	304	67,7%	0,8 (0,16)
Tartós korlátozottság (GALI)			p=0,0000			p=0,0000
Súlyosan korlátozza	21	1,3%	0,63 (0,21)	44	9,7%	0,64 (0,22)
Korlátozza, de nem súlyosan	153	9,8%	0,74 (0,18)	176	38,9%	0,79 (0,14)
Nem korlátozza	1393	88,9%	0,92 (0,10)	232	51,3%	0,89 (0,09)
Informális gondozó			p=0,6068			p=0,8409
Igen	66	4,2%	0,90 (0,13)	15	3,3%	0,82 (0,14)
Nem	1502	95,8%	0,89 (0,12)	438	96,7%	0,83 (0,15)
Informális gondozásban részesül			p=0,0000			p=0,0000
Nem	1496	95,9%	0,9 (0,12)	343	76,2%	0,86 (0,13)
Nem, de szüksége lenne rá	7	0,4%	0,69 (0,23)	6	1,3%	0,69 (0,22)
Igen	57	3,7%	0,76 (0,17)	101	22,4%	0,74 (0,17)

Megjegyzés: Az alcsoportok közötti különbségeket ANOVA teszttel vizsgáltuk.

Forrás: [149] Creative Commons Attribution 4.0. nemzetközi licenz alapján (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető: <https://link.springer.com/article/10.1007/s11136-020-02542-1>

Regresszió elemzés alapján azonban csak a fővárosban élő válaszadóknak szignifikánsan alacsonyabb az ICECAP-A értéke, a fizetett állásban levőknek, a magasabb jövedelműeknek és a nagyobb háztartásban élőknek (a háztartás létszáma) pedig szignifikánsan magasabb; ezzel szemben a szocio-demográfiai jellemzők egyike sem volt szignifikáns az ICECAP-O esetében. Az EQ-5D-5L index és EQ VAS egészségi állapot eredmények egyaránt szignifikáns pozitív kapcsolatot mutattak mindkét mércével a regresszió elemzés során (jobb egészségi állapot jobb képességszemlélet-alapú jólléttel társul), valamint a vélt egészség skála „rossz/tűrhető/jó” állapotai (ICECAP-A), illetve a „rossz” állapota (ICECAP-O) a „nagyon jó” állapothoz képest. A hosszantartó betegség megléte és a GALI nem voltak szignifikáns tényezők. (A regresszió eredményeket nem mutatom be táblázatban, elérhetők a [149] publikációban.)

5.3.2 A magyar nyelvű ICECAP-A és ICECAP-O kérdőívek validitása és megbízhatósága

Mindkét kérdőív jó szerkezeti validitását támasztják alá az előző alfejezetben bemutatott eredmények, továbbá szignifikánsan rosszabb ICECAP-A/-O értékeket találtunk azoknál, akiknek jelentős életesemény (pl. közeli családtag halála, probléma közeli családtagokkal, súlyos betegség) fordult elő az életében az elmúlt 12 hónap során [149]. A Cronbach- α értéke jó belső konzisztenciát igazolt: (ICECAP-A: 0,863; ICECAP-O: 0,864). Konvergencia validitásra vonatkozóan a más mércékkel való korreláció elemzés eredményeit a 10. táblázatban mutatjuk be. Az ICECAP-A és ICECAP-O index mindegyik mércével közepesen erős szignifikáns kapcsolatot mutatott, kivéve az ICECAP-A index és az SWLS között (szignifikáns gyenge, de a közepeshez közelítő r korrelációs koefficiens érték).

10. táblázat Az ICECAP-A és ICECAP-O indexek és a tételeik korrelációja az EQ-5D-5L index, EQ VAS, boldogság, étellel való elégedettség, WHO-5 és SWLS értékekkel

Korrelációk*, 18-64 éves korcsoport	Stabilitás	Kötődés	Autonómia	Teljesítés	Élvezetek	ICECAP-A index
EQ-5D-5L index	0,382	0,285	0,325	0,448	0,373	0,572
EQ VAS	0,382	0,292	0,3030	0,398	0,359	0,517
Boldogság VAS (0-10)	0,299	0,322	0,225	0,316	0,380	0,501
Élettel való elégedettség VAS (0-10)	0,309	0,335	0,211	0,339	0,395	0,521
WHO-5 érték	0,375	0,354	0,294	0,386	0,380	0,532
SWLS érték	0,276	0,304	0,174	0,286	0,311	0,446
Korrelációk*, 65 éves és idősebb korcsoport	Kötődés	Biztonság- érzet	Szerep	Élvezetek	Kontroll	ICECAP-O index
EQ-5D-5L index	0,347	0,494	0,584	0,511	0,506	0,649
EQ VAS	0,257	0,442	0,523	0,433	0,386	0,502
Boldogság VAS (0-10)	0,364	0,411	0,448	0,428	0,341	0,516
Élettel való elégedettség VAS (0-10)	0,363	0,439	0,424	0,441	0,364	0,574
WHO-5 érték	0,331	0,533	0,556	0,487	0,426	0,613
SWLS érték	0,351	0,508	0,370	0,421	0,345	0,522

*Pearson korreláció az ICECAP-A/-O index értékekkel és Spearman-féle rangkorreláció az ICECAP-A/-O tételekkel.

Mindegyik korreláció esetén: $p < 0,01$.

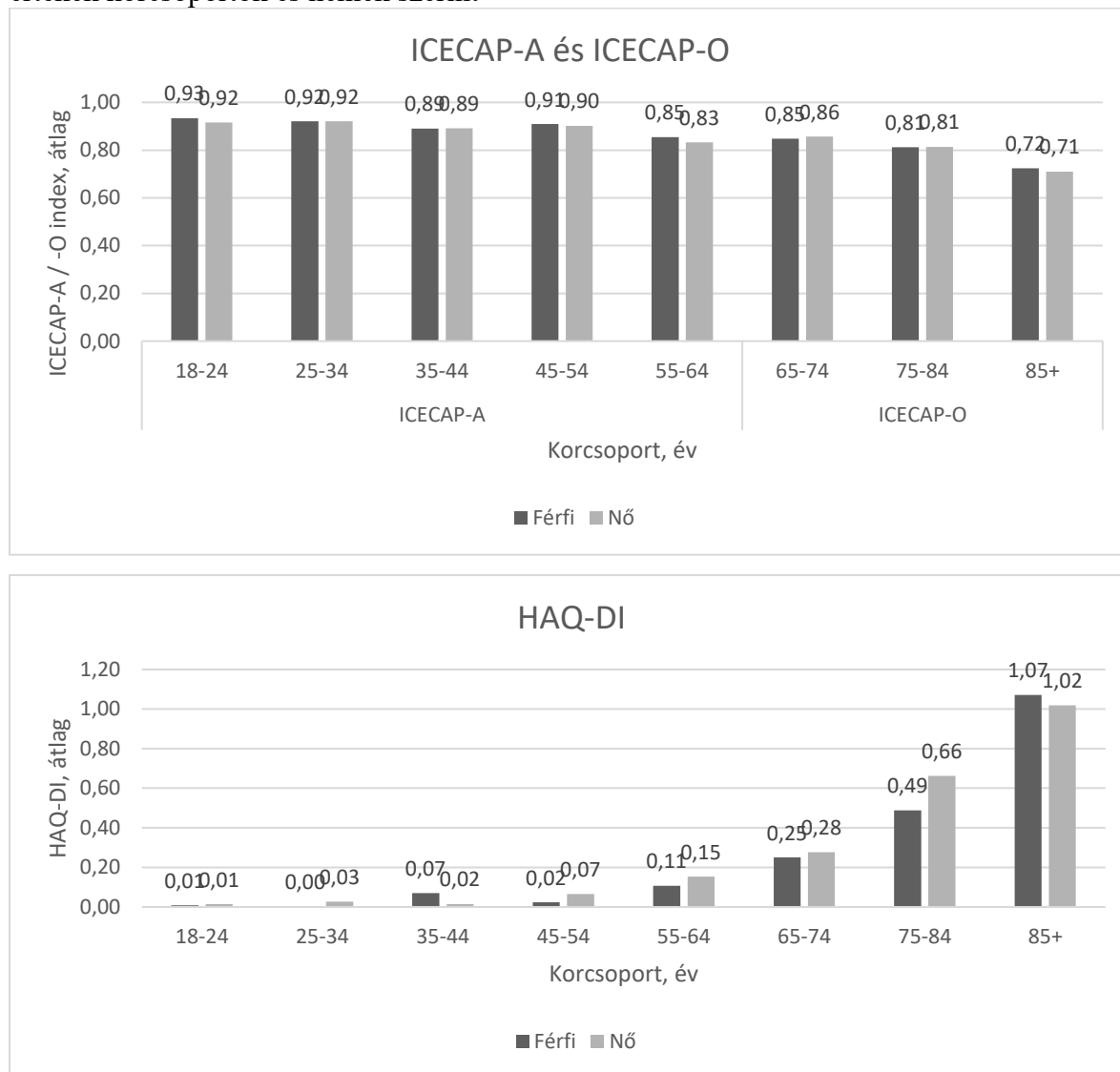
Forrás: [149] Creative Commons CC BY 4.0 nemzetközi licenz alapján

(<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető:

<https://link.springer.com/article/10.1007/s11136-020-02542-1>

A mintában (N=2021) a HAQ-DI átlagos (SD) értéke 0,138 (0,390) volt. Az átlagos HAQ-DI értékeket nemek és korcsoportok szerint az alábbi ábrán mutatjuk be. (10. ábra)

10. ábra Lakossági ICECAP-A (18-64 évesek), ICECAP-O (65+ évesek) és HAQ-DI átlagos értékek korcsoportok és nemek szerint



Forrás: [149,268] alapján, saját szerkesztés.

A HAQ-DI átlagos értéke szignifikánsan ($p=0,000$) különbözött korcsoportonként, iskolázottsági szint (alapfokú végzettségük rosszabb állapot), foglalkoztatottság (fizetett munkát végzőknél jobb állapot), családi állapot (egyedülállóknál rosszabb állapot) és a háztartás jövedelmi szintje szerint (magasabb jövedelemnél jobb állapot), de nem volt szignifikáns a nemek és a lakóhely (Budapest, más város, falu vagy község) szerinti alcsoportok között [268]. Tehát a fizikai funkciók (HAQ-DI) az életkorral jelentősen rosszabbodnak, míg a

képességszmlélet-alapú jóllét (ICECAP-A/-O) inkább csak egy rosszabbodó tendenciát mutat, leginkább az ICECAP-O a 65 éves és idősebb lakosságban. A HAQ-DI és az ICECAP-A/-O index közötti (Pearson) korrelációs koefficiens ($r=-0,351$ illetve $r=-0,509$) szignifikáns, közepes erősségű kapcsolatot igazolt [268]. Az ICECAP-A/-O kérdőívek ismételtetését 53 fő bevonásával vizsgáltuk, konzisztens eredményeket kaptunk és az ICC az ICECAP-A esetén 0,94 (CI 95%: 0,90 – 0,97), az ICECAP-O esetén 0,97 (CI 95%: 0,94 – 0,98) volt, mindkettő kiváló egyezésre utal.

5.3.3 Munkaképesség és képességszmlélet-alapú jóllét: a lakosság WPAI normaértékei és a WPAI kapcsolata az ICECAP-A és ICECAP-O kérdőívekkel

A WPAI fizetett munkavégzés eredményeinek elemzéséhez azokat a válaszadókat vettük figyelembe, akik ≤ 100 órát dolgoztak hetente (4 válaszadó kizárva), valamint kizártuk az aktív dolgozók közül azokat, akik nem egészségügyi okokból nem dolgoztak az elmúlt héten (32 fő), vagy hiányosan töltötték ki a kérdőívet (2 fő) [113]. Összesen 1194 fő bevonásával elemeztük az adatokat, a presenteeism eredményeket azonban csak 1169 fő esetében tudtuk értékelni, mert 25 fő nem dolgozott a felmérést megelőző héten. A WPAI eredményeket szocio-demográfiai alcsoportok szerint a 11. táblázatban mutatjuk be. Egyúttal ismertetjük a minta EQ-5D-3L index eredményeit is (Egyesült Királyságbeli értékkészlettel számolva). A foglalkoztatottság, egészségi állapot (EQ-5D-3L) és munkaképesség (WPAI) jellemzőket a 12. táblázatban mutatjuk be. Az absenteeism nem különbözött szignifikánsan a szocio-demográfiai jellemzők szerinti alcsoportok között, a presenteeism a korcsoport és a családi állapot szerint mutatott szignifikáns különbséget. Szignifikáns különbséget találtunk a MEHM szerinti alcsoportok között mind a négy WPAI eredményre vonatkozóan (rosszabb MEHM egészségi állapot rosszabb WPAI munkaképességgel jár) és az EQ-5D-3L index és EQ VAS eredményekre is. (Adatok részletes bemutatása: [113].) Saját közleményünkből idézem: „Statisztikailag szignifikáns kapcsolat volt kimutatható az EQ-5D-3L-index és a WPAI-értékek között, a kapcsolat erőssége azonban csak a WPAI 'napi tevékenységek hatékonyságának csökkenése' tételével volt közepesnél erősebb; az absenteeismmel gyenge kapcsolatot mértünk. Az EQ VAS-mérce a 'napi tevékenységek hatékonysága' és a 'presenteeism' WPAI-tételekkel mutatott közepes korrelációt. A WPAI 'absenteeism' tételének esetében a korreláció nem érte el a közepes erősséget sem az életkorral, sem az EQ-5D-3L-mércékkel” [113].

11. táblázat A minta szocio-demográfiai jellemzői, egészségi állapota és munkaképessége

Változók	Teljes minta, N=2023				Fizetett munkát végez, N=1194			Fizetett munkát végez és dolgozott az elmúlt héten, N=1169	
	N (%)	EQ VAS	EQ-5D-3L index, N=2019*	WPAI, napi tevékenységek hatékonyságának csökkenése, %	N (%)	WPAI, teljes termelékenység csökkenés, %	WPAI, munkaidő veszteség (absenteeism), %	N (%)	WPAI munkahatékonyság-csökkenés (presenteeism), %
	N (%)	Átlag (SD)	Átlag (SD)	Átlag (SD)	N (%)	Átlag (SD)	Átlag (SD)	N (%)	Átlag (SD)
Teljes minta	2023 (100%)	81,6 (17,4)	0,877 (0,204)	9,5 (21,0)	1194 (100%)	7,7 (20,9)	3,6 (16,4)	1169 (100%)	4,4 (14,2)
Neme		p=0,857	p=0,012	p=0,222		p=0,651	p=0,448		p=0,879
férfi	1010 (49,9%)	81,6 (17,5)	0,886 (0,201)	8,9 (20,2)	614 (51,4%)	8,0 (21,2)	4,1 (17,3)	600 (51,3%)	4,3 (13,7)
nő	1013 (50,1%)	81,6 (17,4)	0,868 (0,207)	10,2 (21,8)	580 (48,5%)	7,3 (20,6)	3,1 (15,4)	569 (48,7%)	4,7 (15,5)
Korcsoport		p=0,000	p=0,000	p=0,000		p=0,000	p=0,983		p=0,000
18-24 éves	208 (10,3%)	92,6 (10,3)	0,923 (0,100)	1,8 (9,6)	111 (9,3%)	6,0 (20,4)	4,1 (16,7)	109 (9,3%)	2,4 (12,9)
25-34 éves	308 (15,2%)	90,7 (11,5)	0,957 (0,117)	3,3 (14,0)	249 (21,7%)	7,5 (22,4)	3,7 (17,2)	243 (20,8%)	4,3 (16,1)
35-44 éves	387 (19,1%)	86,5 (13,6)	0,928 (0,174)	4,2 (13,9)	329 (27,6%)	6,9 (19,4)	3,2 (15,0)	324 (27,7%)	4,0 (13,2)
45-54 éves	333 (16,5%)	85,1 (14,1)	0,925 (0,159)	5,3 (16,0)	296 (24,8%)	7,4 (20,6)	3,7 (16,7)	289 (24,7%)	3,9 (13,0)
55-64 éves	334 (16,5%)	76,6 (17,6)	0,856 (0,201)	11,7 (22,5)	190 (15,9%)	9,7 (22,2)	4,1 (17,6)	185 (15,8%)	6,0 (14,8)
65-74 éves	267 (13,2%)	70,3 (17,1)	0,772 (0,216)	16,8 (24,7)	19 (1,6%)	14,5 (21,8)	2,6 (11,5)	19 (1,6%)	13,7 (19,2)
75-84 éves	145 (7,2%)	60,3 (16,9)	0,661 (0,235)	30,3 (28,9)	-	-	-	-	-
85 év felett	41 (2,0%)	57,0 (20,4)	0,549 (0,332)	42,9 (32,0)	-	-	-	-	-
Iskolai végzettség		p=0,000	p=0,000	p=0,000		p=0,102	p=0,118		p=0,436
Alapfokú (érettségi nélkül)	844 (41,7%)	75,8 (19,8)	0,828 (0,235)	14,8 (25,8)	400 (33,5%)	9,7 (24,2)	4,8 (19,3)	387 (33,1%)	5,2 (16,1)
Érettségi	770 (38,1%)	85,6 (14,4)	0,908 (0,176)	5,9 (16,4)	511 (42,8%)	7,5 (20,5)	3,5 (15,8)	502 (42,9%)	4,5 (14,4)
Főiskola/egyetem	409 (20,2%)	86,1 (13,4)	0,921 (0,160)	5,4 (14,5)	283 (23,7%)	5,0 (15,9)	2,2 (12,5)	280 (24,0%)	2,9 (10,4)
Édesanyja iskolai végzettsége		p=0,000	p=0,000	p=0,000		p=0,009	p=0,015		p=0,187
Alapfokú (érettségi nélkül)	1283 (63,4%)	78,0 (18,9)	0,840 (0,227)	12,8 (24,0)	659 (55,2%)	9,6 (23,6)	4,8 (18,9)	640 (54,7%)	5,2 (15,6)

Változók	Teljes minta, N=2023				Fizetett munkát végez, N=1194			Fizetett munkát végez és dolgozott az elmúlt héten, N=1169	
		EQ VAS	EQ-5D-3L index, N=2019*	WPAI, napi tevékenységek hatékonyságának csökkenése, %		WPAI, teljes termelékenység csökkenés, %	WPAI, munkaidő veszteség (absenteeism), %		WPAI munkahatékonyság-csökkenés (presenteeism), %
Középfokú (érettségi)	509 (25,2%)	87,3 (12,5)	0,938 (0,142)	3,9 (12,5)	365 (30,6%)	4,9 (15,9)	2,1 (12,8)	360 (30,8%)	2,9 (9,9)
Főiskola/egyetem	231 (11,4%)	89,3 (11,3)	0,949 (0,121)	4,0 (13,4)	170 (14,2%)	5,9 (18,6)	2,1 (11,8)	169 (14,5%)	4,5 (15,9)
Lakóhely		p=0,004	p=0,004	p=0,271		p=0,158	p=0,268		p=0,334
Budapest	399 (19,7%)	85,5 (14,2)	0,901 (0,187)	6,1 (14,3)	263 (22,0%)	4,8 (15,0)	2,3 (13,4)	259 (22,2%)	2,6 (7,4)
Más város	1062 (52,5%)	80,8 (17,8)	0,871 (0,199)	10,1 (21,9)	613 (51,3%)	7,8 (21,0)	3,8 (16,4)	601 (51,4%)	4,2 (14,0)
Egyéb	562 (27,8%)	80,4 (18,4)	0,871 (0,224)	10,9 (23,2)	318 (26,7%)	9,7 (24,4)	4,3 (18,5)	309 (26,4%)	6,0 (18,1)
Családi állapot		p=0,000	p=0,000	p=0,000		p=0,004	p=0,921		p=0,000
Házas	939 (46,4%)	81,4 (16,5)	0,891 (0,179)	8,0 (18,5)	576 (48,2%)	6,4 (18,0)	3,2 (14,5)	568 (48,6%)	3,4 (11,3)
Élettársi kapcsolatban van	301 (14,9%)	88,6 (13,1)	0,940 (0,141)	3,9 (14,2)	241 (20,2%)	9,3 (25,1)	5,4 (21,0)	232 (19,8%)	4,4 (16,3)
Nőtlen / hajadon	387 (19,1%)	88,3 (14,4)	0,933 (0,174)	4,6 (15,9)	259 (21,7%)	6,6 (19,4)	2,9 (14,5)	255 (21,8%)	3,9 (13,6)
Özvegy	207 (10,2%)	65,4 (18,7)	0,658 (0,277)	2,9 (30,5)	17 (1,4%)	18,8 (30,4)	5,9 (24,3)	16 (1,4%)	13,8 (22,8)
Elvált	185 (9,1%)	75,5 (18,1)	0,835 (0,208)	15,1 (25,7)	100 (8,4%)	12,0 (26,0)	3,5 (17,8)	97 (8,3%)	9,2 (21,0)
Egyéb	4 (0,2%)	73,8 (23,6)	0,802 (0,233)	12,5 (25,0)	1 (0,1%)	0,0	0,0	1 (0,1%)	0,0
Házas vagy élettársi kapcsolatban él		p=0,000	p=0,000	p=0,000		p=0,263	p=0,289		p=0,044
Nem	783 (38,7%)	79,1 (19,2)	0,837 (0,242)	13,5 (25,1)	377 (31,6%)	8,5 (22,1)	3,2 (15,9)	369 (31,6%)	5,7 (16,5)
Igen	1240 (61,3%)	83,2 (16,0)	0,903 (0,172)	7,0 (17,6)	817 (68,4%)	7,2 (20,4)	3,8 (16,7)	800 (68,4%)	3,7 (13,0)

Az alcsoportok közötti különbségeket Mann-Whitney, illetve Kruskal Wallis tesztekkel elemeztük.

Forrás: [113] Creative Commons Attribution 4.0 nemzetközi licenz alapján (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Letölthető: <https://akjournals.com/view/journals/650/161/36/article-p1522.xml>

12. táblázat Foglalkoztatottság, egészségi állapot és munkaképesség

	Teljes minta, N=2023				Fizetett munkát végez, N=1194			Fizetett munkát végez és dolgozott az elmúlt héten, N=1169	
		EQ VAS,	EQ-5D-3L index, N=2019*	WPAI, napi tevékenységek hatékonyságának csökkenése, %		WPAI, teljes termelés csökkenés, %	WPAI, munkaidővesztés (abszenteizm), %		WPAI munkahely csökkenés (presenteizm), %,
	N (%)	Átlag (SD)	Átlag (SD)	Átlag (SD)	N (%)	Átlag (SD)	Átlag (SD)	N (%)	Átlag (SD)
Teljes minta	2023 (100%)	81,6 (17,4)	0,877 (0,204)	9,5 (21,0)	1194 (100%)	7,7 (20,9)	3,6 (16,4)	1169 (100%)	4,4 (14,2)
Foglalkoztatottság		p=0,000	p=0,000	p=0,000		p=0,000	p=0,027		p=0,000
Teljes munkaidőben dolgozik / egyéni vállalkozó	1213 (60,0%)	87,8 (12,6)	0,946 (0,127)	3,5 (12,6)	1132 (94,8%)	7,0 (20,1)	3,4 (16,0)	1110 (95,5%)	3,9 (13,3)
Részmunkaidőben dolgozik	46 (2,3%)	76,2 (20,2)	0,850 (0,176)	13,5 (25,7)	42 (3,5%)	18,0 (29,3)	5,4 (18,6)	41 (3,5%)	13,2 (25,1)
Nyugdíjas	513 (25,4%)	68,2 (17,6)	0,734 (0,240)	21,7 (27,5)	6 (0,5%)	23,3 (13,7)	0,0 (0,0)	6 (0,5%)	23,3 (13,7)
Rokkantsnyugdíjas	54 (2,7%)	62,0 (21,5)	0,560 (0,368)	40,2 (34,2)	6 (0,5%)	23,3 (30,1)	0,0 (0,0)	6 (0,5%)	23,3 (30,1)
Nappali tagozatos tanuló/egyetemi hallgató	76 (3,8%)	89,5 (13,0)	0,959 (0,107)	1,7 (8,1)	2 (0,2%)	0,0 (0,0)	0,0 (0,0)	2 (0,2%)	0,0 (0,0)
Munkanélküli (munkát keres)	53 (2,6%)	78,6 (20,3)	0,861 (0,204)	12,5 (24,2)	0	-	-	0	-
Munkanélküli (nem keres munkát)	12 (0,6%)	78,2 (21,4)	0,874 (0,142)	15,8 (20,2)	0	-	-	0	-
Háztartásbeli	25 (1,2%)	85,0 (19,6)	0,917 (0,201)	2,8 (10,2)	2 (0,2%)	50,0 (70,7)	50,0 (70,7)	1 (0,1%)	0,0
Egyéb	31 (1,5%)	88,2 (13,4)	0,934 (0,094)	2,3 (7,6)	4 (0,3%)	25,0 (50,0)	25,0 (50,0)	3 (0,3%)	0,0 (0,0)
Háztartás havi nettó jövedelme, kvintilis		p=0,000	p=0,000	p=0,000		p=0,361			p=0,624
1	271 (13,4%)	74,7 (21,2)	0,814 (0,238)	17,5 (28,9)	112 (9,4%)	14,4 (28,2)	6,0 (21,9)	107 (9,2%)	9,2 (20,6)
2	327 (16,2%)	80,6 (16,1)	0,872 (0,195)	9,6 (20,6)	196 (16,4%)	8,5 (22,2)	4,2 (17,4)	192 (16,4%)	4,9 (16,0)
3	312 (15,4%)	79,9 (17,7)	0,842 (0,225)	11,8 (22,7)	160 (13,4%)	7,6 (20,5)	3,5 (16,5)	156 (13,3%)	4,4 (13,0)
4	232 (11,5%)	84,1 (14,4)	0,907 (0,158)	7,2 (16,8)	148 (12,4%)	9,4 (23,0)	4,1 (18,2)	144 (12,3%)	5,5 (15,7)
5	203 (10,0%)	86,6 (13,3)	0,946 (0,115)	3,5 (11,7)	171 (14,3%)	6,0 (17,4)	3,2 (15,2)	168 (14,4%)	3,0 (9,1)
Hiányzó adat	678 (33,5%)				407 (34,1%)			402 (34,4%)	

Az alcsoportok közötti különbségeket Kruskal Wallis, illetve Mann-Whitney tesztekkel elemeztük. *Négy válaszadó nem válaszolta meg az EQ-5D-3L leíró részének mind az öt kérdését, ezért az ő esetükben nem lehetett EQ-5D-3L index-értéket számolni. †: 2 válaszadó a Nem tudom/Nem kívánok válaszolni választ jelölte meg. Két válaszadó. Forrás: [113] Creative Commons Attribution 4.0 nemzetközi licenz alapján (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Letölthető: <https://akjournals.com/view/journals/650/161/36/article-p1522.xml>

Az ICECAP-A/-O és a WPAI közötti korreláció eredményeket a 13. táblázatban közöljük. Az ICECAP-A szignifikáns gyenge kapcsolatot mutatott a WPAI absenteeism, presenteeism és teljes termelékenység csökkenés eredményekkel. Az ICECAP-O és WPAI kapcsolatát csak részlegesen tudtuk vizsgálni, mert csak 19 aktív dolgozó válaszadó volt 65 éves vagy idősebb. A WPAI napi tevékenységek hatékonyságának csökkenése szignifikáns gyenge, illetve szignifikáns közepes kapcsolatot mutatott az ICECAP-A, illetve ICECAP-O-val. (Pearson korrelációval ez utóbbi WPAI tétel és az ICECAP-A/-O közötti korrelációs koefficiensek rendre $r=-0,373$ illetve $r=-0,495$ voltak.)

13. táblázat Sperman-féle rangkorreláció eredmények az ICECAP-A/-O és a WPAI között

	WPAI, napi tevékenységek hatékonyságának csökkenése, %	WPAI, teljes termelékenység csökkenés, %	WPAI, munkaidő veszteség (absenteeism), %	WPAI munkahatékonyság-csökkenés (presenteeism), %,
ICECAP-A (18-64 évesek)	-0,281**	-0,195**	-0,067*	-0,213**
ICECAP-O (≥65 évesek)	-0,495**	NA	NA	NA

Forrás: Saját szerkesztés.

NA: Nem alkalmazható, mert a 65 év feletti, fizetett állásban dolgozók száma alacsony volt (N=19).

5.3.4 Megbeszélés

Kutatásunk során kifejlesztettük az ICECAP-A és ICECAP-O képességszemlélet-alapú mércék magyarországi verzióját és validáltuk azokat, reprezentatív lakossági mintán. Ezzel Európában hatodikként (ICECAP-A) illetve kilencedikként (ICECAP-O), Közép-Kelet Európában elsőként vált elérhetővé képességszemlélet-alapú mérce Magyarországon [149]. (Azonban nem mindegyik nyelvi verzióval közöltek validitást igazoló vizsgálatot.) Kutatásunk európai viszonylatban is elsőként nyújt lakossági normaértékeket az ICECAP-A/-O kérdőívekkel. Elsőként vizsgáltuk az ICECAP-A/-O képességszemlélet-alapú jóllét mércék kapcsolatát a WHO-5 jóllét, a HAQ-DI fizikai funkcionalitás és a WPAI munkaképesség mércékkel. Vizsgálatunk további erőssége, hogy az Eurostat által javasolt és használt MEHM kérdéseit alkalmaztuk vizsgálatunkban. Ezáltal eredményeink összevethetők ezen felmérésekkel, valamint ICECAP-A/-O, HAQ-DI és WPAI adatokkal szolgálnak az európai felmérésekben alkalmazott kategóriák szerint. Fontos hazai vonatkozás, hogy elsőként mértük fel a HAQ-DI és WPAI lakossági normaértékeket, melyek referenciaként szolgálnak betegség-specifikus kutatásokhoz.

Mindkét kérdőív magyar nyelvű változatának pszichometriai jellemzői (validitás, megbízhatóság) megfelelőnek bizonyultak és összhangban vannak az eredeti angol nyelvű

kérdőív validitási eredményeivel [107,178]. A nemzetközi szakirodalomban viszonylag kevés kutatás történt az ICECAP-A és az EQ-5D-5L vonatkozásában, és azokat is többségében vegyes mintán (lakosság és betegcsoportok együtt; Egyesült Királyság és Németország) végezték [180], ezért kutatásunk ebből a szempontból hiánypótló jellegű. Az ICECAP-O és az EQ-5D-5L index között, átlagos lakossági mintán, hasonló korrelációs eredményre jutottak az Egyesült Királyságban [269]. Bár szoros kapcsolatot találtunk mindkét mérce és a WHO-5 között ($r=0,53$, illetve $r=0,61$), az eredmények jól tükrözik, hogy a jóllét képességszemlélet-alapú megközelítése mást mér, mint a mentális jóllét hagyományos megközelítése.

Az ICECAP-A/-O mércék rosszabbodó tendenciát mutattak az életkorral (jellemzően az ICECAP-O), de az életkor nem bizonyult jelentős meghatározó tényezőnek a regresszió elemzésünk alapján. Ausztráliában hasonló eredményre jutottak az ICECAP-O mércével [270]. A szocio-demográfiai tényezők csak az ICECAP-A esetén voltak szignifikánsak, de az általános egészségi állapot (EQ-5D-5L, vélt egészség skála) mindkét ICECAP mérce esetében meghatározó volt. A MEHM másik két eleme, a tartós betegség és a GALI, nem voltak jelentős faktorok. Eredményeink alapján, adathiány esetén, közelítő becslés végezhető az EQ-5D-5L és a vélt egészség skála alapján az ICECAP-A/-O értékekre, de a kapcsolat közepes erőssége egyértelműen azt tükrözi, hogy az ICECAP-A/-O értékeket nem csak az egészségi állapot határozza meg, hanem további más tényezők is. Ezért kiegészítő jelleggel érdemes alkalmazni a kétféle mércét olyan beavatkozások értékelésében, ahol a szoros értelemben vett egészségi állapoton kívül a (képességszemlélet-alapú) jóllétben is cél, illetve várható javulás.

A HAQ-DI szignifikánsan nőtt az életkorral, azaz az idősödéssel rosszabbodnak a fizikai funkciók, különösen 65 éves kortól. Eredményünk egybevág a finnországi lakossági kutatások eredményeivel [80]. A lakossági eredmények lehetőséget adnak az RA betegségteher megítélésére: biológiai terápiát kezdő RA betegek körében végzett vizsgálatunkban (2008) az átlagosan 55 éves mintában a HAQ-DI átlagosan 1,48 (SD=0,66) volt [154,271], ezzel szemben az átlagos lakosságban még 85+ éves korcsoportban is ennél alacsonyabb (jobb állapot) átlagos HAQ-DI értéket mértünk. A lakossági HAQ-DI normaérték a terápiás célértékek reális kialakítását is segíti [272], miszerint az átlagos lakosságban a HAQ-DI már a fiatalabb korosztályokban is kisebb eltéréseket mutat. A HAQ-DI és az ICECAP-A és ICECAP-O között szignifikáns, közepesen erős korrelációt találtunk, azaz a fizikai funkciók szerepe (más tényezők mellett) jelentős a jólléti képességek szempontjából.

A WPAI absenteeism/presenteeism és az ICECAP-A közötti gyenge kapcsolat elsősorban további kutatási kérdéseket vet fel. Az ICECAP-A több tétele is összefügghet a

munkakörülményekkel és munkavégzéssel (Stabilitás és biztonságérzet, Függetlenség, Eredmények és fejlődés), ezért erősebb korrelációt vártunk volna. Úgy tűnik, a WPAI ezeket az aspektusokat nem foglalja magába. További kutatások szükségesek a munkaképesség és a képességszemlélet-alapú jóllét vizsgálatára.

Lakossági WPAI eredményeinkből legfontosabbnak azt tartom kiemelni, hogy az absenteeism és presenteeism nem különbözött jelentősen a főbb szocio-demográfiai jellemzők szerint, az életkorral is közepes, illetve gyenge kapcsolatot mutattak. Érdekes módon az EQ-5D-3L indexszel mért egészségi állapottal is közepes (a gyengéhez közelítő) volt a kapcsolat. Az EQ-5D-3L a jelen egészségi állapotra kérdez rá, míg a WPAI az elmúlt 1 hétre vonatkozik (azóta elmúlhatott az egészségprobléma), de ez csak részben magyarázhatja a közepes/gyenge kapcsolatot. Egy 44 Európa-i országra kiterjedő, RA és munkaképesség témában végzett felmérésünk (a hazai kérdőíves kutatás társ-kutatásvezetője voltam) [273] jelentős különbségeket találtunk az RA betegek betegállományára és rokkantnyugdíjazására vonatkozó szabályokban. A különbségek nem voltak egyértelműen magyarázhatók az ország gazdasági jólléti szintjével, az egészségbiztosítási rendszerének típusával és EU tagállam/nem tagállam voltával. [273]. Érdekes lenne RA-ban az absenteeismre és presenteeismre fókuszáló munkaképesség kutatásokat a betegállomány és rokkantnyugdíjrendszer szabályrendszerének kontextusában tovább kutatni.

Hazánkban WPAI-val korábban néhány krónikus betegségben (Crohn és colitis ulcerosa betegek, hyperaktív hólyagszindróma, pikkelysömör, jóindulatú prosztata megnagyobbodás, endometriosis, SM, pemphigus) történt felmérés [257,274-279]. Szántó és mtsai. (2016) hat KKE országban, SPA és AP betegek bevonásával végzett felmérésének eredményeit [278] lakossági WPAI eredményeinkkel összehasonlítva azt találtuk, hogy a gyógyszeres terápia mellett jelentősen csökkent az absenteeism és a presenteeism, de a betegek nem érték el a legidősebb aktív dolgozói (65–74 éves) korcsoportban mért lakossági értékeket [113]. SM-ben végzett felmérésünkben (N=521) a medián 46 éves mintában a nyugdíjkorhatár alatti páciensek (N=443, 85%) mindössze 47%-a végzett fizetett munkát és további nyolc páciens nyugdíj mellett dolgozott, közülük 18% volt betegállományban az elmúlt három hónap folyamán [257]. SM-mel összefüggő munkahatékonyság csökkenésről 82%-a számolt be (!), szemben a lakossági felmérésünkben talált 12,9% – 19,2% közötti korcsoportos értékekkel. (11. táblázat) Ezek a példák jól szemléltetik, miért fontosak és hogyan hasznosíthatók lakossági WPAI eredményeink a betegségek társadalmi és egyéni terhének, munkaképességre gyakorolt hatásának a megítélésében.

Kutatásunk korlátait is meg kell említenem. A vizsgálat idején hazai hasznosság értékkészlet hiányában az Egyesült Királyság értékkészletét alkalmaztuk az ICECAP-A és -O index, és Anglia értékkészletét az EQ-5D-5L kiszámolására, ez utóbbi értékkészlet azóta kritikákat kapott [280]. Felmérésünk keresztmetszeti jellegéből adódóan nem vizsgáltuk a mércék változásokat mérő képességét, ezt jövőbeli prospektív vizsgálatokban javasolt elemezni. Mozgásszervi egészség szempontból a legsúlyosabb állapotban levők körében kicsi mintát értünk el, javasolt további célzott vizsgálatokkal elemezni az ICECAP-A/-O mércéket ebben az alcsoportban. Javasoljuk továbbá a mércék tesztelését betegség-specifikus mintákon. Különösen érdekes lenne RA-ban megvizsgálni az ICECAP-A/-O és a HAQ-DI mérce kapcsolatát, ahol HAQ-DI a betegségprogresszió és aktivitás mércék fontos eleme. A WPAI önbevalláson alapul, ezért érdemes lenne összevetni az eredményeket objektív mutatókkal (pl. absenteeism és táppénzes napok száma biztosítói adatbázisból) és más presenteeism mércékkel is felmérni a lakosságot [281]. Mintánk nagyon kicsi volt a fizetett munkát végző nyugdíjas és rokkantnyugdíjas alcsoportokban, őket érdemes lenne célzottan tovább vizsgálni, az egyre növekvő nyugdíjkorhatár mellett várhatóan egyre többen fognak egyre tovább dolgozni.

Összefoglalva, a magyar nyelvű az ICECAP-A és ICECAP-O mércék hazai verziójának kifejlesztésével egy olyan új preferencia-alapú egészségnyereség mérce áll rendelkezésre, amellyel a lakosság jóllétét, az egészségügyi és szociális beavatkozások jólléti hatásait új megközelítésből tudjuk mérni, kiegészítve a QALY-n alapuló értékeléseket. A fizikai funkciók (HAQ-DI) jelentős szereppel bírnak a képességszemlélet-alapú jóllét szempontjából, a munkaképesség (absenteeism, presenteeism) és a képességszemlélet-alapú jóllét kapcsolata további kutatásokat igényel. Lakossági ICECAP-A, ICECAP-O, HAQ-DI és WPAI normaértékeink használhatók betegség-specifikus kutatásokban a betegségteher megítélésében és a terápiás célértékek meghatározásához.

