

Opponensi vélemény Dr. Rencz Fanni „Általános és bőrgyógyászat-specifikus életminőség kérdőívek és módosításaik tesztelése és értékelése Magyarországon” című értekezéséről

Dr. Rencz Fanni az MTA doktori cím iránti kérelmének benyújtását követően - részletes habitusvizsgálat során - az illetékes bizottság az MTA Doktori követelményeknek való megfelelését vizsgálta és a jelöltet mind tudománymetriai, mind tudományos közéleti, mind iskolateremtő tevékenysége alapján alkalmasnak találta az eljárás lefolytatására. Jelen bírálat az MTA szabályzata alapján kizárólag az értekezéssel és a tézisekkel foglalkozik.

Az egészségkimenetek kutatása (health outcomes research) az elmúlt húsz évben szignifikáns változáson ment át világszerte, a téma irodalma is ennek megfelelően exponenciálisan nőtt az utóbbi időben. Az egyre gyarapodó új gyógyszeres- köztük az igen magas költségekkel járó biológiai kezelések esetén az egészségpolitikai döntéshozásban is megkérdőjelezhetlenné vált e vizsgálatok jelentősége.

A gyakorló onkológus-bőrgyógyász klinikus opponens számára igazi kihívást jelentett az egészség-gazdaságtani disszertáció értékelése. Amennyiben, az értékelésben használt nyelvezet nem fedti pontosan e speciális szakterületen megszokott nevezéktant, így ezért az opponens közgazdasági jártasságának hiánya felelős. Végeredményben elmondható, hogy a disszertáció kapcsán e témába való mélyebb betekintés hatással volt a bíráló orvosi szemléletére. Számos tekintetben megváltoztatta az egyes terápiák speciális értékeléséhez való gyakorlati hozzáállását, a betegek életminőségével kapcsolatos információgyűjtés fontosságát a mindennapi gyakorlatban.

I. Témaválasztás, alapvető megfontolások

Fentieket figyelembe véve minden életminőség- egészségkimeneti témájú kutatás rendkívül fontos témaválasztás napjainkban. Magyarországon csupán néhány szakember foglalkozik e fontos témával, közülük kiemelkedik Dr. Rencz Fanni. A jelölt „Általános és bőrgyógyászat-specifikus életminőség kérdőívek és módosításaik tesztelése és értékelése

Magyarországon” című értekezése az e témában tájékozódni kívánó hazai egészségügyi és gazdasági szakemberek alapművévé válhat. Mivel az egyes új gyógyszerek, gyógyászati technológiák társadalombiztosítási befogadásának alappilléret jelentik ezek a mérések, így a minél pontosabb minőségi és mennyiségi becslések gazdasági szempontból és az érintett betegcsoport szempontjából is rendkívüli fontosságúak.

A disszertáció a jelölt igen széles általános orvosi rálátásáról és kimagasló bőrgyógyászati jártasságáról tanúskodik.

II. Formai szempontok

A disszertáció jól áttekinthető, logikusan szerkesztett, kiváló nyelvezetű, nyelvtani és tipográfiai hibáktól is mentes dolgozat. Érdemi része 139 oldal, melyben arányosak a tudományos művekben szokásos bevezetés, célkitűzés, módszertan, eredmények és megbeszélés fejezetek. Az egyes fejezetek jobb interpretálását 56 táblázat, 16 ábra, valamint 8 melléklet segítik. A széles irodalmi jártasságot a 657 irodalom felhasználása demonstrálja. Az ábrák és táblázatok igen magas száma jelzi az adathalmaz méretét, melyet a jelölt a munkában felhasznál.

Megnehezítette azonban a bírálatot az ábrák és táblázatok jegyzékének hiánya. Szintén könnyebb lett volna az eredmények ábrákon való áttekintése, ha a nyomtatás színesben készül, mert a fekete-fehér nyomtatásban szinte lehetetlen megkülönböztetni az egyes válaszokra vonatkozó területeket. Csupán a rajta szereplő számokból azonosíthatók az eredmények.

III. Részletes bírálat

A jelölt értekezésében az EQ-5D és a DLQI kérdőívekkel kapcsolatos főként módszertani kutatási eredményeit és fejlesztéseit mutatta be három fő témakört tárgyalva.

