

Projekt azonosító száma: 2019-2.1.7-ERA-NET-2022-00055

Projekt címe: „Epidermolysis Bullosa társadalmi-gazdasági terheinek változásai Európában”

KUTATÁSI JELENTÉS

**Epidermolysis bullosa társadalmi és gazdasági terheinek változása
Európában - BUR-EB nemzetközi kutatási projekt (2022-2025)**

Projekt ismertetés

Prof. Dr. Péntek Márta

2025. október 26.



ÓBUDAI EGYETEM
ÓBUDA UNIVERSITY



NEMZETI KUTATÁSI, FEJLESZTÉSI
ÉS INNOVÁCIÓS HIVATAL

AZ NKFI ALAPBÓL
MEGVALÓSULÓ
PROJEKT

EPIDERMOLYSIS BULLOSA TÁRSADALMI-GAZDASÁGI TERHEINEK VÁLTOZÁSAI EURÓPÁBAN -

BUR-EB NEMZETKÖZI KUTATÁSI PROJEKT (2022-2025)

MAGYARORSZÁGI RÉSZTVEVŐ

Egészségügyi Közgazdaságtan Kutatóközpont (HECON), Egyetemi Kutató és Innovációs Központ, Óbudai Egyetem

Kutatásvezető: Prof. Dr. Péntek Márta, az MTA doktora

Kutatók:

Prof. Dr. Gulácsi László az MTA doktora, Dr. Zrubka Zsombor PhD, Dr. Hölgyesi Áron PhD

TÁMOGATÓ

European Union's Horizon 2020 research and innovation programme under the EJP RD COFUND-EJP N° 825575

Nemzeti Kutatási, Fejlesztési és Innovációs Hivatal (2019-2.1.7-ERA-NET-2022-00055)

PROJEKT HONLAP

Részletes információk a projektről a <https://www.bur-cb.com/> honlapon érhetők el.

HÁTTÉR

Az egészségprobléma

Az Epidermolysis Bullosa (EB) egy ritka genetikai bőrbetegség, amely nem gyógyítható, és amely hatalmas társadalmi és gazdasági terhet ró a betegekre és családjaikra. A betegséget sérülékeny bőr jellemzi, amely hólyagok kialakulásához és repedésekhez vezet, és a betegek gyakran fájdalmat éreznek. A kezelés elsődleges célja a sebgyógyulás elősegítése, a beteg számára kényelem biztosítása, valamint a fájdalom és az újbóli sérülések megelőzése. A betegségnek több típusa és súlyossági foka létezik, de összességében az EB egész életen át tartó fogyatékossgot okozhat, amely folyamatos orvosi ellátást igényel.

Orvostechnikai eszközök, biomérnöki fejlesztések szerepe

Az orvostechnikai eszközök jelentősen hozzájárulnak az EB kezeléséhez, és ezáltal a betegek egészségével összefüggő életminőségéhez és várható élettartamához. A biomérnöki tudomány (multidiszciplináris csapatmunkában, amelyekben biomérnökök, biomateriális mérnökök és

klinikusok dolgoznak együtt) a nem/nehezen gyógyuló sebek kezelésére szolgáló bőrpótló anyagok (kötések) fejlesztésére összpontosít.

Betegségteher tanulmányok, a BURQOL-RD kutatási program

A ritka betegségekkel összefüggő betegségteherről, és különösen az epidermolysis bullosa (EB) betegek, családtagjaik és a társadalom számára jelentett terhekről kevés tanulmány készült. Körülbelül egy évtizeddel ezelőtt (2010–2013) az úgynevezett BURQOL-RD projekt Európai Unió-s finanszírozással vizsgálta a betegségtehereket Bulgáriában, Magyarországon, Franciaországban, Németországban, Olaszországban, Spanyolországban, Svédországban és az Egyesült Királyságban. A BURQOL-RD projekt fő célja az epidermolysis bullosa (EB), mucopolysaccharidosis (MPS), Duchenne-féle izomsorvadás (DMD), hemofília, cisztás fibrózis, fragilis X szindróma, hisztiocitózis, fiatalkori idiopátiás ízületi gyulladás (JIA), Prader-Willi szindróma, szkleroderma, valamint gondozóik egészségügyi életminőségét, és társadalmi szempontból számszerűsíteni a betegségekkel kapcsolatos költségeket.