5.4 Informális gondozás, az informális gondozók életminősége (CarerQol)

5.4.1 A CarerQol kérdőív validálása, lakossági felmérés eredményei és értékkészlet

Magyarországon, Lengyelországban és Szlovéniában

Mindhárom országban a terveknek megfelelően 1000 fő került bevonásra. (14. táblázat) Azokat a válaszadókat tekintettük informális gondozóknak, akik jelenleg hosszabb ideje nyújtanak ilyen gondozást. Magyarországon, Lengyelországban, illetve Szlovéniában 149, 150, illetve 96 informális gondozót azonosítottunk. (Az 50 éves vagy idősebb korcsoportban az informális

gondozók aránya 17,0%, 16,7%, illetve 11,7% volt.) A gondozók átlagos életkora 56,1, 45,6, illetve 48,0 év volt és Magyarországon volt a legmagasabb a nők aránya a gondozók között (58,4%). (15. táblázat)

14. táblázat A minta főbb jellemzői Magyarországon, Lengyelországban és Szlovéniában

Változók	Magyar-ország	Lengyel-ország	Szlovénia
N	1000	1000	1000
Nők	51,2%	52,5%	52,4%
Iskolai végzettség^a			
Alapfokú	23,1%	11,1%	17,6%
Középfokú	37,4%	66,7%	55,8%
Felsőfokú	39,5%	22,2%	26,6%
Foglalkoztatottság			
Teljes munkaidőben dolgozik/egyéni vállalkozó	44,2%	45,5%	48,7%
Részmunkaidőben dolgozik	5,6%	8,2%	3,5%
Nyugdíjas	35,0%	18,5%	18,6%
Rokkantnyugdíjas	3,7%	6,6%	7,1%
Nappali tagozatos tanuló/egyetemi hallgató	1,3%	3,4%	7,9%
Munkanélküli (munkát keres)	4,2%	6,8%	8,4%
Munkanélküli (nem keres munkát)	0,6%	2,1%	2,9%
Háztartásbeli	3,0%	6,8%	1,5%
Egyéb	2,4%	2,1%	1,4%
Lakóhely			
Főváros	21,9%	10,7%	23,2%
Város	53,5%	69,0%	46,7%
Község, nagyközség, falu	24,6%	20,3%	30,1%
Házassági vagy élettársi kapcsolatban él (igen)	62,2%	68,5%	59,6%
Vélt egészség			
Kitűnő	5,2%	5,8%	22,2%
Nagyon jó	21,8%	27,1%	32,0%
Jó	40,6%	43,7%	29,4%
Tűrhető	28,0%	19,7%	12,4%
Rossz	4,4%	3,7%	4,0%
Informális gondozással kapcsolatos tapasztalatok			
Nem ismeri	41,3%	39,6%	54,8%
Hosszabb ideje <u>kap</u> informális gondozást	2,1%	6,5%	12,8%
Hosszabb ideig <u>kapott</u> informális gondozást	1,4%	3,8%	3,0%
Hosszabb ideje <u>nyújt</u> informális gondozást	14,9%	15,0%	9,6%
Hosszabb ideig <u>nyújtott</u> informális gondozást az <u>elmúlt 12 hónap során</u>	7,9%	5,2%	4,2%
Hosszabb ideig <u>nyújtott</u> informális gondozást <u>régebben a múltban</u>	14,7%	10,8%	5,7%
<u>Ismer valakit, aki hosszabb ideje nyújt vagy nyújtott informális gondozást</u>	17,7%	19,1%	9,9%

^aKözépfokú végzettségűnek tekintettük azokat, akiknek a legmagasabb iskolai végzettsége az érettségi volt.

Forrás: [152] Creative Commons Attribution 4.0. nemzetközi licenz alapján (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>).

Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető: <https://link.springer.com/article/10.1007%2Fs40273-020-00899-2>

15. táblázat Informális gondozók jellemzői a három közép-kelet-európai országban

Változók	Magyarország		Lengyelország		Szlovénia	
	N	%	N	%	N	%
Teljes minta	149	100%	150	100%	96	100%
Nők	87	58,4%	75	50,0%	49	51,0%
Korcsoport, év***						
18-34	14	9,4%	44	29,3%	19	19,8%
35-64	85	57,0%	87	58,0%	68	70,8%
65-	50	33,6%	19	12,7%	9	9,4%
Iskolai végzettség***						
Alapfokú	28	18,8%	11	7,3%	11	11,5%
Középfokú	55	36,9%	91	60,7%	59	61,5%
Felsőfokú	66	44,3%	48	32,0%	26	27,1%
Foglalkoztatottság***						
Teljes munkaidőben dolgozik/egyéni vállalkozó	59	39,6%	64	42,7%	44	45,8%
Részmunkaidőben dolgozik	6	4,0%	13	8,7%	6	6,3%
Nyugdíjas	64	43,0%	31	20,7%	21	21,9%
Rokkantnyugdíjas	5	3,4%	8	5,3%	4	4,2%
Nappali tagozatos tanuló/egyetemi hallgató	1	0,7%	6	4,0%	6	6,3%
Munkanélküli (munkát keres)	4	2,7%	7	4,7%	8	8,3%
Munkanélküli (nem keres munkát)	2	1,3%	5	3,3%	3	3,1%
Háztartásbeli	3	2,0%	13	8,7%	2	2,1%
Egyéb	5	3,4%	3	2,0%	2	2,1%
Lakóhely***						
Főváros	32	21,5%	16	10,7%	13	13,5%
Város	85	57,0%	107	71,3%	46	47,9%
Község, nagyközség, falu	32	21,5%	27	18,0%	37	38,5%
Házassági vagy élettársi kapcsolatban él (igen)	101	67,8%	99	66,0%	72	75,0%
Vélt egészségi állapot						
Kitűnő	9	6,0%	8	5,3%	8	8,3%
Nagyon jó	28	18,8%	32	21,3%	31	32,3%
Jó	67	45,0%	74	49,3%	35	36,5%
Tűrhető	37	24,8%	29	19,3%	16	16,7%
Rossz	8	5,4%	7	4,7%	6	6,3%
	Átlag	SD	Átlag	SD	Átlag	SD
Életkor, év***	56,1	14,2	45,6	15,5	48,0	14,0
Háztartásban élők száma***	2,5	2,5	3,3	3,1	3,0	1,9
A háztartásban egy főre jutó nettó havi jövedelem, euró***	403	245	362	223	763	542
EQ-5D-5L index***	0,86	0,18	0,77	0,21	0,84	0,19
EQ VAS***	75,0	18,8	65,9	21,9	73,1	21,3

*p < 0,01; **p < 0,05; ***p < 0,1; Az eloszlások különbségeit az országok között Chi-négyzet próbával, az átlagok különbségeit ANOVA teszttel vizsgáltuk. Forrás: [150] Creative Commons Attribution 4.0. nemzetközi licenz alapján (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető: <https://link.springer.com/article/10.1007/s10198-019-01058-x>

16. táblázat Az informális gondozás jellemzői a három közép-kelet-európai országban

	Magyarország (N=149)		Lengyelország (N=150)		Szlovénia (N=96)	
	N	%	N	%	N	%
A gondozott egészségproblémáinak jellege:						
Főleg fizikai problémái vannak	73	49,0%	89	59,3%	43	44,8%
Főleg mentális problémái vannak	26	17,4%	19	12,7%	15	15,6%
Fizikai és mentális problémák is vannak	50	33,6%	42	28,0%	38	39,6%
A gondozott egészségi állapota (a gondozó közlése alapján)***						
Kitűnő	4	2,7%	2	1,3%	4	4,2%
Nagyon jó	4	2,7%	9	6,0%	2	2,1%
Jó	25	16,8%	41	27,3%	35	36,5%
Tűrhető	90	60,4%	76	50,7%	31	32,3%
Rossz	26	17,4%	22	14,7%	24	25,0%
A gondozott egészségi állapota vélhetően:***						
Végleges, nem várható javulás a jövőben	108	72,5%	66	44,0%	52	54,2%
Nem végleges, várhatóan javulni fog a jövőben	26	17,4%	43	28,7%	21	21,9%
Nem tudom	14	9,4%	38	25,3%	16	16,7%
Nem kívánok válaszolni	1	0,7%	3	2,0%	7	7,3%
Gondozás időtartama**						
1 hónapja vagy kevesebb ideje	2	1,3%	4	2,7%	7	7,3%
2-6 hónapja	12	8,1%	20	13,3%	14	14,6%
7-12 hónapja	18	12,1%	18	12,0%	4	4,2%
Több, mint 1 éve	117	78,5%	108	72,0%	71	74,0%
A gondozott személy a gondozó						
Partnere	19	12,8%	11	7,3%	10	10,4%
Szülője	53	35,6%	55	36,7%	40	41,7%
Gyermeke	12	8,1%	13	8,7%	7	7,3%
Egyéb családtagja	47	31,5%	58	38,7%	34	35,4%
Szomszédja/barátja/ismerőse	18	12,1%	13	8,7%	5	5,2%
A gondozó a gondozottal egy háztartásban él:***						
Igen	51	34,2%	84	56,0%	38	39,6%
Nem	98	65,8%	66	44,0%	58	60,4%
Gondozás hatása a gondozó életére***						
Inkább negatív	43	28,9%	23	15,3%	25	26,0%
Se nem negatív, se nem pozitív	69	46,3%	103	68,7%	60	62,5%
Inkább pozitív	37	24,8%	24	16,0%	11	11,5%
	Átlag	SD	Átlag	SD	Átlag	SD
EQ-5D-5L (Proxy 1) index, gondozott	0,53	0,25	0,49	0,29	0,52	0,32
EQ VAS, gondozott**	47,0	22,7	44,4	21,9	48,2	24,2
CarerQol-7D index érték***	76,0	16,2	69,6	17,6	70,9	18,0
CarerQol-VAS	6,8	2,3	6,4	2,1	6,6	2,2
Gondozási idő, óra/hét	27,6	35,4	35,5	40,6	28,8	36,9

	Magyarország (N=149)		Lengyelország (N=150)		Szlovénia (N=96)	
Utazási idő a gondozó és gondozott lakóhelye között (akik nem egy háztartásban élnek), perc	42,1	53,6	48,4	58,2	50,0	61,0

* $p < 0.1$; ** $p < 0.05$; *** $p < 0.01$; Az eloszlások különbségeit az országok között Chi-négyzet próbával, az átlagok különbségeit ANOVA teszttel vizsgáltuk.

Forrás: [150] Creative Commons Attribution 4.0. nemzetközi licenz alapján

(<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető:

<https://link.springer.com/article/10.1007/s10198-019-01058-x>

Az informális gondozás jellemzőit a 16. táblázatban foglaltuk össze. A gondozók legtöbb esetben a saját szüleiket gondozták mindhárom országban, gyakoriságban ezt követte az anyós/após (12,1%, 8,7% illetve 13,5%), illetve a házastárs/partner gondozása (12,8%, 7,3% illetve 10,4%). Lengyelországban inkább jellemző volt, hogy a gondozó egy háztartásban él a gondozottal (56,0%), míg a másik két országban nem.

A regresszió elemzések eredményeit publikáltuk [150], itt terjedelmi okok miatt nem mutatom be részletesen. Röviden kiemelem a statisztikailag szignifikáns eredményeket. Magyarországon a nők, Lengyelországban a felsőfokú iskolai végzettségűek voltak nagyobb eséllyel gondozók, Lengyelországban és Szlovéniában pedig a rosszabb egészségi állapotban (EQ-5D-5L index) levők. A gondozási idő (óra/hét) mindhárom országban szignifikánsan több volt azok esetében, akik együtt laktak a gondozott személlyel. Magyarországon és Szlovéniában a dolgozó (fizetett állásban levő) válaszadók szignifikánsan kevesebb időt töltöttek gondozással, mint a nem dolgozók. Magyarországon a rosszabb egészségi állapotban (EQ-5D-5L Proxy 1) levő gondozottaknál is hosszabb volt a gondozási idő, valamint ha nem családtagot (barátot, szomszédot, ismerőst) gondoztak. Lengyelországban a nem egyedülállók (házas vagy élettársi kapcsolatban élők), akik kisebb létszámú háztartásban éltek és akik több mint 12 hónapja voltak gondozók fordítottak több időt informális gondozásra, azonban a főleg mentális problémákkal élő gondozottak gondozóinál rövidebb volt a gondozási idő (a főleg fizikai problémákkal élők gondozásához képest). Szlovéniában a nők, az alacsonyabb jövedelműek, valamint a mentális és fizikai problémákkal élőket gondozóknál volt jelentősen több a gondozási idő. A gondozói életminőséget meghatározó tényezők vonatkozásában több hasonlóságot találtunk az országok között. Mindhárom országban a CarerQol-7D index szignifikáns pozitív összefüggést mutatott a gondozó egészségi állapotával (EQ-5D-5L index). Magyarországon és Lengyelországban magasabb CarerQol-7D index értéke (jobb állapot) volt azoknak a gondozóknak, akik több emberrel éltek együtt egy háztartásban és rosszabb, ha a gondozottnak mentális, vagy mentális és fizikai problémái voltak. Magyarországon és Szlovéniában is jobb gondozói életminőségről

számoltak be azok, akik a saját gyereket gondozták (más családtagok gondozásához képest). A többi tényezőnél csak egy-egy országnál találtunk szignifikáns eredményt. (Magyarországon jobb gondozói életminőség: nők, a gondozott állapota vélhetően nem végleges, több mint 12 hónapja tartó gondozás, magasabb gondozási óraszám; de rosszabb, ha egy háztartásban élnek a gondozottal. Lengyelországban jobb gondozói életminőség volt magasabb jövedelem esetén, de rosszabb az alapfokú végzettségűek körében.) [150]

Magyarországi CarerQol részletes eredmények és a magyar nyelvű CarerQol mérce validitása

Az előző alfejezetben közölt CarerQol-7D index eredmények részben már alátámasztották a magyar (a lengyel és a szlovén) nyelvű mérce klinikai és konvergens validitását. Ebben az alfejezetben a magyarországi CarerQol eredményeket ismertetem részletesen, beleértve a gondozó boldogságára vonatkozó CarerQol-VAS adatokat, valamint részletesebben mutatom be a magyar nyelvű mérce validitását igazoló eredményeket.

A magyarországi gondozók CarerQol-7D index és CarerQol VAS értékei nem különböztek szignifikánsan a gondozó szocio-demográfiai jellemzői szerint, de szignifikáns különbséget találtunk az egészségi állapotuk (vélt egészség skálával mérce) szerint. (17. táblázat).

Klinikai validitásra vonatkozóan a CarerQol-7D index szignifikánsan különbözött a gondozott egészség-problémájának típusa szerint, a legalacsonyabb értéket a csak mentális problémákkal élő gondozottak esetében találtuk. (18. táblázat) Szignifikáns eltérést találtunk a gondozott egészségi állapota (vélt egészség skála a gondozó szerint) alcsoportok között (rosszabb egészségi állapotban levő személy gondozása alacsonyabb CarerQol-7D index-szel jár). Ugyancsak szignifikánsan különbözött a CarerQol-7D index a gondozott egészségi állapotának jövőbeli perspektívája szerint (jobb CarerQol-7D érték, ha javulás várható az állapotban) és ha a gondozás kevesebb, mint 6 hónapja tart és ha a gondozó és a gondozott egy háztartásban él.

17. táblázat A magyarországi informális gondozók CarerQol-7D index és CarerQol-VAS értékei a gondozó szocio-demográfiai jellemzői szerinti alsóportokban

	N	%	CarerQol-7D index Átlag (SD)	CarerQol-VAS Átlag (SD)
Teljes minta (gondozók)	149	100%		
Nem			p=0,706	p=0,992
Nő	87	58,4%	75,6 (16,1)	6,8 (2,4)
Férfi	62	41,6%	76,4(16,5)	6,8 (2,1)
Életkor, év			p=0,128	p=0,739
18-24	3	2,0%	93,6 (8,6)	7,3 (2,5)
25-34	11	7,4%	72,9 (22,0)	6,6 (2,5)
35-44	20	13,4%	70,0 (21,2)	6,3 (3,0)
45-54	27	18,1%	78,2 (14,3)	7,1 (2,6)
55-64	38	25,5%	74,4 (14,3)	6,7 (2,0)
65+	50	33,6%	76,0 (16,2)	7,0 (2,0)
Iskolai végzettség			p=0,611	p=0,810
Alapfokú	28	18,8%	77,7 (17,4)	6,6 (2,6)
Középfokú	55	36,9%	73,8 (18,4)	6,8 (2,2)
Felsőfokú	66	44,3%	77,0 (13,5)	6,9 (2,2)
Foglalkoztatottság			p=0,282	p=0,918
Teljes munkaidőben dolgozik/egyéni vállalkozó	59	39,6%	77,0 (16,8)	6,8 (2,5)
Részmunkaidőben dolgozik	6	4,0%	70,7 (21,9)	7,2 (1,8)
Nyugdíjas	64	43,0%	76,1 (14,2)	6,9 (2,0)
Rokkantsnyugdíjas	5	3,4%	65,7 (7,6)	6,0 (2,4)
Egyéb	15	10,1%	76,9 (21,2)	6,7 (2,8)
Lakóhely			p=0,183	p=0,743
Főváros	32	21,5%	73,4 (17,0)	7,0 (2,3)
Város	85	57,0%	78,4 (14,4)	6,8 (2,2)
Község, nagyközség, falu	32	21,5%	71,9 (18,9)	6,8 (2,4)
Házassági vagy élettársi kapcsolatban él			p=0,858	p=0,083
Igen	101	67,8%	76,4 (14,7)	7,0 (2,3)
Nem	48	32,2%	75,1 (19,0)	6,4 (2,3)
Vélt egészség			p=0,000	p=0,000
Kitűnő	9	6,0%	79,3 (21,5)	8,0 (2,1)
Nagyon jó	28	18,8%	81,3 (14,6)	7,7 (1,8)
Jó	67	45,0%	79,1 (13,9)	7,0 (2,1)
Tűrhető	37	24,8%	68,9 (16,5)	6,0 (2,3)
Rossz	8	5,4%	59,6 (16,2)	4,1 (2,8)
Háztartásban élő személyek száma			p=0,274	p=0,634
1	31	20,8%	76,3 (18,9)	6,8 (1,9)
2	58	38,9%	75,4 (16,5)	6,8 (2,4)
3	40	26,8%	75,4 (14,2)	6,6 (2,1)
4	12	8,1%	72,5 (15,5)	7,2 (2,4)
5-7	8	5,3%	86,4 (11,4)	7,1 (3,6)
Háztartás nettó havi jövedelme*			p=0,803	p=0,357

	N	%	CarerQol-7D index Átlag (SD)	CarerQol-VAS Átlag (SD)
0 – 621 euró	45	30,2%	74,0 (17,4)	6,7 (2,3)
622 – 932 euró	44	29,5%	76,1 (15,1)	6,6 (2,3)
Több, mint 932 euró	45	30,2%	77,5 (16,6)	7,2 (2,2)
Nem kívánok válaszolni	15	10,1%	76,9 (15,0)	6,3 (2,7)

A különbségeket Kruskal-Wallis illetve Mann-Whitney U tesztekkel vizsgáltuk.

*Átváltás: 1 euró= 322 Forint (2018 novemberi váltás szerint)

Forrás: [151] Creative Commons Attribution 4.0 nemzetközi licenz alapján

(<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető:

<https://link.springer.com/article/10.1007/s11136-020-02662-8>

Korreláció elemzéssel szignifikáns, de gyenge kapcsolatot találtunk a CarerQol-7D index és a CarerQol-VAS, illetve a gondozási idő között ($r=-0,257$; $r=-0,212$), ahogy a CarerQol-7D index és a gondozott EQ-5D-5L (Proxy 1) index-e és EQ VAS értéke között is ($r=0,247$; $r=0,144$). A konvergencia validitására vonatkozóan a CarerQol-7D doménjei közül a két pozitív domén (elégedettség, segítség) pozitív, az öt negatív domén negatív kapcsolatot mutatott a CarerQol-VAS-sal (az adatokat nem ismertetem részletesen), és szignifikáns közepes erősségű ($r=0,363$) kapcsolatot igazoltunk a CarerQol-7D index és a CarerQol-VAS között. A CarerQol-7D index szignifikáns, közepesen erős kapcsolatot mutatott a gondozó EQ-5D-5L index és EQ VAS egészségi állapotával ($r=0,453$; $r=0,387$) [151]. A CarerQol-7D index és a CarerQol-VAS is szignifikánsan különbözött aszerint, hogy a gondozó mennyire pozitívnak ítélte meg a gondozás hatását az életére. (18. táblázat)

Diszkriminációs validitás vonatkozásában a CarerQol-VAS (a gondozó boldogsága) szignifikánsan különbözött a CarerQol-7D doménjei három válasz-szintje között (magasabb CarerQol-VAS érték, ha sok elégedettséggel tölti el a gondozás, ha nincsenek kapcsolati problémái a gondozottal, ha a gondozottnak nincs mentális vagy fizikai problémája). (Az adatokat publikáltuk [151], itt nem közöljük.)

18. táblázat A magyarországi informális gondozók CarerQol-7D index és CarerQol-VAS értékei a gondozási helyzet szerinti alcsoportokban

	No.	%	CarerQol-7D index, gondozók Átlag (SD)	CarerQol-VAS (boldogság), gondozók Átlag (SD)
A gondozott egészségproblémáinak jellege			p=0,019	p=0,562
Főleg fizikai problémái vannak	73	49,0%	79,6 (14,4)	6,9 (2,1)
Főleg mentális problémái vannak	26	17,4%	69,4 (20,7)	7 (2,5)
Fizikai és mentális problémák is vannak	50	33,6%	74,0 (14,8)	6,5 (2,4)
A gondozott egészségi állapota (a gondozó közlése alapján)			p=0,020	p=0,453
Kitűnő / Nagyon jó	8	5,4%	75,0 (19,9)	7,5 (1,6)
Jó	25	16,8%	74,8 (16,6)	6,6 (2,1)
Tűrhető	90	60,4%	78,5 (15,4)	7 (2,2)
Rossz	26	17,4%	68,5 (15,8)	6,1 (2,9)
A gondozott egészségi állapota vélhetően:			p=0,045	p=0,145
Végleges, nem várható javulás a jövőben	108	72,5%	76,1 (15,9)	6,8 (2,3)
Nem végleges, várhatóan javulni fog a jövőben	26	17,4%	80,0 (13,8)	7,1 (2,2)
Nem tudom	14	9,4%	65,8 (19,3)	5,9 (2,3)
Nem kívánok válaszolni	1	0,7%	93,7	10,0
Gondozás tartama			p=0,097	p=0,441
≤6 hónap	12	8,1%	66,8 (18,8)	6,5 (2,4)
7-12 hónap	18	12,1%	78,8 (14,3)	6,2 (2,6)
Több, mint 1 év	117	78,5%	76,6 (15,9)	6,9 (2,2)
A gondozott személy a gondozó^a			p=0,084	p=0,614
Partnerre	19	12,8%	71,3 (14,6)	6,4 (2,2)
Szülője	53	35,6%	76,3 (14)	6,5 (2,5)
Anyósa / apósa	18	12,1%	78,2 (11,8)	7,7 (1,4)
Gyermeke	12	8,1%	73,6 (14)	6,8 (1,7)
Egyéb családtagja	29	19,5%	73,5 (21,4)	7,1 (2,1)
Szomszédja/barátja/ismerőse	18	12,1%	83,2 (18,2)	6,7 (2,8)
A gondozó a gondozottal egy háztartásban él			p=0,015	p=0,058
Igen	51	34,2%	72,3 (15,5)	6,4 (2,2)
Nem	98	65,8%	77,9 (16,2)	7 (2,3)
Gondozás hatása a gondozó életére			p=0,000	p=0,000
Inkább negatív	43	28,9%	65,6 (16,3)	5,4 (2,6)
Se nem negatív, se nem pozitív	69	46,3%	80,2 (11,9)	7,2 (2)
Inkább pozitív	37	24,8%	80,1 (17,8)	7,6 (1,7)

A különbségeket Kruskal-Wallis teszttel vizsgáltuk.

^aA különbség szignifikáns volt a bármely családtag (partner, szülő, anyós/após, gyermek, egyéb családtag kategóriák együttesen) és a szomszéd/barát/ismerős alcsoportok között ($p=0.009$).

Forrás: [151] Creative Commons Attribution 4.0 nemzetközi licenz alapján

(<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető: <https://link.springer.com/article/10.1007/s11136-020-02662-8>

A CarerQol hasznosság értékkészlete a három országban

A három ország egyes modelljeinek az eredményeit publikáltuk [152], az ezekből kialakított CarerQol-7D értékeket a 19. táblázatban mutatom be. A CarerQol-7D index értékét az egyes válasz-szintek értékeinek összeadásával kell kiszámolni. Lengyelországban az „Elégedettség” domén szerepelt legnagyobb súllyal (sok elégedettséggel tölti el a gondozási feladatai végzése), Magyarországon és Szlovéniában pedig a „Testi”, illetve a „Mentális egészségproblémák” hiánya (Lengyelországban ez a két domén a 2. illetve 3. legfontosabb volt). Mindhárom országban a „Napi tevékenységekkel problémák” és a „Segítség” domének szerepeltek legkisebb súllyal.

19. táblázat CarerQol-7D értékek a három országban

CarerQol-7D domének	Szint	Magyarország		Lengyelország		Szlovénia	
		érték	SE	érték	SE	érték	SE
Elégedettség	Nincs	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0
	Némi	12,2	1,7	17,7	2,9	13,6	1,5
	Sok	16,3	2,2	22,9	3,8	17,1	2,0
Kapcsolati problémák	Nincs	15,2	1,9	14,0	2,0	13,0	1,5
	Némi	10,5	1,7	11,3	2,3	9,2	1,8
	Sok	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0
Mentális egészségproblémák	Nincs	18,1	1,7	18,7	2,6	18,9	1,8
	Némi	13,5	1,5	13,6	2,0	14,1	1,7
	Sok	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0
Napi tevékenységekkel problémák	Nincs	7,7	1,3	7,2	2,6	8,7	1,8
	Némi	4,6	1,1	4,6	1,8	6,6	1,4
	Sok	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0
Pénzügyi problémák	Nincs	13,5	1,5	13,8	2,9	13,7	1,7
	Némi	9,8	1,2	11,1	2,1	10,8	1,5
	Sok	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0
Segítség	Nincs	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0
	Némi	6,1	1,0	7,8	1,4	5,2	1,0
	Sok	7,6	1,1	7,8	1,4	6,7	1,4
Testi egészségproblémák	Nincs	21,6	2,3	15,6	3,0	21,8	1,9
	Némi	17,9	1,7	13,9	2,1	16,5	1,6
	Sok	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0

SE=standard error (standard hiba)

Forrás:[152] Creative Commons Attribution 4.0. nemzetközi licenz alapján

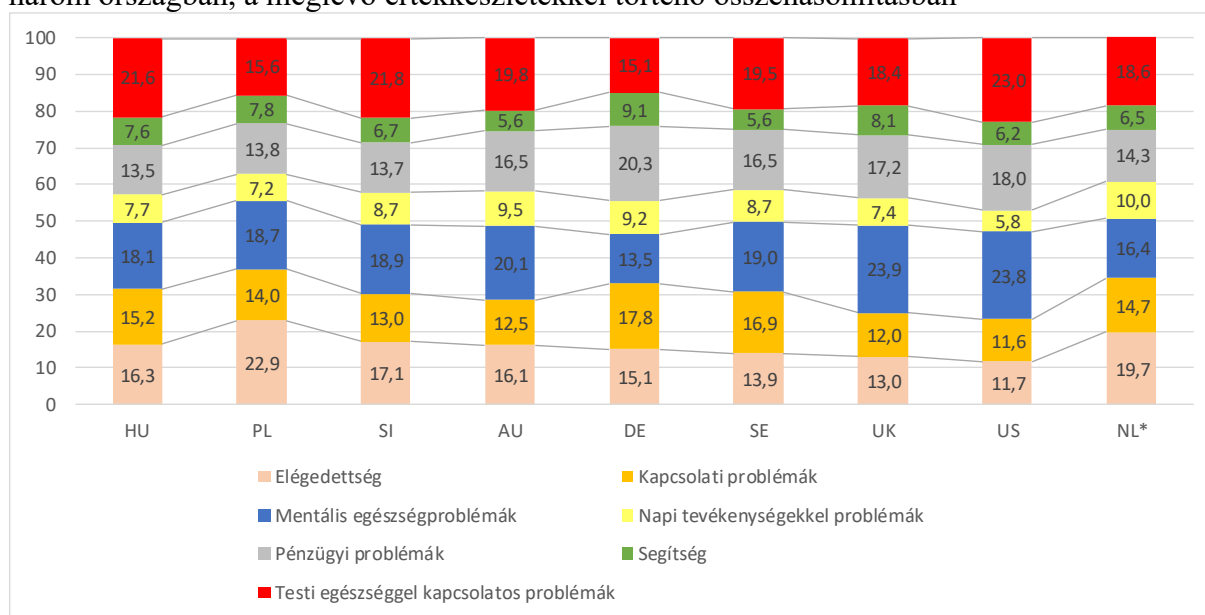
(<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető:

<https://link.springer.com/article/10.1007%2Fs40273-020-00899-2>

Más országokból származó CarerQol-7D értékkészletekkel történő összehasonlításhoz [13,127] azt az esetet vizsgáltuk meg, hogy milyen relatív súllyal szerepelnek az egyes

domének az elképzelhető legjobb CarerQol-7D állapot (értéke=100) esetén. Lengyelország Hollandiával mutatott leginkább hasonlóságot, ahol szintén az „Elégedettség” domén volt a legfontosabb a válaszadók számára. Németország eltér az összes vizsgált országtól, ott a „Pénzügyi problémák” domén dominált. Az Egyesült Királyság, USA, Ausztrália és Svédország hasonló eredményt adott, és Magyarország és Szlovénia eredményei ezekhez az országokéhoz hasonlított leginkább [13]. (11. ábra)

11. ábra Az egyes CarerQol domének súlya a legjobb gondozási szcenárió esetén a vizsgált három országban, a meglévő értékkészletekkel történő összehasonlításban



HU=Magyarország, PL=Lengyelország, SI=Szlovénia, AU=Ausztrália, DE=Németország, SE: Svédország, UK=Egyesült Királyság, US=Amerikai Egyesült Államok, NL=Hollandia

*A holland értékkészletben interakció figyelhető meg a „Nincs probléma” a fizikai és mentális egészség tételek között (értéke 6,6), az ábrázoláshoz ez hozzáadásra került ezeknél a tételeknél.

Forrás:[152] Creative Commons Attribution 4.0. nemzetközi licenz alapján

(<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető:

<https://link.springer.com/article/10.1007%2Fs40273-020-00899-2>

A DCE feladathoz elképzelt szituációkban a válaszadók többsége (Magyarország /Lengyelország/ Szlovénia: 45,7% / 37,7% / 35,6%) a szülők gondozására és döntően fizikai problémák miatti gondozásra gondolt (58,1%/59,5%/61,5%), átlagosan (SD) heti 32(39) / 36(38) / 25(28) óra gondozási idővel számoltak. Lengyelországban a többség (59,1%) úgy képzelte, hogy egy háztartásban él a gondozottal, míg a másik két országban nem.

5.4.2 Krónikus betegséggel élő betegek egészségi állapota és informális gondozási ideje közötti összefüggések

Összesen 14 különböző krónikus betegségben végzett vizsgálatból vontunk be adatokat az elemzésbe és 2047 beteg eredményeit értékeltük. A páciensek (58% nő) átlagos életkora 58,9 (SD = 16,3) év volt. A legnagyobb betegszámú vizsgálatok csontritkulás (N=282), RA (N=255) és jóindulatú prosztata megnagyobbodás (N=246) betegségekben történtek, de más krónikus betegségekben (AP, SSc, SM, pikkelysömör, időskori makula denegeráció, demencia, endometriózis, epilepszia, húgyhólyagrák, Parkinson kór, skizofrénia) is értékelhető számú betegadatot nyertünk. Az összes beteg 27,4%-a részesült informális gondozásban, betegségenként jelentős eltérésekkel (pl. RA 49,8%, SSc 38,8%, AP 37,7%). Az átlagos informális gondozási óraszám 7,5 (SD=26,4) óra/hét volt, legmagasabb óraszámokat (>10 óra/hét) demencia, SM, Parkinson kór betegségekben láttunk, ezeket követte sorrendben az SSc, AP és RA átlagosan >6 óra/hét órással. A teljes mintát nézve az informális gondozásban részesülők és nem részesülők al csoportjában az EQ-5D-3L index értéke átlagosan 0,42 (0,35) illetve 0,73 (0,27) volt. Regresszió elemzés során az informális gondozási időt magyarázó változók közül az EQ-5D-3L index, a páciens neme és egyes diagnózisok változók megléte (OP, Parkinson kór) bizonyultak szignifikánsnak [119].

5.4.3 Megbeszélés

Kutatásunk során három KKE országban, Magyarországon, Lengyelországban és Szlovéniában vizsgáltuk az informális gondozás jellemzőit és a gondozók életminőségét egy keresztmetszeti online lakossági vizsgálat keretében. Vizsgálatunk egyik fő erőssége, hogy a KKE régióban elsőként vizsgáltuk az informális gondozással összefüggő életminőséget egy standard mérce, a CarerQol alkalmazásával, melyhez kifejlesztettük a CarerQol magyar, lengyel és szlovén nyelvű verzióját, és elemeztük a gondozói életminőséget meghatározó tényezőket. A kutatás másik fő erőssége, hogy (szintén elsőként a KEE régióban, hetedikként a világban) kifejlesztettük a CarerQol mérce országspecifikus hasznosság értékkészletét mindhárom ország számára. A három országban egyidejűleg és azonos módszertannal végzett felmérés lehetőséget adott az országok közötti hasonlóságok és különbségek elemzésére, valamint a CarerQol hasznosság értékkészletre vonatkozóan a régióon belül és Európa gazdaságilag fejlettebb országaiban, az USA-ban és Ausztráliában felmért értékkészletekkel való összehasonlításra.

Az informális gondozók aránya a mintánkban az 50 éves és idősebb korcsoportban hasonló volt Magyarországon, mint az OECD jelentésben [282] (17,0% vs. 16,2%), míg Lengyelországban

kissé magasabb (16,7% vs. 12,8%), Szlovéniában pedig kissé alacsonyabb volt (11,7% vs. 14,6%) [150]. Magyarországon a nők nagyobb eséllyel voltak informális gondozók, ami egybevág az OECD felmérések eredményeivel [282], azonban a másik két országban nem volt megfigyelhető ez az összefüggés. Rubovszky és mtsai. kutatásai szerint hazánkban az informális gondozó jellemzően középkorú, gyermekkel rendelkező nő, aki deprivált területen él és a jövedelme jellemzően alacsonyabb az átlagosnál [129]. Ezzel szemben a mintánkban nem találtunk összefüggést a gondozói státusz és az életkor, illetve a lakóhely között. Az informális gondozás jellemzői kisebb-nagyobb különbségeket mutattak a három országban. Kiemelném a mindhárom országra közös pontokat. Az informális gondozók többsége munkaképes korú volt és a legtöbben a szülőket gondozták, az átlagos heti gondozási idő több mint heti 27 óra volt és a legtöbb gondozó több mint egy éve végezte az informális gondozást. A gondozottak többségének főleg fizikai egészségproblémái voltak, de gyakori volt, hogy fizikai és mentális problémák egyaránt jelen voltak. Ugyancsak mindhárom országban szignifikánsan több volt a gondozási idő (óra/hét) azok esetében, akik egy háztartásban laktak a gondozott személlyel.

Az informális gondozás jelentőségét mutatja egyrészt a magas (>27 óra/hét) átlagos gondozási idő, ami több mint egy félállásnak felel meg. Ez igen komoly tartós terhelést jelent, különösen munka vagy tanulás mellett. Magyarországon Rubovszky és mtsai. hasonló átlagos gondozási időt közöltek (26,6 óra/hét) [129]. Fontosnak tartom hangsúlyozni, hogy ezek lakossági felmérésből származó, átlagos gondozási idők. Kutatócsoportunk krónikus betegségekben végzett hazai felmérései szerint a heti átlagos gondozási idő ennél jóval magasabb is lehet: demenciában 82,8 óra/hét, epilepsziában 40,9 óra/hét, SM-ben 20,5 óra/hét átlagos gondozási időket találtunk [119]. Egy 16 országra kiterjedő SM kutatásban (melyben a magyarországi felmérést vezettem), a hazai betegek 53%-a vett igénybe informális gondozást átlagosan havonta 16,3 napon át, 5,9 óra/nap időtartamban, de a súlyosabb állapotú betegeknél ennek többszöröse is előfordult [257,258]. Míg a fenti betegségekben talán jobban közismert a magas gondozási igény, a reumatológiai (immunmediált gyulladással) betegségekben is számottevő átlagos heti óraszámokat mértünk az informális gondozásban részesülők között (SSc: 18,7 óra/hét, AP: 17,8 óra/hét, RA: 12,8 óra/hét) [119]. A ritka betegségek területén végzett, nyolc országra kiterjedő betegségteher kutatásunkban (melyben a magyarországi felmérést vezettem) sclerodermában (N=589) az informális gondozás az egyik legjelentősebb költségvetés volt és sok esetben több mint egy informális gondozója volt a betegnek [247,260]. Jelentős különbségeket találtunk az országok között (pl. Olaszországban és Spanyolországban jelentős

volt az informális gondozás, Németországban és Svédországban pedig elenyésző), ennek háttérében részben kulturális, részben az egészségügyi és szociális ellátórendszerbeli különbségek húzódnak meg. Ugyanezen nyolc országos felmérésben JIA betegek körében (N=162, 78% gyerek) az átlagos heti gondozási óraszám 16 óra/hét (Franciaország) és 52 óra/hét (Németország) között változott [261]. Összehasonlításként, gyermek (N=74) és felnőtt (N=46) mucopolysaccharidososis betegeknél átlagosan 51 óra/hét, illetve 52 óra/hét gondozási időt találtunk a nyolc országos mintában [283], ugyanebben a felmérésben hazai felnőtt cisztás fibroszis betegeknél (N=50) öt betegnek volt informális gondozója, akik heti 40-92 órában gondozták családtagjukat [284]; hazai gyermek DMD (N=50) betegcsoportban a családra eső gondozási idő átlagosan 69 óra/hét volt [285].) Összességében elmondható, hogy az átlagos lakosságban és a krónikus betegségekben a gondozási idő nagy változatosságot mutat országonként, betegségenként és súlyossági stádiumonként, ezért ezeket célzott helyi vizsgálatokkal javasolt felmérni.

A CarerQol kérdőívvel végzett kutatásunkban magyar nyelvű CarerQol verzió pszichometriai tulajdonságainak részletes elemzése jó érvényességet igazolt [151]. Előzetes elemzések alapján a CarerQol lengyel és a szlovén nyelvi verziójának a validitása is hasonlóan jó eredményt adott [286,287]. A CarerQol-7D index átlagos értéke Magyarországon volt a legmagasabb (76,0) és Lengyelországban a legalacsonyabb (69,6), Szlovéniában köztes értéket találtunk (70,9), a CarerQol-VAS érték ugyanezt a sorrendet követte. Hollandiában egy hasonló lakossági online vizsgálatban az átlagosan 47 éves életkorú informális gondozói mintában a CarerQol átlagos értéke kicsit magasabb (79,1) volt [186]. Mindhárom országban szignifikáns pozitív összefüggést találtunk a gondozó EQ-5D-5L index és CarerQol-7D index értéke között, azaz a jobb egészségi állapot jobb gondozói életminőséggel jár, ami összhangban van a szakirodalmi adatokkal [186]. A gondozott egészségi állapota és annak jellemzői (milyen típusú egészségproblémája van, várható-e javulás az állapotában) szintén jelentős hatással lehetnek a gondozói életminőségre (országok közötti eltérésekkel) [288,289], különösen a mentális betegséggel élők gondozása tűnik megterhelőnek, eredményeink erősítik a korábbi szakirodalmi megfigyeléseket [290]. Ugyanakkor nagyon fontosak a gondozás körülményei is (hányan élnek együtt, mekkora a gondozó jövedelme és munkaerőpiaci statusa, mióta tart a gondozás és heti hány órát vesz igénybe, milyen kapcsolatban áll a gondozó és a gondozott), de szem előtt kell tartani, hogy a három KKE országban ezek nem azonos súllyal szerepeltek.

A három ország CarerQol hasznosság értékkészlete nagyon sok hasonlóságot mutatott. Lengyelországban láttunk kissé eltérő eredményt, ahol a gondozással összefüggő

„Elégedettség” érzés kapta a legnagyobb hangsúlyt a válaszadók szerint. Feltételezésünk szerint ez egy valódi eltérést tükröz az országok között, amely háttérben különböző tényezők állhatnak egyrészt általánosságban (a lengyel lakosság vallásosabb [291], többen gondolják azt, hogy a rászoruló időseknek a gyermekeikkel a legjobb együtt élni, mint a másik két országban [292]), másrészt a mintára vonatkozóan is (Lengyelországban többen képzelték azt a DCE feladat során, hogy együtt élnek a gondozottal). A többi létező értékészlettel összehasonlítva számottevő különbségeket észleltünk, leginkább az „Elégedettség” domén kapott magasabb értéket a három KKE országban, mint a referencia országok többségében. Az Eurobarométer kutatás szerint Lengyelországban, Magyarországon és Szlovéniában a lakosok 59%, 36% illetve 29%-a vélekedett úgy, hogy az időseknek a gyermekükkel a legjobb élni, ezek az arányok Németországban 25%, az Egyesült Királyságban 20%, Hollandiában és Svédországban pedig mindössze 4% volt [292], ami vélhetően jelentősen befolyásolja a gondozói szereppel összefüggő elégedettség értékelését.

