

# Cöliákiás betegek életminőségének és képesség jóllétének mérése és értékelése

Tézisfüzet

Angyal Mária Mercédesz

Semmelweis Egyetem Doktori Iskola  
Rácz Károly Konzervatív Orvostudományi Tagozat



Témavezető: Prof. Dr. Rencz Fanni, D.Sc.

Hivatalos bírálók:

Dr. Béres Nóra, Ph.D.

Dr. Bajor Judit, Ph.D.

Komplex vizsga bizottság elnöke: Dr. Mészáros Ágnes, Ph.D.

Komplex vizsga bizottság tagjai:

Dr. Iliás Ákos, Ph.D.

Prof. Dr. Bozóki Sándor, Ph.D.

Budapest, 2026

# 1. Bevezetés

Az egészséggel összefüggő életminőség (továbbiakban: életminőség) és a jóllét mérése kiemelt jelentőségű a modern egészségügyben, különösen krónikus betegségek, mint például a cöliákia esetén. A klinikai kimenetek önmagukban nem tükrözik teljes mértékben a betegek mindennapi tapasztalatait, funkcionális állapotát, pszichés terheit és társas életét.

Az életminőség mérésének egyik kiemelt jelentősége az egészség-gazdaságtani alkalmazhatóság. A preferenciaalapú mérőeszközök lehetővé teszik egészségi állapotok hasznosságértékeinek meghatározását egy 0 (halál) és 1 (teljes egészség) közötti skálán. Ezek az értékek képezik az életminőséggel korrigált életév (Quality Adjusted Life Years, QALY) számításának alapját, amely a költség-hasznossági elemzések standard mérőszáma. A QALY alkalmazása lehetővé teszi különböző egészségügyi beavatkozások összehasonlítását egységes, preferenciaalapú mutató mentén.

A jóllét szerepe egyre hangsúlyosabbá válik az életminőség mellett az egészségpolitikai értékelésekben is. A képességszemlélet az egyének lehetőségeire és autonómiájára helyezi a hangsúlyt, vagyis arra, hogy milyen életet képesek élni, nem csupán arra, milyen egészségi állapotban vannak. A képesség jóllét mérésére kifejlesztett eszközök olyan dimenziókat ragadnak meg, mint a stabilitás, autonómia, kapcsolatok, teljesítmény és öröm. Ezek az aspektusok különösen relevánsak krónikus betegségek esetén, ahol a betegek alkalmazkodhatnak fizikai korlátozottságukhoz, de társadalmi részvételük, autonómiájuk vagy életvezetési lehetőségeik mégis beszűkülhetnek. Az egészségpolitikai döntéshozatalban egyre több irodalom mutat rá, hogy a kizárólag életminőség alapú értékelés nem minden esetben tükrözi teljes mértékben bizonyos beavatkozások társadalmi

értékét. A képességalapú mutatók integrálása így a jövő egészség-gazdaságtani módszertanának egyik lehetséges iránya olyan klinikai területeken, ahol az egészség mellett a jóllét mérése is releváns.

A cöliákia egy glutén fogyasztás által kiváltott autoimmun betegség, amely az erre genetikailag hajlamos egyéneknél alakul ki. A betegség prevalenciája világszerte 1% körüli, és növekvő tendenciát mutat. A klinikai spektrum széles: a klasszikus tünetek (hasmenés, hasi fájdalom, puffadás, fogyás) mellett gyakoriak az atípusos vagy extraintesztinális megnyilvánulások (vashiány, csontritkulás, neurológiai és pszichiátriai tünetek). A betegség gyakran társul más autoimmun kórképekkel. Jelenleg az egyetlen hatékony kezelés az élethosszig tartó, szigorú gluténmentes diéta. Bár a diéta jelentősen javítja a klinikai tüneteket és csökkenti a szövődmények kockázatát, jelentős életviteli és pszichoszociális terhet ró a betegekre. A gluténmentes termékek magas költsége, korlátozott elérhetősége, az étkezések társas helyzetekben való nehézségei, valamint az állandó odafigyelés szükségessége mind befolyásolják a betegek mindennapi életét.

Korábbi kutatások szerint a hasznosságértékek cöliakiában gyakran a lakossági átlagnál hasonló vagy akár magasabb értékeket mutatnak. Ez felveti annak lehetőségét, hogy a generikus életminőség mérőeszközök nem érzékenyek bizonyos, a betegség szempontjából kulcsfontosságú dimenziókra, különösen a diétás terhekre.