Prevalencia, hosszútávú gondozás és gazdasági elköteleződés

Az egyre hatékonyabb egészségügyi technológiák, gyógyszerek, eszközök és egyéb technológiai fejlesztések eredményeként a különböző ritka betegségekben szenvedő betegek várható élettartama folyamatosan és jelentősen növekszik, ezáltal a ritka betegségek előfordulási gyakorisága (prevalenciája) is növekszik. A betegek hosszabb várható élettartama hosszú távú egészségügyi szolgáltatások iránti igényt és növekvő gazdasági kötelezettségvállalást jelent. A BUR-EB projekt kiindulási hipotézise, hogy a ritka betegségek előfordulása, társadalmi terhe és népegészségügyi jelentősége nő. Nagyobb figyelemre és több innovációra van szükség, a betegségek kezelésének költségei és költséghatékonyasága változik, és az egészségügyi politika és finanszírozási helyzet is változhat.

A KUTATÁS CÉLJAI

Az Európai Unió Horizon 2020 programja és az NKFI alap (Magyarország) által finanszírozott nemzetközi kutatási projekt (BUR-EB) célja az EB társadalmi-gazdasági terheinek vizsgálata 7 uniós országban (Spanyolország, Franciaország, Németország, Olaszország, Magyarország, Ausztria és Bulgária), és az eredmények összehasonlítása a 10 évvel ezelőtt egy korábbi nemzetközi projekt (BURQOL-RD) keretében gyűjtött adatokkal.

Az EB mindennapi életre gyakorolt hatásával kapcsolatos adatokat az érintett személyektől és gondozóiktól gyűjtjük össze anonimizált felmérés útján, klinikusokkal és betegszervezetekkel (DEBRA) együttműködve. A betegséggel összefüggő gazdasági teher felmérése az egészségügyi ellátás és az informális gondozás költségeit, a családok pénzügyi terheit és az összes érintett személy munka-termelékenységének csökkenését veszi figyelembe. Az életminőséget és a családi terheket is mérjük. Emellett az érintettekkel közösen készítünk térképet a betegutakról és szükségleteikről. Ezen igények alapján tájékoztató anyagokat dolgozunk ki, amelyek segítenek a betegeknek és családtagjaiknak abban, hogy jobban megbirkózzanak a betegséggel.

A HECON csoport (Óbudai Egyetem) vezeti a projektben az adatelemzést és a betegséggel összefüggő költségek értékelését a 7 országban, és részt vesz mindegyik munkacsomagban, melyeket egészségügyi közgazdaságtani szempontokkal erősít.

VÁRHATÓ EREDMÉNYEK ÉS HATÁS

A BUR-EB lehetőséget ad annak megfigyelésére, hogy az EB társadalmi és gazdasági hatása hogyan változott az elmúlt évtizedben, és hogy ezek a változások hogyan hozhatók összefüggésbe az ebben az időszakban végrehajtott egészségügyi és szociális politikákkal. A projekt olyan eszközöket fog biztosítani, amelyek felhasználhatók az új terápiás lehetőségek klinikai vizsgálataiban. A BUR-EB mögött egy nemzetközileg elismert bőrgyógyász szakorvosokból, egészségügyi közgazdászokból, kvalitatív kutatási szakértőkből, biostatistikusokból és betegszervezetek képviselőiből álló multidiszciplináris csoport áll.

PROJEKT MEGHOSSZABBÍTÁSA

A nemzetközi kutatási projekt meghosszabbításra került 2025. december 31-ig.

Indoklás:

A BUR-EB nemzetközi kutatási projektben jelentős késéssel indult meg a kvantitatív vizsgálathoz a betegtoborzás és az adatgyűjtés. Ennek hátterében a mi munkacsoportunkon (HECON, Óbudai Egyetem) kívüli okok állnak. A résztvevő országok között többnél is az etikai kérelem megszerzése több időt vett igénybe a tervezettnél. Továbbá, a tervezettnél időigényesebb volt a kérdőív felprogramozása (a konzorciumvezetők végezték) és véglegesítése, késedelemmel lettek kész a különböző nyelvi verziójú online kérdőívek.