Kutatásunk korlátokkal bír. A minta 65 éves korig volt reprezentatív a főbb demográfiai jellemzőkre, ezért az idősebb korosztályra vonatkozó eredményeink és azok speciális jellemzői (pl. idős házastársak egymást segítése, gondozása) korlátozottan érvényesek. Torzítást okozhat, hogy egy online panelből kerültek a résztvevők beválogatásra, az internetet nem használók kimaradtak és vélhetően azok is, akik a legtöbb időt fordítják informális gondozásra. A gondozott egészségi állapotára csak közvetett információkat tudtunk gyűjteni. Bár kellően nagy lakossági mintákkal dolgoztunk, az informális gondozók abszolút száma viszonylag kicsi volt, ami a statisztikai próbák erősségét befolyásolhatta. Ezért az informális gondozás jellemzőit, az informális gondozók életminőségét (CarerQol) érdemes lenne további célzott vizsgálatokkal felmérni, nagyobb informális gondozói minta, illetve specifikus betegcsoportok bevonásával, melyben a gondozó és a gondozott egyaránt részt vesz. A magyar (a lengyel és a szlovén) nyelvű CarerQol mérce megbízhatóságának (ismételhetőség) és a változások mérésére vonatkozó képességének vizsgálata prospektív vizsgálatokkal javasolt. A többi országhoz hasonlóan kutatásunkban az általános lakosság szemszögéből vizsgáltuk a CarerQol állapotok preferáltságát. Érdemes lenne tovább vizsgálni kifejezetten gondozói szemszögből a CarerQol által leírható állapotokhoz rendelt hasznosság értékeket.

A nemzetközi szakirodalomban a gondozási idő és az EQ-5D egészségmércék kapcsolatának elemzése aktuális kérdés [128,130]. Lakossági CarerQol felmérésünkben elsőként alkalmaztuk az EQ-5D-5L (Proxy 1) mércét a gondozott egészségi állapotának (közvetett) mérésére és Magyarországon szignifikáns negatív összefüggést találtunk az EQ-5D-5L (Proxy1) index és a

gondozási idő között (rosszabb állapotban levő gondozott esetén több a gondozási idő). Összesen 14 krónikus betegségben végzett, korábbi hazai felméréseink betegszintű adatainak elemzése során is szignifikáns kapcsolatot találtunk a páciensek egészségi állapota (EQ-5D-3L index) és a betegek önbevallásán alapuló informális gondozási idő között [119]. Eredményeink összhangban vannak a Gheorge és mtsai. által közölt eredményekkel, mellyel az informális gondozás óraszámot a gondozott EQ-5D adataiból becsülték algoritmus segítségével [130]. Betegség-specifikus algoritmus felállításához azonban nagyobb betegszámú vizsgálatokra lenne szükség. Lengyelországban és Szlovéniában a lakossági felmérésben nem volt igazolható szignifikáns kapcsolat az EQ-5D-5L (Proxy 1) index és a gondozási idő között, úgy tűnik, a hazai eredmények nem általánosíthatók a többi országra a KEE régió belül sem.

Összefoglalva, kutatásunk elsőként szolgált adatokat az informális gondozók gondozással összefüggő életminőségéről a CarerQol mércével a KKE régióban, mely további betegség-specifikus kutatásokhoz referenciaértékként szolgál. Eredményeink alapján javasolható, hogy az informális gondozók segítségét célzó egészség- és szociálpolitikai intézkedések vegyék figyelembe a gondozó saját egészségi állapotát, gondozással összefüggő életminőségét (CarerQol) és a gondozás körülményeit. A Magyarországon, Lengyelországban és Szlovéniában felvett CarerQol hasznosság értékkészletek kifejlesztésével egy olyan új hasznosság mérce áll rendelkezésre, amely a betegekre fókuszáló hagyományos QALY megközelítés mellett az informális gondozóknál jelentkező egészségnyereség értékelését is lehetővé teszi.

5.5 Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága és a jövőbeli egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások

5.5.1 Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága a lakosság körében

Összesen 9281 válaszadó (nők 32,8%) adatait elemeztük, a minta átlagos életkora 36,0 (10,6) év volt, az EQ-5D-3L index és EQ VAS értéke rendre 0,852 (0,177; N=9018) and 76,68 (SD 19,15; N=9281) volt. A mintában felül voltak reprezentálva a fiatalabb, házaspárkapcsolatban élő, felsőfokú végzettségű válaszadók [153].

A válaszadók egyre több, közepes szintű egészségproblémát tartanak elfogadhatónak az idősebb életkorokra, ennek mértéke 90 éves korra már 61,0%-94,0% közötti. (20. táblázat) Legfiatalabb korban a „Szorongás/lehangoltság” és a „Fájdalom/rossz közérzet” doménekben tartják a közepes problémákat elfogadhatónak, átlagosan (akik nem jelöltek „Soha” választ)

már 58,0, illetve 64,4 éves kortól, ezt követi a „Mozgékonyosság” (68,4 éves kortól) a „Szokásos tevékenységek” (70,9 éves kortól) és legidősebb korra az „Önellátás” domén (75,7 éves kortól). (20. táblázat) A súlyos egészségproblémákat mind az öt doménben a többség semmilyen életkorban sem tartja elfogadhatónak. A többiek itt is a legfiatalabb kortól (átlagosan 64,7 éves kortól) a nagyon erős „Szorongás/lehangoltság”-ot tartják elfogadhatónak, ezt követi a nagyon erős „Fájdalom/rossz közérzet” (74,1 éves kortól) elfogadottsága.

20. táblázat Egészségproblémák elfogadottsága 60, 70, 80, 90 éves kortól illetve soha

Egészség domén (EQ-5D-3L leíró része)	A probléma súlyossága	Az egészségprobléma elfogadható ... éves életkortól, kumulatív %							Elfogadható ... éves életkortól*, átlag (S.D.)
		30	40	50	60	70	80	Soha	
Mozgékonyosság	Némi probléma	0,4	1,2	7,5	29,9	69,9	94,0	6,1	68,4 (9,3)
	Ágyhoz kötött	0,1	0,1	0,2	0,6	5,6	29,2	70,9	77,8 (5,3)
Önellátás	Némi probléma	0,1	0,2	0,6	4,1	29,5	80,0	20,0	75,7 (6,4)
	Képtelen rá	0,1	0,1	0,1	0,3	2,9	30,3	69,7	78,8 (4,4)
Szokásos tevékenységek	Némi probléma	0,3	0,8	3,8	19,3	60,8	93,6	6,4	70,9 (8,6)
	Képtelen rá	0,1	0,2	0,3	1,1	7,9	47,4	52,9	78,0 (5,2)
Fájdalom / diszkomfort	Mérsékelt	2,1	6,1	18,1	43,1	74,9	92,5	7,3	64,4 (11,9)
	Nagyon erős	0,4	0,6	1,7	5,8	19,0	46,2	53,9	74,1 (8,8)
Szorongás / lehangoltság	Mérsékelt	10,1	16,0	24,2	34,3	49,3	61,0	39,1	58,0 (17,3)
	Nagyon erős	3,4	5,0	8,1	11,8	19,6	31,4	68,6	64,7 (16,7)
Teljes, %	Semennyi	89,4	82,2	68,1	42,0	12,7	1,9	1,9	NA
	Legalább egy közepes probléma	10,6	9,3	21,4	47,8	77,5	69,1	47,1	NA
	Legalább egy súlyos probléma	3,4	1,8	3,8	7,4	22,8	59,6	85,6	NA

NA: nem alkalmazható

*Azokat vettük figyelembe, akik nem jelöltek „Soha” választ.

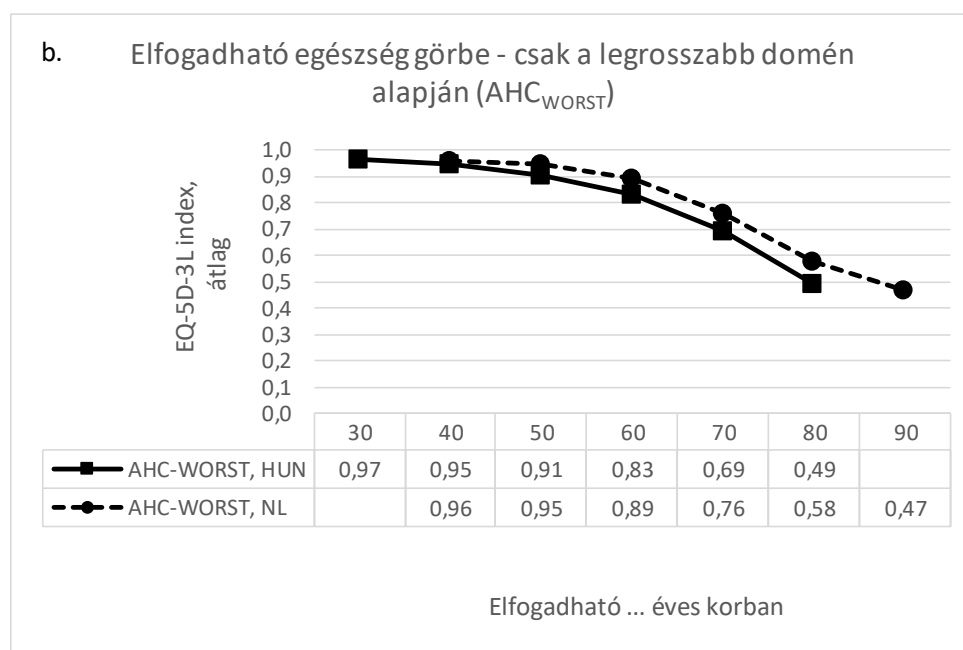
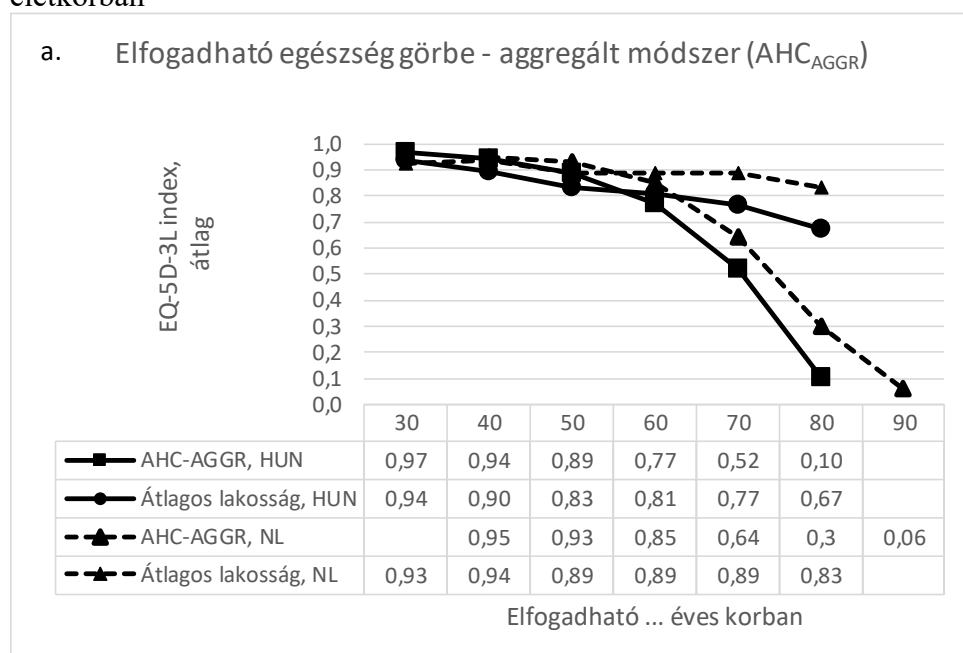
Forrás: [153] Creative Commons Attribution 4.0. nemzetközi licenz alapján

(<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Letölthető:

<https://hqlo.biomedcentral.com/articles/10.1186/s12955-020-01568-w>

Az elfogadható egészség görbéket az alábbi ábrán mutatjuk be az átlagos lakosság (mért) egészségi állapotával történő összehasonlításban, Magyarországon (jelen felmérés) és Hollandiában [33,153]. (12. ábra)

12. ábra Elfogadható egészség görbe és az átlagos lakosság egészségi állapota az adott életkorban



HUN=Magyarország; NL=Hollandia; AHC_{AGGR} =elfogadható egészségi állapot görbe (acceptable health curve) aggregált módszerrel számolt EQ-5D-3L index értékek; AHC_{WORST} = elfogadható egészségi állapot görbe (acceptable health curve), csak a legrosszabb elfogadott domén alapján számolt EQ-5D-3L index értékek.

Forrás: [153] Creative Commons Attribution 4.0. nemzetközi licenz alapján

(<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető:

<https://hqlo.biomedcentral.com/articles/10.1186/s12955-020-01568-w>

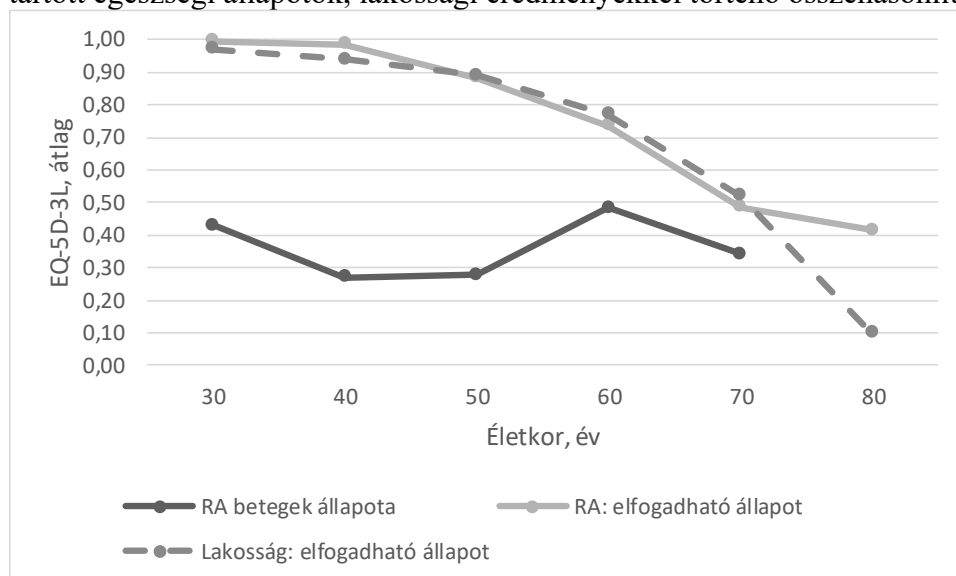
Bár a holland értékek kissé magasabbak, abban nagyon hasonlít a két ország, hogy az egészségproblémák elfogadottsága az életkorral nő és 70 éves kortól fölfelé sokkal rosszabb állapotokat tartanak elfogadhatónak, mint amilyen állapotok megfigyelhetők ezekben az életkorokban az átlagos lakosságban. (Ha mindkét ország AHC_{AGGR} görbáját a holland EQ-5D-

3L értékészlettel számoljuk ki, a különbség elenyésző; az adatokat a [153] publikációban közöltük). További hasonlóság a holland kutatással, hogy mindkét vizsgálatban a válaszadók 2%-a tartott elfogadhatatlannak bármilyen egészségproblémát bármely életkorban mind az öt doménben [33,153]. A domének szintjén is sok a hasonlóság, Hollandiában is A „Szorongás/lehangoltság” és a „Fájdalom/rossz közérzet” doménekben tartják legfiatalabb kortól kezdve elfogadhatónak az egészségproblémákat, de kicsit magasabb arányban (pl. 50 évesen a kumulatív %-os értékek rendre 24.2% vs 9.3%, illetve 18.1% vs. 13.8% ebben a két doménben). A résztvevők 71,4% legalább egy évvel hosszabb élettartamot várt magának, mint a statisztikailag várható élettartam (a minta szintjén az átlag 79,6 SD=10,8 vs. 73,5 SD=3,8 év). Regresszió elemzés alapján azok, akik a várt élettartamukat túlbecsülik, a nem dohányzók, saját megítélésük szerint egészségesebben élnek, mint mások, magasabb elfogadottsági értékeket adtak (későbbi életkorokban tartják elfogadhatónak az egészségproblémákat). A válaszadók életkora és egészségi állapota is pozitív (de gyenge) összefüggést mutatott az egészségproblémák elfogadottságával, a válaszadók közeli hozzátartozóinak élettartama pedig csak 50 éves kortól fölfelé. Néhány demográfiai változó is szignifikáns volt (a tanulók inkább elfogadhatónak tartották az egészségproblémákat mint a más foglalkoztatottsági statusban levők, magasabb jövedelműek pedig 60 éves kortól fölfelé), de összességében az R^2 alacsony volt, azaz sok a feltáratlan tényező. (A regresszió részletes eredményeit a [153] publikációban közöltük.)

5.5.2 Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága RA betegek körében

A felmérésben résztvevő 92 RA beteg közül 77 adott teljes választ az egészségproblémák elfogadottságával kapcsolatos kérdésekre [154]. (A hiányzó válasz miatt kizárt alcsoport fő jellemzői – életkor, betegségstartam, betegségaktivitás DAS29, EQ-5D-3L, HAQ-DI) nem különböztek szignifikánsan a teljes választ adóktól.) A minta (nők 86%) átlagos életkora 50,3 (SD=12,5) év volt, átlagos betegségaktivitásuk magas volt (DAS28: 6,00 SD=0,85), általános egészségi állapotukban jelentős problémák mutatkoztak (EQ-5D-3L: 0,35, SD=0,36) volt, és a fizikai funkciók jelentős korlátozottsága volt jellemző (HAQ-DI index 1,48 (SD=0,66)). Az RA betegek egészségi állapotát (EQ-5D-3L index) korcsoportonként, és az általuk 30, 40, 50, 60, 70 és 80 éves korban elfogadható állapotokat (elfogadható egészség görbe, AHC_{AGGR} az alábbi mutatjuk be. (13. ábra)

13. ábra RA betegek egészségi állapota és az általuk különböző életkorokban elfogadottnak tartott egészségi állapotok, lakossági eredményekkel történő összehasonlításban



Forrás: [153,154] alapján, saját szerkesztés

Az első biológiai terápiát kezdő RA betegek és az átlagos lakosság hasonló állapotokat tartanak elfogadhatónak 70 éves korig, azonban az RA betegek aktuális állapota rendre rosszabb mindegyik életkorban, mint amit elfogadhatónak tartanak.

5.5.3 Jövőbeli egészséggel, munkaképességgel és időskori ellátásokkal kapcsolatos szubjektív várakozások

A tervezettnél megfelelően 1000 fő került bevonásra (nők 54,5%), a minta átlagos életkora 50,9 (SD=15,4) év volt [155]. A felsőfokú iskolai végzettségük magasabb arányban fordultak elő a mintában, mint az átlagos felnőtt lakosságban (27,8% vs. 17,7%). A vélt egészség skálán a többség nagyon jónak (11,4%) vagy jónak (46,1%) értékelte az állapotát, tartós betegség a válaszadók 52,5%-nál állt fenn. A válaszadók 34,5%-a volt túlsúlyos (testtömeg index ≥ 25 és < 30) és 31,0% volt elhízott (testtömeg index ≥ 30). A többség (61,4%) úgy gondolta, hogy olyan egészségesen él, mint mások és 17,6% válaszolta azt, hogy egészségtelenebbül él másoknál. A válaszadók 29,9%-a dohányzott és 27,2% fogyasztott alkoholt legalább 1-6 napon át hetente, legalább 10 percig tartó intenzív testmozgást 51,5% végzett minimum heti egy nap. A minta főbb egészségi állapot jellemzőit a 21. táblázatban mutatjuk be, ahol a 60, 70, 80, illetve 90 éves korra szubjektíve várt állapotokat is ismertetjük.

21. táblázat A válaszadók jelen jellemzői és idősebb életkorokra szubjektíve várt állapotok

Változó	Jelen állapot	Szubjektíve várt állapot ... korra			
		60 éves	70 éves	80 éves	90 éves
N	1000	623	898	990	1000
	Átlag (SD)				
EQ-5D-5L index (-0.285 – 1.000)	0,869 (0,164)	0,761 (0,263)	0,684 (0,306)	0,554 (0,370)	0,402 (0,423)
EQ-5D-3L index (-0.594 – 1.000)	NA	0,712 (0,356)	0,569 (0,429)	0,333 (0,522)	0,113 (0,571)
Boldogság VAS (0-10)	6,7 (2,4)	6,8 (2,5)	6,7 (2,5)	6,2 (2,7)	5,7 (3,1)
	N (%)				
<i>Tevékenységek korlátozottsága (GALI)*</i>					
nem korlátozza	619 (61,9%)	396 (63,5%)	358 (39,9%)	182 (18,4%)	136 (13,6%)
korlátozza, de nem súlyosan	310 (31,0%)	202 (32,4%)	453 (50,4%)	556 (56,2%)	411 (41,1%)
súlyosan korlátozza	46 (4,6%)	25 (4,0%)	87 (9,7%)	252 (25,5%)	453 (45,3%)
<i>WHO-5</i>					
<i>vidám és jókedvű</i> – mindig/az idő legnagyobb részében	522 (52,2%)	364 (58,4%)	460 (51,2%)	399 (40,3%)	326 (32,6%)
– az időnek kevesebb, mint a felében/soha	478 (47,8%)	259 (41,6%)	438 (48,8%)	591 (59,7%)	674 (67,4%)
<i>nyugodt és relaxált</i> – mindig/az idő legnagyobb részében	439 (43,9%)	312 (50,1%)	436 (48,6%)	386 (39,0%)	319 (31,9%)
– az időnek kevesebb, mint a felében/soha	561 (56,1%)	311 (49,9%)	462 (51,4%)	604 (61,0%)	681 (68,1%)
<i>aktív és élénk</i> – mindig/az idő legnagyobb részében	457 (45,7%)	272 (43,7%)	342 (38,1%)	289 (29,2%)	224 (22,4%)
– az időnek kevesebb, mint a felében/soha	543 (54,3%)	351 (56,3%)	556 (61,9%)	701 (70,8%)	776 (77,6%)
<i>ébredéskor kipihent és friss</i> – mindig/az idő legnagyobb részében	356 (35,6%)	242 (38,8%)	339 (37,8%)	291 (29,4%)	245 (24,5%)
– az időnek kevesebb, mint a felében/soha	644 (64,4%)	381 (61,2%)	559 (62,2%)	699 (70,6%)	755 (75,5%)
<i>a napjai tele voltak érdekes dolgokkal</i> – mindig/az idő legnagyobb részében	366 (36,6%)	252 (40,4%)	334 (37,2%)	292 (29,5%)	245 (24,5%)
– az időnek kevesebb, mint a felében/soha	634 (63,4%)	371 (59,6%)	564 (62,8%)	698 (70,5%)	755 (75,5%)
<i>Gondozási szükséglet**, óra/hét</i>					
0	917 (91,7%)	436 (70,0%)	409 (45,5%)	192 (19,4%)	126 (12,6%)
1-4	23 (2,3%)	112 (18,0%)	270 (30,1%)	303 (30,6%)	200 (20,0%)
5-7	10 (1,0%)	38 (6,1%)	123 (13,7%)	242 (24,4%)	175 (17,5%)
8-28	36 (3,6%)	21 (3,4%)	55 (6,1%)	142 (14,3%)	213 (21,3%)
29-56	10 (1,0%)	10 (1,6%)	25 (2,8%)	65 (6,6%)	146 (14,6%)
több, mint 56	4 (0,4%)	6 (1,0%)	16 (1,8%)	46 (4,6%)	140 (14,0%)

Változó	Jelen állapot	Szubjektíve várt állapot ... korra			
		60 éves	70 éves	80 éves	90 éves
<i>Úgy gondolja, fizetett munkát fog végezni (teljes vagy részmunkaidőben)***</i>					
Igen	NA	540 (92,8%)	239 (35,5%)	45 (6,5%)	20 (2,9%)
Nem	NA	42 (7,2%)	433 (64,4%)	643 (93,5%)	668 (97,1%)

NA: nem alkalmazható/nincs adat;

*Jelen állapot, további GALI válaszok: 'Nem tudom' N= 19 (1.9%); 'Nem kívánok válaszolni' N=6 (0.6%)

**A jelen állapotról vonatkozóan azt a (professzionális és informális) gondozási óraszámot adjuk meg, amelyben jelenleg részesül.

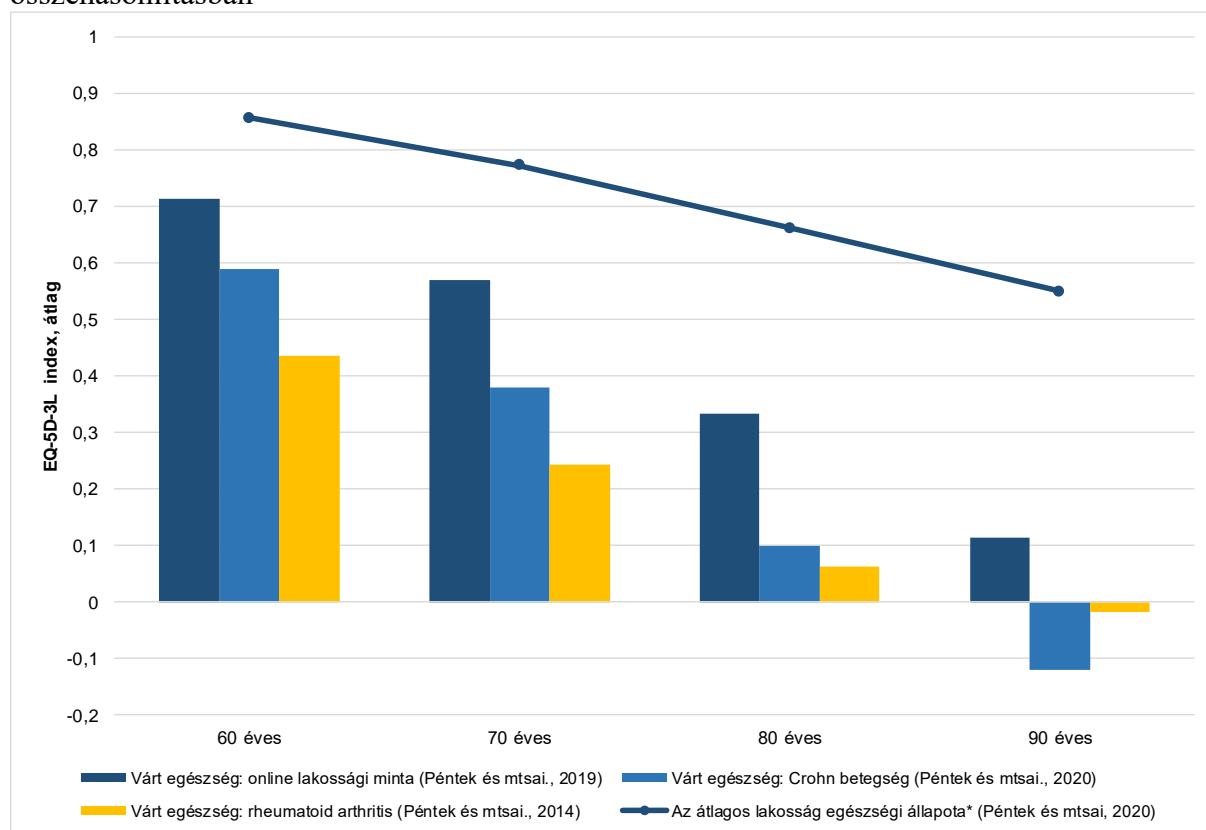
***Azokat a válaszadókat nem vontuk be az elemzésbe, akik már véglegesen abbahagyták a fizetett munkavégzést.

Forrás: [155] Creative Commons Attribution 4.0 nemzetközi licenz alapján (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető: <https://link.springer.com/article/10.1007/s10198-019-01059-w>

A 21. táblázatból jól látható, hogy a lakosok az egészségi állapot (EQ-5D-5L, EQ-5D-3L) kifejezett rosszabbodására számítanak az életkor előrehaladtával és egyre nagyobb arányban számítanak korlátozottságra (GALI), valamint arra, hogy mások segítségére fognak szorulni idősebb korokban. A várt boldogság (VAS) és jóllét (WHO-5) vonatkozásában is csökkenő tendencia figyelhető meg, ennek a mértéke azonban jóval elmarad az egészségi állapotról látottaknál. Az European Quality of Life Survey adatai szerint a hazai lakosság boldogsága (1-10-es skálán mérve, szemben a kutatásunkban használt 0-10-es skálával) 25-34 éves korban 7,7 volt és az életkorral csökkent, a 65+ korosztályban már 6,6 volt, ez közelíti a válaszadók által várt értékhez [293].

Az EQ-5D-3L-lel mért szubjektíve várt egészségi állapot alapján a válaszadók rosszabb egészségi állapotot prognosztizáltak maguknak 60/70/80/90 éves korokra, mint amilyen az átlagos lakosság (mért) egészségi állapota ezekben az életkorokban [99,113]. A különbség különösen a 70 éves és a feletti életkorokra várt állapotok esetében jelentős. (14. ábra) Különböző krónikus betegcsoportokon (Crohn betegség [156], RA [139]) végzett felméréseink eredményeit ugyanezen az ábrán közöljük, összehasonlításként.

14. ábra Idősebb életkorokra szubjektíve várt egészségi állapot az átlagos lakosság körében és különböző betegcsoportokban, az átlagos lakosság mért egészségi állapotával történő összehasonlításban



Válaszadók száma, életkor átlag (SD): Péntek és mtsai. 2019, reprezentatív online lakossági minta N=1000, 50,9 (SD=15,4) [155]; Péntek és mtsai. 2020, Crohn betegség N=193, 34,3 (10,0) [156]; Péntek és mtsai. 2014, rheumatoid arthritis (első biológiai terápiát kezdő betegek) N=92, 51,1 (11,9) [139]; Péntek és mtsai. 2020, átlagos lakosság N=2023 [113].

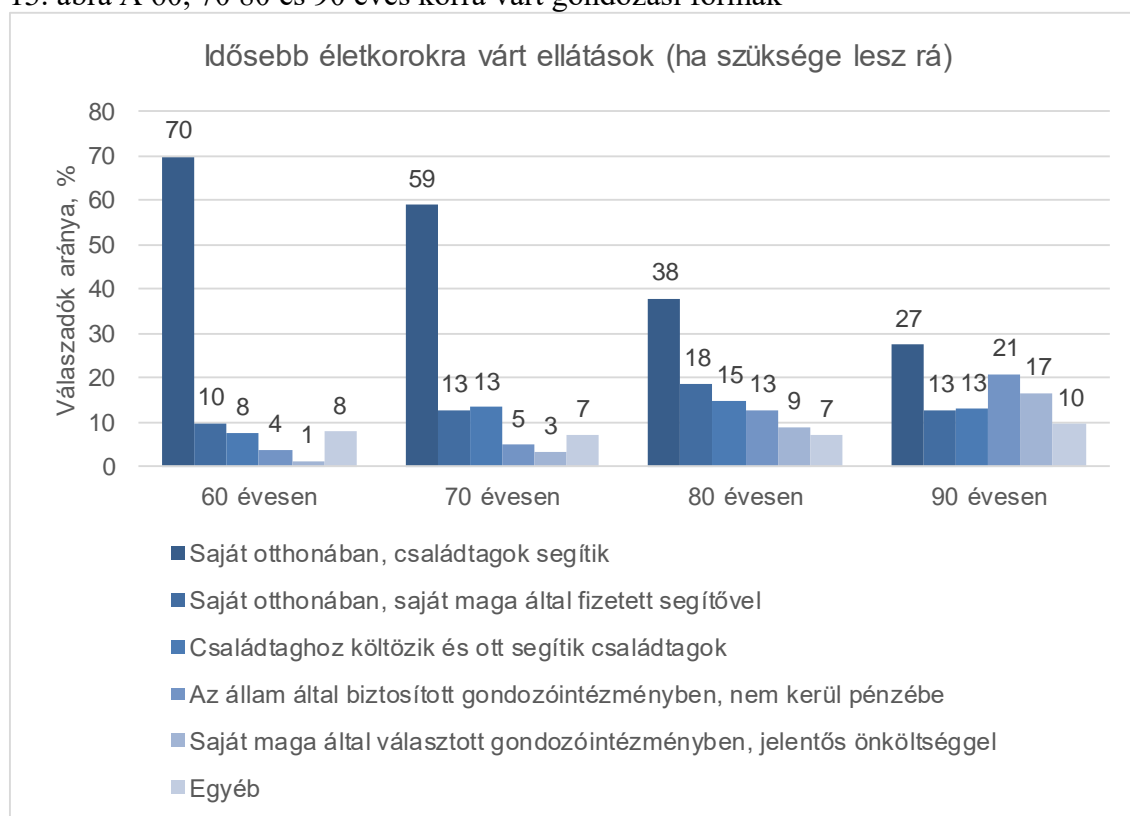
*Az átlagos lakosság egészségi állapotára vonatkozóan az 55-64, 65-74, 75-84 és 85+ korcsoportokban mért átlagos értékeket adtuk meg.

Forrás: saját szerkesztés, felhasznált források [138,155,156,139,113]

Anti-VEGF-el kezelt AMD-ben végzett felmérésünkben 70, 80 illetve 90 éves korra várt átlagosan EQ-5D-3L 0,60, 0,40, 0,24 volt a várt egészségi állapot értéke [157]. Úgy gondoljuk, ez a jelentősen idősebb betegcsoport (N=122, átlagos életkor 75 év, aki már elért egy magasabb életkort és a kevésbé távoli jövőre kellett becslést tegyen, jobb egészségi állapotot vár, mint a fiatalabbak. Regresszió elemzés során (az adatokat a [155] publikációban közöltük) lakossági felmérésünkben az életkor csak a 60 és 70 éves korra várt egészségi állapot (EQ-5D-5L) esetében volt szignifikáns tényező, a 80 és 90 éves korra várt állapotot a várt élettartam jelentősen befolyásolta. A jelenleg jobb egészségi állapotban levő válaszadók jelentősen jobb állapotot vártak maguknak 60 és 70 éves korukra. A testtömeg index negatív összefüggést mutatott a 70 és 80 éves korra várt állapottal (a kövőbbek rosszabb állapotra számítanak). A magasabb iskolázottságúak szignifikánsan jobb állapotot vártak 70, 80 és 90 éves életkorukra.

A jövőbeli várt boldogságot a jelen boldogság (mind a négy életkorra) és a jelen egészségi állapot (70, 80, 90 éves korra), valamint a jelenlegi informális gondozási óraszám határozta meg (pozitív összefüggés). A nők szignifikánsan nagyobb boldogságot vártak 70 és 80 éves korukra, emellett egy-egy családi állapot és foglalkoztatottság kategória is szignifikáns volt [155]. Az idősebb életkorokra várt gondozási formákat az alábbi ábrán mutatjuk be. (15. ábra) A válaszadók jelentős része (78%, 62%, 53%, 42%) családi segítségre (informális gondozás) számít, ha idősebb korban egészségproblémái lesznek, márpedig azt láttuk (21. táblázat), hogy a válaszadók igen sok egészségproblémára számítanak 70 éves koruktól kezdve.

15. ábra A 60, 70 80 és 90 éves korra várt gondozási formák



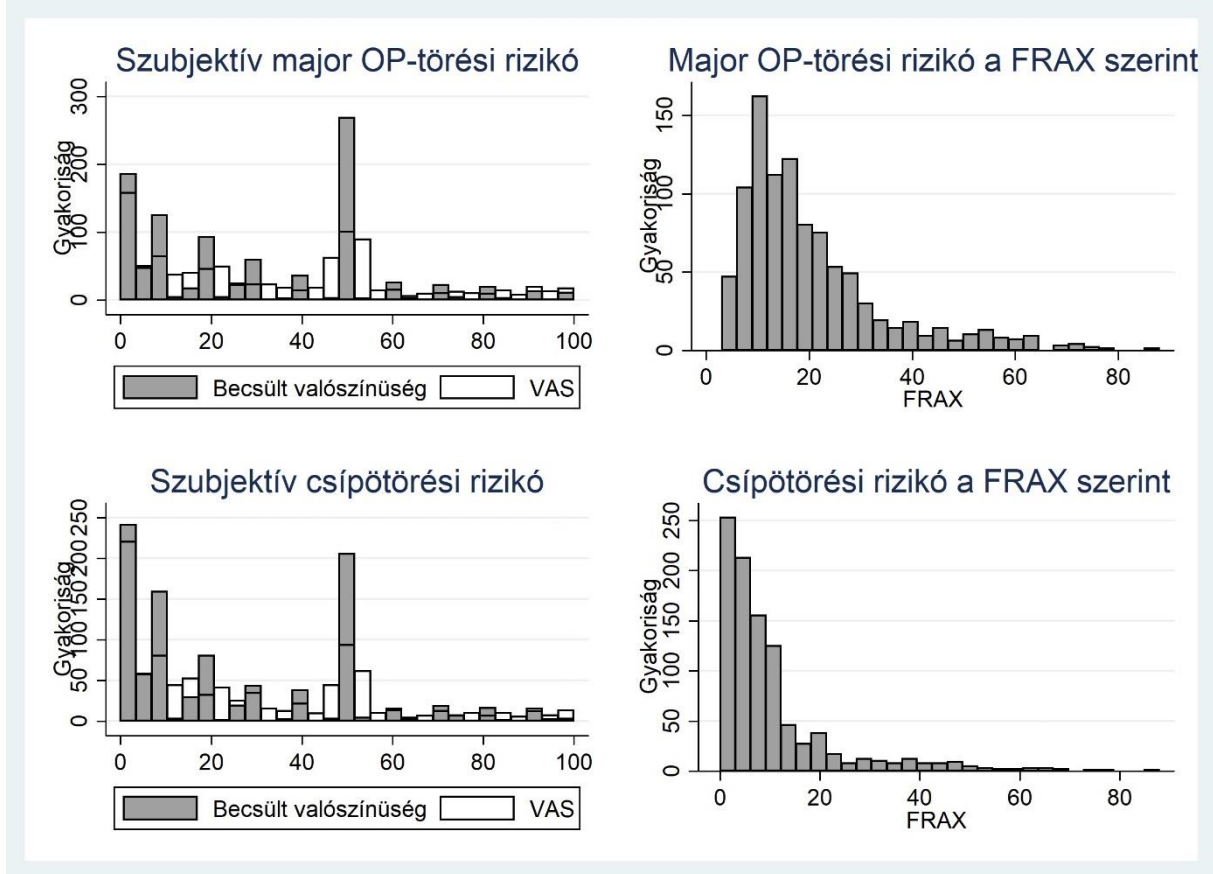
Forrás: [155] Creative Commons Attribution 4.0 nemzetközi licenz alapján (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető: <https://link.springer.com/article/10.1007/s10198-019-01059-w>

A válaszadók által várt élettartam (100 éves korban maximálva a várt értéket, N= 941) átlagosan 81,1 (SD=11,5) volt a nőknél és 80,7 (SD=10,8) a férfiaknál, ami 2,1, illetve 8,3 évvel több, mint a 2017-ben születéskor statisztikailag várható élettartam, de a 65 éves korban statisztikailag várható élettartamhoz (83,7, illetve 79,6 év) képest kisebb az eltérés a férfiaknál [294]. A válaszadók (akik még nem léptek ki véglegesen a fizetett munkavégzésből) 35,5%-a gondolja úgy, hogy 70 éves korában még fog fizetett munkakörben dolgozni, 80, illetve 90 éves korban már csak nagyon kevesen. (21. táblázat) A fizetett munkavégzés abbahagyását medián

65 éves korra várják a válaszadók. Kiemelendő, hogy a 25-34 éves korcsoport is átlagosan 66,1 (SD = 7,3) éves életkort (!) prognosztizált a fizetett munka abbahagyására, azaz a nyugdíjkorhatár minimális emelkedésére számítanak 30-40 éves időtávon. A válaszadók 48,4%-a úgy gondolja, hogy a nyugdíj mellett nem lesz más jövedelme, magánbiztosításból 22,2%, lakáskiadásból 14,8%, családi anyagi támogatásból 10,3% számít bevételre, más források (részvény, lakás eladása, megtakarítások) kisebb arányban fordultak elő. Ennek fényében kiemelendő, hogy 11%, 16%, 27% illetve 30% gondolja úgy, hogy 60, 70, 80, 90 éves korban a gondozását saját maga fogja fizetni, azaz ilyen többletköltségekkel számolnak a rosszabbodó egészségi állapotuk miatt [155]. (15. ábra)

5.5.4 Osteoporosisos nőbetegek jövőbeli csonttörésekkel kapcsolatos szubjektív várakozásai

A felmérésben résztvevő 1301 nő közül 972 (75%) adott választ a kutatásunk szempontjából releváns összes kérdésre, ezért az ő adataikat elemeztük [159]. (A teljes minta részletes jellemzőit publikáltuk. [158]) A válaszadók átlagos életkora 68,1 (SD=8,2) év volt, a betegségstartam 8,2 (SD=5,7) volt, 55,6%-nak már volt csonttörése. OP törési rizikó szempontjából releváns glükokortikoid szedés 10,9%-nál fordult elő, 12,3% dohányzott, 3,6% fogyasztott alkoholt, 13,4% volt RA betegsége és 40,6%-nak volt másodlagos OP rizikótényezője. Az átlagos femur T-score -2,5 (0,9) volt, (59,2%-nál a T-score \leq -2,5) és 21,9% nem kapott OP terápiát az elmúlt 12 hónapban. Az EQ VAS átlagosan 62,0 (SD=17,3) volt. A betegek 41,0%-a várt 10 évnél kevesebb hátralevő élettartamot. A FRAX[®] eredményeket és a szubjektíve várt törési esélyeket a következő ábrán mutatjuk be. (16. ábra)

16. ábra Osteoporosisos nők 10 éves törési rizikója FRAX[®] és saját becslésük alapján

Forrás: [159] A kiadó Springer Nature engedélyével került felhasználásra.