## **2. Célkitűzés**

Az értekezés átfogó célja a cöliákias betegek életminőségének és képesség jóllétének mérése, valamint az alkalmazott mérőeszközök pszichometriai vizsgálata. Az értekezés három egymáshoz szorosan kapcsolódó kutatáson alapul:

### **2.1. Hasznosság és fizetési hajlandóság közvetlen mérése**

- Időalku (time trade-off, TTO) hasznosságértékek meghatározása saját és hipotetikus cöliákia egészségi állapotokra.
- Fizetési hajlandóság (willingness to pay, WTP) becslése tünetmentesség és diéta adherencia esetében.
- A hasznosság- és WTP-értékeket befolyásoló demográfiai és klinikai tényezők azonosítása.

### **2.2. EQ-5D-5L bolt-on vizsgálat**

- Az EQ-5D-5L kérdőív pszichometriai teljesítményének értékelése, valamint öt kiegészítő dimenzió (bolt-on) mérési tulajdonságainak értékelése.
- Plafonhatás, informativitás, konvergens és ismert csoportok közötti validitás vizsgálata.

### **2.3. ICECAP-A pszichometriai vizsgálat**

- Az ICECAP-A képességalapú jólléti mérőeszköz pszichometriai tulajdonságainak elemzése.
- Konvergens validitás vizsgálata más életminőségmérő és szubjektív jóllétmérő kérdőívekkel.
- Az ICECAP-A és az EQ-5D-5L eredményeinek összehasonlítása.

### 3. Módszerek

#### 3.1. Keresztmetszeti kutatás

A kutatás egy keresztmetszeti online kérdőíves felmérésen alapult, amely 2020 novembere és 2021 januárja között zajlott Magyarországon. A résztvevők 18 év feletti, orvos által diagnosztizált cöliákiás betegek voltak. A részvétel önkéntes és anonim volt, a kitöltők előzetes tájékoztatást kaptak a kutatás céljáról, az adatkezelés módjáról és a részvétel feltételeiről. Az etikai engedélyt a Budapesti Corvinus Egyetem Kutatásetikai Bizottsága adta meg (KRH/390/2020).

A kérdőív nyelve magyar volt, és a felhasznált mérőeszközök korábban már validált, hivatalos magyar verzióit használtuk. Mindhárom tanulmány azonos keresztmetszeti adatfelvételen alapult, azonban eltérő elemzési megközelítést alkalmazott.

#### 3.2. Alkalmazott mérőeszközök rövid áttekintése

**EQ-5D-5L:** Az EQ-5D-5L öt dimenzió mentén írja le az egészségi állapotot (mozgékonyosság, önellátás, szokásos tevékenységek, fájdalom/rossz közérzet, szorongás/depresszió), mindegyiket 5 súlyossági szinten. A válaszokból hasznosság számítható ország-specifikus értékkészlettel, amely QALY-számításhoz és költség-hasznossági elemzéshez használható. Az EQ vizuális analóg skála (EQ VAS) az önértékelt egészségi állapotot méri 0–100 skálán.

**EQ-5D-5L bolt-on dimenziók:** A bolt-on egy kiegészítő dimenzió az EQ-5D-5L-hez, amely olyan területet mér, amit az öt alapidimenzió nem fed le (pl. fáradtság, alvás). Azonos (5 szintű) válaszstruktúrával bővíti a mérési tartalmat és csökkentheti a plafonhatást.

**GSRS:** A Gastrointestinal Symptom Rating Scale (GSRS) egy 15 tételes kérdőív a gyomor-bélrendszeri tünetek súlyosságának mérésére az elmúlt 7 napban. Öt tünetcsoportot fed le (reflux, hasi fájdalom, emésztési zavar, hasmenés, székrekedés), 1–7-es skálán; az összpontszám 15–105 között van, ahol az alacsonyabb érték kevesebb/enyhébb tünetet jelent.

**SWLS:** Satisfaction with Life Scale (SWLS) a szubjektív jóllétet méri öt állítással, 1–7-es skálán. Az összpontszám 5–35, a magasabb érték nagyobb szubjektív jóllétet jelez.