Mindezek eredőjeként a kvantitatív kérdőíves vizsgálatban az adatgyűjtés (betegfelmérés) a tervezett 2023. szeptemberi indulás helyett csak 2024. májusban kezdődött el egységesen az összes résztvevő országban és 2024. decemberben fejeződött be.

Munkacsoportunk (HECON, Óbudai Egyetem) vezeti a BUR-EB kutatási programban a 4. munkacsomagot. A munkacsomag magába foglalja a fentebb nevesített kvantitatív kérdőíves felmérésből beérkező adatok és adatbázis tisztítását, az adatok elemzését, a betegséggel összefüggő terhek és költségek kiszámolását, az eredmények szintézisét a konzorcium résztvevő országaira számára. Az előkészületi munkákat megtettük (egységköltségek kialakítása a résztvevő 7 ország számára, adatfeldolgozási terv), folyamatosan monitorozzuk a beérkező adatokat. Azonban a tényleges adattisztítást és elemzéseket csak az adatgyűjtés lezárása után tudjuk elkezdni.

A konzorciumvezető és a résztvevő országok hosszabbítási kérelemmel fordultak támogatójukhoz. Mivel a munkánk, az adatelemzés kulcsszerepet játszik a teljes kutatási program fő céljainak megvalósításában, a betegadatok elemzésében és a végső riport elkészítésében, célszerűnek látszik alkalmazkodnunk a konzorcium országainak hosszabbítási kérelmeihez. Ha hamarabb kilépünk, mint a többi partnerország, nem tudnánk részt venni a felmerülő új kérdések megválaszolásában, a végső kutatási beszámoló („final report”) elkészítésében és véglegesítésében, a záró szakmai konferencián (2025. október 7.) és rövid idő állna rendelkezésre az eredményeink disszeminációjára.

A hosszabbítás nem veszélyezteti a projekt megvalósítását, az eredeti vállalások továbbra is teljesülni fognak és nem merülnek fel többletköltségek.

Az NKFIH engedélyezte a projekt meghosszabbítását 2025. december 31-ig.

EDDIGI EREDMÉNYEK

BUR-EB: Changes in the socio-economic burden of Epidermolysis Bullosa in Europe:

Helyzetelemzés

Letölthető (angol nyelven):

<https://drive.google.com/file/d/1Xf5uCI0pxWQkLUkGBgEU9nxWbmMV7AAI/view>

Keresztmetszeti kérdőíves vizsgálat:

Az adatgyűjtés 2024 decemberben zárult.

Felnőtt betegszámok országonként:

Ausztria	Bulgária	Franciaország	Németország	Magyarország	Olaszország	Spanyolország
N = 27	N = 16	N = 74	N = 34	N = 9	N = 27	N = 20

Gyermekek betegszámok országonként:

Ausztria	Bulgária	Franciaország	Németország	Magyarország	Olaszország	Spanyolország
N = 19 ¹	N = 15 ¹	N = 36 ¹	N = 24 ¹	N = 13 ¹	N = 20 ¹	N = 15 ¹

Felnőtt EB betegek informális gondozói

Ausztria	Bulgária	Franciaország	Németország	Magyarország	Olaszország	Spanyolország
N = 11	N = 6	N = 8	N = 8	N = 3	N = 15	N = 9

Ezúton is szeretnénk köszönetet mondani Dr. Medvecz Márta docensasszonynak (SE, Bőr-, Nemi kórtani- és Bőronkológiai Klinika) a magyarországi adatgyűjtésben végzett kiváló munkájáért, valamint a pácienseknek és hozzátartozóiknak a kérdőívek kitöltéséért.

Adatfeldolgozás

Az adatok tisztítása megtörtént, a költség-adatbázis véglegesítésre került, az elemzés folyamatban vannak.

Elkészült az egységköltség adatbázis a résztvevő országokra. Ezek összekapcsolása a gyűjtött adatokkal és publikációk írása részben megtörtént, részben folyamatban van.