A FRAX[®] major OP törésre átlagosan 20,1 (SD=13,9) százalék volt, a válaszadók szubjektíve 30,0 (SD=24,9) százalékot jósoltak maguknak a %-on alapuló becslés módszerrel, míg 34,0 (SD=27,4) százalékot a VAS-on alapuló módszerrel. Csípőtáji törésre vonatkozóan ezek az értékek rendre 10,5 (SD=12,4), 24,7 (SD=24,1) illetve 28,2 (SD=26,5) voltak. A %-on és a VAS-n alapuló becslés eredmények szignifikáns erős korrelációt mutattak ($r=0,75$, $p<0,001$), de a FRAX[®] és a betegek becslése között gyenge volt a kapcsolat major OP törésre ($r=0,12$ mindkét becslőmódszerrel) és csípőtáji törésre ($r=0,14$ illetve $r=0,16$) egyaránt.

A válaszadók 23%-a becsülte legalább 10%-kal alul a 10 éves major OP törési rizikóját (a FRAX[®] eredményhez képest), és 10%-a csípőtáji törési rizikóját. Logisztikus regresszió alapján azoknál fordult elő alábecslés major OP törésre vonatkozóan, akiknek már volt törésük, a szüleiknek volt csípőtáji törése, a femur T-score $\leq -2,5$, szignifikáns tényező volt a magasabb életkor, testtömeg index, illetve EQ VAS (jobb egészségi állapot). Csípőtáji törésre ugyanezen tényezők mellett a jellemzően a glükokortikidot szedők becsülték alá a törési esélyüket [159].

Regressziós modell alapján a szubjektív major OP törési rizikóbecslés szempontjából meghatározó tényező a korábbi csonttörés (és több csonttörés esetén nagyobb hatás) és akik 10 évnél rövidebb hátralevő élettartamot jósoltak maguknak is jelentősen magasabb értékeket becsültek, míg a jobb egészségi állapotban levők alacsonyabban. A glükokortikoid szedés nem volt szignifikáns tényező. Szignifikáns negatív asszociációt találtunk az életkorral, a testtömeg index-szel. Az OP gyógyszereszedés sem volt jelentős tényező. Csípőtáji törés becsülésre vonatkozóan hasonló eredményre jutottunk (életkor és egészségi állapot negatív, <10 éves becsült túlélés pozitív kapcsolat). (A részletes adatokat publikáltuk [159], terjedelmi okokból itt nem mutatjuk be.)

5.5.5 Megbeszélés

Kutatásunk elsőként nyújt adatokat az egészségproblémák életkorfüggő elfogadottságáról a régióban. Az életkorral egyre több mérsékelt egészségproblémát tartanak elfogadhatónak az emberek, különösen 70 éves kortól kezdve. A súlyos problémákat a többség minden életkorban elfogadhatatlannak tartja. Az egészség különböző területein eltérő életkortól tartják elfogadhatónak a problémákat, legkorábban a hangulati élet („Szorongás/lehangoltság) és a fájdalom („Fájdalom/rossz közérzet”) terén. 70 éves kortól átlagosan jóval rosszabb állapotokat tartanak elfogadhatónak, mint amilyen az átlagos lakosság állapota ezekben az életkorokban. Bár a résztvevők néhány jellemzője szignifikáns kapcsolatot mutatott az elfogadottsági eredményekkel, összességében azt mondhatjuk, hogy csak kis mértékben tudtuk magyarázni a vizsgált változókkal az eredményeket és további magyarázó tényezők felkutatására van szükség. A Hollandiában végzett lakossági kutatási eredményekkel [33] való szembetűnő hasonlóság egyik fő újdonsága a kutatásunknak. A két ország jelentősen különbözik a várható élettartam, egészségi állapot, gazdasági fejlettség, egészségügyi és szociális ellátórendszer szempontjából, azt vártuk volna, hogy Hollandiában magasabb életkorokra teszik az egészségproblémák elfogadottságát, hisz a holland válaszadók maguk körül hosszabban, jobb állapotban élő egyéneket láthatnak, mint a hazai résztvevők. Úgy tűnik azonban, hogy a problémák életkorfüggő elfogadottsága döntően valami más tényezőkön múlik.

Kutatásunk másik fő erőssége, hogy lakossági referenciaértékeket ad betegség-specifikus kutatásokhoz. Első biológiai terápiát kezdő RA betegek körében végzett felmérésünk bár inkább csak pilotnak tekinthető a minta viszonylag kicsi és erősen szelektált volta miatt, hasonló eredményeket találtunk 70 éves korig bezárólag [154]. Szembetűnő volt azonban, hogy az RA betegek átlagos aktuális állapota rendre rosszabb volt, mint ami a lakosság és a betegek által elfogadhatónak tartható az adott életkorban. Érdeemes lenne további nagyobb betegszámú

vizsgálatokban felmérni, hogy alakulnak az RA betegek nézetei az egészségproblémák elfogadottságáról (pl. létrejön-e adaptálódás, a referenciapontok elmozdulása vagy sem) a betegségük tartamának, terápiákkal szerzett tapasztalatainak tükrében.

Terjedelmi korlátok miatt nem ismertettem részletesen a témában azt a kutatásunkat, melyben a lakossági felmérés egyik jelentős korlátját igyekeztünk kiküszöbölni egy módszertani fejlesztéssel [188]. A bemutatott lakossági vizsgálatban egyesével kérdeztük meg az egészség különböző területein jelentkező egészség-problémát elfogadottságát (és elemeztük az AHC_{AGGR} és AHC_{WORST} módszerekkel), nem pedig az öt domént magába foglaló állapotleírásokat értékeltettük. Egy 200 fős (nők 58%, átlagos életkor 42,8 év) pilot vizsgálat keretében EQ VAS alkalmazásával vizsgáltuk az egészségproblémák életkorfüggő elfogadottságát, így egy globális egészségi állapotra nyertünk adatokat. A módszer jól kivitelezhetőnek bizonyult és hasonló tendenciákat találtunk [188].

Az idősebb életkorokra várt egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások terén végzett kutatásunk eredményei megerősítik a korábbi, nem reprezentatív lakossági mintán folytatott vizsgálatunk megállapításait [138] és összhangban vannak a Hollandiában azonos módszerrel végzett, EQ-5D-3L mércén alapuló felmérések megfigyeléseivel [33,137]. Az emberek az egészség rosszabbodását várják az életkorral, ennek mértéke azonban meghaladja a való életben megfigyelhető életkorfüggő egészségromlást, különösen 70 éves kortól fölfelé. Reprezentatív (online) mintán felvett lakossági eredményeink összehasonlítási alapot adnak más betegségekben (AMD, Crohn betegség) végzett kutatásainkhoz [156,157]. A Crohn betegek jellemzően az átlagos lakoságnál még rosszabb állapotot prognosztizálnak maguknak idős korukra. Külön érdekes ez a megfigyelés annak tükrében, hogy a gasztroenterológiai gondozásban résztvevő hazai Crohn betegek [156] (az első biológiai terápiát kezdő RA betegekhez hasonlóan [139]) rövid távon jelentős javulást prognosztizálnak maguknak. Úgy tűnik azonban, hogy hosszú távon nem bíznak a betegségük jó egészségi állapotot eredményező kezelésében, az egészségesekéhez közelítő kimenetelben.

Kutatásunk jelentős további újdonságokkal is szolgál. Elsőként használtuk az EQ-5D-5L verziót a jövőbeli egészséggel kapcsolatos elgondolások vizsgálatára és elsőként alkalmaztunk további egészség-, illetve jóllét mércéket (GALI, boldogság VAS, WHO-5) az időskorra várt állapotok szélesebb körű megismerésére. Elsőként mértük fel, hogy a várt egészségromlás milyen gondozási és munkavégzéssel kapcsolatos elgondolásokkal párosul. A várható élettartam mellett az egészségesen várható élettartam (Healthy Life Years, HLY), melyet a KSH is rendszeresen mér (GALI alapján), jelentős indikátora a lakosság egészségi állapotának és

nemzetközi összehasonlításokra is alkalmazzák [295]. Ismereteink szerint eddig nem történt olyan összehasonlító elemzés, ami a statisztikailag várható és a szubjektíve várt *egészséges* élettartamot vetné össze. Kutatásunk elsőként szolgál input adatokkal a statisztikailag várható (HLY) és a szubjektíve várt (GALI alapú) egészséges élettartam összehasonlításához. Hasonlóan alkalmazhatók leíró adataink az utóbbi időben egyre nagyobb figyelmet kapó várt boldog életévek („happy life-expectancy”) kutatásokhoz [296]. A mentális jóllétet mérő WHO-5 esetében azt láttuk, hogy a válaszadók mindössze 36-52%-a vár pozitív érzéseket mindvégig vagy az idő nagyobb részében a mérce 5 dimenziójában idősebb korában és a lakosság jelen állapota is komoly problémákat mutat a mentális jóllét terén.

A lakosság többsége arra számít, hogy a családtagok fogják gondozni, ha egészségi állapota miatt segítségre szorul, és a gondozási szükségletet több mint heti 29 órára becsüli 80, illetve 90 éves életkorára a válaszadók 11% illetve 29%-a. Ez elég reális becslésnek tűnik. Rubovszky és mtsai. átlagosan 27 óra gondozási időt találtak egy olyan lakossági mintában, ahol a résztvevők 41%-a 60 év feletti volt [129]. Kutatócsoportunk által végzett online lakossági reprezentatív felmérésben (lásd 5.4 alfejezet) az informális gondozók átlagosan heti 28 (SD=35) óra gondozást végeztek és 44%-uk emellett fizetett munkát végzett. Ilyen mértékű informális gondozás igen megterhelő lehet és komoly következményekkel járhat a gondozók munkaerőpiaci részvételére is. A szülővé válás életkora és a nyugdíjkorhatár kitolódásával egyre idősebb felnőttek kell majd kisgyerek nevelés és munka mellett a szüleiről gondoskodnia [297]. A résztvevők többsége azonban – beleértve a fiatal felnőtteket is! –, úgy tűnik, nem számol a nyugdíjkorhatár jelentős emelkedésével (medián 65 éves kort prognosztizálnak), noha az OECD a nyugdíjkorhatár 70 éves korra való fokozatos emelését javasolja már 10 éven belül (2029-ig bezárólag) Magyarországon [298].

OP gondozásban megjelenő csontritkulásos nőbetegek körében jelentős eltéréseket találunk az epidemiológiai adatokon alapuló FRAX[®] 10 éves törés rizikó és a betegek szubjektív becslése között. Általánosságban felülbecslés volt jellemző, ami (például a törésektől való fokozott félelem miatt) megterhelő lehet a betegek számára. Még fontosabbnak eredménynek tartjuk azon betegek azonosítását, akik alábecsülik a törési esélyüket, mert ők esetleg emiatt kevésbé lesznek óvatosak például az esések megelőzése terén vagy talán kevésbé lesznek együttműködőek az OP gondozásban. (Kutatásunkban nem mértünk fel ezeket a potenciális következményeket.) Ők azok, akiknek már volt csonttörése, jellemzően idősebbek, akik szüleinél csípőtáji törés előfordult, akinek a femur T-score értéke $\leq 2,5$ és jobb általános egészségi állapotban vannak. A betegek által becsült major OP törési rizikó csak a törési

előzménnyel mutatott összefüggést, a többi ismert OP rizikófaktoral nem, azaz az OP gondozásban megjelenő nőbetegek kevésbé vannak tisztában a törési rizikófaktorok jelentőségével. A glükokortikoid szedők aránya viszonylag magas volt a mintában, ahogy az (önbevalláson alapuló) RA diagnózisú betegeké is. A szteroid szedők is jelentősen magasabb OP törési rizikót jósoltak maguknak, vélhetően ők kaptak ilyen információt gondozó orvosuktól a szteroid gyógyszereszedéssel kapcsolatosan. Bár az RA is független rizikófaktor OP törésekre, ebben az alcsoportban nem volt jelentősen magasabb a várt törési esély. Ez a 2009-ben végzett felmérésünk nemzetközi szinten is az egyik első kutatás volt a témában. Vizsgálatunk újszerű abból a szempontból is, hogy a szubjektív törési rizikót OP gondozásban megjelent, ismert OP diagnózisú nőbetegek körében mértük fel, míg a néhány elérhető, korábbi vizsgálat (USA 2010, USA 2007-2012, Dánia 2010, Brazília 2012) lakossági mintákon történt [299-302]. Rothman és mtsai. [300] lakossági vizsgálata alapján Dániában a nők elég jól ismerik az OP rizikófaktorokat, míg ez a kutatásunk résztvevőiről sajnos kevésbé mondható el. Eredményeink abban az értelemben összhangban vannak a korábbi kutatásokkal, hogy a FRAX[®] és a szubjektív becslés között gyenge kapcsolatot találtunk. Grover és mtsai. (USA) [299] valamint és Rothman és mtsai. (Dánia) [300] felméréseiben azonban a nők jellemzően alábecsülték a törési rizikójukat, szemben a mintánkban talált felülbecsléssel. Ezekben a vizsgálatokban azonban a szubjektív rizikóbecslésre kategóriákat használtak [303,304]. A szubjektív becslés és a FRAX[®] közötti különbségek hátterében szerepet játszhat az is, hogy a FRAX[®] nem veszi figyelembe minden törési rizikót, amiket a betegek viszont tudhatnak magukról (pl. egy törés vs. több törés az előzményben, esések gyakorisága). További, a betegek szubjektív becslését befolyásoló tényezők is jelen lehetnek. Az általános egészségi állapot egy, az USA-ban végzett (2007-2012 között végzett) felmérésben is – eredményeinkhez hasonlóan – jelentősen befolyásolta a szubjektív törési rizikóbecslést [301]. Az OP gyógyszeres kezelés csökkenti a törési rizikót, azonban a FRAX[®] az OP kezelést nem veszi közvetlenül figyelembe és a mintánkban a betegek többsége (78%) OP terápián volt. A szubjektíve várt élettartam is jelentős tényező volt a betegek törési rizikóbecslése szempontjából, ismereteink szerint korábban ezt nem vizsgálták. A 10 éves túlélés becslése amiatt is érdekes és fontos eredmény, mert azok a betegek, akik nem hiszik, hogy megélik a következő 10 évet, a mért FRAX[®] eredményt (10 éves törési rizikót) vélhetően másként értelmezik, amiről érdemes az orvos-beteg találkozáskor beszélgetni. A major OP és a csípőtáji törési rizikó szubjektív becslés eredményeinek hasonlósága felhívja arra a figyelmet, hogy a betegek kevésbé tesznek különbséget a két kategória között és úgy tűnik, nincsenek tudatában annak, hogy a FRAX[®]-ban a csípőtáji törési

rizikó a major OP törési rizikó része is. Erről is érdemes beszélgetni a betegekkel az orvos vizit során a FRAX[®] eredmények ismertetésekor.

A felmérés idején 2009-ben a FRAX[®] kalkulátor már elérhető volt, de kiszámolása nem volt a rutin OP ellátás része és a gyógyszer-finanszírozás sem FRAX[®] alapon történt, mindössze néhány hazai kutatásból (50 feletti egészséges férfiak; diabetes; gyakorlati alkalmazás) ismertünk FRAX[®] adatokat [305-307]. Ferencz és mtsai. 2007-2010 között, 55+ éves postmenopausas nők körében végzett jelentős betegszámú felmérésében az OP törési rizikófaktorok gyakorisága hasonló volt a mintánkban találtakhoz (a FRAX[®] értékeket azonban nem közölték) [308]. Akkoriban a szakmai irányelv 20%-os major OP törési és 3%-os csípőtáji törési rizikó értéknél javasolta a gyógyszeres terápia indítását (a finanszírozás protokoll azonban csak bizonyos rizikófaktorok meglétéhez kötötte az OP gyógyszerek emelet/kiemelt támogatását, nem FRAX[®]-on alapult) [309]. A teljes mintánkban (N=1301) a betegek 36% illetve 75%-a érte el ezeket a határértékeket (részletes adatokat lásd a [158] publikációnkban), azaz a két különböző határérték nagyon eltérő kezelendő célcsoportot határoz meg. A később (2016-ban) bevezetett, jelenleg is érvényben levő új finanszírozási protokoll a 20%, illetve 3%-os FRAX[®] határértékeket alkalmazta [310]. Ismereteim szerint azonban nincs szisztematikus adatgyűjtés a kezelésre kerülő betegek FRAX[®] adatairól (és azokról, akik nem érik el ezeket a határértékeket!), betegségük lefolyásáról, terápián maradásukról. Ezek a kimenetek alapvetőek lennének egyrészt a FRAX[®] kalkulátor finomításához, másrészt az OP gondozás és a gyógyszer-finanszírozás klinikai és egészséggazdaságtani értékeléséhez. Érdemes lenne azt is megvizsgálni, hogy változott-e a nők informáltsága törési rizikók tekintetében, amikor a gyógyszer felírás finanszírozása múlik a FRAX[®]-n, ezért a mindennapi orvosi döntéshozatal részévé vált.

Összefoglalva, az egészségi állapotok elfogadottságával és a jövőbeli egészséggel kapcsolatos szubjektív elgondolások terén végzett kutatásaink új szempontokkal segítik a gyógyítást. Lakossági adataink jól hasznosíthatók népegészségügyi programok, egészségügyi és szociális stratégiák kialakításához. Fontosnak tartjuk, hogy a krónikus betegeket gondozó orvosok a legkorszerűbb (sokszor igen költséges) gyógyszeres terápiák adása mellett beszélgessenek a betegekkel a betegségükkel kapcsolatos szubjektív jövőképükről és bizonyítékokon alapuló információkkal lássák el őket a betegség és a kezelések nem csak rövidtávú, de a hosszú távon várható kimenetelére vonatkozóan is.

5.6 Digitális egészségműveltség (eHEALS) és betegtapasztalatok az egészségügyben (PREM)

5.6.1 A minta jellemzői

A bevonásra került 1000 fős (55% nő) online mintában az átlagos életkor 46,3 év (SD 17,7; tartomány 18-90 év) volt. A minta fő jellemzőit a 22. táblázatban foglaltuk össze [142].

22. táblázat A minta főbb jellemzői

Változók	Alcsoportok	Elmúlt 12 hónapban a járóbeteg ellátásban szerzett tapasztalatokra vonatkozó elemzés, minta (N=666), N (%)	Teljes minta (N=1000), N (%)	Felnőtt lakosság, N (%)
Szocio-demográfiai jellemzők				
Korcsoport, év	18-24	62 (9,3)	118 (11,8)	10,6
	25-44	234 (35,1)	389 (38,9)	35,7
	45-64	191 (28,7)	272 (27,2)	33,1
	65+	179 (26,9)	221 (22,1)	20,6
Nem	Nő	364 (54,7)	550 (55,0)	53,4
	Férfi	302 (45,4)	450 (45,0)	46,6
Iskolai végzettség	Nincs alapközü végzettsége	—	—	0,6
	Alapközü	213 (31,9)	341 (34,1)	48,1
	Középfökö	244 (36,6)	363 (36,3)	33,5
	Felsőfökö	209 (31,4)	296 (29,6)	17,8
Egy főre jutó nettó, havi háztartás jövedelem	1.kvintilis	142 (21,3)	228 (22,8)	20,0
	2.kvintilis	105 (15,8)	167 (16,7)	20,0
	3.kvintilis	57 (8,6)	81 (8,1)	20,0
	4.kvintilis	86 (12,9)	118 (11,8)	20,0
	5.kvintilis	186 (27,9)	254 (25,4)	20,0
	Hiányzó adat ^a	90 (13,5)	152 (15,2)	—
Családi állapot	Házás, élettársi kapcsolatban él	432 (64,9)	618 (61,8)	—
	Egyedülálló, elvált, özvegy	234 (35,1)	382 (38,2)	—
Foglalkoztatottság	Fizetett munkát végez	319 (47,9)	500 (50,0)	48,3
	Nem végez fizetett munkát	347 (52,1)	500 (50,0)	51,7
Lakóhely	Budapest	146 (21,9)	213 (21,3)	17,4
	Város	371 (55,7)	557 (55,7)	52,1
	Falu, egyéb	149 (22,4)	230 (23,0)	30,5
Egészségi állapot				
Vélt egészség skála	Nagyon rossz	3 (0,5)	5 (0,5)	—
	Rossz	62 (9,3)	77 (7,7)	—
	Kielégítő	252 (37,8)	323 (32,3)	—
	Jó	293 (43,9)	471 (47,1)	—
	Nagyon jó	56 (8,4)	124 (12,4)	—
Tartós betegség	Nincs	200 (30,0)	390 (39,0)	—
	Van	393 (59,0)	489 (48,9)	—
	Hiányzó adat	73 (10,9)	121 (12,1)	—
Tartós korlátozottság (GALI)	Nem korlátozza	342 (51,4)	579 (57,9)	—
	Korlátozza, de nem	254 (38,1)	313 (31,3)	—

Változók	Alcsoportok	Elmúlt 12 hónapban a járóbeteg ellátásban szerzett tapasztalatokra vonatkozó elemzés, minta (N=666), N (%)	Teljes minta (N=1000), N (%)	Felnőtt lakosság, N (%)
	súlyosan			
	Súlyosan korlátozza	46 (6,9)	56 (5,6)	—
	Hiányzó adat	24 (3,6)	52 (5,2)	—
Beválogatási kritériumok: járóbeteg ellátásban részvétel az elmúlt 12 hónapban				
	Nem volt, vagy nem személyes vizit volt	0 (0,0)	269 (26,9)	—
	Volt, de nem saját egészségproblémája miatt	0 (0,0)	52 (5,2)	—
	Volt, a szokásos ellátóhelyen	546 (82,0)	546 (54,6)	—
	Volt, de nem a szokásos ellátóhelyen	120 (18,0)	120 (12,0)	—
	Igen, de nem válaszolta meg hogy a szokásos ellátóhelyen volt-e	0 (0,0)	13 (1,3)	—

^a Hiányzó válasz / Nem tudom/ Nem kívánok válaszolni

GALI: Global Activity Limitations Indicator

Felnőtt lakossági adatok forrása: Központi Statisztikai Hivatal - Népszámlálás, 2011 [311]

Forrás: [142] Creative Commons Attribution 4.0 nemzetközi licenz alapján (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető: <https://www.jmir.org/2020/8/e19013/>

5.6.2 eHEALS eredmények

A magyar nyelvű eHEALS kérdőív pszichometriai tulajdonságai [160]. Az eredményeket közzétettük, itt terjedelmi okokból nem ismertetem a részleteket, a validált magyar nyelvű kérdőív szabadon hozzáférhető (az eredeti közlemény elektronikus kiegészítő anyagai között) [160]. Röviden összefoglalva, a belső konzisztenciára vonatkozó Cronbach- α értéke 0,9, az ismételhetőségre vonatkozó ICC $r=0,64$ volt, faktorelemzéssel (a variancia 85%-át magyarázó) egy faktoros struktúra igazolódott.

Az eHEALS átlagos értéke a mintában 29,2 (SD=5,2) volt. Az eHEALS érték szignifikánsan alacsonyabb volt azoknál a válaszadóknál, akik az EQ-5D-5L kérdőív mozgékony (1,3; $p<0,001$), önellátás (1,4; $p=0,017$), szokásos tevékenységek (1,0; $p=0,007$) doménjében valamilyen szintű problémáról számoltak be szemben a problémamentes válaszadókkal (a különbség rendre 1,3 $p < 0,001$; 1,4, $p=0,017$; 1,0, $p=0,007$). A fájdalom/rossz közérzet és a szorongás/lehangoltság doménekben nem volt szignifikáns a különbség. A különböző alcsoportok szerinti átlagos (SD) értékeket a 23. táblázatban mutatjuk be.

23. táblázat eHEALS (átlag, szórás) eredmények főbb alcsoportok szerint

Domén	Változó	Szint	N	eHEALS	
				átlag	SD
Szocio-demográfiai jellemzők	Nem***	Nő	550	29,5	4,76
		Férfi	450	28,8	5,64
	Életkor*	< 65	779	29,4	5,13
		≥ 65	221	28,4	5,29
	Háztartás jövedelem/fő	1. kvintilisben a mintán belül	167	29,8	5,29
		2.-5. kvintilisben a mintán belül	655	29,1	4,71
	Iskolázottság	≤ 8 év	86	28,5	5,06
> 8 év		914	29,2	5,19	
Egészségi állapot és egészséggel összefüggő életmód	BMI*	BMI < 25	386	29,8	4,75
		BMI ≥ 25	614	28,7	5,39
	Jelenleg dohányzik	Nem	706	29,1	5,20
		Igen	294	29,4	5,15
	Alkohol fogyasztás	≥ 3 alkalom / hét	857	29,2	5,11
		< 3 alkalom / hét	143	28,9	5,60
	Testedzés**	Soha	541	29,4	4,78
		Valamennyi	459	28,9	5,61
	Egészség szűrés az elmúlt 12 hónapban*	Igen	463	29,8	4,92
		Nem	537	28,6	5,35
	Életmód önértékelése*	Egészségesebben élek, mint mások	221	30,2	4,99
		Pont olyan egészségesen élek, mint mások	600	28,9	5,08
		Kevésbé élek egészségesen, mint mások	179	28,6	5,56
	Vélt egészség skála***	Nagyon jó	124	30,7	5,69
		Jó	471	29,0	5,04
		Kielégítő	323	28,9	4,83
		Rossz	77	28,4	6,02
		Nagyon rossz	5	34,2	5,67
	Informális gondozó	Igen	127	29,5	4,76
		Nem	873	29,1	5,24
Egészséggel kapcsolatos információk keresése	Egészséggel kapcsolatos információk keresése az elmúlt 12 hónapban***	Hetente egyszer vagy többször	152	31,5	4,49
		Havi néhány alkalommal	263	29,7	4,86
		Körülbelül havonta egyszer	166	29,0	4,45
		Körülbelül kéthavonta	94	28,9	4,53
		Néhányszor az elmúlt év során	270	28,6	5,06
		Egyszer sem	55	23,7	7,31
	Az egészséggel kapcsolatos információs elsődleges forrása*	Orvos vagy más egészségügyi szakember	417	29,3	4,83
		Rokonok, ismerősök (egészségügyi végzettség nélkül)	38	27,3	6,31
		Internet: információs honlapok	317	29,8	4,51
		Internet: fórumok, közösségi oldalak (például: Facebook, Twitter, Instagram)	89	29,1	4,67
		Nyomtatott információs anyagok (könyvek, sajtó, broszúrák)	27	30,8	5,51
		Televízió, rádió (ismeretterjesztő műsorok)	27	31,9	5,13
		Reklámok (pl. TV, rádió, magazin, plakát, internet)	26	29,5	5,19
	Járt-e az EESZT lakossági portálján***	Nem, nem is hallottam róla	761	28,9	5,36
		Hallottam róla, de még nem látogattam meg az oldalt	192	29,7	4,43
		Igen	47	30,5	4,81
	Egészségügyi végzettsége van*	Igen	74	30,6	5,74
		Nem	926	29,0	5,12
		Segítséggel sem értem meg	6	21,7	8,78

Domén	Változó	Szint	N	eHEALS	
				átlag	SD
	Mennyire érte az egészséggel kapcsolatos információkat***	Segítségre van szükségem, hogy megértem	174	26,3	5,65
		Önállóan megértem	704	29,3	4,64
		Jól értem, mások is hozzám fordulnak segítségért	116	33,0	5,53
Teljes minta			1000	29,2	5,18

BMI=Testtömeg Index (Body Mass Index), EESZ=Elektronikus Egészségügyi Szolgáltatási Tér

*Az átlagok különbsége szignifikáns (ANOVA, $p < 0,05$)

*A standard deviációk különbsége szignifikáns (Levene próba, $p < 0,05$)

***Az átlagos és a standard deviációk különbsége szignifikáns

Forrás: [160] Creative Commons Attribution 4.0 nemzetközi licenz alapján (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető: <https://link.springer.com/article/10.1007/s10198-019-01062-1>

Az átlagos eHEALS érték jelentősen magasabb volt a nők, a fiatalabbak, az egészségügyi információt gyakrabban keresők, az egészségügyi végzettségűek, a nem túlsúlyos és nem elhízott lakosok, a (saját értékelés szerint) legjobb és legrosszabb egészségi állapotban levők között, az elmúlt évben egészségügyi szűrővizsgálaton részt vett válaszadók között, valamint azoknál, akik már használták az EESZT-t. Tehát többségében előzetes várakozásainknak megfelelő eredményeket találtunk, ami a magyar nyelvű eHEALS megfelelő validitására utal.

5.6.3 Járóbeteg ellátáshoz hozzáférés

5.6.3.1 Meg nem valósult járóbeteg ellátások

Az 1000 résztvevő közül 118 (11,8%) embernek nem volt egészségügyi problémája az elmúlt 12 hónapban, ezért a meg nem valósult járóbeteg ellátásokkal kapcsolatos kérdések nem vonatkoznak rájuk, így 882 válaszadó eredményeit elemeztük. Közülük 211 fő (23,9%) nem vett igénybe járóbeteg ellátást odautazási nehézség miatt (hiányzó adat 40 fő, 4,5%). A betegre eső költség miatt 168 fő (19,0%) nem vett igénybe járóbeteg vizitet (hiányzó adat 39 fő, 4,4%), Ugyanezen ok miatt 131 fő (14,9%) kihagyott szakember által előírt egészségügyi vizsgálatot vagy kezelést (hiányzó adat 36 fő, 4,1%) és 189 fő (21,4%) kihagyott gyógyszeresedést (hiányzó adat 29 fő, 3,2%). Azok között, akik voltak az elmúlt 12 hónapban járóbeteg ellátáson (N=666), hasonló arányokat találtunk a felsorolt négyféle ok miatt meg nem valósult ellátásokra vonatkozóan (rendre 22,1%, 18,0%, 14,9% és 22,2%) [142]. (24. táblázat) Egyféle okból meg nem valósult ellátás 18,5%-ban fordult elő, a kettő, három, illetve mind a négyféle okból meg nem valósult ellátás előfordulása rendre 8,9%, 7,5% és 4,9% volt.

24. táblázat A betegek válaszai a PREM kérdésekre (N=666)

		N (%)
Hozzáférés az ellátásokhoz: utolsó vizit		
Egészségügyi ellátóhely típusa	Háziorvos	278 (41,7)
	Szakorvos, állami rendelés	316 (47,4)
	Szakorvos, magánrendelés	72 (10,8)
Egészségügyi szakember	Háziorvos	278 (41,7)
	Szakorvos	360 (54,1)
	Más egészségügyi szakember	28 (4,2)
Legutóbbi vizit időpontja	Elmúlt 30 napban	277 (41,6)
	1-3 hónappal ezelőtt	180 (27,0)
	>3 hónap - <6 hónap	95 (14,3)
	6-12 hónappal ezelőtt	114 (17,1)
Hozzáférés az ellátásokhoz: meg nem valósult ellátások		
Kihagyott vizit odautazási nehézség miatt	Nem	506 (76,0)
	Igen	147 (22,1)
	Hiányzó adat	13 (2,0)
Kihagyott vizit a betegre eső költség miatt	Nem	534 (80,2)
	Igen	120 (18,0)
	Hiányzó adat	12 (1,8)
Kihagyott egészségügyi vizsgálat vagy kezelés (kivéve gyógyszerek) a betegre eső költség miatt	Nem	559 (83,9)
	Igen	99 (14,9)
	Hiányzó adat	8 (1,2)
Kihagyott (receptes) gyógyszerbevétel a betegre eső költség miatt	Nem	508 (76,3)
	Igen	148 (22,2)
	Hiányzó adat	10 (1,5)
Hozzáférés az ellátásokhoz: várakozási idő		
Problémát jelentett a várakozás a rendelésen vizit napján	Nem	487 (73,1)
	Igen	179 (26,9)
Problémát jelentett az előjegyzési időpontot kivárni	Nem	564 (84,7)
	Igen	102 (15,3)
Betegtapasztalatok a vizittel (A szakember...)		
... ..elegendő időt töltött a vizittel	Igen, egyértelműen igen	427 (64,1)
	Igen, bizonyos mértékig	160 (24,0)
	Nem, nem igazán	57 (8,6)
	Nem, egyértelműen nem	17 (2,6)
	Hiányzó válasz	5 (0,8)
... úgy magyarázta el a dolgokat, hogy azt könnyű volt megérteni	Igen, egyértelműen igen	459 (68,9)
	Igen, bizonyos mértékig	166 (24,9)
	Nem, nem igazán	27 (4,1)
	Nem, egyértelműen nem	12 (1,8)
	Hiányzó válasz	2 (0,3)
... lehetőséget adott kérdésfeltevésre	Igen, egyértelműen igen	414 (62,2)
	Igen, bizonyos mértékig	164 (24,6)
	Nem, nem igazán	63 (9,5)
	Nem, egyértelműen nem	15 (2,3)
	Hiányzó válasz	10 (1,5)
... bevonta a döntésekbe	Igen, egyértelműen igen	338 (50,8)
	Igen, bizonyos mértékig	195 (29,3)
	Nem, nem igazán	77 (11,6)
	Nem, egyértelműen nem	19 (2,9)
	Hiányzó válasz	37 (5,6)
A vizit minősége összességében	Rossz	19 (2,9)

	N (%)
Tűrhető	60 (9,0)
Jó	186 (27,9)
Nagyon jó	205 (30,8)
Kitűnő	193 (29,0)
Hiányzó válasz	3 (0,5)

Forrás: [142] Creative Commons Attribution 4.0 nemzetközi licenz alapján (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető: <https://www.jmir.org/2020/8/e19013/>

5.6.3.2 Várakozási idők a járóbeteg ellátásban

A járóbeteg ellátásban az elmúlt 12 hónap során részt vett válaszadók (N=666) között a rendelőben a várakozási idő átlagosan 63,3 (SD=71,0) perc volt a vizit napján, a betegek 23,0%-a várakozott kevesebbet, mint 15 percet és 14,2%-a többet, mint 2 órát. A betegek 26,9%-nak jelentett problémát a rendelőben való várakozás hossza. Kissé magasabb arányt (34,8%) találtunk azok között, akik több mint 15 percet várakoztak. (24. táblázat) Az előjegyzési idő átlagosan 16,8 (SD=27,8) nap volt, 37,6% kapott aznapra időpontot és 18,2% pedig több mint egy hónapra. A hosszú előjegyzési idő a betegek 15,3%-ának jelentett problémát. Ha csak azokat nézzük, akik nem aznapra kaptak időpontot, akkor ez az arány viszont már 24,1% [142].

5.6.4 Betegtapasztalatok a járóbeteg ellátás során

Az eredményeket a 24. táblázatban foglaltuk össze. A betegek többsége (64,1%) úgy érezte, hogy az egészségügyi szakember elegendő időt töltött a konzultációval és hasonlóan kétharmad körüli arányban voltak azok, akik egyértelműen pozitív tapasztalatokról számoltak be a kapott magyarázatokkal és a kérdezési lehetőségekkel kapcsolatban, valamivel kevesebben pedig a döntéshozatalba való bevonás terén. A vizit (konzultáció) minőségét összességében 59,8% tartotta „Kitűnő”-nek vagy „Nagyon jó”-nak. A „Betegtapasztalatok probléma” kompozit érték átlagosan 6,0 (SD=2,5, medián 5) volt. A „Negatív tapasztalatok” kompozit érték átlagosan 1,5 (SD=1,6) volt, és a válaszadók 40,9%, 18,0%, 11,2%, 11,4% illetve 18,5%-a jelölt meg problémát 0, 1, 2, 3 illetve mind a 4 területen (Elegendő idő; Érthető magyarázatok; Kérdésfeltevés lehetősége; Döntésekbe bevonás).

5.6.5 A betegtapasztalatok (PREM) és a digitális egészségműveltség (eHEALS) összefüggései

A kompozit PREM értékek és az eHEALS közötti kapcsolatok többváltozós regresszió elemzésének az eredményeit a 25. táblázatban mutatjuk be.

25. táblázat Többváltozós regressziós modell a kompozit PREM^a értékekre

		A konzultáció minősége összességében		Betegtapasztalato k probléma (logaritmus)		Negatív tapasztalatok		Bármilyen negatív tapasztalat	
Model		Ordinális eredményváltozójú modell (ordered logit)		Robosztus ^m		Robosztus		Logisztikus	
		β	<i>P</i> érték	β	<i>P</i> érték	β	<i>P</i> érték	β	<i>P</i> érték
eHEALS^{b,c}									
	Második kvartilis	0,24	,31	-0,06	,23	-0,37	,08	-0,25	,38
	Harmadik kvartilis	0,55	,02	-0,10	,02	-0,46	,02	-0,16	,54
	Negyedik kvartilis	0,34	,16	-0,02	,74	-0,17	,40	-0,17	,56
Korcsoport^d									
	25-44 évesek	0,56	,09	-0,15	,03	-0,46	,08	-0,64	,14
	45-64 évesek	0,71	,04	-0,22	,002	-0,83	,003	-1,15	,01
	65+ évesek	1,12	,003	-0,29	<,001	-1,16	<,001	-1,60	,001
Iskolázottság^e									
	Középfokú	-0,12	,60	—	,97	-0,01	,96	-0,04	,89
	Felsőfokú	-0,39	,10	0,04	,36	0,18	,37	-0,03	,92
Nem									
	Férfi	0,07	,69	-0,03	,42	-0,03	,86	0,21	,32
Jövedelem^f									
	Második kvintilis	-0,10	,70	0,04	,35	0,22	,29	0,71	,03
	Harmadik kvintilis	0,17	,59	0,05	,40	0,24	,39	0,78	,04
	Negyedik kvintilis	-0,01	,97	0,02	,69	0,20	,41	0,44	,20
	Ötödik kvintilis	0,06	,81	0,05	,33	0,27	,21	0,61	,047
Fizetett munkát végez									
	Igen	0,12	,59	-0,04	,31	-0,08	,64	0,02	,93
Családi állapot									
	Házass/élettársi kapcsolatban van	0,25	,17	-0,03	,45	-0,09	,55	0,12	,59
Lakóhely^g									
	Város	-0,04	,85	—	,99	0,03	,85	0,10	,70
	Falu	0,26	,34	-0,11	,03	-0,49	,02	-0,66	,03
Vélt egészség skála^h									
	Nagyon rossz	0,21	,88	-0,05	,72	0,04	,95	0,01	,99
	Rossz	-0,97	,047	0,24	,007	1,24	<,001	1,32	,02
	Tűrhető	-1,00	,01	0,15	,02	0,80	,003	0,69	,11
	Jó	-0,85	,02	0,10	,09	0,59	,01	0,49	,21
Tartós korlátozottság (GALI)ⁱ									
	Korlátozott, de nem súlyosan	-0,27	,18	0,04	,28	0,17	,34	0,34	,14
	Súlyosan korlátozott	-0,23	,55	0,05	,48	0,20	,52	-0,08	,85
Tartós betegség									
	Igen	0,04	,85	0,04	,32	0,15	,41	0,03	,91
Ellátóhely^j									
	Állami rendelés	-0,60	,16	0,18	,09	0,49	,22	0,95	,12
	Magánrendelés	-0,05	,91	0,13	,24	0,22	,62	0,29	,66
Egészségügyi szakember típusa^k									
	Szakorvos	0,72	,09	-0,24	,02	-0,75	,05	-1,19	,046
	Egészségügyi szakember ^l	—	—	—	—	—	—	—	—
Szokásos ellátóhelye									
	Igen	0,03	,91	-0,05	,24	-0,25	,22	-0,36	,21
Konstans		—	—	1,87	<,001	1,82	<,001	0,81	,25
N		503		473		473		505	

	A konzultáció minősége összességében		Betegtapasztalato k probléma (logaritmus)		Negatív tapasztalatok		Bármilyen negatív tapasztalat	
LR ⁿ test χ^2_{28}	42.1	,04					49,6	,007
LR test $F_{28,444}$			2,63	<0,001	2,27	<0,001		
R ²			0,13		0,13			
GOF ^o test χ^2_{35}	30.5	,68						
GOF test χ^2_{470}							503,3	,14
Ramsey RESET ⁿ $F_{3,434}$			2,37	,07	0,07	,98		

^aPREM: Patients' Experiences with Ambulatory Care (Az OECD által javasolt kérdéssor betegtapasztalatok mérésére); ^bAlap: első kvartilis; ^ceHEALS: eHealth Literacy Scale; ^dAlap: 18-24 évesek; ^eAlap: Alapfokú; ^fAlap: Első kvintilis; ^gAlap: Főváros; ^hAlap: Nagyon jó; ⁱAlap: Nem korlátozott; ^jAlap: Háziorvos; ^kAlap: Háziorvos; ^lHealthcare professional (egészségügyi szakember, szakápoló, más szakember); ^mOrdinary least squares regression (OLS) with robust standard errors (legkisebb négyzetek módszere robusztus standard hibával); ⁿLikelihood ratio; omnibus test for independence, current model versus null model (valószínűségi hányados; teljes modell függetlenségi teszt, jelen modell versus null modell); ^oGoodness of fit (illeszkedés), Hosmer–Lemeshow teszt.