**ICECAP-A:** Az ICEpop CAPability measure for Adults (ICECAP-A) képesség jóllétmérő kérdőív öt dimenzióban (stabilitás- és biztonságérzet; szeretet, barátság és támogatás; függetlenség; eredmények és fejlődés; kellemes élmények és öröm) mér. Mindegyik dimenzióknak 4 szintje van (1: nincs képesség, 4: teljes képesség). A válaszprofilból magyar értékkészlettel 0–1 közötti indexérték számítható.

**TTO:** A time trade-off (TTO) közvetlen hasznosságmérési módszer, ahol válaszadó megadja, hány életévet adna fel egy adott (aktuális vagy hipotetikus) egészségi állapot elkerülése érdekében a teljes egészségért. Általában 10 éves időtávot alkalmazunk, továbbá a hasznosság 0 és 1 közé eshet (amennyiben „rosszabb a halálnál” formátumot nem alkalmazunk).

**VAS:** A vizuális analóg skála (VAS) egy 0–100 skála, ahol a válaszadó a legrosszabb elképzelhető és a legjobb elképzelhető egészség között jelöli be saját megítélését.

**Vignetta alapú mérés:** A vignetták standardizált, hipotetikus egészségi állapotleírások, amelyeket a válaszadók értékelnek. Akkor különösen hasznosak, ha a generikus kérdőívek nem elég

érzékenyek betegség-specifikus hatásokra, vagy ha ritka vagy diagnózis előtti állapotok hasznosságát kell megbecsülni.

**WTP:** A willingness to pay (WTP), fizetési hajlandóság azt méri, mekkora maximális összeget fizetne a válaszadó azért, hogy tünetmentes legyen, illetve hogy a vignettákban leírt állapot javuljon.

### 3.3. Kérdőív felépítése és statisztika

A kérdőív négy részből állt. Az első rész a cöliákia klinikai jellemzőire (betegség fennállási ideje, társbetegségek, gluténmentes diéta betartása) kérdezett rá. A második rész standardizált kérdőíveket tartalmazott az életminőség, jóllét és tünetek mérésére (EQ-5D-5L bolt-onokkal és EQ VAS, ICECAP-A, SWLS, GSRs). A harmadik részben a résztvevők saját egészségi állapotukat és három randomizált sorrendben bemutatott hipotetikus állapotot értékelték VAS, TTO és WTP módszerrel. Az utolsó rész szociodemográfiai adatokat gyűjtött. Az adatelemzés Stata 14.0, R 4.2.0 és IBM SPSS 28.0–29.0 programcsomagokkal történt; a statisztikai szignifikancia szintje  $p < 0,05$  volt.

### 3.4. Hasznosság és fizetési hajlandóság vizsgálata

A vizsgálat központi eleme a három hipotetikus egészségi állapot kidolgozása volt, amelyek a cöliákia eltérő diéta adherenciáját reprezentálták: 1. cöliákia diéta betartás nélkül, 2. cöliákia rendszeres diétahibákkal, valamint 3. cöliákia szigorú diéta betartásával. A vignetták kidolgozása irodalmi áttekintésen, egy korábban publikált koncepcionális modellen, valamint szakértői egyeztetésen alapult.

A résztvevők saját aktuális egészségi állapotukat, majd a három hipotetikus állapotot VAS és TTO módszerrel értékelték. A TTO feladat során tízéves időhorizontot alkalmaztunk, amely a nemzetközi gyakorlatban széles körben elfogadott. A WTP mérésére a résztvevők előre meghatározott havi összegek közül választhatták ki azt az összeget, amelyet maximálisan hajlandók lennének fizetni a teljes egészségért. A forint értékeket éves szintre konvertáltuk, majd euróra számítottuk át az Európai Központi Bank árfolyama alapján.

### **3.5. Az EQ-5D-5L bolt-on dimenziók mérési tulajdonságainak vizsgálata**

Az EQ-5D-5L öt dimenzióhoz bolt-on dimenziókat fejlesztettünk, illetve emeltünk át szakirodalomból. A gyomor-bélrendszeri problémák és az étkezés dimenziókat kifejezetten a vizsgálat céljára dolgoztuk ki, míg a mentális képességek, az alvás és a fáradtság dimenziók korábban már alkalmazott bolt-onok voltak. Mindegyik dimenzió az EQ-5D-5L ötszintű válaszstruktúráját követte.