A paralel végzett szerteágazó kutatásokban a gasztronterológiai témakörben a coeliakia, a Crohn-betegség valamint, az igen nagy betegcsoportot érintő nőgyógyászati probléma, a dysmenorrhoea kérdése mellett főleg bőrgyógyászati kórképek speciális problematikáival foglalkozik. A fókusz a bőrgyógyászati témaválasztásban egyrészt a kórképek gyakorisága

(atópiás dermatitisz, psoriasis), másrészt az életminőségre kifejtett szignifikáns hatás (hidradenitis suppurativa, morphea, pemphigus vulgaris/foliaceus) jelentette.

Kérdés:

Egészséggazdaságtani szempontból meghatározó volt-e a témaválasztásban és a kórképek kiválasztásában, hogy valamennyi gasztoenterológiai és bőrgyógyászati kórképnél is nagyértékű biológiai kezelések állnak rendelkezésre a betegek kezelésében, melynek költségvonzata igen magas?

Az első témakör az EQ-5D kérdőív két felnőtt számára készült változatának (EQ-5D-3L és EQ-5D-5L) mérési (pszichometriai) tulajdonságaival foglalkozik. Az első magyar egészséghasznosság kutatások során a világszerte széleskörben használt EQ-5D általános egészségi állapot kérdőív két felnőtt változatának (EQ-5D-3L és EQ-5D-5L) hazai társadalmi értékkészleteit fejlesztették ki. Az elkészült értékkészletek hasznos eszközök lehetnek az új egészségügyi technológiák költséghatékonysági elemzéseiben és a gyakorlatban történő használatuk támogatja, hogy az egészségügyi finanszírozási döntések a magyar társadalom preferenciáit tükrözzék.

Kérdés:

Milyen kezelések hazai költséghatékonysági elemzéseiben használták fel a döntéshozók a jelölt kutatási eredményeit?

A dolgozat második témája az EQ-5D kérdőív két felnőtt és egy gyermekek és serdülők (EQ-5D-Y-3L) számára készült változatának magyar társadalmi preferenciákon alapuló értékkészleteinek kidolgozásában végzett kutatásokat foglalja össze.

Kérdés:

Mennyiben vehető figyelembe az EQ-5D-Y-3L kérdőívek értékelésekor a tinédzserek esetén nem ritkán tapasztalható szélsőséges hangulatingadozás az egyes kórállapotok okozta életminőség változásban?

A harmadik részben gyakori és/vagy speciális bőrgyógyászati betegségek egészségkimeneti kutatásaiban fő szerepet betöltő DLQI kérdőívvel foglalkozik, melyben különös hangsúlyt fektet a kérdőíven előforduló „nem vonatkozik Önre” válaszlehetőségekből adódó torzításokra. A fenti probléma kiküszöbölésére alkalmas, alternatív pontozást (DLQI-R) fejleszt, majd különböző betegcsoportok részvételével validál.

A Bőrgyógyászati Életminőség Index (DLQI) egy új pontozási módszerének kidolgozása a DLQI-R, amely kiküszöböli a „nem vonatkozik Önre” válaszokból eredő torzítást az eredeti kérdőíven, a jelölt az első szerzős munkája, mely az egyik legrangosabb bőrgyógyászati szaklapban, a *British Journal of Dermatology* (D1) folyóiratban jelent meg. A dolgozat a bőrgyógyászati szakirodalomban széleskörű, neves professzorok által publikált, zömmel támogató diszkussziót generált. A jelölt munkássága nyomán a módosított kérdőívét számos országban használják azóta is különböző krónikus és infect (scabies) bőrbetegségek esetén.

Kérdések:

1. Milyen vizsgálati szerekekkel történt klinikai vizsgálatokban használták az életminőség értékelésében a DLQI-R módosított kérdőívet?
2. Nemzetközi szinten mely országokban használják a különböző finanszírozási protokollok és/vagy irányelvek összeállításában a DLQI-R kérdőívet?
3. Van-e visszajelzése arról, hogy a bőrgyógyászok a napi rutinban használják-e a kérdőívet?
4. Milyen egyéb diagnózisok esetében zajlanak egészség-gazdasági vizsgálataik jelenleg?