Forrás: [142] Creative Commons Attribution 4.0 nemzetközi licenz alapján (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Módosítás: lefordítva magyar nyelvre. Letölthető: <https://www.jmir.org/2020/8/e19013/>

A PREM „Konzultáció minősége összességében”, a „Betegtapasztalatok probléma” (logaritmus) valamint a „Negatív tapasztalatok” szignifikánsan különböztek az eHEALS első és harmadik kvartilisei között [142]. Regresszió elemzéssel nem találtunk szignifikáns kapcsolatot az eHEALS és a meg nem valósult ellátások, illetve a várakozási idők változók között (részletes táblázatok a publikáció elektronikus mellékleteiben található meg) [142].

5.6.6 Megbeszélés

Kutatásunk során kifejlesztettük az eHEALS (Elektronikus Egészségműveltség Skála) magyar nyelvű verzióját és igazoltuk validitását, valamint létrehoztuk a járóbeteg ellátásban szerzett tapasztalatokat vizsgáló, az OECD által javasolt PREM kérdőív magyar nyelvű változatát. A két kérdőívvel felmértük a hazai (online) lakosság digitális egészségműveltségét és az elmúlt 12 hónapban szerzett tapasztalatait a járóbeteg ellátás során, valamint elemeztük a kettő összefüggéseit.

Ismereteink szerint elsőként alkalmaztuk az eHEALS kérdőívet jelentős lakossági (online) mintán nem csak Magyarországon, de a KKE régióban is. Előzetes várakozásunk az volt, hogy a digitális egészségműveltség egy viszonylag független entitás, ezért csak közepes kapcsolatot vártunk a demográfiai jellemzőkkel. Eredményeink alapján az eHEALS nem különbözött szignifikánsan a válaszadók iskolázottsági szintje szerint, a demográfiai jellemzők közül a női nem és a fiatalabb életkor mutatott pozitív összefüggést a digitális egészségműveltséggel. A magyar nyelvű mérce pszichometriai (validitás, megbízhatóság) jellemzői megfelelőnek bizonyultak. Eredményeink más országok adataival való összehasonlítása csak korlátozottan

lehetséges az eltérő minták miatt. Japánban kissé alacsonyabb átlagos eHEALS értékről számoltak be internet használók között, mint amit mi találtunk a hazai (online) lakosság körében (23,4 versus 29,2). Ugyancsak kissé alacsonyabb volt az átlagos eHEALS érték (26,7) az olasz nyelvű svájci lakosok körében végzett felmérésben, de hasonló átlagos értékeket (28,7, 29,2, illetve 30,5) találtak a „baby boomer” korosztályban (1946-1964 között születettek) Új-Zélandon, az Egyesült Királyságban (UK) és az Egyesült Államokban (USA), és ugyancsak az USA-ban krónikus betegek körében (30,3) [312-315].

Népegészségügyi és gazdasági szempontból felmerülő gyakorlati kérdés, hogy a magasabb digitális egészségműveltség vajon jobb egészségi állapottal, egészségesebb életmóddal, az egészségügyi ellátások megfelelőbb használatával, összességében jobb egészségmagatartással jár-e? Vizsgáltunkban a magasabb szintű digitális egészségműveltség (eHEALS) pozitív kapcsolatot mutatott alacsonyabb testtömeg index-el (a nem túlsúlyos és nem elhízott alcsoportban jobb egészségműveltség) és az egészségügyi szűrővizsgálatokon való részvétellel. Ugyanakkor a legmagasabb eHEALS értékeket a legjobb és a legrosszabb egészségi állapotban levők között találtuk, mintha egyrészt az egészségtudatos résztvevők lennének a legműveltebbek ezen a téren, de a rossz egészségi állapot is „rákényszerítene” az embereket az elektronikus egészségügyi információforrásokban való jártasságra. A digitális egészségműveltség és az egészségi állapot/egészségmagatartás kimenetelek összefüggéseinek további feltárása, az egészségműveltség objektív mérésekkel való kiegészítése következő vizsgálatokban javasolt.

A járóbeteg ellátáshoz hozzáférés tekintetében lakosok megközelítőleg egyötödénél (14,9%-22,2%) fordult elő kihagyott vizit, vizsgálat, kezelés vagy gyógyszerzedés utazási nehézség vagy a betegre eső költségek miatt. Az előjegyzési idő kevesebb páciensnek (15,3%) okozott problémát, mint a vizit napján a rendelőben várakozás, ami a betegek majdnem harmadának jelentett problémát (26,9%), tehát ez a jelenség elég gyakran előfordul és gondot is jelent a betegek jelentős részének. A járóbeteg vizit során a válaszadók közel kétharmada (62,2%-68,9%) egyértelműen pozitív tapasztalatokról számolt be, az orvosi döntésekbe bevonás terén láttunk kissé alacsonyabb értéket (50,8%). Az OECD éves beszámolójában (Health at a Glance, 2018) a KKE országokból a Cseh Köztársaságból, Észtországból és Lengyelországból voltak adatok a háziorvosi vizit során szerzett tapasztalatokról („egyértelműen igen”/ „igen” válaszok együtt a három országban, rendre: elegendő időt töltött a vizittel 97%, 87%, 60%; bevonta a döntésekbe 82%, 79%, 48%), szemben a mintánkban talált 88% illetve 80%-kal [316]. Az OECD 2019. évi riportja már magyarországi adatokat is közölt 2017-re vonatkozóan (a

vizsgálatunk idején ez a kiadvány még nem állt rendelkezésünkre), melyben a vizsgálatunk eredményeihez hasonló adatokról számoltak be („egyértelműen igen”/„igen” válasz: elegendő időt töltött a vizittel: 87,5% vs. 88,1%; könnyen érthető magyarázatok: 93,1% vs. 93,8%; döntésekbe bevonás: 80,9% vs. 80,2%) és ezek rendre magasabbak, mint a rendelkezésre álló 12-14 országos OECD átlag [317].

Ismereteink szerint elsőként vizsgáltuk az eHEALS és a PREM kapcsolatát. Eredményeink alapján összességében gyenge összefüggést találtunk a digitális egészségműveltség és a járóbeteg ellátásban szerzett betegtapasztalatok között. A legalacsonyabb egészségműveltségű alcsoportok rosszabb, a közepesen magas egészségműveltségűek jobb tapasztalatokról számoltak be, de a legmagasabb és a legalacsonyabb egészségműveltségűek között nem volt szignifikáns a különbség. Ez az eredmény számomra azt sugallja, hogy az (önbevalláson alapuló) magas szintű digitális egészségműveltség mintha magasabb szubjektív elvárásokkal is járna az egészségügyi ellátások felé, ennek igazolása azonban további kutatásokat igényel. Eredményeink értékeléséhez fontos figyelembe venni a kutatásunk korlátait. Maga az eHEALS mércét is számos kritika érte a szakirodalomban (de mégis a legelterjedtebb digitális egészségműveltség mérce), mert az egészségműveltséget szubjektív önbevallás alapján vizsgálja és jelentős részben az önhatékonyságot (önmenedzselési képességet) méri [318]. A felmérésbe egy online panelből kerültek beválogatásra a résztvevők (szelekciós és részvételi torzítás), ezért eredményeink nem általánosíthatók a teljes lakosságra. A járóbeteg ellátás tapasztalatokat az elmúlt 12 hónapra visszamenőleg kérdeztük a legutóbbi vizitre vonatkozóan, ez is pontatlanságokhoz vezethet (visszaemlékezés torzítása). Ezen korlátok ellenére kutatásunkat fontosnak tartjuk, mert az egészségműveltség nagyon jelentős lehet az egészségmagatartás, a beteggyüttműködés, az egészségügyi beavatkozások hatékony és költséghatékony megvalósítása szempontjából. Másrészt az egészségműveltség egy megváltoztatható tényező, egy fejleszhető tulajdonság, amire érdemes a népegészségügyi programok kialakításánál gondolni. Fontos lenne továbbá megismerni a különböző betegcsoportok digitális egészségműveltségi szintjét, különösen olyan betegségekben, ahol a magas szintű beteggyüttműködés perdöntő szerepet játszik a terápiák megfelelő biztonságosságának és hatékonyságának garantálásában. Ilyen helyzet például a metotrexát és biológiai betegségmódosító gyógyszeres kezelés RA-ban, ahogy a várható beteggyüttműködés megítélése az orvosra van bízva, ezt azonban nem segítik objektív mércék. A páciensek szerepe egyre nő a gondozás megfelelőségének értékelésében is. RA-ban már elérhető az Ellátási standardok betegek számára készült verziója, amely mentén a betegek maguk is ellenőrizhetik

a gondozásuk megfelelőségét (pl. „Diagnosztizálta-e az én rheumatoid arthritis betegségemet szakorvos a tünetek megjelenésétől számított 6 héten belül?”; „Kaptam-e felvilágosítást és / vagy oktatást az alkalmazható kezelésekről, azok jótékony hatásairól és kockázatairól?”; „Kapok-e betegségmódosító (bázisterápiás) gyógyszert, és ha nem, tudom-e, hogy miért nem kapok?”) [319,320]. Összesen 26, illetve 31 európai országban, RA betegek (N=1873) és reumatológusok (N=1131) körében végzett felmérésünk szerint (melyben a magyarországi felmérésben és a nemzetközi kutatási eredmények értelmezésében vettem részt) a 20 ellátási standard közül a betegek szerint 19, a reumatológusok szerint 10 tétel volt problémás a válaszadók több mint 20%-ában [321]. Összességében tehát a betegek „kritikusabbak” voltak a kapott gondozással (kevésbé pozitív tapasztalatokról számoltak be), mint a szakorvosok, ami egyértelműen arra utal, hogy az orvos-beteg találkozások, a gondozás során a megfelelő ellátás alapvetéseiről, fő kritériumairól többet kell beszélgetni a betegekkel.

Összefoglalva, a digitalizálódó világban a páciensek digitális egészségműveltségének mérése segítheti a hatékony információcserét és az ezen alapuló megosztott döntéshozatalt, valamint azonosítani azokat a pácienseket, akiknél nagyobb eséllyel várható a kapott információk részleges vagy teljes meg nem értése. A páciensek egészségügyben szerzett tapasztalatai az egészségügyi ellátás releváns, nemzetközi összehasonlításra alkalmas minőségi indikátorai, amiket érdemes lenne mérni. Ezekhez nyújt kutatásunk Magyarországra validált eHEALS mércét, a lakosság körében mért PREM adatokat és az eHEALS és PREM közötti összefüggésekre evidenciákat

5.7 Kimenetel mércék európai összehasonlításban

Az Értekezésben bemutatott új eredmények összefoglalása előtt szeretném néhány példával szemléltetni, hogy vizsgálataink a rendelkezésre álló mércék és alapadatok tekintetében Magyarországot az egészségnyereség mérés vezető kutató országainak (Egyesült Királyság, Hollandia, Németország, Svédország) szintjére hozta fel és kiemelkedő pozícióba emelte a KKE régióban (17.-20. ábra).

17. ábra EQ-5D-3L és EQ-5D-5L országspecifikus hasznosság értékkészletek Európában



EQ-5D-3L országspecifikus hasznosság értékkészlet

Forrás: saját szerkesztés, <https://euroqol.org/eq-5d-instruments/eq-5d-3l-about/valuation/> alapján (2021.02.15)



EQ-5D-5L országspecifikus hasznosság értékkészlet

Forrás: saját szerkesztés, <https://euroqol.org/eq-5d-instruments/eq-5d-5l-about/valuation-standard-value-sets/> alapján (2021.02.15)

- Más kutatásokból már meglévő adatok
- ▲ Az értekezésben szereplő saját kutatásaink eredményei

18. ábra ICECAP-A és ICECAP-O nyelvi verziók Európában



ICECAP-A nyelvi verzió

Forrás: saját szerkesztés, <https://www.google.com/search?client=firefox-b-d&q=icecap-a> alapján (2021.02.15)



ICECAP-O nyelvi verzió

Forrás: Saját szerkesztés, <https://www.birmingham.ac.uk/research/activity/mds/projects/haps/he/icecap/icecap-o/index.aspx> alapján (2021.02.15)

- Más kutatásokból már meglévő adatok
- ▲ Az értekezésben bemutatott saját kutatási eredményeink

19. ábra CarerQol nyelvi verziók és országspecifikus hasznosság értékek Európában



CarerQol nyelvi verzió

Forrás: Saját szerkesztés, <https://www.imta.nl/carerqol/> alapján (2021.02.15.)



CarerQol országspecifikus hasznosság értékkészlet

Forrás: Saját szerkesztés, <https://www.imta.nl/carerqol/> alapján (2021.02.15.)

- Más kutatásokról már meglévő adatok
- ▲ Az értekezésben bemutatott saját kutatásaink eredményei

20. ábra eHEALS nyelvi verziók Európában



eHEALS nyelvi verzió

Forrás: Saját szerkesztés, PubMed keresés alapján eHEALS és európai országokra (2020.02.15.)

- Más kutatásokról már meglévő adatok
- ▲ Az értekezésben bemutatott saját kutatásaink eredményei

6 ÖSSZEFOGLALÁS

6.1 Új tudományos eredmények

Biológiai terápiák bizonyítékokon alapuló alkalmazása RA-ban

- Elsőként igazoltuk, hogy az első vonalbeli betegségmódosító szerként adott TNF- α gátló gyógyszeres kezelés 2 éves időtávon hatásosabb (metotrexát-naiv) korai RA kezelésére, mint az egyéb (biológiai betegségmódosító szert nem tartalmazó) kezelés. Specifikusan infliximabra végzett kutatásunk során kimutattuk, hogy 2018-ban nem állt rendelkezésre olyan költséghatékonysági elemzés, ami a biohasonló infliximab megjelenése (2013) óta történt gyógyszerár változásokat is figyelembe vette volna. Így korai RA-ban történő első vonalbeli alkalmazásának gazdaságossági okok miatti korlátozása nem megalapozott.
- Elsőként végeztünk költségvetési hatás elemzést az első regisztrált biohasonló terápiával (biohasonló infliximabbal) RA-ban és kimutattuk, hogy jelentős megtakarítás érhető el a biohasonló gyógyszer bevezetésével a vizsgált hat európai országban. Ez a megtakarítás a biológiai gyógyszerrel kezelt RA betegszám kb. 10%-os növekedését tenné lehetővé, javíthatná a terápiához való hozzáférést ezekben az országokban.

Egészséggel összefüggő életminőség: középpontban az EQ-5D

Jelentős KKE regionális és hazai vonatkozású vizsgálatokat végeztünk az EQ-5D kérdőívekkel:

- Lakossági normaértékeket fejlesztettünk ki az EQ-5D-3L kimenetel mércével Magyarországon 2010-ben és 2019-ben, megújítva ezzel a korábbi (2000 évi) referencia készletet, valamint Lengyelország és Szlovénia adataival egyesítve KKE regionális lakossági normaértéket hoztunk létre. Kimutattuk, hogy az EQ-5D-3L index különbségek a régió országai között is jelentősek iskolázottsági szint szerint, ezért a nem és az életkor mellett az iskolázottságot is figyelembe kell venni az adatok átvétele vagy összehasonlítása esetén.
- Három KKE ország lakossági mintáján és 18 krónikus betegségben végzett elemzéseink alapján igazoltuk, hogy (a vizsgálat idején a régióban rendelkezésre álló) szlovén és lengyel EQ-5D-3L értékkészlet alkalmazása jelentősen eltérő EQ-5D-3L index eredményre vezet.
- Hét krónikus mozgásszervi betegségben (RA, SPA, AP, OP, OA, szkleroderma, krónikus fájdalom) EQ-5D-3L index referenciaértékeket hoztunk létre különböző betegségstádiumokra KKE szakirodalmi adatok metaanalízise alapján.

- Azonosítottuk azokat az országokat és mozgásszervi betegségeket, ahol nem vagy alig vannak EQ-5D kimenetellel klinikai vizsgálati eredmények a KKE régióban, valamint ajánlásokat fogalmaztunk meg az elemzések és az eredmények közlési módszereinek javítására.

A jóllét új megközelítése: a képességszemlélet-alapú jóllét mérése (ICECAP)

- Európában elsőként közöltünk lakossági normaértékeket az ICECAP-A és ICECAP-O mércékkel és kimutattuk, hogy azokat elsősorban nem a szocio-demográfiai tényezők, hanem nagyrészt az általános egészségi állapot (és további, feltárássra váró tényezők) határozzák meg.
- Elsőként bizonyítottuk, hogy képességszemlélet-alapú jóllét ICECAP-A/-O mércéi bár közepesen erős összefüggést mutatnak a WHO-5 „hagyományos” jólléti mércével, eredményeik eltérőek, azaz az ICECAP-A/-O mércék a jóllét más aspektusait is értékelik.
- Jelentős KKE regionális és hazai vonatkozású eredmények: A KKE régióban elsőként fejlesztettük ki és validáltuk az ICECAP-A és ICECAP-O mércék országspecifikus nyelvi verzióját. A régióban elsőként közöltük a fizikai funkcionális mérést mérő HAQ-DI és a munkaképességet mérő WPAI mércék lakossági norma értékeit. A WPAI által először alkottunk képet a hazai lakosság munkahatékonyság csökkenéséről (presenteeism). További jelentős eredmény, hogy vizsgálatunkban az ELEF egészség kategóriáit is alkalmaztuk, így az ICECAP-A/-O standard mércék és az ELEF kategóriák közötti kapcsolatok referenciaként használhatók további kutatásokban.

Informális gondozás, az informális gondozók életminősége (CarerQol)

- Elsőként igazoltuk, hogy a CarerQol országspecifikus hasznosság értékkészletek kisebb eltéréseket mutatnak egy régió országai között. A meglévő négy európai CarerQol értékkészlet bővítése három új értékkészlettel (magyar, lengyel, szlovén) jelentősen megnövelte az európai országok közötti hasonlóságokról és különbségekről, a CarerQol eredmények transzferálhatóságáról való ismereteket.
- Jelentős KKE regionális és hazai vonatkozású eredmények: Elsőként fejlesztettük ki a KKE régióban a CarerQol mérce magyar nyelvű verzióját és igazoltuk validitását (és kifejlesztettük az elérhető legjobb nyelvi verziót Lengyelország és Szlovénia számára), valamint országspecifikus hasznosság értékkészleteit a három országra. Ez az első elérhető preferencia-alapú mérce az informális gondozás életminőség hatásainak mérésére régióban.

Elsőként mértük fel a KKE régióban az informális gondozók gondozással összefüggő életminőségét a CarerQol alkalmazásával a régió három országában (Magyarország, Lengyelország és Szlovénia) és kimutattuk, hogy a gondozó saját egészségi állapota

meghatározó jelentőségű a gondozói életminőség szempontjából, de jelentősek a gondozás körülményei is, ezek azonban eltéréseket mutatnak az országok között.

Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága és a jövőbeli egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások

- Elsőként mértük fel a különböző egészségi állapotok életkorfüggő elfogadottságát RA-ban és mutattuk ki, hogy az első biológiai terápiát kezdő RA betegek átlagosan rosszabb állapotban vannak, mint amit ők maguk és az átlagos lakosság elfogadhatónak tart az adott életkorban.
- Elsőként igazoltuk, hogy két, egymástól számos téren (várható élettartam, egészségi állapot, gazdasági fejlettség, egészségügyi ellátórendszer) nagyon különböző európai országban az átlagos lakosok nagyon hasonlóan vélekednek a mérsékelt és súlyos egészségproblémák különböző életkorokban történő elfogadtságáról.
- Elsőként mértük fel az egészséggel (élettartam, idősebb kori egészségi állapot) kapcsolatos szubjektív várakozások mellett a boldogsággal (VAS), mentális jólléttel (WHO-5), munkaképességgel és időskori ellátásokkal kapcsolatos lakossági elgondolásokat. A lakosság az egészség jelentős rosszabbodására számít az életkorral, különösen 70 éves kortól kezdve, amit elsőként igazoltunk az EQ-5D-5L verzióval, illetve GALI-n alapuló mérésrel. A lakosság az életkorral rosszabbodó tendenciát vár a boldogság és mentális jóllét terén, a várt rosszabbodás mértéke elmarad az egészségi állapotnál látottaktól. Többségében a család által nyújtott gondozásra számítanak idősebb korokra, és nem állami ellátásokra. A nyugdíjkorhatárt medián 65 éves korra várják, ami a demográfiai és nyugdíjrendek tükrében jelentős alábecslésnek tűnik.
- Elsőként vizsgáltuk Crohn betegek egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozásait. Gasztroenterológiai gondozásban megjelenő Crohn betegek 1 éves időtávon az állapotuk nagyon jelentős javulását, az átlagos lakosságra jellemző egészségi állapothoz közeli állapot elérését várják. Azonban idősebb korokra jelentős rosszabbodásra számítanak; rosszabbra, mint amilyen az átlagos lakosság egészségi állapota az adott életkorban és mint amit az átlagos lakosok vetítenek előre maguk számára.
- Elsőként mértük fel az osteoporosis gondozásban megjelenő OP nőbetegek szubjektív törési rizikóját és igazoltuk, hogy az jelentős eltéréseket mutat az epidemiológiai adatokon alapuló FRAX[®] törési rizikó becslőmódszer eredményeihez képest. A betegek kevéssé ismerik a saját törési rizikóik jelentőségét a jövőbeli töréseik szempontjából, nem tesznek érdemi különbséget a major OP és a csípőtáji törési rizikó között. A szubjektíve várt élettartam meghatározó a

szubjektív törésbecslés szempontjából. Jelentős (23%) az a jól körülírható alcsoport (idősebbek, volt már törésük, a szülők körében előfordult csípőtáji törés, magasabb a testtömeg indexük, jobb általános egészségi állapotban vannak, a femur T-score $\leq -2,5$), akik hajlamosak alábecsülni a törési esélyeiket, ezért fokozott figyelmet kell fordítani rájuk a gondozás során.

Digitális egészségműveltség és betegek tapasztalatai az egészségügyben (PREM)

- Elsőként vizsgáltuk az eHEALS és a PREM kapcsolatát és kimutattuk, hogy a legalacsonyabb és a közepesen magas digitális egészségműveltségűek járóbeteg ellátásban szerzett tapasztalatai különböznek szignifikánsan egymástól, míg a legalacsonyabb és a legmagasabb egészségműveltségűek tapasztalatai nem térnek el jelentősen.
- Jelentős KKE és hazai vonatkozású eredmények: Validáltuk az eHEALS kérdőív magyar nyelvű verzióját és a kérdőívvel felmértük a hazai (online) lakosság digitális egészségműveltségét. A nőknél, a fiatalabbak körében, illetve legjobb és a legrosszabb egészségi állapotban levőknél találtuk a legmagasabb digitális egészségműveltségi szintet, az iskolázottság nem volt jelentős tényező. Az OECD által javasolt PREM kérdéssorral alapadatokat nyertünk a hazai (online) lakosság járóbeteg ellátás igénybevételét korlátozó tényezőiről és a járóbeteg ellátás során szerzett tapasztalatairól.

A kutatásainkban a standard kimenetel mércékkel felvett alapadatokat az alábbi táblázatban foglaljuk össze.

26. táblázat A standard kimenetel mércékkel kialakított alapadatok

	EQ-5D-3L	EQ-5D-5L	ICECAP-A	ICECAP-O	WPAI	CarerQoL	eHEALS	PREM
Nyelvi verzió fejlesztés, validálás	x	x	HU	HU	x	HU PL SI	HU	HU
Lakossági normaérték kialakítása	HU KKE	HU	HU	HU	HU	HU PL SI	HU	HU
Hasznosság értékkészlet kifejlesztése	HU	HU	-	-	n.a.	HU PL SI	n.a.	n.a.
Mozgásszer- vi betegségek- ben referenc- ia értékek kialakítása	KKE	-	-	-	-	-	-	-

x=Nyelvi verzió rendelkezésre állt.

HU=Magyarország; KKE=közép-kelet-európai; n.a.=nem alkalmazható; PL=Lengyelország; SI=Szlovénia

6.2 Az eredmények gyakorlati jelentősége

Biológiai terápiák bizonyítékokon alapuló alkalmazása RA-ban

Metaanalízis eredményeink és a költséghatékonysági vizsgálatok áttekintése alapján javasolt újragondolni a biológiai/biohasonló szerek első vonalbeli alkalmazásának lehetőségét és az idevonatkozó szakmai irányelveket korai RA-ban, valamint a biológiai/biohasonló terápia finanszírozási kritériumait. A gyorsan változó gyógyszerárak miatt aktuális árakkal végzett egészséggazdaságtani evidenciákra van szükség annak megítélésére, hogy a kezelt betegkör bővítése (első vonalbeli alkalmazás, a finanszírozói kritériumok szakmai ajánlásokhoz közelítése által) társadalmi szinten milyen egészségnyereséggel és költségekkel járna. Így klinikailag és közgazdaságtanilag megalapozott döntésekkel lehetne a biohasonló gyógyszerekben rejlő lehetőségeket hasznosítani és javítani a terápiához való hozzáférést.

Egészséggel összefüggő életminőség: középpontban az EQ-5D

Hazai lakossági EQ-5D-3L normaértékeink referencia értéként használhatók egyéni szinten a betegek állapotfelmérése során, egészségpolitikai döntéshozói szinten betegségteher felmérésekben és költséghatékonysági elemzésekben, valamint nemzetközi összehasonlításra alkalmas adatokkal szolgálnak a lakosság egészségi állapotáról. A KKE regionális lakossági EQ-5D-3L normaértékek hiánypótló jellegűek azon országok számára, ahol nincs országspecifikus adat. Eredményeink elősegítik a helyi, illetve regionális referencia értékeken alapuló egészséggazdaságtani elemzések végzését. A kutatásaink során kifejlesztett hazai EQ-5D-3L és EQ-5D-5L hasznosság értékészlet teremtette meg a lehetőséget arra, hogy az egészségnyereség mérése (az ebből számolt QALY) és ezáltal finanszírozói megítélése ne más országok (eddig jellemzően az Egyesült Királyság), hanem a hazai lakosság értékrendjén alapuljon. A KKE régió belül a lakossági és mozgásszervi betegségek területén feltárt adathiányok iránymutatásként szolgálnak a reumatológia és más mozgásszervi szakterületek számára a szakmai stratégiák, kutatási és pályázati preferenciák kialakításához.

A jóllét új megközelítése: a képességszemlélet-alapú jóllét mérése (ICECAP)

Az ICECAP-A és ICECAP-O képességszemlélet-alapú jóllét mércék validált hazai verziójának kialakítása révén elsőként vált lehetségessé a KKE régióban a képességszemlélet-alapú jóllét mérése Magyarországon. Ezeket az egyéni terápiás stratégiák kialakításában, csoportszinten a szociális gondozásra fókuszáló programok tervezéséhez és eredményeinek mérésében lehet hasznosítani. A lakosság idősödésével a szociális jellegű ellátások egyre inkább versengenek az egészségügyi ellátásokkal (pl. gyógyszerek) a szűkös erőforrásokért. A magyar nyelvű

ICECAP-A/-O mércék által lehetővé vált a QALY mellett a jóllét terén fellépő egészségnyereség mérése. Az ICECAP-A/-O (és a vele párhuzamosan felvett WPAI és HAQ-DI) lakossági normaértékek referenciaértékként szolgálnak betegség-specifikus kutatásokhoz. A HAQ-DI populációs norma különösen RA kutatásokhoz értékes, ahol ez a mérce a betegségaktivitás és progresszió mérésének sarokköve. Ismereteink szerint eddig még nem publikáltak ICECAP-A/-O mércékkel gyulladássos reumatológiai betegségben felméréseket. Reményeink szerint a magyar nyelvű ICECAP-A/-O mércék és lakossági normaértékek elérhetősége felgyorsítja ezeket a világ élvonalába tartozó hazai kutatásokat.

Informális gondozás, az informális gondozók életminősége (CarerQol)

A CarerQol mérce Magyarország, Lengyelország és Szlovénia számára kialakított nyelvi verziója és országspecifikus hasznosság értékkészletei lehetővé teszik, hogy a mindennapi klinikai gyakorlatban és a klinikai vizsgálatokban felmérjék a beteget gondozó családtagok gondozással összefüggő életminőségét és preferenciáit nemzetközi összehasonlításra alkalmas módon és annak ismeretében történjenek az orvosi döntések. Az egészség- és szociálpolitikai döntések szintjén az informális gondozók életminőségét támogató egészségügyi és szociális programokban a CarerQol mérések alapján az informális gondozók igényeihez igazított, célzott beavatkozások tervezhetők. A CarerQol preferencia-alapú mérce használata lehetőséget ad a több kritériumon alapuló egészséggazdaságtani és finanszírozói döntéselemzésre szemben a korábbi, csak a betegeknél jelentkező egészségnyereség mérésén (QALY) alapuló megközelítéshez képest.

Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága és a jövőbeli egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások

Az egészségproblémák életkorfüggő elfogadottságának ismerete segíti a beteggel közösen történő orvosi döntéshozatalt és a terápiás célok kialakítását. Vizsgálatunk alapkutatásként is jelentős kiindulási pont a QALY alapú értékelés helyett (mellett) az „elfogadható egészségi állapotban eltöltött életév” megközelítés, illetve az elfogadhatóság szerinti prioritizálás irányába, ehhez azonban még számos további kutatásra van szükség. Az élettartammal és az idősebb életkorokra várt egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások, az idősebb életkorokra várt kifejezett egészségromlás befolyásolhatják a lakosság jelenlegi egészségmagatartását, egészségügyi igénybevételét és terápiás együttműködését. Ezeket a feltételezett összefüggéseket érdemes további vizsgálatokban feltárni. A lakossági eredményeink

referenciaértékként használhatók specifikus betegcsoportokon végzett kutatásokhoz, melyeket eddigi betegségfelméréseinkben tapasztalt jelentős felül- és alábecslések miatt erősen szorgalmazunk. Javasoljuk, hogy a betegek egészséggel kapcsolatos szubjektív jövőképének feltárása legyen a gondozás és a terápia tervezés része. Az időskori ellátások egyéni és társadalmi tervezéséhez, annak tudatosabbá tételéhez, a lehetőségek reális felméréséhez egyéni és társadalmi szintű párbeszédre van szükség. A családi gondozás olyan mértékű megvalósulása, mint amit a lakosok gondolnak idősebb éveikre, társadalmilag és gazdaságilag is nehezen képzelhető el. Továbbá, a 10-20-30-40 éves időtávon várható nyugdíjkorhatár emelkedésről társadalmi párbeszédet kell folytatni, mert úgy tűnik, ezzel nem számol a lakosság jelentős része. A jövőbeli egészséggel és ellátásokkal kapcsolatos elgondolásokat feltáró eredményeink alapvető input adatokkal szolgálnak az egészségügyi és szociális ellátórendszer tervezéséhez, valamint magánjellegű életstratégiák kialakításához.

Csontritkulás gondozás során az OP rizikófaktorokkal kapcsolatos ismeretek bővítésére van szükség, amire népegészségügyi programokban, az alapellátásban és az OP szakellátásban is törekedni kell. A FRAX[®] törési rizikóbecslő módszer kitűnő lehetőséget ad a csonttörésre fokozottan veszélyeztetett egyének kiszűrésére, azonban a 10 évre vonatkozó, %-ban megjelenített eredményeket értelmezni kell és megfelelően elmagyarázni a betegeknek, beleértve a major OP és a csípőtáji törési rizikó közötti különbséget. Javasoljuk az OP gondozás során feltárni a törésekkel kapcsolatos szubjektív várakozásokat a FRAX[®] eredmények tükrében és ki kell térni a FRAX[®] kalkulátor korlátaira is. Fokozott figyelmet kell fordítani a betegek által várt szubjektív élettartamra, hiszik-e, hogy megélik a következő 10 évet, amely időszakra a FRAX[®] eredmény vonatkozik. Kiemelten javasolt foglalkozni a törési esélyeiket alábecslő alcsoporttal, akik többségét (kutatásunkban igazolt jellemzők alapján) már az alapellátásban, ODM mérés nélkül is azonosítani lehet.

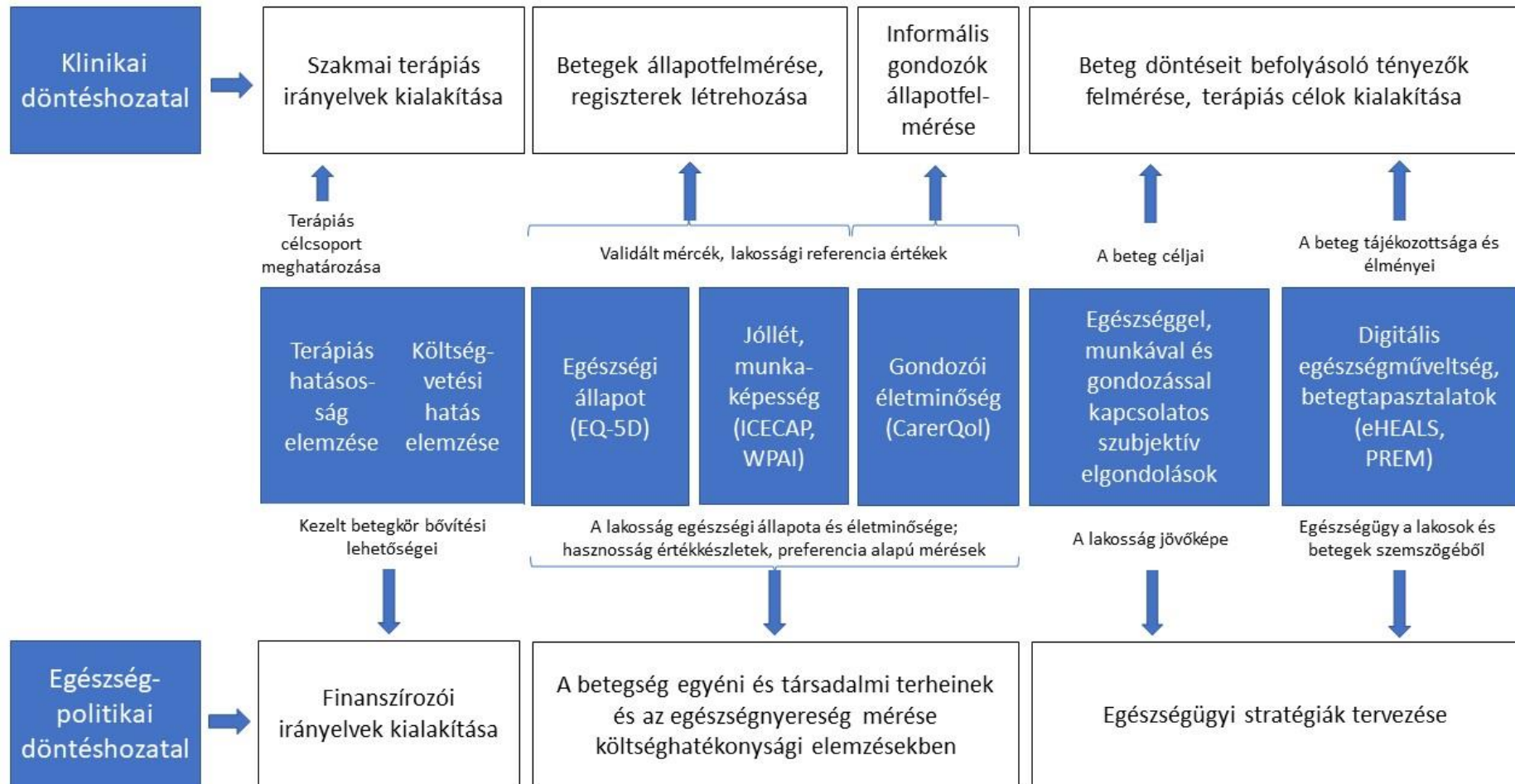
Digitális egészségműveltség és betegek tapasztalatai az egészségügyben (PREM)

Az eHEALS mérce alkalmazható a betegek egészségműveltségének felmérésére a klinikai gyakorlatban. Lakossági eredményeink jól alkalmazhatók az alacsonyabb egészségműveltségű csoportok azonosítására, akiknél szükséges lenne fejleszteni ezt a képességet. A lakossági PREM eredményeink lehetőséget adnak a járóbeteg ellátásban szerzett hazai tapasztalatok nemzetközi összehasonlítására, célzott egészségügyi stratégiák kialakítására. Érdeemes lenne a standard PREM kérdőívet használni a járóbeteg ellátóhelyek minőségi indikátoraként. Fontos lenne betegség-specifikus kutatásokban elkezdni alkalmazni az eHEALS és PREM mércéket és felmérni, mennyiben különböznek a lakosságnál talált jellemzőktől a betegek eredményei,

valamint tovább kutatni, hogyan függ össze a páciens digitális egészségműveltsége és az ellátás során szerzett tapasztalatai a betegség rövid és hosszú távú kimenetelével, a beteg-együttműködéssel (compliance), az elért terápiás eredmények értékelésével a beteg szemszögéből, az egészségügyi ellátások (adekvát) igénybevételével.

Kutatási eredményeinket és azok gyakorlati felhasználási lehetőségeit az alábbi áttekintő ábrán egyszerűsített formában összefoglaltam össze. (21. ábra)

21. ábra A kutatási eredmények és gyakorlati felhasználási lehetőségeik sematikus összefoglalása



7 RÖVID ÖSSZEFOGLALÁS

Kimutattuk, hogy az európai szakmai irányelvekben a TNF- α gátló gyógyszerekhez első vonalbeli terápiaként való hozzáférés korlátozása korai RA-ban sem klinikailag, sem gazdaságossági szempontból nem kellően megalapozott. Európában is kiemelkedőnek számító eszközkészletet (életminőség, jóllét, munkaképesség, informális gondozók életminősége, digitális egészségműveltség, betegtapasztalatok kérdőívek releváns validált nyelvi verziója, hasznosság értékkészlete, lakossági referenciaértékei) hoztunk létre Magyarország, illetve a régió számára az egészségnyereség klinikai és egészséggazdaságtani értékeléséhez. Reprezentatív lakossági felméréseink új adatokkal bővítették a képességszemlélet-alapú jóllétet és az informális gondozók életminőségét meghatározó tényezőkkel kapcsolatos ismereteket. Úttörő jellegű vizsgálatokat végeztünk az egészségnyereség értékelését befolyásoló szubjektív tényezők feltárásában RA-ban, OP-ban és Crohn betegségben. Új eredményeket közlünk a digitális egészségműveltség és a betegtapasztalatok közötti összefüggésekről.

Kutatási eredményeink gyakorlati haszna véleményünk szerint jelentős. Biológiai/biohasonló terápiákra vonatkozó elemzéseink tudományosan megalapozott támpontokat adnak a kezelt betegkör bővítési lehetőségeiről a klinikai és finanszírozói irányelvek számára. A validált kimenetel mércék segítik az orvosi döntéshozatalt a beteg (és az őt gondozók) állapotának komplexebb megismerése és számszerűsítése által. A mércék használhatók nemzetközi összehasonlításra alkalmas betegregiszterek felállítására, amire nagy szükség lenne a régióban. Populációs felméréseink számszerűsített adatokkal szolgálnak a lakosság állapotáról az egészség- és szociálpolitika számára. A preferencia-alapú mércék az egészségnyereség hazai lakosság értékrendjét tükröző mérését teszik lehetővé a TB finanszírozói döntéshozatal során. Nemzetközi összehasonlításban végzett kutatásaink segítik az eredmények transzferálhatóságának megítélését. A betegek és a lakosság egészséggel kapcsolatos szubjektív jövőképeink, egészségműveltségének és egészségüggyel szerzett tapasztalatainak ismerete új szempontokkal segíti a terápiás célok kialakítását és a beteggel közös döntéshozatalt, valamint alapvető adatokat nyújt az egészségügyi stratégiák tervezéséhez.