A pszichometriai értékelés során először a válaszmegoszlásokat és plafonhatást elemeztük. Az informativitást a Shannon-index ( $H'$ ) és a relatív informativitást jelző Shannon evenness ( $J'$ ) segítségével értékeltük. A konvergens validitás vizsgálatához Spearman-féle rangkorrelációt alkalmaztunk az EQ-5D-5L dimenziók, a bolt-on dimenziók, a GSRS domének és az EQ VAS pontszámok között. Az ismert csoportok közötti validitást önbeszámolt egészségi állapot és GSRS-tercilek szerinti bontásban elemeztük, a diszkriminációs képességet relatív hatékonysági mutatóval hasonlítva össze az alap EQ-5D-5L és a bolt-on dimenziókkal kiegészített változat között. A bolt-on dimenziók többletmagyarázó erejét lineáris regressziós modellekben vizsgáltuk az EQ VAS és a SWLS pontszámok

tekintetében. A dimenzionalitás feltárására főkomponens-elemzést, a feltételezett faktorstruktúra tesztelésére pedig megerősítő faktorelemzést alkalmaztunk.

### **3.6. Az ICECAP-A pszichometriai vizsgálata**

A harmadik tanulmány az ICECAP-A képességalapú jólléti mérőeszköz pszichometriai teljesítményét vizsgálta cöliákiás populációban, valamint összehasonlította azt az EQ-5D-5L eredményeivel. Az elemzés során először a válaszmegoszlásokat és a plafonhatást vizsgáltuk. Ezt követően konvergens és divergens validitási elemzést végeztünk korrelációk segítségével az ICECAP-A, az EQ-5D-5L, a SWLS és a GSRS pontszámok között. A hipotézisek szerint az ICECAP-A közepes erősségű korrelációt mutat az EQ-5D-5L-el, erősebb kapcsolatot az SWLS-el, és gyengébb összefüggést a tisztán tüneti mérőeszkőzzel.

Az ismert csoportok közötti validitást tüneti súlyosság, diétatartás, társbetegségek és szociodemográfiai jellemzők szerint vizsgáltuk. A kéts csoportos összehasonlításokat független mintás t-próbával, míg a több csoportot érintő elemzéseket egyszempontos varianciaanalízissel (ANOVA) végeztük. Az effektusméreteket Cohen-féle  $d$ , illetve eta-négyzet ( $\eta^2$ ) mutatókkal számítottuk és értelmeztük.

## 4. Eredmények

Az adatgyűjtés során a kérdőívet megnyitó 734 személy közül 455 (62,0%) töltötte ki azt. Ezek közül 143 válaszadót kizártunk, így a végső elemzési minta 312 felnőtt cöliákiás betegből állt. A betegek többsége nő volt (70,2%), és a diagnózis felállításakor az átlagos életkor 27,1 év volt (SD=14,0).

### 4.1. Hasznosság és fizetési hajlandóság vizsgálata

A jelenlegi egészségi állapot, a „cöliákia szigorú diéta betartásával”, a „cöliákia rendszeres diétahibákkal” és a „cöliákia diéta betartás nélkül” hipotetikus egészségi állapotok átlagos VAS értékei rendre  $79,69 \pm 18,52$ ,  $85,36 \pm 16,18$ ,  $62,44 \pm 19,91$  és  $36,69 \pm 25,83$  voltak. A megfelelő átlagos TTO hasznosságok a következők voltak:  $0,90 \pm 0,19$ ,  $0,91 \pm 0,20$ ,  $0,87 \pm 0,23$  és  $0,76 \pm 0,29$ . Összesen 188 beteg (60,3%) nem volt hajlandó időt feláldozni a saját állapotában, és 73 beteg (23,4%) nem volt hajlandó feladni az életéveket a négy TTO feladat egyikében sem.

Az átlagos éves WTP értékek a jelenlegi egészségi állapot esetében  $845 \pm 1077$  euró, a „cöliákia szigorú diéta betartásával” egészségi állapot esetében  $648 \pm 1002$  euró, a „cöliákia rendszeres diétahibákkal” egészségi állapot esetében  $862 \pm 1135$  euró, a „cöliákia diéta betartás nélkül” egészségi állapot esetében pedig  $1251 \pm 1496$  euró voltak.