Publikációk

Közlemények:

Arias-Merino, G., Benito-Lozano, J., Linertová, R., Verónica Alonso-Ferreira on behalf of the BUR-EB Study Group. Health-related quality-of-life evaluation in epidermolysis bullosa: a scoping review protocol. Syst Rev 14, 159 (2025). <https://doi.org/10.1186/s13643-025-02918-9>

Arias-Merino G, Benito-Lozano J, Gómez-Martínez M, Villaverde-Hueso A, Linertová R, Alonso-Ferreira V, BUR-EB Study Group. British Journal of Dermatology, Volume 193, Issue 5, November 2025, Pages 856–864, <https://doi.org/10.1093/bjd/ljaf274>

El Hachem M, Diociaiuti A, Zambruno G, Samela T, Ferretti F, Carnevale C, Linertová R, Bodemer C, Murrell DF, Abeni D. “Quality of Life in Epidermolysis Bullosa” and “Epidermolysis Bullosa Burden of Disease”: Italian translation, cultural adaptation, and pilot testing of two disease-specific questionnaires. Ital J Pediatr. 2024 Apr 19.

Linertová R, Péntek M, Rodríguez-Díaz B, Bodemer Ch, Hübl V, El Hachem M, Salamon G, Alonso-Ferreira V, Stefanov G, Jain R, Ramallo-Fariña Y, García-Pérez L, BUR-EB Study Group. Health-related quality of life in adults with epidermolysis bullosa: a cross-sectional study in seven European countries using EQ-5D-5L. (Submitted to Orphanet Journal of Rare Diseases on the September 29, 2025)

Folyamatban levő publikációk:

- Cost-of-illness of EB in seven European countries – The European Journal of Health Economics, original article (HECON vezeti)
- Quality of life in EB, results with the EQ-5D-5L questionnaire (HECON és a spanyol munkacsoport)
- Magyar nyelvű QOLEB kérdőív validálása (HECON az osztrák munkacsoporttal)
- Magyar nyelvű EB-BOD kérdőív validálása (HECON az osztrák munkacsoporttal és a konzorciummal együttműködésben)
- Out-of-pocket expenses (spanyol munkacsoport vezetésével, HECON partnerként dolgozik)

Konferencia absztraktok:

- ISPOR Europe 2025 (<https://www.ispor.org/conferences-education/conferences/upcoming-conferences/ispor-europe-2025>)

A 2025. november 9-12 között Glasgow-ban (Skócia) megrendezésre kerülő ISPOR Europe 2025 konferenciára (The International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research - ISPOR) három absztraktot nyújtottunk be, melyek elfogadásra kerültek:

- Áron Hölgyesi, Renata Linertová, Lidia García-Pérez, László Gulácsi, Zsombor Zrubka, Márta Péntek and the BUR-EB Study Group. Resource Utilization Among Patients with Epidermolysis Bullosa: Preliminary Findings from Seven European Countries
- Márta Péntek, Márta Medvecz, László Gulácsi, Zsombor Zrubka, Renata Linertová, Áron Hölgyesi and the BUR-EB Study Group. Health-related Quality of Life of Patients with

Epidermolysis Bullosa in Hungary: Results with the EQ-5D-5L and EQ-5D-Y-3L Preference-based Measurement Tools

- Renata Linertova, Christine Bodemer, May El Hachem, Cristina Has, Gudrun Salamon, Márta Péntek, Georgi Iskrov, Olivia Mullins, Verónica Alonso-Ferreira, Benjamin Rodriguez-Díaz, Aránzazu Hernández Yumar, Lidia Garcia-Perez and the BUR-EB Study Group. Out of pocket expenditure of families affected by epidermolysis bullosa in Europe.

Az elfogadott absztraktok a Value in Health folyóiratban jelennek meg.