Kutatásaink Magyarországot vezető helyzetbe hozták a KKE régióban és Európa élvonalába emelték az egészségnyereség mérés területén. Vizsgálataink lényeges új eredményekkel segítik a további klinikai és gyógyszervizsgálatokat, a tudományosan megalapozott, értékalapú klinikai és finanszírozói döntéshozatalt, ezáltal a gyógyítás fő célját: a jobb egészség elérését. Tudományos munkámmal ezt a célt kívántam szolgálni.

8 IRODALOMJEGYZÉK

1. Roth, G. A., Huffman, M. D., Moran, A. E., Feigin, V., Mensah, G. A., Naghavi, M., et al. (2015). Global and regional patterns in cardiovascular mortality from 1990 to 2013. *Circulation*, *132*(17), 1667-1678, doi:10.1161/CIRCULATIONAHA.114.008720.
2. Arnold, M., Rutherford, M. J., Bardot, A., Ferlay, J., Andersson, T. M., Myklebust, T. A., et al. (2019). Progress in cancer survival, mortality, and incidence in seven high-income countries 1995-2014 (ICBP SURVMARK-2): a population-based study. *Lancet Oncol*, *20*(11), 1493-1505, doi:10.1016/S1470-2045(19)30456-5.
3. G. B. D. S. Collaboration (2019). Global, regional, and national burden of stroke, 1990-2016: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2016. *Lancet Neurol*, *18*(5), 439-458, doi:10.1016/S1474-4422(19)30034-1.
4. Péntek, M. (2013). *Az életminőség mérése és közgazdaságtani jelentősége*. Budapest: Budapesti Corvinus Egyetem, Egészségügyi Közgazdaságtan Tanszék.
5. Editorial. (2011). Taking shared decision making more seriously. *Lancet*, *377*(9768), 784, doi:10.1016/S0140-6736(11)60290-0.
6. Fiteni, F., Pam, A., Anota, A., Vernerey, D., Paget-Bailly, S., Westeel, V., et al. (2015). Health-related quality-of-life as co-primary endpoint in randomized clinical trials in oncology. *Expert Rev Anticancer Ther*, *15*(8), 885-891, doi:10.1586/14737140.2015.1047768.
7. Smolen, J. S., Landewe, R. B. M., Bijlsma, J. W. J., Burmester, G. R., Dougados, M., Kerschbaumer, A., et al. (2020). EULAR recommendations for the management of rheumatoid arthritis with synthetic and biological disease-modifying antirheumatic drugs: 2019 update. *Ann Rheum Dis*, *79*(6), 685-699, doi:10.1136/annrheumdis-2019-216655.
8. Laki, J., Monok, G., Palosi, M., & Gajdacs, J. Z. (2013). Economical aspect of biological therapy in inflammatory conditions in Hungary. *Expert Opin Biol Ther*, *13*(3), 327-337, doi:10.1517/14712598.2013.735654.
9. OMERACT Outcome Measures in Rheumatology. <https://omeract.org/>. Accessed 18 January 2021.
10. Putrik, P., Ramiro, S., Kvien, T. K., Sokka, T., Pavlova, M., Uhlig, T., et al. (2014). Inequities in access to biologic and synthetic DMARDs across 46 European countries. *Ann Rheum Dis*, *73*(1), 198-206, doi:10.1136/annrheumdis-2012-202603.
11. Pentek, M., Poor, G., Wiland, P., Olejarova, M., Brzosko, M., Codreanu, C., et al. (2014). Biological therapy in inflammatory rheumatic diseases: issues in Central and Eastern European countries. *Eur J Health Econ*, *15 Suppl 1*, S35-43, doi:10.1007/s10198-014-0592-6.
12. Devlin, N. J., & Brooks, R. (2017). EQ-5D and the EuroQol Group: Past, Present and Future. *Appl Health Econ Health Policy*, *15*(2), 127-137, doi:10.1007/s40258-017-0310-5.
13. Hoefman, R. J., van Exel, J., & Brouwer, W. B. F. (2017). Measuring Care-Related Quality of Life of Caregivers for Use in Economic Evaluations: CarerQol Tariffs for Australia, Germany, Sweden, UK, and US. *Pharmacoeconomics*, *35*(4), 469-478, doi:10.1007/s40273-016-0477-x.
14. Janssen, B., & Szende, A. (2013). Population Norms for the EQ-5D. In A. Szende, B. Janssen, & J. Cabases (Eds.), *Self-Reported Population Health: An International Perspective based on EQ-5D [Internet]*. Internet: Springer; 2014.
15. WHO (1948). Preamble to the Constitution of WHO as adopted by the International Health Conference, New York, 19 June - 22 July 1946; signed on 22 July 1946 by the representatives of 61 States (Official Records of WHO, no. 2, p. 100) and entered into force on 7 April 1948.
16. Gulácsi, L. (2012). *Egészség-gazdaságtan és technológielemzés*. Budapest: Medicina Könyvkiadó Zrt.
17. Kitson, A., Marshall, A., Bassett, K., & Zeitz, K. (2013). What are the core elements of patient-centred care? A narrative review and synthesis of the literature from health policy, medicine and nursing. *J Adv Nurs*, *69*(1), 4-15, doi:10.1111/j.1365-2648.2012.06064.x.
18. Inotai, A., Lovas, K., & Kaló, Z. (2014). *Az egészségnyereség mérése - A betegek értékelése alapján*: Springmed.
19. Samuelson, P. A., & Nordhaus, W. D. (2016). *Economics (19th edition)*. New York: McGraw-Hill International Edition.
20. Kobelt, G. (2002). *Health economics: An Introduction to economic evaluation (Second edition)*. London: Office of Health Economics.
21. Torrance, G. W. (1986). Measurement of health state utilities for economic appraisal. *J Health Econ*, *5*(1), 1-30, doi:10.1016/0167-6296(86)90020-2.
22. Rasanen, P., Roine, E., Sintonen, H., Semberg-Konttinen, V., Ryyanen, O. P., & Roine, R. (2006). Use of quality-adjusted life years for the estimation of effectiveness of health care: A systematic literature review. *Int J Technol Assess Health Care*, *22*(2), 235-241, doi:10.1017/S0266462306051051.

23. Robinson, A., Spencer, A., & Moffatt, P. (2015). A framework for estimating health state utility values within a discrete choice experiment: modeling risky choices. *Med Decis Making*, 35(3), 341-350, doi:10.1177/0272989X14554715.
24. Whitty, J. A., & Oliveira Goncalves, A. S. (2018). A Systematic Review Comparing the Acceptability, Validity and Concordance of Discrete Choice Experiments and Best-Worst Scaling for Eliciting Preferences in Healthcare. *Patient*, 11(3), 301-317, doi:10.1007/s40271-017-0288-y.
25. Drummond, M., Brixner, D., Gold, M., Kind, P., McGuire, A., Nord, E., et al. (2009). Toward a consensus on the QALY. *Value Health*, 12 Suppl 1, S31-35, doi:10.1111/j.1524-4733.2009.00522.x.
26. Stein, K., Fry, A., Round, A., Milne, R., & Brazier, J. (2005). What value health?: A review of health state values used in early technology assessments for NICE. *Appl Health Econ Health Policy*, 4(4), 219-228, doi:10.2165/00148365-200504040-00004.
27. Lipman, S. A., Brouwer, W. B. F., & Attema, A. E. (2020). What is it going to be, TTO or SG? A direct test of the validity of health state valuation. *Health Econ*, doi:10.1002/hec.4131.
28. Beresniak, A., & Dupont, D. (2016). Is there an alternative to quality-adjusted life years for supporting healthcare decision making? *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res*, 16(3), 351-357, doi:10.1080/14737167.2016.1184975.
29. van de Wetering, L., van Exel, J., Bobinac, A., & Brouwer, W. B. (2015). Valuing QALYs in Relation to Equity Considerations Using a Discrete Choice Experiment. *Pharmacoeconomics*, 33(12), 1289-1300, doi:10.1007/s40273-015-0311-x.
30. van de Wetering, E. J., van Exel, N. J., Rose, J. M., Hoefman, R. J., & Brouwer, W. B. (2016). Are some QALYs more equal than others? *Eur J Health Econ*, 17(2), 117-127, doi:10.1007/s10198-014-0657-6.
31. Murali, N. S., & Deao, C. E. (2019). Patient Engagement. *Prim Care*, 46(4), 539-547, doi:10.1016/j.pop.2019.07.007.
32. van Nooten, F., Busschbach, J., van Agthoven, M., van Exel, J., & Brouwer, W. (2018). What should we know about the person behind a TTO? *Eur J Health Econ*, 19(9), 1207-1211, doi:10.1007/s10198-018-0975-1.
33. Wouters, S., van Exel, N. J., Rohde, K. I., & Brouwer, W. B. (2015). Are all health gains equally important? An exploration of acceptable health as a reference point in health care priority setting. *Health Qual Life Outcomes*, 13, 79, doi:10.1186/s12955-015-0277-6.
34. Surányi, P. (2019). Rheumatoid arthritis. In Z. Szekanecz, & G. J. Nagy (Eds.), *Reumatologia* (pp. 491-523). Budapest: Medicina Könyvkiadó Zrt.
35. Reumatológiai F. S. K. (2011). NEFMI szakmai protokoll a korral járó és a kortikoszteroid indukálta osteoporosis diagnosztikájáról és terápiájáról. file:///C:/Users/RENDSZ~1/AppData/Local/Temp/REUMA_korral_jaro_es_a_kortikoszteroidok_indukalta.pdf. Accessed December 1. 2020.
36. Safiri, S., Kolahi, A. A., Hoy, D., Smith, E., Bettampadi, D., Mansournia, M. A., et al. (2019). Global, regional and national burden of rheumatoid arthritis 1990-2017: a systematic analysis of the Global Burden of Disease study 2017. *Ann Rheum Dis*, 78(11), 1463-1471, doi:10.1136/annrheumdis-2019-215920.
37. Agca, R., Heslinga, S. C., Rollefstad, S., Heslinga, M., McInnes, I. B., Peters, M. J., et al. (2017). EULAR recommendations for cardiovascular disease risk management in patients with rheumatoid arthritis and other forms of inflammatory joint disorders: 2015/2016 update. *Ann Rheum Dis*, 76(1), 17-28, doi:10.1136/annrheumdis-2016-209775.
38. Gaujoux-Viala, C., Mouterde, G., Baillet, A., Claudepierre, P., Fautrel, B., Le Loet, X., et al. (2012). Evaluating disease activity in rheumatoid arthritis: which composite index is best? A systematic literature analysis of studies comparing the psychometric properties of the DAS, DAS28, SDAI and CDAI. *Joint Bone Spine*, 79(2), 149-155, doi:10.1016/j.jbspin.2011.04.008.
39. Bruce, B., & Fries, J. F. (2005). The Health Assessment Questionnaire (HAQ). *Clin Exp Rheumatol*, 23(5 Suppl 39), S14-18.
40. Ranganath, V. K., Khanna, D., & Paulus, H. E. (2006). ACR remission criteria and response criteria. *Clin Exp Rheumatol*, 24(6 Suppl 43), S-14-21.
41. Burgers, L. E., Raza, K., & van der Helm-van Mil, A. H. (2019). Window of opportunity in rheumatoid arthritis - definitions and supporting evidence: from old to new perspectives. *RMD Open*, 5(1), e000870, doi:10.1136/rmdopen-2018-000870.
42. Felson, D. (2012). Defining remission in rheumatoid arthritis. *Ann Rheum Dis*, 71 Suppl 2, i86-88, doi:10.1136/annrheumdis-2011-200618.
43. Smolen, J. S., Aletaha, D., Bijlsma, J. W., Breedveld, F. C., Boumpas, D., Burmester, G., et al. (2010). Treating rheumatoid arthritis to target: recommendations of an international task force. *Ann Rheum Dis*, 69(4), 631-637, doi:10.1136/ard.2009.123919.

44. Smolen, J. S., Goncalves, J., Quinn, M., Benedetti, F., & Lee, J. Y. (2019). Era of biosimilars in rheumatology: reshaping the healthcare environment. *RMD Open*, *5*(1), e000900, doi:10.1136/rmdopen-2019-000900.
45. Becciolini, A., Raimondo, M. G., Crotti, C., Agape, E., Biggioggero, M., & Favalli, E. G. (2017). A review of the literature analyzing benefits and concerns of infliximab biosimilar CT-P13 for the treatment of rheumatologic diseases: focus on interchangeability. *Drug Des Devel Ther*, *11*, 1969-1978, doi:10.2147/DDDT.S138515.
46. Pentek, M., Horvath, C., Boncz, I., Falusi, Z., Toth, E., Sebestyen, A., et al. (2008). Epidemiology of osteoporosis related fractures in Hungary from the nationwide health insurance database, 1999-2003. *Osteoporos Int*, *19*(2), 243-249, doi:10.1007/s00198-007-0453-6.
47. Guzon-Illescas, O., Perez Fernandez, E., Crespi Villarias, N., Quiros Donate, F. J., Pena, M., Alonso-Blas, C., et al. (2019). Mortality after osteoporotic hip fracture: incidence, trends, and associated factors. *J Orthop Surg Res*, *14*(1), 203, doi:10.1186/s13018-019-1226-6.
48. Poor, G. (2010). *Osteoporosis és más metabolikus csontbetegségek a klinikai gyakorlatban*. Budapest: Medicina.
49. Lakatos, P., & Takács, I. (2012). *A csontanyagcsere betegségei*. Budapest: Semmelweis Kiadó.
50. Kanis, J. A., Harvey, N. C., Johansson, H., Liu, E., Vandenput, L., Lorentzon, M., et al. (2020). A decade of FRAX: how has it changed the management of osteoporosis? *Aging Clin Exp Res*, *32*(2), 187-196, doi:10.1007/s40520-019-01432-y.
51. Eö.M. (2016). Oszteoporózis következtében kialakuló csonttörés primer és szekunder prevenciójának finanszírozási eljárásrendje (hatályos 2016.01-től). http://njt.hu/cgi_bin/njt_doc.cgi?docid=131312.317640.
52. Ujfalussy, I. (2019). Arthritis psoriatica. In Z. Szekanecz, & G. J. Nagy (Eds.), *Reumatologia* (pp. 543-550). Budapest: Medicina Könyvkiadó Zrt.
53. Géher, P. (2019). Spondylitis ankylopoetica. In Z. Szekanecz, & G. Nagy (Eds.), *Reumatologia* (pp. 535-542). Budapest: Medicina Könyvkiadó Zrt.
54. Constantin, T. (2019). Gyermekreumatológia. In Z. Szekanecz, & G. Nagy (Eds.), *Reumatologia* (pp. 765-785). Budapest: Medicina Könyvkiadó Zrt.
55. Czirják, L. (2019). Szisztémás sclerosis. In Z. Szekanecz, & G. Nagy (Eds.), *Reumatologia* (pp. 673-689). Budapest: Medicina Könyvkiadó Zrt.
56. Szekanecz, Z. (2019). Osteoarthritis. In Z. Szekanecz, & G. Nagy (Eds.), *Reumatologia* (pp. 451-470). Budapest: Medicina Könyvkiadó Zrt.
57. Csépany, T. (2011). A sclerosis multiplex kezelése napjainkban. *LAM*, *21*(2), 97-103.
58. Collaborators, G. B. D. M. S. (2019). Global, regional, and national burden of multiple sclerosis 1990-2016: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2016. *Lancet Neurol*, *18*(3), 269-285, doi:10.1016/S1474-4422(18)30443-5.
59. Ng, S. C., Shi, H. Y., Hamidi, N., Underwood, F. E., Tang, W., Benchimol, E. I., et al. (2018). Worldwide incidence and prevalence of inflammatory bowel disease in the 21st century: a systematic review of population-based studies. *Lancet*, *390*(10114), 2769-2778, doi:10.1016/S0140-6736(17)32448-0.
60. Pennington, K. L., & DeAngelis, M. M. (2016). Epidemiology of age-related macular degeneration (AMD): associations with cardiovascular disease phenotypes and lipid factors. *Eye Vis (Lond)*, *3*, 34, doi:10.1186/s40662-016-0063-5.
61. Zhou, J., Lin, J., Leung, W. T., & Wang, L. (2020). A basic understanding of mucopolysaccharidosis: Incidence, clinical features, diagnosis, and management. *Intractable Rare Dis Res*, *9*(1), 1-9, doi:10.5582/irdr.2020.01011.
62. Scotet, V., L'Hostis, C., & Ferec, C. (2020). The Changing Epidemiology of Cystic Fibrosis: Incidence, Survival and Impact of the CFTR Gene Discovery. *Genes (Basel)*, *11*(6), doi:10.3390/genes11060589.
63. Crisafulli, S., Sultana, J., Fontana, A., Salvo, F., Messina, S., & Trifiro, G. (2020). Global epidemiology of Duchenne muscular dystrophy: an updated systematic review and meta-analysis. *Orphanet J Rare Dis*, *15*(1), 141, doi:10.1186/s13023-020-01430-8.
64. de la Brassinne, M., & Nikkels, A. (2013). Psoriasis: state of the art 2013. *Acta Clin Belg*, *68*(6), 433-441, doi:10.2143/ACB.3388.
65. Koninckx, P. R., Ussia, A., Adamy, L., Tahlak, M., Keckstein, J., Wattiez, A., et al. (2020). The epidemiology of endometriosis is poorly known as the pathophysiology and diagnosis are unclear. *Best Pract Res Clin Obstet Gynaecol*, doi:10.1016/j.bpobgyn.2020.08.005.
66. Lokeshwar, S. D., Harper, B. T., Webb, E., Jordan, A., Dykes, T. A., Neal, D. E., Jr., et al. (2019). Epidemiology and treatment modalities for the management of benign prostatic hyperplasia. *Transl Androl Urol*, *8*(5), 529-539, doi:10.21037/tau.2019.10.01.
67. Saginala, K., Barsouk, A., Aluru, J. S., Rawla, P., Padala, S. A., & Barsouk, A. (2020). Epidemiology of Bladder Cancer. *Med Sci (Basel)*, *8*(1), doi:10.3390/medsci8010015.

68. Livingston, G., Huntley, J., Sommerlad, A., Ames, D., Ballard, C., Banerjee, S., et al. (2020). Dementia prevention, intervention, and care: 2020 report of the Lancet Commission. *Lancet*, 396(10248), 413-446, doi:10.1016/S0140-6736(20)30367-6.
69. Beghi, E. (2020). The Epidemiology of Epilepsy. *Neuroepidemiology*, 54(2), 185-191, doi:10.1159/000503831.
70. Draoui, A., El Hiba, O., Aimrane, A., El Khiat, A., & Gamrani, H. (2020). Parkinson's disease: From bench to bedside. *Rev Neurol (Paris)*, 176(7-8), 543-559, doi:10.1016/j.neurol.2019.11.002.
71. Miller, J. N., & Black, D. W. (2019). Schizoaffective disorder: A review. *Ann Clin Psychiatry*, 31(1), 47-53.
72. Eurostat (2017). Minimum European Health Module. [https://ec.europa.eu/eurostat/statistics-explained/index.php/Glossary:Minimum_European_Health_Module_\(MEHM\)](https://ec.europa.eu/eurostat/statistics-explained/index.php/Glossary:Minimum_European_Health_Module_(MEHM)). Accessed November 11 2020.
73. KSH (2019). Európai Lakossági egészségfelmérés. <https://www.ksh.hu/elef>. Accessed Október 20. 2020.
74. Eurostat (2020). European Union Statistics on Income and Living Conditions. <https://ec.europa.eu/eurostat/web/microdata/european-union-statistics-on-income-and-living-conditions>. Accessed November 11 2020.
75. Eurostat (2015). Glossary: Healthy Life Years (HLY). https://ec.europa.eu/eurostat/statistics-explained/index.php/Glossary:Healthy_life_years_%28HLY%29. Accessed Október 27. 2020.
76. EuroQol, G. (1990). EuroQol--a new facility for the measurement of health-related quality of life. *Health Policy*, 16(3), 199-208, doi:10.1016/0168-8510(90)90421-9.
77. Dolan, P. (1996). Modelling valuations for health states: the effect of duration. *Health Policy*, 38(3), 189-203, doi:10.1016/0168-8510(96)00853-6.
78. Rencz, F., Brodszky, V., Gulacsi, L., Golicki, D., Ruzsa, G., Pickard, A. S., et al. (2020). Parallel Valuation of the EQ-5D-3L and EQ-5D-5L by Time Trade-Off in Hungary. *Value Health*, 23(9), 1235-1245, doi:10.1016/j.jval.2020.03.019.
79. Herdman, M., Gudex, C., Lloyd, A., Janssen, M., Kind, P., Parkin, D., et al. (2011). Development and preliminary testing of the new five-level version of EQ-5D (EQ-5D-5L). *Qual Life Res*, 20(10), 1727-1736, doi:10.1007/s11136-011-9903-x.
80. Krishnan, E., Sokka, T., Hakkinen, A., Hubert, H., & Hannonen, P. (2004). Normative values for the Health Assessment Questionnaire disability index: benchmarking disability in the general population. *Arthritis Rheum*, 50(3), 953-960, doi:10.1002/art.20048.
81. Topp, C. W., Ostergaard, S. D., Sondergaard, S., & Bech, P. (2015). The WHO-5 Well-Being Index: a systematic review of the literature. *Psychother Psychosom*, 84(3), 167-176, doi:10.1159/000376585.
82. McCormack, H. M., Horne, D. J., & Sheather, S. (1988). Clinical applications of visual analogue scales: a critical review. *Psychol Med*, 18(4), 1007-1019, doi:10.1017/s0033291700009934.
83. Kobau, R., Sniezek, J., Zack, M. M., & Lucas, R. (2010). Well-Being Assessment: An Evaluation of Well-Being Scales for Public Health and Population Estimates of Well-Being among US Adults. *Health and well-being*, 2(3), 272-297.
84. Diener, E., REMMONS, R., Larsen, E., & Griffin, S. (1985). The Satisfaction with Life Scale. *Journal of Personality Assessment*, 49(1), 71-75.
85. Reilly, M. C., Zbrozek, A. S., & Dukes, E. M. (1993). The validity and reproducibility of a work productivity and activity impairment instrument. *Pharmacoeconomics*, 4(5), 353-365, doi:10.2165/00019053-199304050-00006.
86. Laires, P. A., Exposto, F., Mesquita, R., Martins, A. P., Cunha-Miranda, L., & Fonseca, J. E. (2013). Patients' access to biologics in rheumatoid arthritis: a comparison between Portugal and other European countries. *Eur J Health Econ*, 14(6), 875-885, doi:10.1007/s10198-012-0432-5.
87. Putrik, P., Ramiro, S., Kvien, T. K., Sokka, T., Uhlig, T., Boonen, A., et al. (2014). Variations in criteria regulating treatment with reimbursed biologic DMARDs across European countries. Are differences related to country's wealth? *Ann Rheum Dis*, 73(11), 2010-2021, doi:10.1136/annrheumdis-2013-203819.
88. Gulacsi, L., Rencz, F., Poor, G., Szekanez, Z., Brodszky, V., Baji, P., et al. (2016). Patients' access to biological therapy in chronic inflammatory conditions; per capita GDP does not explain the intercountry differences. *Ann Rheum Dis*, 75(5), 942-943, doi:10.1136/annrheumdis-2015-208741.
89. Yoo, D. H., Hrycaj, P., Miranda, P., Ramiterre, E., Piotrowski, M., Shevchuk, S., et al. (2013). A randomised, double-blind, parallel-group study to demonstrate equivalence in efficacy and safety of CT-P13 compared with innovator infliximab when coadministered with methotrexate in patients with active rheumatoid arthritis: the PLANETRA study. *Ann Rheum Dis*, 72(10), 1613-1620, doi:10.1136/annrheumdis-2012-203090.
90. Park, W., Hrycaj, P., Jeka, S., Kovalenko, V., Lysenko, G., Miranda, P., et al. (2013). A randomised, double-blind, multicentre, parallel-group, prospective study comparing the pharmacokinetics, safety, and

- efficacy of CT-P13 and innovator infliximab in patients with ankylosing spondylitis: the PLANETAS study. *Ann Rheum Dis*, 72(10), 1605-1612, doi:10.1136/annrheumdis-2012-203091.
91. Singh, J. A., Hossain, A., Mudano, A. S., Tanjong Ghogomu, E., Suarez-Almazor, M. E., Buchbinder, R., et al. (2017). Biologics or tofacitinib for people with rheumatoid arthritis naive to methotrexate: a systematic review and network meta-analysis. *Cochrane Database Syst Rev*, 5, CD012657, doi:10.1002/14651858.CD012657.
 92. Cai, W., Gu, Y., Cui, H., Cao, Y., Wang, X., Yao, Y., et al. (2018). The Efficacy and Safety of Mainstream Medications for Patients With cDMARD-Naive Rheumatoid Arthritis: A Network Meta-Analysis. *Front Pharmacol*, 9, 138, doi:10.3389/fphar.2018.00138.
 93. Gulacsi, L., Zrubka, Z., Brodsky, V., Rencz, F., Alten, R., Szekanecz, Z., et al. (2019). Long-Term Efficacy of Tumor Necrosis Factor Inhibitors for the Treatment of Methotrexate-Naive Rheumatoid Arthritis: Systematic Literature Review and Meta-Analysis. *Adv Ther*, 36(3), 721-745, doi:10.1007/s12325-018-0869-8.
 94. Smolen, J. S., Landewe, R., Bijlsma, J., Burmester, G., Chatzidionysiou, K., Dougados, M., et al. (2017). EULAR recommendations for the management of rheumatoid arthritis with synthetic and biological disease-modifying antirheumatic drugs: 2016 update. *Ann Rheum Dis*, 76(6), 960-977, doi:10.1136/annrheumdis-2016-210715.
 95. Weszl, M., Rencz, F., & Brodsky, V. (2019). Is the trend of increasing use of patient-reported outcome measures in medical device studies the sign of shift towards value-based purchasing in Europe? *Eur J Health Econ*, 20(Suppl 1), 133-140, doi:10.1007/s10198-019-01070-1.
 96. Ware, J. E., Jr., & Sherbourne, C. D. (1992). The MOS 36-item short-form health survey (SF-36). I. Conceptual framework and item selection. *Med Care*, 30(6), 473-483.
 97. Wiklund, I. (1990). The Nottingham Health Profile--a measure of health-related quality of life. *Scand J Prim Health Care Suppl*, 1, 15-18.
 98. OECD (2019). Measuring what matters: the patient-reported indicator surveys (Patient-reported indicators fotór assessing health system performance). Paros.
 99. Szende, A., & Nemeth, R. (2003). [Health-related quality of life of the Hungarian population]. *Orv Hetil*, 144(34), 1667-1674.
 100. Rencz, F., Gulacsi, L., Drummond, M., Golicki, D., Prevolnik Rupel, V., Simon, J., et al. (2016). EQ-5D in Central and Eastern Europe: 2000-2015. *Qual Life Res*, 25(11), 2693-2710, doi:10.1007/s11136-016-1375-6.
 101. Al-Janabi, H., Flynn, T. N., & Coast, J. (2012). Development of a self-report measure of capability wellbeing for adults: the ICECAP-A. *Qual Life Res*, 21(1), 167-176, doi:10.1007/s11136-011-9927-2.
 102. Grewal, I., Lewis, J., Flynn, T., Brown, J., Bond, J., & Coast, J. (2006). Developing attributes for a generic quality of life measure for older people: preferences or capabilities? *Soc Sci Med*, 62(8), 1891-1901, doi:10.1016/j.socscimed.2005.08.023.
 103. Sen, A. (1993). Capability and well-Being. In M. Nussbaum, & A. Sen (Eds.), *The quality of life*. Oxford: Clarendon Press.
 104. Juhász, J., Bajmócy, Z., Gébert, J., & Málóvics, G. (2015). Szegénység, képességek, lehetőségek. *Közgazdasági Szemle*, 62, 544-564.
 105. Bajmócy, Z. A képességszemlélet alkalmazásának lehetőségei a regionális tudományban. <https://core.ac.uk/download/pdf/42927469.pdf>. Accessed November 19 2020.
 106. Birmingham, U. o. (2020). ICECAP capability measures. <https://www.birmingham.ac.uk/research/activity/mds/projects/haps/he/icecap/index.aspx>. Accessed November 18. 2020.
 107. Proud, L., McLoughlin, C., & Kinghorn, P. (2019). ICECAP-O, the current state of play: a systematic review of studies reporting the psychometric properties and use of the instrument over the decade since its publication. *Qual Life Res*, 28(6), 1429-1439, doi:10.1007/s11136-019-02114-y.
 108. Versteegh, M., Knies, S., & Brouwer, W. (2016). From Good to Better: New Dutch Guidelines for Economic Evaluations in Healthcare. *Pharmacoeconomics*, 34(11), 1071-1074, doi:10.1007/s40273-016-0431-y.
 109. Flynn, T. N., Huynh, E., Peters, T. J., Al-Janabi, H., Clemens, S., Moody, A., et al. (2015). Scoring the Icecap-a capability instrument. Estimation of a UK general population tariff. *Health Econ*, 24(3), 258-269, doi:10.1002/hec.3014.
 110. Coast, J., Flynn, T. N., Natarajan, L., Sproston, K., Lewis, J., Louviere, J. J., et al. (2008). Valuing the ICECAP capability index for older people. *Soc Sci Med*, 67(5), 874-882, doi:10.1016/j.socscimed.2008.05.015.
 111. Himmler, S., van Exel, J., & Brouwer, W. (2020). Estimating the monetary value of health and capability well-being applying the well-being valuation approach. *Eur J Health Econ*, 21(8), 1235-1244, doi:10.1007/s10198-020-01231-7.

112. KSH Táppéncz, 2014-2016. <https://www.ksh.hu/docs/hun/xftp/idoszaki/pdf/tappencz16.pdf>. Accessed November 24 2020.
113. Pentek, M., Beretzky, Z., Brodszky, V., Szabo, J. A., Kovacs, L., Kincses, A., et al. (2020). Health-related productivity of the Hungarian population. A cross-sectional survey. *Orv Hetil*, *161*(36), 1522-1533, doi:10.1556/650.2020.31798.
114. Rashdan, O., & Brodszky, V. (2020). Productivity Loss in Patients With Chronic Diseases: A Pooled Economic Analysis of Hungarian Cost-of-Illness Studies. *Value Health Reg Issues*, *22*, 75-82, doi:10.1016/j.vhri.2020.07.572.
115. Kigozi, J., Jowett, S., Lewis, M., Barton, P., & Coast, J. (2017). The Estimation and Inclusion of Presenteeism Costs in Applied Economic Evaluation: A Systematic Review. *Value Health*, *20*(3), 496-506, doi:10.1016/j.jval.2016.12.006.
116. Al-Janabi, H., van Exel, J., Brouwer, W., & Coast, J. (2016). A Framework for Including Family Health Spillovers in Economic Evaluation. *Med Decis Making*, *36*(2), 176-186, doi:10.1177/0272989X15605094.
117. van den Berg, B., Brouwer, W. B., & Koopmanschap, M. A. (2004). Economic valuation of informal care. An overview of methods and applications. *Eur J Health Econ*, *5*(1), 36-45, doi:10.1007/s10198-003-0189-y.
118. Brouwer, W. B., van Exel, N. J., Koopmanschap, M. A., & Rutten, F. F. (1999). The valuation of informal care in economic appraisal. A consideration of individual choice and societal costs of time. *Int J Technol Assess Health Care*, *15*(1), 147-160, doi:10.1017/s0266462399152346.
119. Beretzky, Z., & Pentek, M. (2017). [Characteristics and determinants of informal care in chronic diseases in Hungary: a comparative analysis]. *Orv Hetil*, *158*(52), 2068-2078, doi:10.1556/650.2017.30894.
120. Brouwer, W. B., van Exel, N. J., van den Berg, B., van den Bos, G. A., & Koopmanschap, M. A. (2005). Process utility from providing informal care: the benefit of caring. *Health Policy*, *74*(1), 85-99, doi:10.1016/j.healthpol.2004.12.008.
121. Deeken, J. F., Taylor, K. L., Mangan, P., Yabroff, K. R., & Ingham, J. M. (2003). Care for the caregivers: a review of self-report instruments developed to measure the burden, needs, and quality of life of informal caregivers. *J Pain Symptom Manage*, *26*(4), 922-953, doi:10.1016/s0885-3924(03)00327-0.
122. Koopmanschap, M. A., van Exel, N. J., van den Bos, G. A., van den Berg, B., & Brouwer, W. B. (2004). The desire for support and respite care: preferences of Dutch informal caregivers. *Health Policy*, *68*(3), 309-320, doi:10.1016/j.healthpol.2003.10.002.
123. Gyarmati, A. (2019). Idősödés, idősellátás Magyarországon - helyzetkép és problémák. Budapest.
124. Zrubka, Z. (2017). [Measurement and health economic evaluation of informal care]. *Orv Hetil*, *158*(35), 1363-1372, doi:10.1556/650.2017.30841.
125. Al-Janabi, H., Flynn, T. N., & Coast, J. (2011). Estimation of a preference-based carer experience scale. *Med Decis Making*, *31*(3), 458-468, doi:10.1177/0272989X10381280.
126. Brouwer, W. B., van Exel, N. J., van Gorp, B., & Redekop, W. K. (2006). The CarerQoL instrument: a new instrument to measure care-related quality of life of informal caregivers for use in economic evaluations. *Qual Life Res*, *15*(6), 1005-1021, doi:10.1007/s11136-005-5994-6.
127. Hoefman, R. J., van Exel, J., Rose, J. M., van de Wetering, E. J., & Brouwer, W. B. (2014). A discrete choice experiment to obtain a tariff for valuing informal care situations measured with the CarerQoL instrument. *Med Decis Making*, *34*(1), 84-96, doi:10.1177/0272989X13492013.
128. Krol, M., Papenburg, J., & van Exel, J. (2015). Does including informal care in economic evaluations matter? A systematic review of inclusion and impact of informal care in cost-effectiveness studies. *Pharmacoeconomics*, *33*(2), 123-135, doi:10.1007/s40273-014-0218-y.
129. Rubovszky, C. (2017). Idősgondozás a családban—a gondozó családtagok helyzete a mai Magyarországon. *Esély*, *4*, 45-70.
130. Gheorghe, M., Hoefman, R. J., Versteegh, M. M., & van Exel, J. (2019). Estimating Informal Caregiving Time from Patient EQ-5D Data: The Informal CARE Effect (iCARE) Tool. *Pharmacoeconomics*, *37*(1), 93-103, doi:10.1007/s40273-018-0706-6.
131. van der Heijde, D., Ramiro, S., Landewe, R., Baraliakos, X., Van den Bosch, F., Sepriano, A., et al. (2017). 2016 update of the ASAS-EULAR management recommendations for axial spondyloarthritis. *Ann Rheum Dis*, *76*(6), 978-991, doi:10.1136/annrheumdis-2016-210770.
132. Gossec, L., Baraliakos, X., Kerschbaumer, A., de Wit, M., McInnes, I., Dougados, M., et al. (2020). EULAR recommendations for the management of psoriatic arthritis with pharmacological therapies: 2019 update. *Ann Rheum Dis*, *79*(6), 700-712, doi:10.1136/annrheumdis-2020-217159.
133. Petrou, S., & Renton, A. (1993). The QALY: a guide for the public health physician. *Public Health*, *107*(5), 327-336, doi:10.1016/s0033-3506(05)80124-6.

134. Brazier, J. E., Rowen, D., Lloyd, A., & Karimi, M. (2019). Future Directions in Valuing Benefits for Estimating QALYs: Is Time Up for the EQ-5D? *Value Health*, 22(1), 62-68, doi:10.1016/j.jval.2018.12.001.
135. Wouters, S., van Exel, N. J. A., Rohde, K. I. M., Vromen, J. J., & Brouwer, W. B. F. (2017). Acceptable health and priority weighting: Discussing a reference-level approach using sufficientarian reasoning. *Soc Sci Med*, 181, 158-167, doi:10.1016/j.socscimed.2017.03.051.
136. Brouwer, W. B., van Exel, N. J., & Stolk, E. A. (2005). Acceptability of less than perfect health states. *Soc Sci Med*, 60(2), 237-246, doi:10.1016/j.socscimed.2004.04.032.
137. Brouwer, W. B., & van Exel, N. J. (2005). Expectations regarding length and health related quality of life: some empirical findings. *Soc Sci Med*, 61(5), 1083-1094, doi:10.1016/j.socscimed.2005.01.008.
138. Pentek, M., Brodszky, V., Gulacsi, A. L., Hajdu, O., van Exel, J., Brouwer, W., et al. (2014). Subjective expectations regarding length and health-related quality of life in Hungary: results from an empirical investigation. *Health Expect*, 17(5), 696-709, doi:10.1111/j.1369-7625.2012.00797.x.
139. Pentek, M., Gulacsi, L., Rojkovich, B., Brodszky, V., van Exel, J., & Brouwer, W. B. (2014). Subjective health expectations at biological therapy initiation: a survey of rheumatoid arthritis patients and rheumatologists. *Eur J Health Econ*, 15 Suppl 1, S83-92, doi:10.1007/s10198-014-0597-1.
140. Rencz, F., Hollo, P., Karpati, S., Pentek, M., Remenyik, E., Szegedi, A., et al. (2015). Moderate to severe psoriasis patients' subjective future expectations regarding health-related quality of life and longevity. *J Eur Acad Dermatol Venereol*, 29(7), 1398-1405, doi:10.1111/jdv.12884.
141. Norman, C. D., & Skinner, H. A. (2006). eHealth Literacy: Essential Skills for Consumer Health in a Networked World. *J Med Internet Res*, 8(2), e9, doi:10.2196/jmir.8.2.e9.
142. Zrubka, Z., Brito Fernandes, O., Baji, P., Hajdu, O., Kovacs, L., Kringos, D., et al. (2020). Exploring eHealth Literacy and Patient-Reported Experiences With Outpatient Care in the Hungarian General Adult Population: Cross-Sectional Study. *J Med Internet Res*, 22(8), e19013, doi:10.2196/19013.
143. Norman, C. D., & Skinner, H. A. (2006). eHEALS: The eHealth Literacy Scale. *J Med Internet Res*, 8(4), e27, doi:10.2196/jmir.8.4.e27.
144. Fujisawa, R., & Klazinga, N. (2017). Measuring patient experiences (PREMS): Progress made by the OECD and its member countries between 2006 and 2016. *OECD Health Working Papers* (Vol. No 102). Paris: OECD.
145. Brodszky, V., Baji, P., Balogh, O., & Pentek, M. (2014). Budget impact analysis of biosimilar infliximab (CT-P13) for the treatment of rheumatoid arthritis in six Central and Eastern European countries. *Eur J Health Econ*, 15 Suppl 1, S65-71, doi:10.1007/s10198-014-0595-3.
146. Baji, P., Brodszky, V., Rencz, F., Boncz, I., Gulacsi, L., & Pentek, M. (2015). [Health status of the Hungarian population between 2000-2010]. *Orv Hetil*, 156(50), 2035-2044, doi:10.1556/650.2015.30288.
147. Zrubka, Z., Golicki, D., Prevolnik-Rupel, V., Baji, P., Rencz, F., Brodszky, V., et al. (2019). Towards a Central-Eastern European EQ-5D-3L population norm: comparing data from Hungarian, Polish and Slovenian population studies. *Eur J Health Econ*, 20(Suppl 1), 141-154, doi:10.1007/s10198-019-01071-0.
148. Zrubka, Z., Rencz, F., Zavada, J., Golicki, D., Rupel, V. P., Simon, J., et al. (2017). EQ-5D studies in musculoskeletal and connective tissue diseases in eight Central and Eastern European countries: a systematic literature review and meta-analysis. *Rheumatol Int*, 37(12), 1957-1977, doi:10.1007/s00296-017-3800-8.
149. Baji, P., Farkas, M., Dobos, A., Zrubka, Z., Gulacsi, L., Brodszky, V., et al. (2020). Capability of well-being: validation of the Hungarian version of the ICECAP-A and ICECAP-O questionnaires and population normative data. *Qual Life Res*, 29(10), 2863-2874, doi:10.1007/s11136-020-02542-1.
150. Baji, P., Golicki, D., Prevolnik-Rupel, V., Brouwer, W. B. F., Zrubka, Z., Gulacsi, L., et al. (2019). The burden of informal caregiving in Hungary, Poland and Slovenia: results from national representative surveys. *Eur J Health Econ*, 20(Suppl 1), 5-16, doi:10.1007/s10198-019-01058-x.
151. Baji, P., Brouwer, W. B. F., van Exel, J., Golicki, D., Prevolnik Rupel, V., Zrubka, Z., et al. (2020). Validation of the Hungarian version of the CarerQol instrument in informal caregivers: results from a cross-sectional survey among the general population in Hungary. *Qual Life Res*, doi:10.1007/s11136-020-02662-8.
152. Baji, P., Farkas, M., Golicki, D., Prevolnik Rupel, V., Hoefman, R., Brouwer, W. B. F., et al. (2020). Development of Population Tariffs for the CarerQol Instrument for Hungary, Poland and Slovenia: A Discrete Choice Experiment Study to Measure the Burden of Informal Caregiving. *Pharmacoeconomics*, 38(6), 633-643, doi:10.1007/s40273-020-00899-2.
153. Pentek, M., van Exel, J., Gulacsi, L., Brodszky, V., Zrubka, Z., Baji, P., et al. (2020). Acceptable health and ageing: results of a cross-sectional study from Hungary. *Health Qual Life Outcomes*, 18(1), 346, doi:10.1186/s12955-020-01568-w.