Mindhárom módszerrel (VAS, TTO, WTP) szignifikáns különbség mutatkozott a négy egészségi állapot értékelésében ( $p < 0,001$ ). A többváltozós regressziók alapján magasabb jövedelem magasabb VAS-értékkel járt együtt ( $p = 0,006$ ). A GSRs-pontszám egy egységnyi növekedése 0,421 pontos VAS-csökkenéssel járt ( $p < 0,001$ ), míg a diagnóziskori életkor minden egyes további éve 0,173 pontos VAS-csökkenéssel társult ( $p < 0,05$ ). A depresszió és a reumatológiai társbetegség jelentősen csökkentette a VAS-értékeket ( $p < 0,05$ ). A TTO-értékek esetében a nők kevesebb életévről voltak hajlandók

lemondani, így magasabb hasznosságértéket mutattak ( $p < 0,05$ ). A GSRS egy egységnyi növekedése 0,004-es TTO-csökkenéssel járt ( $p = 0,005$ ). A fizetési hajlandóság 70,45%-kal alacsonyabb volt nőknél, mint férfiaknál ( $p = 0,022$ ). A GSRS egy ponttal történő növekedése 6,8%-kal növelte a WTP-t ( $p = 0,002$ ), a diagnóziskori életkor egyéves növekedése 3,9%-os emelkedéssel járt ( $p = 0,047$ ).

A hipotetikus egészségi állapotok esetében a „cöliákia diéta betartás nélkül” és a „cöliákia rendszeres diétahibákkal” állapot szignifikánsan alacsonyabb VAS- és TTO-értékeket, valamint magasabb WTP-összegeket eredményezett a „cöliákia szigorú diéta betartásával” állapothoz képest ( $p < 0,05$ ).

A modellek a VAS-, TTO- és WTP-értékek varianciájának 49,0%, 8,7% és 10,9%-át magyarázták.

Összességében a VAS, TTO és WTP eredmények egymással konzisztens képet adtak: a gluténmentes diéta betartása mérhető egészségnyereséggel jár, a diéta hiánya jelentős QALY-vesztést eredményez, és a betegek jelentős arányban hajlandók anyagi áldozatot is hozni az állapot javulásáért.

#### **4.2. Az EQ-5D-5L bolt-on dimenziók mérési tulajdonságainak vizsgálata**

Az EQ-5D-5L alapidimenziói közül az önellátás mutatta a legmagasabb plafonhatást (98,1%), ezt követte a mozgékonyosság (82,7%), a szokásos tevékenységek (77,9%), majd a szorongás / depresszió (59,0%) és a fájdalom / rossz közérzet (58,7%). Az EQ-5D-5L plafonhatása 38,8% volt. A bolt-on dimenziók közül a fáradtság mutatta a legalacsonyabb plafont (22,8%), majd a gyomor-bélrendszeri tünetek (39,1%), az alvás (44,6%), az étkezés (52,9%) és végül a mentális képességek (74,0%) következett.

Az egyes bolt-onok hozzáadása jelentősen csökkentette a kérdőív plafonhatását: a fáradtság esetén 17,0%-ra, az alvásnál 23,1%-ra, a gyomor-bélrendszeri tüneteknél 24,0%-ra, az

étkezésnél 26,3%-ra, míg a mentális képességek esetében 36,5%-ra. Mind az öt bolt-on együttes alkalmazásával a plafonhatás 7,4%-ra csökkent, ami 81,0%-os relatív csökkenést jelentett. A megfigyelt egészségi profilok száma minden bolt-on esetében nőtt, az étkezés dimenzió hozzáadásakor közel megduplázódott.

Az abszolút informativitas ( $H'$ ) az EQ-5D-5L esetében 3,71 volt, amely bolt-onokkal 4,33–4,95 közé emelkedett, több bolt-on dimenzió együttes alkalmazásával pedig 7,28-ig nőtt. A legmagasabb tételszintű informativitást a fáradtság ( $H'=1,77$ ) és a gyomor-bélrendszeri tünetek ( $H'=1,67$ ) mutatták. A relatív informativitas a mentális képességek dimenzió kivételével minden bolt-on hozzáadásával növekedett.

A konvergencia validitás során a gyomor-bélrendszeri tünetek bolt-on erős korrelációt mutatott a GSRS összpontszámmal ( $r_s=0,712$ ), és mérsékelt kapcsolatot a fájdalom/rossz közérzet dimenzióval ( $r_s=0,508$ ). A fáradtság mérsékelttel korrelált a fájdalom/rossz közérzettel ( $r_s=0,465$ ) és a szorongás/depresszió dimenzióval ( $r_s=0,425$ ). A mentális képességek, az étkezés és az alvás bolt-onok csak gyenge kapcsolatot mutattak az alapidimenziókkal, ami önálló információtartalomra utal.