IV. Új tudományos eredmények

Az értekezésben közölt eredmények közül az alábbiakat tartom a jelölt új tudományos eredményeinek:

1. Elsőként hasonlította össze a jelölt az EQ-5D-3L és EQ-5D-5L kérdőívek mérési tulajdonságait atópiás dermatitisben, hidradenitis suppuratívában valamint Crohn-betegségben. Validálta az EQ-5D-5L-t pemphigusban, továbbá az EQ-5D-5L és PROMIS-29+2 kérdőívek mérési tulajdonságait a magyar általános populációban.

2. Az EQ-5D fájdalom/rossz közérzet és szorongás/depresszió összetett dimenzióin előforduló válaszadási mintázatokat elsőként közölte. Igazolta, hogy az EQ-5D „rossz közérzet” területe száznál is több különböző (egészség)problémát képes lefedni, amelyek mérési hibákat eredményezhetnek a kérdőíveken.

3. Hazai viszonylatban kiemelendő, hogy a jelölt vizsgálta az EQ-PSO kérdőív tartalmi érvényességét egy angoltól eltérő nyelven, elsőként magyarul. Igazolta a bőrirritáció és önbizalom EQ-5D-5L kiegészítő dimenziók tartalmi érvényességét psoriasisban és kisebb tartalmi átfedést a bőrirritáció és a fájdalom/rossz közérzet dimenziók között.

4. Kidolgozták az EQ-5D kérdőív két felnőtt (EQ-5D-3L és EQ-5D-5L) és egy gyermek-serdülő (EQ-5D-Y-3L) változatának hazai értékkészleteit, amelyek az első magyar társadalmi preferenciákon alapuló egészséghasznosság értékkészletek.

5. Elsőként mérték egészséghasznosságokat időalku módszerrel cöliákiás, pemphigusos és primer dysmenorrhoeás betegpopulációkban. Elsőként végeztek fizetési hajlandóság vizsgálatot primer dysmenorrhoeában.

6. Elsőként bizonyították a DLQI kérdőív tízből nyolc kérdésében szereplő „nem vonatkozik Önre” (NVÖ) válaszokból eredő tartalmi érvényesség problémát. Kimutatták, hogy a NVÖ választ adó és nem adó betegek DLQI pontszámai közvetlenül nem összehasonlíthatók. Igazolták, hogy a psoriasisos betegek betegség súlyossága mellett szociodemográfiai tényezők is befolyásolják a NVÖ válaszaik számát.

7. Kiemelten fontosnak ítélem, hogy kifejlesztették a DLQI kérdőív új, alternatív pontozását (DLQI-R), amely korrigálja a NVÖ válaszokból származó torzítást a kérdőív pontozásában. A DLQI-R pontozás érvényességét igazolták atópiás dermatitis, hidradenitis suppurativa, morphea, pemphigus, psoriasis és egy populációalapú krónikus bőrgyógyászati betegekből álló mintán egyaránt.

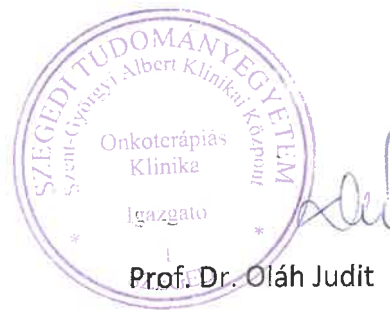
8. Elsőként igazolták, hogy a Skindex-16 kérdőív alkalmasabb az enyhe életminőség-csökkenés kimutatására, mint a DLQI vagy a DLQI-R.

V. Összefoglaló vélemény

Dr. Rencz Fanni disszertációja és a dolgozat alapját képező, neves külföldi szaklapokban megjelent közlemények értékes új megfigyelésekkel gyarapítják a témához tartozó

szakirodalmat. Munkája jelentős előrelépést hozott Magyarországon szűkebb szakterületén belül. A jelölt habitusát, valamint az értekezést együttesen is értékelve messzemenően támogatom a nyilvános vitára való bocsátását és eredményes eljárást követően az MTA doktori cím odaítélését.

Szeged, 2025. január 21.



az MTA doktora, tanszékvezető egyetemi tanár, klinikaigazgató