154. Pentek, M., Rojkovich, B., Czirjak, L., Geher, P., Keszthelyi, P., Kovacs, A., et al. (2014). Acceptability of less than perfect health states in rheumatoid arthritis: the patients' perspective. *Eur J Health Econ, 15* (Suppl 1), S73-82, doi:10.1007/s10198-014-0596-2.
155. Pentek, M., Hajdu, O., Rencz, F., Beretzky, Z., Brodszky, V., Baji, P., et al. (2019). Subjective expectations regarding ageing: a cross-sectional online population survey in Hungary. *Eur J Health Econ, 20*(Suppl 1), 17-30, doi:10.1007/s10198-019-01059-w.
156. Pentek, M., Gulacsi, L., Herszenyi, L., Banai, J., Palatka, K., Lakatos, P. L., et al. (2020). Subjective expectations regarding longevity and future health: a cross-sectional survey among patients with Crohn's disease. *Colorectal Dis*, doi:10.1111/codi.15357.
157. Pentek, M., Brodszky, V., Biro, Z., Kolkedi, Z., Dunai, A., Nemeth, J., et al. (2017). Subjective health expectations of patients with age-related macular degeneration treated with antiVEGF drugs. *BMC Geriatr, 17*(1), 233, doi:10.1186/s12877-017-0619-9.
158. Pentek, M., Gulacsi, L., Toth, E., Baji, P., Brodszky, V., & Horvath, C. (2016). [Ten-year fracture risk by FRAX(R) of women with osteoporosis attending osteoporosis care in Hungary]. *Orv Hetil, 157*(4), 146-153, doi:10.1556/650.2015.30347.
159. Baji, P., Gulacsi, L., Horvath, C., Brodszky, V., Rencz, F., & Pentek, M. (2017). Comparing self-perceived and estimated fracture risk by FRAX(R) of women with osteoporosis. *Arch Osteoporos, 12*(1), 4, doi:10.1007/s11657-016-0300-5.
160. Zrubka, Z., Hajdu, O., Rencz, F., Baji, P., Gulacsi, L., & Pentek, M. (2019). Psychometric properties of the Hungarian version of the eHealth Literacy Scale. *Eur J Health Econ, 20*(Suppl 1), 57-69, doi:10.1007/s10198-019-01062-1.
161. Brito Fernandes, O., Baji, P., Kringos, D., Klazinga, N., Gulacsi, L., Lucevic, A., et al. (2019). Patient experiences with outpatient care in Hungary: results of an online population survey. *Eur J Health Econ, 20*(Suppl 1), 79-90, doi:10.1007/s10198-019-01064-z.
162. Carol, L., Eric, M., & Julie, G. (2011). General methods for Cochrane reviews, Searching for studies, Designing search strategies: Search Filters. https://handbook-5-1.cochrane.org/chapter_6/6_4_11_search_filters.htm. Accessed October 19 2020.
163. Medicine), N. N. L. o. Medical Subject Headings (MeSH). <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/mesh/>. Accessed October 19 2020.
164. Felson, D. T., Anderson, J. J., Lange, M. L., Wells, G., & LaValley, M. P. (1998). Should improvement in rheumatoid arthritis clinical trials be defined as fifty percent or seventy percent improvement in core set measures, rather than twenty percent? *Arthritis Rheum, 41*(9), 1564-1570, doi:10.1002/1529-0131(199809)41:9<1564::AID-ART6>3.0.CO;2-M.
165. American College of Rheumatology Committee to Reevaluate Improvement, C. (2007). A proposed revision to the ACR20: the hybrid measure of American College of Rheumatology response. *Arthritis Rheum, 57*(2), 193-202, doi:10.1002/art.22552.
166. Felson, D. T., Smolen, J. S., Wells, G., Zhang, B., van Tuyl, L. H., Funovits, J., et al. (2011). American College of Rheumatology/European League against Rheumatism provisional definition of remission in rheumatoid arthritis for clinical trials. *Ann Rheum Dis, 70*(3), 404-413, doi:10.1136/ard.2011.149765.
167. DerSimonian, R., & Laird, N. (1986). Meta-analysis in clinical trials. *Control Clin Trials, 7*(3), 177-188, doi:10.1016/0197-2456(86)90046-2.
168. Pennington, M., Baker, R., Brouwer, W., Mason, H., Hansen, D. G., Robinson, A., et al. (2015). Comparing WTP values of different types of QALY gain elicited from the general public. *Health Econ, 24*(3), 280-293, doi:10.1002/hec.3018.
169. Batog, P., Rencz, F., Pentek, M., Gulacsi, L., Filipiak, K. J., Prevolnik Rupel, V., et al. (2018). EQ-5D studies in cardiovascular diseases in eight Central and Eastern European countries: a systematic review of the literature. *Kardiol Pol, 76*(5), 860-870, doi:10.5603/KP.a2018.0033.
170. Prevolnik Rupel, V., Divjak, M., Zrubka, Z., Rencz, F., Gulacsi, L., Golicki, D., et al. (2019). EQ-5D studies in nervous system diseases in eight Central and East European countries: a systematic literature review. *Eur J Health Econ, 20*(Suppl 1), 109-117, doi:10.1007/s10198-019-01068-9.
171. ICD (2016). International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems 10th Revision (ICD-10). <https://icd.who.int/browse10/2016/en#/XIII>. Accessed Október 20 2020.
172. Group, E. EQ-5D instruments. <https://euroqol.org/>. Accessed Október 20. 2020.
173. Julian PT, H., & Sally, G. (2011). *Cochrane Handbook for Systematic Reviews of Interventions Version 5.1.0. [updated March 2011]*.
174. Wild, D., Grove, A., Martin, M., Eremenco, S., McElroy, S., Verjee-Lorenz, A., et al. (2005). Principles of Good Practice for the Translation and Cultural Adaptation Process for Patient-Reported Outcomes (PRO) Measures: report of the ISPOR Task Force for Translation and Cultural Adaptation. *Value Health, 8*(2), 94-104, doi:10.1111/j.1524-4733.2005.04054.x.

175. OECD (2017). Perceived health status. In OECD (Ed.), *Health at a Glance 2017: OECD Indicators*. Paris: OECD Publishing.
176. Devlin, N. J., Shah, K. K., Feng, Y., Mulhern, B., & van Hout, B. (2018). Valuing health-related quality of life: An EQ-5D-5L value set for England. *Health Econ*, 27(1), 7-22, doi:10.1002/hec.3564.
177. Flynn, T. N., Chan, P., Coast, J., & Peters, T. J. (2011). Assessing quality of life among British older people using the ICEPOP CAPability (ICECAP-O) measure. *Appl Health Econ Health Policy*, 9(5), 317-329, doi:10.2165/11594150-000000000-00000.
178. Al-Janabi, H., Peters, T. J., Brazier, J., Bryan, S., Flynn, T. N., Clemens, S., et al. (2013). An investigation of the construct validity of the ICECAP-A capability measure. *Qual Life Res*, 22(7), 1831-1840, doi:10.1007/s11136-012-0293-5.
179. Coast, J., Peters, T. J., Natarajan, L., Sproston, K., & Flynn, T. (2008). An assessment of the construct validity of the descriptive system for the ICECAP capability measure for older people. *Qual Life Res*, 17(7), 967-976, doi:10.1007/s11136-008-9372-z.
180. Linton, M.-Y., Mitchell, P. M., Al-Janabi, H., Schlander, M., Richardson, J., Iezzi, A., et al. (2020). Comparing the German Translation of the ICECAP-A Capability Wellbeing Measure to the Original English Version: Psychometric Properties across Healthy Samples and Seven Health Condition Groups. *Applied Research in Quality of Life*, 15, 651-673.
181. Cohen, J. J. (1988). Set correlation and contingency tables. *Applied Psychological Measurement*, 12(4), 425-434.
182. Koo, T. K., & Li, M. Y. (2016). A Guideline of Selecting and Reporting Intraclass Correlation Coefficients for Reliability Research. *J Chiropr Med*, 15(2), 155-163, doi:10.1016/j.jcm.2016.02.012.
183. Garbaski, D., Schaeffer, N. C., & Dykma, J. (2019). The Effects of Features of Survey Measurement on Self-Rated Health: Response Option Order and Scale Orientation. *Applied Research in Quality of Life*, 14, 545-560.
184. Hopkins, W. (2002). A new view of statistics: Effect magnitudes. <http://www.sportsci.org/resource/stats/effectmag.html>. Accessed November 18, 2020.
185. Hoefman, R. J., van Exel, N. J., Looren de Jong, S., Redekop, W. K., & Brouwer, W. B. (2011). A new test of the construct validity of the CarerQol instrument: measuring the impact of informal care giving. *Qual Life Res*, 20(6), 875-887, doi:10.1007/s11136-010-9829-8.
186. Hoefman, R. J., van Exel, J., & Brouwer, W. B. (2013). Measuring the impact of caregiving on informal carers: a construct validation study of the CarerQol instrument. *Health Qual Life Outcomes*, 11, 173, doi:10.1186/1477-7525-11-173.
187. Hoefman, R., Al-Janabi, H., McCaffrey, N., Currow, D., & Ratcliffe, J. (2015). Measuring caregiver outcomes in palliative care: a construct validation study of two instruments for use in economic evaluations. *Qual Life Res*, 24(5), 1255-1273, doi:10.1007/s11136-014-0848-8.
188. Zrubka, Z., Hermann, Z., Gulacsi, L., Brodsky, V., Rencz, F., & Pentek, M. (2019). Determinants of the acceptability of health problems in different ages: exploring a new application of the EQ VAS. *Eur J Health Econ*, 20(Suppl 1), 31-41, doi:10.1007/s10198-019-01060-3.
189. Hoffrage, U., Lindsey, S., Hertwig, R., & Gigerenzer, G. (2000). Medicine. Communicating statistical information. *Science*, 290(5500), 2261-2262, doi:10.1126/science.290.5500.2261.
190. Kanis, J. A., McCloskey, E. V., Johansson, H., Strom, O., Borgstrom, F., Oden, A., et al. (2008). Case finding for the management of osteoporosis with FRAX--assessment and intervention thresholds for the UK. *Osteoporos Int*, 19(10), 1395-1408, doi:10.1007/s00198-008-0712-1.
191. Lucevic, A., Pentek, M., Kringos, D., Klazinga, N., Gulacsi, L., Brito Fernandes, O., et al. (2019). Unmet medical needs in ambulatory care in Hungary: forgone visits and medications from a representative population survey. *Eur J Health Econ*, 20(Suppl 1), 71-78, doi:10.1007/s10198-019-01063-0.
192. Rencz, F., Tamasi, B., Brodsky, V., Gulacsi, L., Weszl, M., & Pentek, M. (2019). Validity and reliability of the 9-item Shared Decision Making Questionnaire (SDM-Q-9) in a national survey in Hungary. *Eur J Health Econ*, 20(Suppl 1), 43-55, doi:10.1007/s10198-019-01061-2.
193. Rencz, F., Tamasi, B., Brodsky, V., Ruzsa, G., Gulacsi, L., & Pentek, M. (2020). Did You Get What You Wanted? Patient Satisfaction and Congruence Between Preferred and Perceived Roles in Medical Decision Making in a Hungarian National Survey. *Value Health Reg Issues*, 22, 61-67, doi:10.1016/j.vhri.2020.07.573.
194. Goekoop-Ruiterman, Y. P., de Vries-Bouwstra, J. K., Allaart, C. F., van Zeben, D., Kerstens, P. J., Hazes, J. M., et al. (2007). Comparison of treatment strategies in early rheumatoid arthritis: a randomized trial. *Ann Intern Med*, 146(6), 406-415, doi:10.7326/0003-4819-146-6-200703200-00005.
195. Goekoop-Ruiterman, Y. P., de Vries-Bouwstra, J. K., Allaart, C. F., van Zeben, D., Kerstens, P. J., Hazes, J. M., et al. (2005). Clinical and radiographic outcomes of four different treatment strategies in patients with early rheumatoid arthritis (the BeSt study): a randomized, controlled trial. *Arthritis Rheum*, 52(11), 3381-3390, doi:10.1002/art.21405.

196. Klarenbeek, N. B., Guler-Yuksel, M., van der Kooij, S. M., Han, K. H., Roday, H. K., Kerstens, P. J., et al. (2011). The impact of four dynamic, goal-steered treatment strategies on the 5-year outcomes of rheumatoid arthritis patients in the BeSt study. *Ann Rheum Dis*, 70(6), 1039-1046, doi:10.1136/ard.2010.141234.
197. Atsumi, T., Tanaka, Y., Yamamoto, K., Takeuchi, T., Yamanaka, H., Ishiguro, N., et al. (2017). Clinical benefit of 1-year certolizumab pegol (CZP) add-on therapy to methotrexate treatment in patients with early rheumatoid arthritis was observed following CZP discontinuation: 2-year results of the C-OPERA study, a phase III randomised trial. *Ann Rheum Dis*, 76(8), 1348-1356, doi:10.1136/annrheumdis-2016-210246.
198. Atsumi, T., Yamamoto, K., Takeuchi, T., Yamanaka, H., Ishiguro, N., Tanaka, Y., et al. (2016). The first double-blind, randomised, parallel-group certolizumab pegol study in methotrexate-naive early rheumatoid arthritis patients with poor prognostic factors, C-OPERA, shows inhibition of radiographic progression. *Ann Rheum Dis*, 75(1), 75-83, doi:10.1136/annrheumdis-2015-207511.
199. Emery, P., Breedveld, F. C., Hall, S., Durez, P., Chang, D. J., Robertson, D., et al. (2008). Comparison of methotrexate monotherapy with a combination of methotrexate and etanercept in active, early, moderate to severe rheumatoid arthritis (COMET): a randomised, double-blind, parallel treatment trial. *Lancet*, 372(9636), 375-382, doi:10.1016/S0140-6736(08)61000-4.
200. Emery, P., Breedveld, F., van der Heijde, D., Ferraccioli, G., Dougados, M., Robertson, D., et al. (2010). Two-year clinical and radiographic results with combination etanercept-methotrexate therapy versus monotherapy in early rheumatoid arthritis: a two-year, double-blind, randomized study. *Arthritis Rheum*, 62(3), 674-682, doi:10.1002/art.27268.
201. Bathon, J. M., Martin, R. W., Fleischmann, R. M., Tesser, J. R., Schiff, M. H., Keystone, E. C., et al. (2000). A comparison of etanercept and methotrexate in patients with early rheumatoid arthritis. *N Engl J Med*, 343(22), 1586-1593, doi:10.1056/NEJM200011303432201.
202. Genovese, M. C., Bathon, J. M., Fleischmann, R. M., Moreland, L. W., Martin, R. W., Whitmore, J. B., et al. (2005). Longterm safety, efficacy, and radiographic outcome with etanercept treatment in patients with early rheumatoid arthritis. *J Rheumatol*, 32(7), 1232-1242.
203. Emery, P., Fleischmann, R. M., Doyle, M. K., Strusberg, I., Durez, P., Nash, P., et al. (2013). Golimumab, a human anti-tumor necrosis factor monoclonal antibody, injected subcutaneously every 4 weeks in patients with active rheumatoid arthritis who had never taken methotrexate: 1-year and 2-year clinical, radiologic, and physical function findings of a phase III, multicenter, randomized, double-blind, placebo-controlled study. *Arthritis Care Res (Hoboken)*, 65(11), 1732-1742, doi:10.1002/acr.22072.
204. Emery, P., Fleischmann, R. M., Moreland, L. W., Hsia, E. C., Strusberg, I., Durez, P., et al. (2009). Golimumab, a human anti-tumor necrosis factor alpha monoclonal antibody, injected subcutaneously every four weeks in methotrexate-naive patients with active rheumatoid arthritis: twenty-four-week results of a phase III, multicenter, randomized, double-blind, placebo-controlled study of golimumab before methotrexate as first-line therapy for early-onset rheumatoid arthritis. *Arthritis Rheum*, 60(8), 2272-2283, doi:10.1002/art.24638.
205. Emery, P., Fleischmann, R. M., Strusberg, I., Durez, P., Nash, P., Amante, E. J., et al. (2016). Efficacy and Safety of Subcutaneous Golimumab in Methotrexate-Naive Patients With Rheumatoid Arthritis: Five-Year Results of a Randomized Clinical Trial. *Arthritis Care Res (Hoboken)*, 68(6), 744-752, doi:10.1002/acr.22759.
206. Nam, J. L., Villeneuve, E., Hensor, E. M., Conaghan, P. G., Keen, H. I., Buch, M. H., et al. (2014). Remission induction comparing infliximab and high-dose intravenous steroid, followed by treat-to-target: a double-blind, randomised, controlled trial in new-onset, treatment-naive, rheumatoid arthritis (the IDEA study). *Ann Rheum Dis*, 73(1), 75-85, doi:10.1136/annrheumdis-2013-203440.
207. Leirisalo-Repo, M., Kautiainen, H., Laasonen, L., Korpela, M., Kauppi, M. J., Kaipainen-Seppanen, O., et al. (2013). Infliximab for 6 months added on combination therapy in early rheumatoid arthritis: 2-year results from an investigator-initiated, randomised, double-blind, placebo-controlled study (the NEO-RACo Study). *Ann Rheum Dis*, 72(6), 851-857, doi:10.1136/annrheumdis-2012-201365.
208. Rantalaiho, V., Kautiainen, H., Korpela, M., Hannonen, P., Kaipainen-Seppanen, O., Mottonen, T., et al. (2014). Targeted treatment with a combination of traditional DMARDs produces excellent clinical and radiographic long-term outcomes in early rheumatoid arthritis regardless of initial infliximab. The 5-year follow-up results of a randomised clinical trial, the NEO-RACo trial. *Ann Rheum Dis*, 73(11), 1954-1961, doi:10.1136/annrheumdis-2013-203497.
209. Kavanaugh, A., Fleischmann, R. M., Emery, P., Kupper, H., Redden, L., Guerette, B., et al. (2013). Clinical, functional and radiographic consequences of achieving stable low disease activity and remission with adalimumab plus methotrexate or methotrexate alone in early rheumatoid arthritis: 26-week results from the randomised, controlled OPTIMA study. *Ann Rheum Dis*, 72(1), 64-71, doi:10.1136/annrheumdis-2011-201247.

210. Smolen, J. S., Emery, P., Fleischmann, R., van Vollenhoven, R. F., Pavelka, K., Durez, P., et al. (2014). Adjustment of therapy in rheumatoid arthritis on the basis of achievement of stable low disease activity with adalimumab plus methotrexate or methotrexate alone: the randomised controlled OPTIMA trial. *Lancet*, *383*(9914), 321-332, doi:10.1016/S0140-6736(13)61751-1.
211. Breedveld, F. C., Weisman, M. H., Kavanaugh, A. F., Cohen, S. B., Pavelka, K., van Vollenhoven, R., et al. (2006). The PREMIER study: A multicenter, randomized, double-blind clinical trial of combination therapy with adalimumab plus methotrexate versus methotrexate alone or adalimumab alone in patients with early, aggressive rheumatoid arthritis who had not had previous methotrexate treatment. *Arthritis Rheum*, *54*(1), 26-37, doi:10.1002/art.21519.
212. Strand, V., Rentz, A. M., Cifaldi, M. A., Chen, N., Roy, S., & Revicki, D. (2012). Health-related quality of life outcomes of adalimumab for patients with early rheumatoid arthritis: results from a randomized multicenter study. *J Rheumatol*, *39*(1), 63-72, doi:10.3899/jrheum.101161.
213. van der Heijde, D., Breedveld, F. C., Kavanaugh, A., Keystone, E. C., Landewe, R., Patra, K., et al. (2010). Disease activity, physical function, and radiographic progression after longterm therapy with adalimumab plus methotrexate: 5-year results of PREMIER. *J Rheumatol*, *37*(11), 2237-2246, doi:10.3899/jrheum.100208.
214. Quinn, M. A., Conaghan, P. G., O'Connor, P. J., Karim, Z., Greenstein, A., Brown, A., et al. (2005). Very early treatment with infliximab in addition to methotrexate in early, poor-prognosis rheumatoid arthritis reduces magnetic resonance imaging evidence of synovitis and damage, with sustained benefit after infliximab withdrawal: results from a twelve-month randomized, double-blind, placebo-controlled trial. *Arthritis Rheum*, *52*(1), 27-35, doi:10.1002/art.20712.
215. Launois, R., Payet, S., Saidenberg-Kermanach, N., Francesconi, C., Franca, L. R., & Boissier, M. C. (2008). Budget impact model of rituximab after failure of one or more TNFalpha inhibitor therapies in the treatment of rheumatoid arthritis. *Joint Bone Spine*, *75*(6), 688-695, doi:10.1016/j.jbspin.2008.04.012.
216. Sorensen, J., & Andersen, L. S. (2005). The case of tumour necrosis factor-alpha inhibitors in the treatment of rheumatoid arthritis: a budget impact analysis. *Pharmacoeconomics*, *23*(3), 289-298, doi:10.2165/00019053-200523030-00008.
217. Yoo, D. H. (2014). The rise of biosimilars: potential benefits and drawbacks in rheumatoid arthritis. *Expert Rev Clin Immunol*, *10*(8), 981-983, doi:10.1586/1744666X.2014.932690.
218. Gulacsi, L., Brodszky, V., Baji, P., Kim, H., Kim, S. Y., Cho, Y. Y., et al. (2015). Biosimilars for the management of rheumatoid arthritis: economic considerations. *Expert Rev Clin Immunol*, *11 Suppl 1*, S43-52, doi:10.1586/1744666X.2015.1090313.
219. Pentek, M., Zrubka, Z., & Gulacsi, L. (2017). The Economic Impact of Biosimilars on Chronic Immune-Mediated Inflammatory Diseases. *Curr Pharm Des*, *23*(44), 6770-6778, doi:10.2174/1381612824666171129193708.
220. Hifinger, M., Hiligsmann, M., Ramiro, S., Watson, V., Severens, J. L., Fautrel, B., et al. (2017). Economic considerations and patients' preferences affect treatment selection for patients with rheumatoid arthritis: a discrete choice experiment among European rheumatologists. *Ann Rheum Dis*, *76*(1), 126-132, doi:10.1136/annrheumdis-2016-209202.
221. Hifinger, M., Hiligsmann, M., Ramiro, S., Watson, V., Berghea, F., Pentek, M., et al. (2017). Influence of disease activity on RA treatment choices in countries with restricted access to expensive, innovative drugs: a discrete choice experiment among rheumatologists. *RMD Open*, *3*(2), e000453, doi:10.1136/rmdopen-2017-000453.
222. Gulacsi, L., Brodszky, V., Baji, P., Rencz, F., & Pentek, M. (2017). The Rituximab Biosimilar CT-P10 in Rheumatology and Cancer: A Budget Impact Analysis in 28 European Countries. *Adv Ther*, *34*(5), 1128-1144, doi:10.1007/s12325-017-0522-y.
223. Gulacsi, L., Brodszky, V., Baji, P., Rencz, F., & Pentek, M. (2017). Erratum to: The Rituximab Biosimilar CT-P10 in Rheumatology and Cancer: A Budget Impact Analysis in 28 European Countries. *Adv Ther*, *34*(5), 1234, doi:10.1007/s12325-017-0538-3.
224. Zrubka, Z., Gulacsi, L., Brodszky, V., Rencz, F., Alten, R., Szekanecz, Z., et al. (2019). Long-term efficacy and cost-effectiveness of infliximab as first-line treatment in rheumatoid arthritis: systematic review and meta-analysis. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res*, *19*(5), 537-549, doi:10.1080/14737167.2019.1647104.
225. OECD (1982). *OECD social indicator development programme, 5.*: Paris : Organisation for Economic Co-operation and Development ; [Washington, D.C.] : [Sold by OECD Publications and Information Center], 1982.
226. Mlcoch, T., Sedova, L., Stolfa, J., Urbanova, M., Suchy, D., Smrzova, A., et al. (2017). Mapping the relationship between clinical and quality-of-life outcomes in patients with ankylosing spondylitis. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res*, *17*(2), 203-211, doi:10.1080/14737167.2016.1200468.

227. Kawalec, P., & Malinowski, K. (2015). Disease activity, quality of life and indirect costs of reduced productivity at work, generated by Polish patients with ankylosing spondylitis. *Reumatologia*, *53*(6), 301-308, doi:10.5114/reum.2015.57634.
228. Tefner, I. K., Kovacs, C., Gaal, R., Koroknai, A., Horvath, R., Badruddin, R. M., et al. (2015). The effect of balneotherapy on chronic shoulder pain. A randomized, controlled, single-blind follow-up trial. A pilot study. *Clin Rheumatol*, *34*(6), 1097-1108, doi:10.1007/s10067-013-2456-3.
229. Tefner, I. K., Nemeth, A., Laszlofi, A., Kis, T., Gyetvai, G., & Bender, T. (2012). The effect of spa therapy in chronic low back pain: a randomized controlled, single-blind, follow-up study. *Rheumatol Int*, *32*(10), 3163-3169, doi:10.1007/s00296-011-2145-y.
230. Kovacs, C., Pecze, M., Tihanyi, A., Kovacs, L., Balogh, S., & Bender, T. (2012). The effect of sulphurous water in patients with osteoarthritis of hand. Double-blind, randomized, controlled follow-up study. *Clin Rheumatol*, *31*(10), 1437-1442, doi:10.1007/s10067-012-2026-0.
231. Kulisch, A., Benko, A., Bergmann, A., Gyarmati, N., Horvath, H., Kranicz, A., et al. (2014). Evaluation of the effect of Lake Heviz thermal mineral water in patients with osteoarthritis of the knee: a randomized, controlled, single-blind, follow-up study. *Eur J Phys Rehabil Med*, *50*(4), 373-381.
232. Tefner, I. K., Gaal, R., Koroknai, A., Rathonyi, A., Gati, T., Monduk, P., et al. (2013). The effect of Neydtharting mud-pack therapy on knee osteoarthritis: a randomized, controlled, double-blind follow-up pilot study. *Rheumatol Int*, *33*(10), 2569-2576, doi:10.1007/s00296-013-2776-2.
233. Kovacs, C., Bozsik, A., Pecze, M., Borbely, I., Fogarasi, A., Kovacs, L., et al. (2016). Effects of sulfur bath on hip osteoarthritis: a randomized, controlled, single-blind, follow-up trial: a pilot study. *Int J Biometeorol*, *60*(11), 1675-1680, doi:10.1007/s00484-016-1158-3.
234. Péntek, M., Licker-Fóris, E., Lovas, K., Kaló, Z., Tóth, M., Tulassay, Z., et al. (2003). Az életminőség mérése postmenopausalis osteoporosisban szenvedő betegeknél: az EuroQol (EQ-5D) és a Nottingham Health Profile magyar adaptációjának összehasonlító vizsgálata. *Ca és Csont*, *6*(4), 158-163.
235. Borgstrom, F., Lekander, I., Ivergard, M., Strom, O., Svedbom, A., Alekna, V., et al. (2013). The International Costs and Utilities Related to Osteoporotic Fractures Study (ICUROS)--quality of life during the first 4 months after fracture. *Osteoporos Int*, *24*(3), 811-823, doi:10.1007/s00198-012-2240-2.
236. Voko, Z., Inotai, A., Horváth, C., Bors, K., Speer, G., & Kaló, Z. (2013). Csontritkulásban szenvedő betegek életminősége. *Lege Artis Medicinae KID*, *3*(4), 40-41.
237. Dimitrov, N., Goycheva, P., & Petrov, D. (2015). Assessment of health related quality of life in male patients with major osteoporotic fractures by two generic health status indices: a preliminary study. *Journal of the Balkan Tribological Association*, *21*(3), 585-593.
238. Rencz, F., Brodszky, V., Pentek, M., Balogh, O., Remenyik, E., Szegedi, A., et al. (2014). [Disease burden of psoriasis associated with psoriatic arthritis in Hungary]. *Orv Hetil*, *155*(48), 1913-1921, doi:10.1556/OH.2014.30044.
239. Brodszky, V., Pentek, M., Balint, P. V., Geher, P., Hajdu, O., Hodinka, L., et al. (2010). Comparison of the Psoriatic Arthritis Quality of Life (PsAQoL) questionnaire, the functional status (HAQ) and utility (EQ-5D) measures in psoriatic arthritis: results from a cross-sectional survey. *Scand J Rheumatol*, *39*(4), 303-309, doi:10.3109/03009740903468982.
240. Horak, P., Skacelova, M., Hejduk, K., Smrzova, A., & Pavelka, K. (2013). Abatacept and its use in the treatment of rheumatoid arthritis (RA) in the Czech Republic--data from the ATTRA registry. *Clin Rheumatol*, *32*(10), 1451-1458, doi:10.1007/s10067-013-2303-6.
241. Inotai, A., Rojkovich, B., Fulop, A., Jaszay, E., Agh, T., & Meszaros, A. (2012). Health-related quality of life and utility in patients receiving biological and non-biological treatments in rheumatoid arthritis. *Rheumatol Int*, *32*(4), 963-969, doi:10.1007/s00296-010-1721-x.
242. Závada, J., Uher, M., Vencovsky, J., & Pavelka, K. (2014). Assessment of utility score EQ-D and estimating the Cost-utility of the first year of treatment by TNF inhibitors in a cohort of patients with Rheumatoid Arthritis during—results from the Czech biologics registry ATTRA. *Ceska Revmatologica*, *22*(1), 10-16.
243. Meszaros, A., & Vincze, Z. (2003). [Analysis of quality of life among patients with bronchial asthma or rheumatoid arthritis]. *Orv Hetil*, *144*(9), 423-427.
244. Pentek, M., Szekanecz, Z., Czirjak, L., Poor, G., Rojkovich, B., Polgar, A., et al. (2008). [Impact of disease progression on health status, quality of life and costs in rheumatoid arthritis in Hungary]. *Orv Hetil*, *149*(16), 733-741, doi:10.1556/OH.2008.28294.
245. Szűcs, G., Gál, J., Géher, P., Hodinka, L., Keszthelyi, P., Kiss, E., et al. (2015). A golimumab hatásossága és biztonságossága a betegség lefolyását módosító bázisterápiás szerek (DMARD-ok) mellett alkalmazva rheumatoid arthritisben: A GO-MORE vizsgálat magyarországi eredményei. *Immunológiai Szemle*, *7*(3), 59-66.

246. Minier, T., Pentek, M., Brodsky, V., Ecseki, A., Karpati, K., Polgar, A., et al. (2010). Cost-of-illness of patients with systemic sclerosis in a tertiary care centre. *Rheumatology (Oxford)*, 49(10), 1920-1928, doi:10.1093/rheumatology/keq165.
247. Péntek, M., Czirják, L., Pfliegler, G., Boncz, I., Meleg, B., Molnár, M. J., et al. (2015). Lokalizált scleroderma és szisztémás sclerosis betegséggel élők életminősége és betegségterhe - a BURQOL-RD európai felmérés magyarországi eredményei. *Immunológiai Szemle*, 7(4), 21-29.
248. Golicki, D., Niewada, M., Jakubczyk, M., Wrona, W., & Hermanowski, T. (2010). Self-assessed health status in Poland: EQ-5D findings from the Polish valuation study. *Pol Arch Med Wewn*, 120(7-8), 276-281.
249. Golicki, D., & Niewada, M. (2017). EQ-5D-5L Polish population norms. *Arch Med Sci*, 13(1), 191-200, doi:10.5114/aoms.2015.52126.
250. Golicki, D., & Niewada, M. (2015). General population reference values for 3-level EQ-5D (EQ-5D-3L) questionnaire in Poland. *Pol Arch Med Wewn*, 125(1-2), 18-26, doi:10.20452/pamw.2638.
251. Rebolj, M., & Prevolnik Rupel, V. (2001). Socioeconomic inequalities in health of the Slovenian population measured by the EQ-5D instrument. In P. K. Norinder, & P. Roos (Eds.), *Proceedings of the 18th of the EuroQol Group, 6th-7th September, 2001, Copenhagen, Denmark* (pp. 199-213).
252. Vankova, D., Kerekovska, A., Kostadinova, T., & Todorova, L. (2016). Researching health-related quality of life at a community level: results from a population survey conducted in Burgas, Bulgaria. *Health Promot Int*, 31(3), 534-541, doi:10.1093/heapro/dav016.
253. Rupel, V. P., & Ogorevc, M. (2012). The EQ-5D health states value set for Slovenia. *Slovenian Journal of Public Health*, 51(2), 128-140.
254. Golicki, D., Jakubczyk, M., Niewada, M., Wrona, W., & Busschbach, J. J. (2010). Valuation of EQ-5D health states in Poland: first TTO-based social value set in Central and Eastern Europe. *Value Health*, 13(2), 289-297, doi:10.1111/j.1524-4733.2009.00596.x.
255. Greiner, W., Weijnen, T., Nieuwenhuizen, M., Oppe, S., Badia, X., Busschbach, J., et al. (2003). A single European currency for EQ-5D health states. Results from a six-country study. *Eur J Health Econ*, 4(3), 222-231, doi:10.1007/s10198-003-0182-5.
256. Zrubka, Z., Beretzky, Z., Hermann, Z., Brodsky, V., Gulacsi, L., Rencz, F., et al. (2019). A comparison of European, Polish, Slovenian and British EQ-5D-3L value sets using a Hungarian sample of 18 chronic diseases. *Eur J Health Econ*, 20(Suppl 1), 119-132, doi:10.1007/s10198-019-01069-8.
257. Pentek, M., Kobelt, G., Berg, J., Capsa, D., Dalen, J., Biro, Z., et al. (2017). New insights into the burden and costs of multiple sclerosis in Europe: Results for Hungary. *Mult Scler*, 23(2_suppl), 91-103, doi:10.1177/1352458517708142.
258. Kobelt, G., Thompson, A., Berg, J., Gannedahl, M., Eriksson, J., Group, M. S., et al. (2017). New insights into the burden and costs of multiple sclerosis in Europe. *Mult Scler*, 23(8), 1123-1136, doi:10.1177/1352458517694432.
259. Pentek, M., Gulacsi, L., Rozsa, C., Simo, M., Iljicsov, A., Komoly, S., et al. (2012). Health status and costs of ambulatory patients with multiple sclerosis in Hungary. *Ideggyogy Sz*, 65(9-10), 316-324.
260. Lopez-Bastida, J., Linertova, R., Oliva-Moreno, J., Serrano-Aguilar, P., Posada-de-la-Paz, M., Kanavos, P., et al. (2016). Social/economic costs and health-related quality of life in patients with scleroderma in Europe. *Eur J Health Econ*, 17 Suppl 1, 109-117, doi:10.1007/s10198-016-0789-y.
261. Kuhlmann, A., Schmidt, T., Treskova, M., Lopez-Bastida, J., Linertova, R., Oliva-Moreno, J., et al. (2016). Social/economic costs and health-related quality of life in patients with juvenile idiopathic arthritis in Europe. *Eur J Health Econ*, 17 Suppl 1, 79-87, doi:10.1007/s10198-016-0786-1.
262. Hever, N. V., Pentek, M., Ballo, A., Gulacsi, L., Baji, P., Brodsky, V., et al. (2015). Health related quality of life in patients with bladder cancer: a cross-sectional survey and validation study of the Hungarian version of the Bladder Cancer Index. *Pathol Oncol Res*, 21(3), 619-627, doi:10.1007/s12253-014-9866-7.
263. Stolk, E., Ludwig, K., Rand, K., van Hout, B., & Ramos-Goni, J. M. (2019). Overview, Update, and Lessons Learned From the International EQ-5D-5L Valuation Work: Version 2 of the EQ-5D-5L Valuation Protocol. *Value Health*, 22(1), 23-30, doi:10.1016/j.jval.2018.05.010.
264. Poor, A. K., Sardy, M., Cserni, T., Brodsky, V., Hollo, P., Gulacsi, L., et al. (2018). [Assessment of health-related quality of life in psoriasis patients in Hungary]. *Orv Hetil*, 159(21), 837-846, doi:10.1556/650.2018.31061.
265. Poor, A. K., Rencz, F., Brodsky, V., Gulacsi, L., Beretzky, Z., Hidvegi, B., et al. (2017). Measurement properties of the EQ-5D-5L compared to the EQ-5D-3L in psoriasis patients. *Qual Life Res*, 26(12), 3409-3419, doi:10.1007/s11136-017-1699-x.
266. Péntek, M., Poór, G., Dobos, Á., Brodsky, V., Zrubka, Z., Baji, P., et al. (2020). A Musculoskeletal Health Questionnaire (MSK-HQ) mérce magyar verziójának validálása lakossági felmérés keretében. *Magyar Reumatológia*, 61(3), 168.

267. EMMI (2017). Az Emberi Erőforrások Minisztériuma szakmai irányelve az egészségügyi technológia értékelés módszertanáról és ennek keretében költséghatékonysági elemzések készítéséről. https://www.hbcs.hu/uploads/jogszabaly/2481/fajlok/egeszsegugyi_technologia_ertekeles.pdf. Accessed Okóber 20. 2020.
268. Péntek, M., Poór, G., Zrubka, Z., Gulácsi, L., Dobos, Á., Farkas, M., et al. (2020). Lakossági normaértékek a Health Assessment Questionnaire Disability Index (HAQ-DI) mércével Magyarországon. *Magyar Reumatológia*, 61(3), 196-197.
269. Hackert, M. Q. N., van Exel, J., & Brouwer, W. B. F. (2019). Does the ICECAP-O cover the physical, mental and social functioning of older people in the UK? *Qual Life Res*, 28(3), 761-770, doi:10.1007/s11136-018-2042-x.
270. Couzner, L., Ratcliffe, J., Lester, L., Flynn, T., & Crotty, M. (2013). Measuring and valuing quality of life for public health research: application of the ICECAP-O capability index in the Australian general population. *Int J Public Health*, 58(3), 367-376, doi:10.1007/s00038-012-0407-4.
271. Péntek, M., Rojkovich, B., Czirják, L., Géher, P., Keszthelyi, P., Kovács, A., et al. (2011). Biologikumok Alkalmazása Rheumatoid Arthritisben – Terápiafelmérés (BARAT vizsgálat): biológiai terápiát kezdő betegek klinikai jellemzői és egészségügyi szolgáltatások igénybevételének jellemzői. *Immunológiai Szemle*, 3(3), 36-48.
272. Yokogawa, N., Shimada, K., Sugii, S., Komiya, A., Matsui, T., Nishino, J., et al. (2020). A Proposal to Standardize Low Disease Activity Criteria in Rheumatoid Arthritis Based on the Outcome Measures in Rheumatology Minimal Disease Activity Definition. *ACR Open Rheumatol*, 2(5), 301-306, doi:10.1002/acr2.11142.
273. Putrik, P., Ramiro, S., Guillemin, F., Pentek, M., Sivera, F., Sokka, T., et al. (2019). Patients with rheumatoid arthritis facing sick leave or work disability meet varying regulations: a study among rheumatologists and patients from 44 European countries. *Ann Rheum Dis*, 78(11), 1472-1479, doi:10.1136/annrheumdis-2019-215294.
274. Rencz, F., Kovacs, A., Brodszky, V., Gulácsi, L., Nemeth, Z., Nagy, G. J., et al. (2015). Cost of illness of medically treated benign prostatic hyperplasia in Hungary. *Int Urol Nephrol*, 47(8), 1241-1249, doi:10.1007/s11255-015-1028-7.
275. Pentek, M., Gulácsi, L., Majoros, A., Piroth, C., Rubliczky, L., Boszormenyi Nagy, G., et al. (2012). [Health related quality of life and productivity of women with overactive bladder]. *Orv Hetil*, 153(27), 1068-1076, doi:10.1556/OH.2012.29384.
276. Gonczi, L., Kurti, Z., Verdon, C., Reinglas, J., Kohen, R., Morin, I., et al. (2019). Perceived Quality of Care is Associated with Disease Activity, Quality of Life, Work Productivity, and Gender, but not Disease Phenotype: A Prospective Study in a High-volume IBD Centre. *J Crohns Colitis*, 13(9), 1138-1147, doi:10.1093/ecco-jcc/jjz035.
277. Mandel, M. D., Balint, A., Lovasz, B. D., Gulácsi, L., Strbak, B., Golovics, P. A., et al. (2014). Work disability and productivity loss in patients with inflammatory bowel diseases in Hungary in the era of biologics. *Eur J Health Econ*, 15 Suppl 1, S121-128, doi:10.1007/s10198-014-0603-7.
278. Szanto, S., Poor, G., Opris, D., Iaremenko, O., Prochazkova, L., Kuuse, R., et al. (2016). Improved clinical, functional and work outcomes in spondyloarthritis during real-life adalimumab treatment in central-eastern Europe. *J Comp Eff Res*, 5(5), 475-485, doi:10.2217/ce-2016-0020.
279. Brodszky, V., Tamasi, B., Hajdu, K., Pentek, M., Szegedi, A., Sardy, M., et al. (2020). Disease burden of patients with pemphigus from a societal perspective. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res*, 1-9, doi:10.1080/14737167.2020.1722104.
280. van Hout, B., Mulhern, B., Feng, Y., Shah, K., & Devlin, N. (2020). The EQ-5D-5L Value Set for England: Response to the "Quality Assurance". *Value Health*, 23(5), 649-655, doi:10.1016/j.jval.2019.10.013.
281. Prasad, M., Wahlqvist, P., Shikhar, R., & Shih, Y. C. (2004). A review of self-report instruments measuring health-related work productivity: a patient-reported outcomes perspective. *Pharmacoeconomics*, 22(4), 225-244, doi:10.2165/00019053-200422040-00002.
282. OECD (2013). Health at a Glance 2013: OECD indicators. Paris.
283. Pentek, M., Gulácsi, L., Brodszky, V., Baji, P., Boncz, I., Pogány, G., et al. (2016). Social/economic costs and health-related quality of life of mucopolysaccharidosis patients and their caregivers in Europe. *Eur J Health Econ*, 17 Suppl 1, 89-98, doi:10.1007/s10198-016-0787-0.
284. Pentek, M., Kosztolanyi, G., Melegh, B., Halasz, A., Pogány, G., Baji, P., et al. (2014). [Cystic fibrosis -- disease burden and health-related quality of life of patients and their caregivers: results of the European BURQOL-RD survey in Hungary]. *Orv Hetil*, 155(42), 1673-1684, doi:10.1556/OH.2014.30016.
285. Pentek, M., Herczegfalvi, A., Molnar, M. J., Szonyi, L. P., Kosztolanyi, G., Pfliegler, G., et al. (2016). [Disease Burden Of Duchenne Muscular Dystrophy Patients and Their Caregivers]. *Ideggyogy Sz*, 69(5-6), 183-193, doi:10.18071/isz.69.0183.