Az ismert csoportok közötti validitás vizsgálatában a gyomor-bélrendszeri tünetek bolt-on jelentősen javította a csoportok elkülönítését (relatív hatékonyság 1,30–1,84). A regressziós elemzés szerint az EQ VAS pontszámokat leginkább a szokásos tevékenységek (adj.  $R^2=0,304$ ) és a fájdalom/rossz közérzet (adj.  $R^2=0,301$ ) magyarázta, míg a bolt-onok közül a mentális képességek (adj.  $R^2=0,196$ ) és a gyomor-bélrendszeri tünetek (adj.  $R^2=0,179$ ) teljesítettek a legjobban. Több bolt-on hozzáadása az EQ VAS magyarázott varianciáját 0,411-ről 0,440-re, az SWLS esetében pedig 0,193-ról 0,206-ra növelte.

A faktorelemzés négy faktort azonosított (gyomor-bélrendszeri problémák, életelégedettség, pszichoszociális egészség,

fájdalom és szokásos tevékenységek), amelyek a teljes variancia 61,9%-át magyarázták.

### **4.3. Az ICECAP-A pszichometriai vizsgálata**

Az ICECAP-A dimenziók közül a legnagyobb korlátozottság a „stabilitás- és biztonságérzet” (81%) és az „eredmények és fejlődés” (78%) területén jelentkezett, ami arra utal, hogy a cöliákiás betegek elsősorban a jövőbiztonság és a személyes előrehaladás dimenzióiban élnek meg nehézségeket. A legmagasabb plafon a „szeretet, barátság és támogatás” (49%), a „kellemes élmények és öröm” (42%) és a „függetlenség” (37%) dimenziókban volt megfigyelhető, vagyis ezekben az aspektusokban a válaszadók nagyobb arányban számoltak be teljes képességről.

Az ICECAP-A átlagos indexértéke 0,85 (SD=0,17) volt, és csupán 6,7% érte el a maximális 1 értéket. Ezzel szemben az EQ-5D-5L index átlaga 0,92 (SD=0,13) volt, 38,8%-os plafonhatással, míg az EQ VAS átlaga 79,69 (SD=18,52) volt. Az életkor előrehaladtával mindhárom mutató csökkent: az ICECAP-A 0,87-ről 0,77-re, az EQ-5D-5L 0,94-ről 0,85-re, az EQ VAS pedig 83,80-ról 61,79-re esett vissza a legfiatalabb és legidősebb korcsoport között.

Az ismert csoportok közötti validitás vizsgálata szerint a GSRs tercilisek között az ICECAP-A mérsékelt hatásméretet mutatott ( $\eta^2=0,065$ ), míg az EQ-5D-5L ( $\eta^2=0,134$ ) és az EQ VAS ( $\eta^2=0,138$ ) nagyobb érzékenységet mutattak. Az általános egészségi állapot ugyanakkor nagy hatásméretet eredményezett mindhárom eszköznél (ICECAP-A  $\eta^2=0,189$ ; EQ-5D-5L  $\eta^2=0,215$ ; EQ VAS  $\eta^2=0,353$ ).

Konvergens validitás tekintetében az ICECAP-A attribútumok gyenge-közepes Spearman-korrelációt mutattak az EQ-5D-5L dimenziókkal ( $r_s = -0,005$  és  $r_s = -0,435$  között), a legerősebb kapcsolat a „stabilitás- és biztonságérzet” és a

szorongás/depresszió dimenzió között volt ( $r_s = -0,435$ ). Az ICECAP-A attribútumok erősebb korrelációt mutattak a szubjektív jólléttel (SWLS;  $r_s = 0,261-0,617$ ), mint az EQ-5D-5L dimenziók ( $r_s = -0,089- -0,364$ ).

Eszközsinten az ICECAP-A index mérsékelt Pearson-korrelációt mutatott az EQ-5D-5L indexszel ( $r_p = 0,551$ ) és az EQ VAS pontszámmal ( $r_p = 0,459$ ). Az ICECAP-A index és az SWLS közötti kapcsolat erős volt ( $r_s = 0,698$ ), és meghaladta az EQ-5D-5L index és az SWLS közötti korrelációt ( $r_p = 0,369$ ). A GSRS összpontszám közepes negatív Pearson-korrelációt mutatott az EQ-5D-5L indexszel ( $r_p = -0,458$ ) és az EQ VAS-szal ( $r_p = -0,416$ ), míg az ICECAP-A indexszel csak gyenge kapcsolat volt kimutatható ( $r_p = -0,284$ ).