Konferenciák, rendezvények

- Óbudai Egyetemen 2025. június 6-án mini-konferenciát tartottunk, melyen bemutattuk és megvitattuk a BUR-EB eddigi eredményeit. A rendezvényen a HECON munkatársain kívül részt vett Renata Linertova konzorciumvezető, Dr. Medvecz Márta (docens, Semmelweis Egyetem Bőr-, Nemikórtani és Bőronkológiai Klinika) a program hazai bőrgyógyász szakértője és Dr. Pogány Gábor a Ritka és Veleszületett Rendellenességgel élők Országos Szövetsége (RIROSZ) képviselőjében.
- A mini-konferencia előadói és felkért hozzászólói, 2025.06.26, Óbudai Egyetem



Felső sor, balról jobbra: Prof. Dr. Gulácsi László (HECON), Dr Medvecz Márta PhD (Semmelweis Egyetem), Prof. Dr. Péntek Márta (HECON), Renata Linertova (Spanyolország), Dr. Hölgyesi Áron PhD (HECON)

Alsó sor: Dr. Pogány Gábor PhD (RIROSZ), Dr Zrubka Zsombor PhD (HECON)

ZÁRÓKONFERENCIA

A zárókonferencia ideje és helye:

2025. október 7., Spanyolország (Santa-Cruz de Tenerife; Fundación Canaria Instituto de Investigación Sanitaria de Canarias, FIISC).

<https://www.bur-eb.com/2025/10/14/final-conference-of-the-european-project-bur-eb-in-santa-cruz-de-tenerife/>

„Az epidermolysis bullosa társadalmi-gazdasági terheinek változásai Európában” (BUR-EB) európai projekt zárókonferenciáját 2025. október 7-én tartották Santa Cruz de Tenerife-ben, az összes projektpartner és betegszervezet, a DEBRA International és a nemzeti DEBRA-k képviselőinek részvételével. A HECON (Óbudai Egyetem) képviseletében Dr. Hölgyesi Áron vett részt a rendezvényen.

A találkozó a projekt két céljához kapcsolódó eredményekre összpontosított:

- 1) az EB társadalmi-gazdasági költségeinek és az életminőségre gyakorolt hatásának értékelése egy online felmérés segítségével, amely hét európai országban érintett személyek és gondozók számára készült, valamint
- 2) egy kvalitatív tanulmány, amely az oktatási anyagok és a betegek útitervének kidolgozására összpontosított, a betegszervezetekkel együttműködésben.

A nemzetközi és nemzeti DEBRA szervezetek terjesztési tevékenységének köszönhetően a felmérés magas részvételi arányt ért el, 349 kitöltött kérdőívvel (207 felnőtt és 142 gyermek), ami a mai napig a legnagyobb EB-re vonatkozó adathalmaz.

Dr. Hölgyesi Áron (HECON, ÓE) előadásában ismertette az alkalmazott költségszámítás módszereit és eredményeit. A közvetlen és közvetett egészségügyi költségek elemzése kimutatta, hogy a gondozók által nyújtott ellátás jelentette a legnagyobb költségtényezőt, amely a teljes költségek mintegy 60%-át tette ki. Bár az európai országok között eltérések voltak, a költségek magasabbak voltak a gyermekek és a súlyos EB-típusok esetében. A költségek nagy részét a nemzeti egészségügyi ellátórendszerek fedezték, de egyes kiadásokat továbbra is az érintett személyek és családjaik fizettek, ami jelentős pénzügyi terhet jelentett számukra.



Hölgyesi Áron előadása a BUR-EB zárókonferencián.

A betegek egészséggel összefüggő életminőségének, valamint gondozóik életminőségének különböző általános és betegségsspecifikus eszközökkel történő értékelése megerősítette, hogy az EB jelentős terhet jelent a betegek és családjaik számára, és ezek a terhek összefüggést mutatnak a betegség súlyosságával. Ugyanakkor az eredmények rámutattak arra, hogy a kevésbé súlyos EB-típusú egyéneknél is jelentős érzelmi és pszichoszociális hatások jelentkeznek. Fontos megjegyezni, hogy a BUR-EB projekt lehetővé tette egy EB-specifikus kérdőív négy további európai nyelvre történő lefordítását és validálását, amely hasznos eszköz lesz a betegek által jelentett eredmények mérésére a jövőbeli klinikai vizsgálatokban.