286. Golicki, D., Baji, P., Prevolnik Rupel, V., Brouwer, W. B. F., van Exel, J., Zrubka, Z., et al. (2019). Validity of the Polish version of the CarerQol-7D questionnaire among informal caregivers in the Polish general population. *Value in Health*, 22, S731.
287. Prevolnik Rupel, V., Zrubka, Z., Ogorevc, M., Gulácsi, L., Baji, P., Golicki, D., et al. (2019). Validity of the Slovenian version of the CarerQol-7D questionnaire among informal caregivers in the Slovenian general population. *Value in Health*, 22, S733.
288. Jain, P., Subendran, J., Smith, M. L., Widjaja, E., & Team, P. S. (2018). Care-related quality of life in caregivers of children with drug-resistant epilepsy. *J Neurol*, 265(10), 2221-2230, doi:10.1007/s00415-018-8979-4.
289. Kanters, T. A., van der Ploeg, A. T., Brouwer, W. B., & Hakkaart, L. (2013). The impact of informal care for patients with Pompe disease: an application of the CarerQol instrument. *Mol Genet Metab*, 110(3), 281-286, doi:10.1016/j.ymgme.2013.07.020.
290. Karg, N., Graessel, E., Randzio, O., & Pendergrass, A. (2018). Dementia as a predictor of care-related quality of life in informal caregivers: a cross-sectional study to investigate differences in health-related outcomes between dementia and non-dementia caregivers. *BMC Geriatr*, 18(1), 189, doi:10.1186/s12877-018-0885-1.
291. Jakubczyk, M., Golicki, D., & Niewada, M. (2016). The impact of a belief in life after death on health-state preferences: True difference or artifact? *Qual Life Res*, 25(12), 2997-3008, doi:10.1007/s11136-016-1356-9.
292. European Commission. (2007). Health and long-term care in the European Union. In Eurobarometer (Ed.).
293. Eurofound (2016). European Quality of Life Survey <https://www.eurofound.europa.eu/data/european-quality-of-life-survey>. Accessed Október 27. 2020.
294. OECD (2019). Life expectancy at 65. <https://data.oecd.org/healthstat/life-expectancy-at-65.htm>. Accessed Október 27. 2020.
295. KSH (2015). Egészségesen várható élettartam. In KSH (Ed.), *Statisztikai Tükör* (Vol. 27).
296. Bardo, A. R., & Lynch, S. M. (2019). Cognitively Intact and Happy Life Expectancy in the US. *J Gerontol B Psychol Sci Soc Sci*, doi:10.1093/geronb/gbz080.
297. KSH (2011). Gyermekvállalás és gyermeknevelés.
298. OECD (2019). OECD economic surveys: Hungary.
299. Grover, M. L., Edwards, F. D., Chang, Y. H., Cook, C. B., Behrens, M. C., & Dueck, A. C. (2014). Fracture risk perception study: patient self-perceptions of bone health often disagree with calculated fracture risk. *Womens Health Issues*, 24(1), e69-75, doi:10.1016/j.whi.2013.11.007.
300. Rothmann, M. J., Ammentorp, J., Bech, M., Gram, J., Rasmussen, O. W., Barkmann, R., et al. (2015). Self-perceived fracture risk: factors underlying women's perception of risk for osteoporotic fractures: the Risk-Stratified Osteoporosis Strategy Evaluation study (ROSE). *Osteoporos Int*, 26(2), 689-697, doi:10.1007/s00198-014-2936-6.
301. Jones, S. M., Gell, N. M., Roth, J. A., Scholes, D., & LaCroix, A. Z. (2015). The Relationship of Perceived Risk and Biases in Perceived Risk to Fracture Prevention Behavior in Older Women. *Ann Behav Med*, 49(5), 696-703, doi:10.1007/s12160-015-9702-7.
302. Langer, F. W., da Silveira Codevilla, A. A., Bringhenti, R., Dal Osto, L. C., Campos, T. R., Martins, T. T., et al. (2016). Low self-awareness of osteoporosis and fracture risk among postmenopausal women. *Arch Osteoporos*, 11(1), 27, doi:10.1007/s11657-016-0266-3.
303. Eibner, F., Barth, J., Helmes, A., & Bengel, J. (2006). Variations in subjective breast cancer risk estimations when using different measurements for assessing breast cancer risk perception. *Health, Risk & Society*, 8(2), 197-210.
304. Haase, N., Renkewitz, F., & Betsch, C. (2013). The measurement of subjective probability: evaluating the sensitivity and accuracy of various scales. *Risk Anal*, 33(10), 1812-1828, doi:10.1111/risa.12025.
305. Bhattoa, H. P., Nagy, E., More, C., Kappelmayer, J., Balogh, A., Kalina, E., et al. (2013). Prevalence and seasonal variation of hypovitaminosis D and its relationship to bone metabolism in healthy Hungarian men over 50 years of age: the HunMen Study. *Osteoporos Int*, 24(1), 179-186, doi:10.1007/s00198-012-1920-2.
306. Bhattoa, H. P., Onyeka, U., Kalina, E., Balogh, A., Paragh, G., Antal-Szalmás, P., et al. (2013). Bone metabolism and the 10-year probability of hip fracture and a major osteoporotic fracture using the country-specific FRAX algorithm in men over 50 years of age with type 2 diabetes mellitus: a case-control study. *Clin Rheumatol*, 32(8), 1161-1167, doi:10.1007/s10067-013-2254-y.
307. Kincső, G., Varga, J., & Surányi, P. (2013). FRAX: működik a gyakorlatban? *Immunológiai Szemle*, 5(1), 29-33.
308. Ferencz, V., Horvath, C., Huszar, S., & Bors, K. (2015). [Assessment of risk factors for fractures in postmenopausal women with osteoporosis]. *Orv Hetil*, 156(4), 146-153, doi:10.1556/OH.2015.30088.

309. Péntek, M., Gulácsi, L., & Horváth, C. (2011). Törési rizkóbecslés és gyógyszer-finanszírozás posztmenopauzás oszteoporózisban. *Egészségügyi Gazdasági Szemle*, 49(3), 8-16.
310. NEAK (2010). Az oszteoporózis következtében kialakuló csonttörés primer és szekunder prevenciójának eljárásrendje. http://njt.hu/cgi_bin/njt_doc.cgi?docid=131312.317640#foot_16_place. Accessed Október 27. 2020.
311. KSH (2011). Népszámlálás, 2011. http://www.ksh.hu/nepszamlalas/tablak_teruleti_00?lang=hu. Accessed November 17. 2020.
312. Sudbury-Riley, L., FitzPatrick, M., & Schulz, P. J. (2017). Exploring the Measurement Properties of the eHealth Literacy Scale (eHEALS) Among Baby Boomers: A Multinational Test of Measurement Invariance. *J Med Internet Res*, 19(2), e53, doi:10.2196/jmir.5998.
313. Paige, S. R., Krieger, J. L., Stellefson, M., & Alber, J. M. (2017). eHealth literacy in chronic disease patients: An item response theory analysis of the eHealth literacy scale (eHEALS). *Patient Educ Couns*, 100(2), 320-326, doi:10.1016/j.pec.2016.09.008.
314. Diviani, N., Dima, A. L., & Schulz, P. J. (2017). A Psychometric Analysis of the Italian Version of the eHealth Literacy Scale Using Item Response and Classical Test Theory Methods. *J Med Internet Res*, 19(4), e114, doi:10.2196/jmir.6749.
315. Mitsutake, S., Shibata, A., Ishii, K., & Oka, K. (2016). Associations of eHealth Literacy With Health Behavior Among Adult Internet Users. *J Med Internet Res*, 18(7), e192, doi:10.2196/jmir.5413.
316. OECD/EU (2018). Health at a Glance Europe 2018: State of Health in the EU Cycle. Paris.
317. OECD (2019). Health at a Glance 2019: OECD Indicators. Paris.
318. van der Vaart, R., van Deursen, A. J., Drossaert, C. H., Taal, E., van Dijk, J. A., & van de Laar, M. A. (2011). Does the eHealth Literacy Scale (eHEALS) measure what it intends to measure? Validation of a Dutch version of the eHEALS in two adult populations. *J Med Internet Res*, 13(4), e86, doi:10.2196/jmir.1840.
319. Stoffer, M. A., Smolen, J. S., Woolf, A., Ambrozic, A., Bosworth, A., Carmona, L., et al. (2014). Development of patient-centred standards of care for rheumatoid arthritis in Europe: the eumusc.net project. *Ann Rheum Dis*, 73(5), 902-905, doi:10.1136/annrheumdis-2013-203743.
320. EUMUSC.net Standards of Care for People with Rheumatoid Arthritis. [http://www.eumusc.net/myUploadData/files/RA_Patient_Version_FINAL\[1\].pdf](http://www.eumusc.net/myUploadData/files/RA_Patient_Version_FINAL[1].pdf). Accessed November 17. 2020.
321. Meisters, R., Putrik, P., Ramiro, S., Hifinger, M., Keszei, A. P., van Eijk-Hustings, Y., et al. (2020). EULAR/eumusc.net standards of care for rheumatoid arthritis: cross-sectional analyses of importance, level of implementation and care gaps experienced by patients and rheumatologists across 35 European countries. *Ann Rheum Dis*, 79(11), 1423-1431, doi:10.1136/annrheumdis-2020-217520.

9 PUBLIKÁCIÓK ÉS TUDOMÁNYMETRIAI ADATOK

9.1 Az Értekezést megalapozó in extenso közlemények

Az egyes közleményeknél megadtam azok impakt faktorát (IF), presztízsfaktorát (D1, Q1-Q4) és „Idézők” néven a Wos/Scopus jelölésű független idézők számát.

Biológiai terápiák bizonyítékokon alapuló alkalmazása RA-ban

1. Gulácsi, László ; Zrubka, Zsombor* ; Brodszky, Valentin ; Rencz, Fanni ; Alten, Rieke ; Szekanecz, Zoltán ; **Péntek, Márta**. Long-Term Efficacy of Tumor Necrosis Factor Inhibitors for the Treatment of Methotrexate-Naïve Rheumatoid Arthritis: Systematic Literature Review and Meta-Analysis. ADVANCES IN THERAPY 36 : 3 pp. 721-745. , 25 p. (2019) **IF: 3,871; Q1; Idézők: 1**
2. Zrubka, Zsombor ; Gulácsi, László ; Brodszky, Valentin ; Rencz, Fanni ; Alten, Rieke ; Szekanecz, Zoltán ; **Péntek, Márta**. Long-term efficacy and cost-effectiveness of infliximab as first-line treatment in rheumatoid arthritis: systematic review and meta-analysis. EXPERT REVIEW OF PHARMACOECONOMICS AND OUTCOMES RESEARCH 19 : 5 pp. 537-549. , 13 p. (2019) **IF: 2,032; Q2; Idézők: 2**
3. Brodszky, V ; Baji, P ; Balogh, O ; **Péntek, M.** Budget impact analysis of biosimilar infliximab (CT-P13) for the treatment of rheumatoid arthritis in six Central and Eastern European countries. EUROPEAN JOURNAL OF HEALTH ECONOMICS 15 : 1 pp. 65-71. , 7 p. (2014) **IF: 1,774; Q1; Idézők: 78**
4. Gulacsi, L ✉ ; Brodszky, V ; Baji, P ; Rencz, F ; **Péntek, M.** The Rituximab Biosimilar CT-P10 in Rheumatology and Cancer: A Budget Impact Analysis in 28 European Countries. ADVANCES IN THERAPY 34 : 5 pp. 1128-1144. , 17 p. (2017) **IF: 3,085; Q1; Idézők: 36**
5. Gulacsi, L ; Rencz, F ; Poor, G ; Szekanecz, Z ; Brodszky, V ; Baji, P ; **Péntek, M.** Patients' access to biological therapy in chronic inflammatory conditions; per capita GDP does not explain the intercountry differences. ANNALS OF THE RHEUMATIC DISEASES 75 : 5 pp. 942-943. , 2 p. (2016) **IF: 12,811; D1; Idézők: 5**
6. Gulacsi, L ; Brodszky, V ; Baji, P ; Kim, H ; Kim, SY ; Cho, YY ; **Péntek, M.** Biosimilars for the management of rheumatoid arthritis: economic considerations. EXPERT REVIEW OF CLINICAL IMMUNOLOGY 11 : Suppl 1 pp. 43-52. , 10 p. (2015) **IF: 2,596; Q2; Idézők: 52**
7. Hifinger, M ; Hiligsmann, M ; Ramiro, S ; Watson, V ; Severens, JL ; Fautrel, B ; Uhlig, T ; van Vollenhoven, R ; Jacques, P ; Detert, J ; Canas da Silva J ; Scire CA ; Berghea F ; Carmona L ; **Péntek M;** Keat A ; Boonen A. Economic considerations and patients' preferences affect treatment selection for patients with rheumatoid arthritis: a discrete choice experiment among European rheumatologists. ANNALS OF THE RHEUMATIC DISEASES 76 : 1 pp. 126-132. , 7 p. (2017) **IF: 12,35; D1; Idézők: 13**
8. Hifinger, M ; Hiligsmann, M ; Ramiro, S ; Watson, V ; Berghea, F ; **Péntek, M** ; Keat, A ; Severens, JL ; Fautrel, B ; Boonen, A Influence of disease activity on RA treatment choices in countries with restricted access to expensive, innovative drugs: a discrete choice experiment among rheumatologists. RMD OPEN 3 : 2 Paper: e000453 , 8 p. (2017) **IF: -; Q1; Idézők: 2**
9. **Péntek, M** ; Zrubka, Z ; Gulacsi, L. The economic impact of biosimilars on chronic immune-mediated inflammatory diseases. CURRENT PHARMACEUTICAL DESIGN 23 : 44 pp. 6770-6778. , 9 p. (2017) **IF: 2,757; Q2; Idézők: 11**

Egészséggel összefüggő életminőség: középpontban az EQ-5D

10. Baji, P ; Brodszky, V ; Rencz, F ; Boncz, I ; Gulacsi, L** ; **Péntek, M.** A magyar lakosság egészségi állapota 2000 és 2010 között [Health state of the Hungarian population between 2000–2010] ORVOSI HETILAP 156 : 50 pp. 2035-2044. , 10 p. (2015) **IF: 0,291; Q3; Idézők: 8**
11. Zrubka, Z ; Rencz, F ; Zavada, J ; Golicki, D ; Rupel, VP ; Simon, J ; Brodszky, V ; Baji, P ; Petrova, G ; Rotar, A ; Gulacsi L ; **Péntek M.** EQ-5D studies in musculoskeletal and connective tissue diseases in eight Central and Eastern European countries: a systematic literature review and meta-analysis. RHEUMATOLOGY INTERNATIONAL 37 : 12 pp. 1957-1977. , 21 p. (2017) **IF: 1,952; Q2; Idézők: -**
12. Zrubka, Zsombor ; Golicki, Dominik ; Prevolnik-Rupel, Valentina ; Baji, Petra ; Rencz, Fanni ; Brodszky, Valentin ; Gulácsi, László ; **Péntek, Márta**. Towards a Central-Eastern European EQ-5D-3L population norm: comparing data from Hungarian, Polish and Slovenian population studies. EUROPEAN JOURNAL OF HEALTH ECONOMICS 20 : Suppl. 1 pp. 141-154. , 14 p. (2019) **IF: 2,367; D1; Idézők: -**
13. Zrubka, Zsombor ; Beretzky, Zsuzsanna* ; Hermann, Zoltán ; Brodszky, Valentin ; Gulácsi, László ; Rencz, Fanni ; Baji, Petra ; Golicki, Dominik ; Prevolnik-Rupel, Valentina ; **Péntek, Márta**. A

comparison of European, Polish, Slovenian and British EQ-5D-3L value sets using a Hungarian sample of 18 chronic diseases. EUROPEAN JOURNAL OF HEALTH ECONOMICS 20 : Suppl. 1 pp. 119-132. , 20 p. (2019) **IF: 2,367; D1; Idézők: 4**

14. Rencz, Fanni ✉ ; Brodszky, Valentin ; Gulácsi, László ; Golicki, Dominik ; Ruzsa, Gábor ; Pickard, A. Simon ; Law, Ernest H. ; **Péntek, Márta**. Parallel Valuation of the EQ-5D-3L and EQ-5D-5L by Time Trade-Off in Hungary. VALUE IN HEALTH 23 : 9 pp. 1235-1245. , 11 p. (2020) **IF-2019: 4,748; D1; Idézők: 1**

15. Rencz, F ; Gulacsi, L ✉ ; Drummond, M ; Golicki, D ; Prevolnik, Rupel V ; Simon, J ; Stolk, EA ; Brodszky, V ; Baji, P ; Zavada, J ; Petrova G ; Rotar A ; **Pentek M.** EQ-5D in Central and Eastern Europe: 2000-2015. QUALITY OF LIFE RESEARCH 25 : 11 pp. 2693-2710. , 18 p. (2016) **IF: 2,344; Q1; Idézők: 25**

16. Poor, AK ; Rencz, F ✉ ; Brodszky, V ; Gulacsi, L ; Beretzky, Z ; Hidvegi, B ; Hollo, P ; Karpati, S ; **Pentek, M.** Measurement properties of the EQ-5D-5L compared to the EQ-5D-3L in psoriasis patients. QUALITY OF LIFE RESEARCH 26 : 12 pp. 3409-3419. , 11 p. (2017) **IF: 2,392; Q1; Idézők: 20**

17. Vártokné, Hevér Noémi ; **Péntek, Márta** ✉ ; Balló, András ; Gulácsi, László ; Baji, Petra ; Brodszky, Valentin ; Damásdi, Miklós ; Bognár, Zita ; Tóth, György ; Buzogány, István, Szántó, A. Health related quality of life in patients with bladder cancer: A cross-sectional survey and validation study of the Hungarian version of the Bladder Cancer Index. PATHOLOGY AND ONCOLOGY RESEARCH 21 : 3 pp. 619-627. , 9 p. (2015) **IF: 1,94; Q2; Idézők: 10**

A jóllét új megközelítése: a képesszeglét-alapú jóllét mérése (ICECAP)

18. Baji, Petra ; Farkas, Miklós ; Dobos, Ágota ; Zrubka, Zsombor ; Gulácsi, László ; Brodszky, Valentin ; Rencz, Fanni ; **Péntek, Márta**. Capability of well-being: validation of the Hungarian version of the ICECAP-A and ICECAP-O questionnaires and population normative data. QUALITY OF LIFE RESEARCH 29 : 10 pp. 2863-2874. , 12 p. (2020) **IF-2019: 2,773; Q1; Idézők: -**

19. **Péntek, Márta** ✉ ; Beretzky, Zsuzsanna ; Brodszky, Valentin ; Szabó, J Attila ; Kovács, Levente ; Kincses, Áron ; Baji, Petra ; Zrubka, Zsombor ; Rencz, Fanni ; Gulácsi, László. A magyarországi lakosság egészséggel összefüggő munkaképessége. Keresztnetszeti reprezentatív felmérés [Health-related productivity of the Hungarian population. A cross-sectional survey] ORVOSI HETILAP 161 : 36 pp. 1522-1533. , 12 p. (2020) **IF-2019: 0,497; Q3; Idézők: -**

20. Putrik, Polina ; Ramiro, Sofia ; Guillemin, Francis ; **Péntek, Márta** ; Sivera, Francisca ; Sokka, Tuulikki ; de Wit, Maarten ; Woolf, Anthony D ; Zink, Angela ; Andersone, Daina ; Bergeha, Florian ; Butrimiene, Irena ; Brouwer, Sandra ; Cassar, Karen ; Charalambous, Paraskevi ; Caporali, Roberto ; Deseatnicova, Elena ; Damjanov, Nemanja S ; Finckh, Axel ; FitzGerald, Oliver ; Gröndal, Gerður ; Gobejishvili, Nino ; Glusko, Piotr ; Hirsch, Marco ; Jovanovic, Igor ; Vencovský, Jiří ; Janssens, Xavier ; Keszei, Andras P ; Kovarova, Maria ; Kull, Mart ; Cunha Miranda, Luís ; Mayer, Miroslav ; Misevska-Percinkova, Snezana ; Inanc, Nevsun ; Nadashkevich, Oleg ; Petersson, Ingemar F ; Puolakka, Kari ; Rojkovich, Bernadette ; Radner, Helga ; Szabados, Fruzsina ; Slobodin, Gleb ; Shirinsky, Ivan ; Soroka, Nikolay ; Sidiropoulos, Prodromos ; Shumnalieva, Russka ; Sokolovic, Sekib ; Shukurova, Surayo ; Tafaj, Argjend ; Tomšič, Matija ; Uhlig, Till ; Verstappen, Suzanne M M ; Boonen, Annelies. Patients with rheumatoid arthritis facing sick leave or work disability meet varying regulations: a study among rheumatologists and patients from 44 European countries. ANNALS OF THE RHEUMATIC DISEASES 78 : 11 pp. 1472-1479. , 8 p. (2019) **IF: 16,102; D1; Idézők: 2**

Informális gondozás, a gondozók életminősége (CarerQol)

21. Baji, Petra ; Brouwer, Werner B. F. ; van Exel, Job ; Golicki, Dominik ; Prevolnik Rupel, Valentina ; Zrubka, Zsombor ; Gulácsi, László ; Brodszky, Valentin ; Rencz, Fanni ; **Péntek, Márta**. Validation of the Hungarian version of the CarerQol instrument in informal caregivers: results from a cross-sectional survey among the general population in Hungary. QUALITY OF LIFE RESEARCH Paper: 2021 Baji et al. 13 p.(2021) **IF-2019: 2,773; Q1; Idézők: -**

22. Baji, Petra ; Golicki, Dominik ; Prevolnik-Rupel, Valentina ; Brouwer, Werner B. F. ; Zrubka, Zsombor ; Gulácsi, László ; **Péntek, Márta**. The burden of informal caregiving in Hungary, Poland and Slovenia: results from national representative surveys. EUROPEAN JOURNAL OF HEALTH ECONOMICS 2019 : (Suppl 1) pp. 5-16. , 12 p. (2019) **IF: 2,367; D1; Idézők: 1**

23. Baji, P. ✉ ; Farkas, M. ; Golicki, D. ; Prevolnik, Rupel V. ; Hoefman, R. ; Brouwer, W.B.F. ; van, Exel J. ; Zrubka, Z. ; Gulácsi, L. ; **Péntek, M.** Development of Population Tariffs for the CarerQol Instrument for Hungary, Poland and Slovenia: A Discrete Choice Experiment Study to Measure the Burden of Informal Caregiving. PHARMACOECONOMICS 38 : 6 pp. 633-643. , 11 p. (2020) **IF-2019: 3,563; D1; Idézők: -**

24. Beretzky, Z ; **Pentek, M.** Informális ellátás és meghatározó tényezők krónikus betegségekben: magyarországi kutatások összehasonlító elemzése [Characteristics and determinants of informal care in chronic diseases in Hungary: a comparative analysis]. ORVOSI HETILAP 158 : 52 pp. 2068-2078. , 11 p. (2017) **IF: 0,322; Q4; Idézők: -**

25. Lopez-Bastida, J ; Linertova, R ; Oliva-Moreno, J ; Serrano-Aguilar, P ; Posada-de-la-Paz, M ; Kanavos, P ; Taruscio, D ; Schieppati, A ; Iskrov, G ; **Pentek, M** ; Delgado C ; von der Schulenburg JM ; Persson U ; Chevreul K ; Fattore G. Social/economic costs and health-related quality of life in patients with scleroderma in Europe. EUROPEAN JOURNAL OF HEALTH ECONOMICS 17 : Suppl 1 pp. 109-117. , 9 p. (2016) **IF: 2,5; D1; Idézők: 7**
26. **Péntek, Márta** ; Czirják, László ; Pfliegler, György ; Boncz, Imre ; Melegh, Béla ; Molnár, Mária Judit ; Kosztolányi, György ; Baji, Petra ; Brodszky, Valentin ; Pogány, Gábor ; Gulácsi, László. Lokalizált scleroderma és szisztémás sclerosis betegséggel élők életminősége és betegségterhe - a BURQOL-RD európai felmérés magyarországi eredményei. IMMUNOLÓGIAI SZEMLE 7 : 4 pp. 21-29. , 9 p. (2015) **IF: -; Scopus presztízfaktor: -; Idézők: -**
27. Kuhlmann, A ; Schmidt, T ; Treskova, M ; Lopez-Bastida, J ; Linertova, R ; Oliva-Moreno, J ; Serrano-Aguilar, P ; Posada-de-la-Paz, M ; Kanavos, P ; Taruscio, D ; Schieppati A ; Iskrov G ; **Pentek M** ; Delgado C ; von der Schulenburg JM ; Persson U ; Chevreul K ; Fattore G. Social/economic costs and health-related quality of life in patients with juvenile idiopathic arthritis in Europe. EUROPEAN JOURNAL OF HEALTH ECONOMICS 17 : Suppl 1 pp. 79-87. , 9 p. (2016) **IF: 2,5; D1; Idézők: 16**
28. **Pentek, M** ; Kosztolányi, G ; Melegh, B ; Halasz, A ; Pogány, G ; Baji, P ; Brodszky, V ; Vartokne, Hever N ; Boncz, I ; Gulacsi, L. Cystás fibrosissal élő betegek és gondozók életminősége és betegségterhei: a BURQOL-RD európai felmérés magyarországi eredményei. ORVOSI HETILAP 155 : 42 pp. 1673-1684. , 12 p. (2014) **IF: -; Q3; Idézők: 3**
29. **Pentek, M** ; Gulacsi, L ; Brodszky, V ; Baji, P ; Boncz, I ; Pogány, G ; Lopez-Bastida, J ; Linertova, R ; Oliva-Moreno, J ; Serrano-Aguilar, P ; Posada-de-la-Paz M ; Taruscio D ; Iskrov G ; Schieppati A ; von der Schulenburg JM ; Kanavos P ; Chevreul K ; Persson U ; Fattore G. Social/economic costs and health-related quality of life of mucopolysaccharidosis patients and their caregivers in Europe. EUROPEAN JOURNAL OF HEALTH ECONOMICS 17 : Suppl 1 pp. 89-98. , 10 p. (2016) **IF: 2,5; D1; Idézők: 12**
30. **Péntek, Márta** ✉ ; Herczegfalvi, Ágnes ; Molnár, Mária Judit ; Szőnyi, László Pál ; Kosztolányi, György ; Pfliegler, György ; Melegh, Béla ; Boncz, Imre ; Brodszky, Valentin ; Baji, Petra ; zegedi Márta (Szegedi Márta Belgyógyászat, Neurológia, Egészségtan, Genetika) ; Pogány Gábor ; Gulácsi László. Duchenne-féle izomdisztrófiával élő betegek és gondozók betegségterhei. IDEGGYOGYASZATI SZEMLE / CLINICAL NEUROSCIENCE 69 : 5-6 pp. 183-193. , 11 p. (2016) **IF: 0,322; Q4; Idézők: 2**
- Egészségproblémák életkorfüggő elfogadottsága és egészséggel kapcsolatos szubjektív várakozások*
31. **Péntek, Márta** ; van Exel, Job ; Gulácsi, László ; Brodszky, Valentin ; Zrubka, Zsombor ; Baji, Petra ; Rencz, Fanni ; Brouwer, Werner B. F. Acceptable health and ageing: results of a cross-sectional study from Hungary. HEALTH AND QUALITY OF LIFE OUTCOMES 18 : 1 Paper: 346 (2020) **IF-2019: 2,344; Q1; Idézők: -**
32. Zrubka, Zsombor ; Hermann, Zoltán ; Gulácsi, László ; Brodszky, Valentin ; Rencz, Fanni ; **Péntek, Márta**. Determinants of the acceptability of health problems in different ages: exploring a new application of the EQ VAS. EUROPEAN JOURNAL OF HEALTH ECONOMICS 20 : Suppl. 1 pp. 31-41. , 11 p. (2019) **IF: 2,367; D1; Idézők: -**
33. **Pentek, M** ✉ ; Rojkovich, B ; Czirjak, L ; Geher, P ; Keszthelyi, P ; Kovacs, A ; Kovacs, L ; Szabo, Z ; Szekanecz, Z ; Tamasi, L ; Toth AE ; Ujfalussy I ; Hever NV ; Strbak B ; Baji ; Brodszky V ; Gulacsi L. Acceptability of less than perfect health states in rheumatoid arthritis: the patients' perspective. EUROPEAN JOURNAL OF HEALTH ECONOMICS 15 : Suppl. 1 pp. S73-S82. , 10 p. (2014) **IF: 1,744; Q1; Idézők: 1**
34. **Péntek, Márta** ; Hajdu, Ottó ; Rencz, Fanni ; Beretzky, Zsuzsanna ; Brodszky, Valentin ; Baji, Petra ; Zrubka, Zsombor ; Major, Klára ; Gulácsi, László. Subjective expectations regarding ageing: a cross-sectional online population survey in Hungary. EUROPEAN JOURNAL OF HEALTH ECONOMICS 20 : Suppl. 1 pp. 17-30. , 14 p. (2019) **IF: 2,367; D1; Idézők: 3**
35. Baji, P ; Gulacsi, L ; Horvath, C ; Brodszky, V ; Rencz, F ; **Pentek, M**. Comparing self-perceived and estimated fracture risk by FRAX(R) of women with osteoporosis. ARCHIVES OF OSTEOPOROSIS 12 : 1 Paper: 4 , 11 p. (2017) **IF: 2,382; Q2; Idézők: 1**
36. **Pentek, M** ; Gulacsi, L ; Toth, E ; Baji, P ; Brodszky, V ; Horvath, C. A szakellátásban megjelenő osteoporosisos nők 10 éves csonttöréskockázata a FRAX® alapján. ORVOSI HETILAP 157 : 4 pp. 146-153. , 8 p. (2016) **IF: 0,349; Q4; Idézők: 2**
37. **Péntek, Márta** ; Gulácsi, László ; Horváth, Csaba. Törési rizikóbecslés és gyógyszer-finanszírozás posztmenopauzás oszteoporózisban. EGÉSZSÉGÜGYI GAZDASÁGI SZEMLE 49 : 3 pp. 8-16. , 9 p. (2011) **IF: -; Scopus presztízfaktor: -; Idézők: -**
38. **Péntek, Márta** ; Gulácsi, László ; Herszényi, László ; Banai, János ; Palatka, Károly ; Lakatos, Péter L ; Brodszky, Valentin** ; Rencz, Fanni. Subjective expectations regarding longevity and future health: A cross-sectional survey among patients with Crohn's disease. COLORECTAL DISEASE : 23 1 pp 105-113 (2021) **IF-2019: 2,769; Q1; Idézők: -**

39. **Pentek, M** ; Brodszky, V ; Biro, Z ; Kolkedi, Z ; Dunai, A ; Nemeth, J ; Baji, P ; Rencz, F ; Gulacsi, L ; Resch, MD. Subjective health expectations of patients with age-related macular degeneration treated with antiVEGF drugs. BMC GERIATRICS 17 : 1 Paper: 233 , 9 p. (2017) **IF: 2,886; Q1; Idézők: 3**

Digitális egészségműveltség és betegtapasztalatok az egészségügyben

40. Zrubka, Zsombor ; Hajdu, Ottó ; Rencz, Fanni ; Baji, Petra ; Gulácsi, László ; **Péntek, Márta**. Psychometric properties of the Hungarian version of the eHealth Literacy Scale. EUROPEAN JOURNAL OF HEALTH ECONOMICS 20 : Suppl. 1 pp. 57-69. , 13 p. (2019) **IF: 2,367; D1; Idézők: 4**

41. Brito Fernandes, Óscar ; Baji, Petra ; Kringos, Dionne ; Klazinga, Niek ; Gulácsi, László ; Lucevic, Armin ; Boncz, Imre ; **Péntek, Márta** ✉. Patient experiences with outpatient care in Hungary: results of an online population survey. EUROPEAN JOURNAL OF HEALTH ECONOMICS 20 : Suppl 1 pp. S79-S90. , 12 p. (2019) **IF: 2,367; D1; Idézők: 1**

42. Zrubka, Zsombor ; Brito Fernandes, Óscar ; Baji, Petra ; Hajdu, Ottó ; Kovács, Levente ; Kringos, Dionne ; Klazinga, Niek ; Gulácsi, László ; Brodszky, Valentin ; Rencz, Fanni ; **Péntek, M**. Exploring eHealth Literacy and Patient-Reported Experiences with Outpatient Care in the Hungarian General Adult Population: A Cross-Sectional Study. JOURNAL OF MEDICAL INTERNET RESEARCH 22 : 8 p. e19013 (2020) **IF-2019: 5,034; D1; Idézők: 1**

43. Meisters, Rachelle ; Putrik, Polina ; Ramiro, Sofia ; Hifinger, Monika ; Keszei, Andras P ; van Eijk-Hustings, Yvonne ; Woolf, Anthony D ; Smolen, Josef S ; Stamm, Tanja A ; Stoffer-Marx, Michaela; Uhlig, Till; Moe, Rikke Helene; de Wit, Maarten; Tafaj, Argjend; Mukuchyan, Vahan; Studenic, Paul; Verschueren, Patrick; Shumnalieva, Russka; Charalambous, Paraskevi; Vencovský, Jiří; Varvouni, Melpomeni; Kull, Mart; Puolakka, Kari; Gossec, Laure; Gobejishvili, Nino; Detert, Jacqueline; Sidiropoulos, Prodromos; **Péntek, Márta**; Kane, David; Scirè, Carlo Alberto; Arad, Uri; Andersone, Daina; van de Laar, Mart; van der Helm-van Mil, Annette; Głuszko, Piotr; Cunha-Miranda, Luís; Berghea, Florian; Damjanov, Nemanja S; Tomšič, Matija; Carmona, Loreto; Turesson, Carl; Ciurea, Adrian; Shukurova, Surayo; Inanc, Nevsun; Verstappen, Suzanne MM; Boonen, Annelies. EULAR/eumusc.net standards of care for rheumatoid arthritis: cross-sectional analyses of importance, level of implementation and care gaps experienced by patients and rheumatologists across 35 European countries. ANNALS OF THE RHEUMATIC DISEASES 79 : 11 pp. 1423-1431. , 9 p. (2020) **IF-2019: 16,102; D1; Idézők:**

-

9.2 Az értekezéshez kapcsolódó saját közlemények tudományometriai összefoglalója

Közlemények száma:	43
Ebből első/utolsó szerzős közlemények száma:	első 13/ utolsó 23; összesen: 36
Impakt faktor:	138,974
Presztízsfaktorok:	D1: 17
	Q1: 12
	Q2: 6
	Q3: 3
	Q4: 3
	nélkül: 2
Wos/Scopus jelölt független hivatkozások száma:	327

10 KÖSZÖNETNYILVÁNÍTÁS

Szeretnék köszönetet mondani annak a több mint 20 000 betegnek és lakosnak, akik rászánták az idejüket és kitöltötték a vizsgálati kérdőíveinket. Nélkülük nem jöttek volna létre ezek a kutatások. Bízom benne, hogy az egészségügyi ellátásuk javítását célzó kutatási eredményeinkkel legalább részben viszonyozhatom a fáradozásukat.

Megtisztelő számomra, hogy 539 hazai és külföldi Kollégával publikálhattam együtt. A reumatológia, neurológia, bőrgyógyászat, gasztroenterológia, ritka betegségek és más szakterületek vezető szakemberei megtisztelő nyitottsággal fogadták multidiszciplináris gondolkodást igénylő kutatásainkat és társultak a vizsgálatainkhoz. Nagyon sokat tanultam Tőlük! Vállalva, hogy a felsorolás nem lehet teljes, szeretném mégis név szerint említeni Poór Gyula, Czirják László, Szekanecz Zoltán és Boncz Imre professzor urakat. A külföldi tudósok közül Niek Klazinga-t (Amszterdami Egyetem), Werner Brouwer-t (Rotterdami Erasmus Egyetem), Job van Exel-t (Rotterdami Erasmus Egyetem), Bengt Jonsson-t (Karolinska Egyetem), Gisela Kobelt-t (European Health Economics), Dominik Golicki-t (Varsói Egyetem) és Valentina Prevolnik-Rupel-t (Institute for Health Economic Research, Ljubljana) emelném ki, akik a fantasztikus szakmai együttműködés mellett barátságukkal is megtiszteltek és akikkel sok vidám órát töltöttünk együtt.

Köszönettel tartozom tanárainknak, volt és jelenlegi munkahelyi vezetőimnek, Prof. Jenei Györgynek, Prof. Gulácsi Lászlónak, Prof. Kovács Leventének, Dr. Genti Györgynek és Dr. Tóth Editnek, valamint Kollégáimnak. Kutatásaim legnagyobb részét a Budapesti Corvinus Egyetemen végeztem. Hálás vagyok az ott töltött évekért, a fejlődési lehetőségekért, melynek eredményeként egyetemi tanár lettem. Köszönettel tartozom jelenlegi munkahelyemnek, az Óbudai Egyetemnek, hogy lehetőséget kínált tapasztalataim új területeken való kamatoztatására, a kutatói és oktatói pályámon való tovább fejlődésre. Pályám során folyamatos támogatást kaptam első munkahelyemtől, a Pest Megyei Flór Ferenc Kórház Reumatológiai Osztályától, ahol a mai napig örömmel dolgozok a betegellátásban.

Jó leckéket kaptam a PhD hallgatóimtól, nélkülük nem tartanék itt és nagy öröm számomra látni a sikereiket.

Szeretnék köszönetet mondani drága Szüleimnek, gyermekeimnek Fanninak és Tamásnak, a Családom apraja-nagyjának és barátaimnak, akik elfogadó szeretetükkel rendíthetetlenül mellettem álltak. Köszönet a Társamnak, minden titkos könnyem és örömöm ismerőjének, aki mindvégig a magasba emelt.