## 5. Következtetések

Az értekezés három kutatása új tudományos eredményeket biztosított a cöliákiás betegek életminőség- és jóllétméréséhez.

A hasznosság és fizetési hajlandóság vizsgálat nemzetközi szinten is elsőként közölt betegek által meghatározott TTO-alapú hasznosságértékeket cöliákiában, VAS- és WTP adatokkal együtt. Az elégtelen diéta betartás és a diétahibák jelentős életminőség-csökkenéssel járt, míg a szigorú diéta követése javította az eredményeket, de nem szüntette meg teljesen a betegség terhét. Az alacsonyabb jövedelem, a súlyosabb gyomor-bélrendszeri tünetek, a társbetegségek és az idősebb diagnóziskori életkor kedvezőtlenebb egészségértékeléssel és/vagy magasabb fizetési hajlandósággal társultak. A közvetlenül mért hasznosságok alkalmasak QALY-alapú gazdasági elemzésekhez, és 10 év alatt akár 1,3–2,4 QALY-vesztést jeleznek nem megfelelő diéta esetén. A magas WTP-arány (69–88%) jelentős betegigényt mutat új terápiák iránt.

Az EQ-5D-5L bolt-on kutatás igazolta, hogy az öt kiegészítő dimenzió csökkenti a jelentős plafonhatást és növeli az eszköz informativitását. A gyomor-bélrendszeri tünetek bolt-on mutatta a legerősebb pszichometriai teljesítményt: erős konvergens validitást jelzett a GSRS-sel, javította a csoportok közötti megkülönböztetést, és önálló faktort alkotott, ami arra utal, hogy a generikus EQ-5D-5L nem ragadja meg teljes mértékben a tüneti terhelést. Az étkezés, az alvás és a fáradtság dimenziók különösen a pszichoszociális és életmódbeli következményeket tükrözték, míg a mentális képességek hozzáadott értéke korlátozott volt ebben a populációban.

Az ICECAP-A kutatás elsőként validálta a képességszemléleten alapú jóllét mérőeszközt cöliákiában, és kimutatta, hogy a

kérdőív jó pszichometriai tulajdonságokkal rendelkezik, plafonhatás nélkül. Az ICECAP-A erősebben korrelált az SWLS-el, míg az EQ-5D-5L inkább a tüneti és klinikai különbségekre volt érzékeny. Az eredmények azt jelzik, hogy a két eszköz eltérő, de egymást kiegészítő konstruktumokat mér: az EQ-5D-5L elsősorban az egészséghez kötődő életminőséget, az ICECAP-A pedig a tágabb képességjólétet.

Összességében a dolgozat hozzájárul a cöliákia-specifikus, érzékenyebb kimenetmérési módszerek fejlesztéséhez, és olyan hasznossági, valamint fizetési hajlandósági adatokat biztosít, amelyek közvetlenül felhasználhatók egészség-gazdaságtani értékelésekben, finanszírozási döntésekben és szakpolitikai tervezésben.

## 6. Saját publikációk jegyzéke

ΣIF: 9,7

### A disszertációhoz kapcsolódó saját publikációk:

1. Angyal MM, Lakatos PL, Jenei B, Brodszky V, Rencz F: Health utilities and willingness to pay in adult patients with coeliac disease in Hungary. *QUALITY OF LIFE RESEARCH* 32: 9 pp. 2503-2516., 14 p. (2023) **IF: 3.3 (Q1)**
2. Angyal MM, Janssen MF, Lakatos PL, Brodszky V, Rencz F: The added value of the cognition, dining, gastrointestinal problems, sleep and tiredness bolt-on dimensions to the EQ-5D-5L in patients with coeliac disease. *EUROPEAN JOURNAL OF HEALTH ECONOMICS* 26: 3 pp. 473-485., 13 p. (2025) **IF: 3.0 (D1)**
3. Angyal MM, Pangestu S, Lakatos PL, Brodszky V, Rencz F: Psychometric testing of the ICECAP-A in patients with coeliac disease: a comparative analysis with EQ-5D-5L. *HEALTH AND QUALITY OF LIFE OUTCOMES* 23: 1 Paper: 112, 11 p. (2025). **IF: 3.4 (Q1)**