A kvalitatív tanulmányt szoros együttműködésben végezték a betegszervezetekkel, EB-ben szenvedő egyénekkal és gondozóikkal. Tizennégy oktatási anyagot állítottak össze, amelyek:

- i) hasznos és hozzáférhető eszközöket tartalmaznak, amelyek segítenek az érintett egyéneknek és családtagjaiknak az EB sokrétű kihívásaival megbirkózni, és
- ii) informatív és közérthető eszközöket tartalmaznak a betegségről szóló ismeretek terjesztésére a társadalmi elszigetelődés megelőzése érdekében.

Ezzel párhuzamosan három betegút-térképet is kidolgoztak, amelyek bemutatják a betegek és gondozók specifikus tapasztalatait és kihívásait a betegség lefolyása során.

A záró megbeszélés a projekt eredményeinek és az oktatási anyagok terjesztési stratégiájára összpontosított, amelyben a betegszervezetek kulcsszerepet fognak játszani.



Hölgyesi Áron szakmai látogatása Health Research Institute-ban (SESC/FIISC)

2025. október 8-án a SESCO/FIISC vendégül látta Hölgyesi Áront, az Óbudai Egyetem (Budapest, Magyarország) Egészségügyi Közgazdaságtan Kutatóközpontjának (HECON) tagját.

Látogatása során Dr. Hölgyesi tudományos előadást tartott, amelyben bemutatta a HECON fő kutatási irányait, amelyek az egészségügyi gazdasági értékelésre és a betegségek életminőségre gyakorolt hatásának mérésére összpontosítanak.

Megosztotta a BUR-EB betegségteher kutatások betegségköltség eredményeit. Előadását élénk szakmai megbeszélés követte az alkalmazott módszerekről és a megállapítások egészségpolitikára és a ritka betegségek kezelésére gyakorolt potenciális hatásairól Európában.

<https://www.bur-eb.com/2025/10/16/scientific-visit-of-researcher-aron-holgyesi-hecon-budapest/>



A látogatásról összefoglalót közölt a SESCS a honlapján, valamint a BUR-EB honlapon is beszámoltak róla.

SESCC honlap:

The screenshot shows the SESCS website with the following content:

- Navigation Bar:** HOME, ABOUT SESCS, PROJECTS, REPORTS, CPG/OEBP, SCIENTIFIC PRODUCTION, NETWORKS, NEWS AND COMMUNICATIONS, CONTACT.
- Main Article:**

SESCC researchers' conclusions: system pacing using electro-anatomical mapping-guided system vs. fluoroscopy: a systematic review, meta-analysis and economic evaluation

Beatriz León-Salas, Diego Infante-Ventura, Aránzazu Hernández-Yumar, Renata Linertová, Estefanía Herrera-Ramos, Alejandra Torres-Castaño, Himar González-Pacheco, Analía Abt-Sacks, Javier García-García, Raúl Quirós-López, ...

3 DAYS AGO
- Other Reports Section:**
 - NEWS:**

New Version of the Clinical Practice Guideline on Autism Spectrum Disorder in Primary Care

The Andalusian Agency for Health Technology Assessment (AETSA) has updated the Clinical Practice Guideline for the care of Autism Spectrum ...
 - OTHER REPORTS:**

Scientific visit of researcher Áron Hölgyesi (HECON, Budapest)

On October 8, SESCS/FIISC welcomed researcher Áron Hölgyesi, member of the Health Economics Research Center (HECON) at Óbuda University (Budapest, Hungary). ...

15 OCTOBER, 2025, 11:33 AM
- CONNECT WITH SESCS:** Social media icons for Twitter, Facebook, LinkedIn, and YouTube.
- LINKS OF INTEREST:**

EVALUATION AND PLANNING SERVICE

BUR-EB honlap:



On October 8, SESCO/FIISC welcomed researcher Áron Hölgyesi, member of the Health Economics Research Center (HECON) at Óbuda University (Budapest, Hungary).

During his visit, Dr. Hölgyesi gave a scientific talk presenting the main research lines of his center, focused on health economic evaluation and the measurement of disease impact on quality of life.

He also shared the results of the cost study on Epidermolysis Bullosa (#EB) conducted within the framework of the European BUR-EB project, coordinated by researcher Renata Linertová (SESCO/FIISC). His presentation sparked discussion on the applied methodologies and the implications of the findings for health policies and rare disease management in Europe.

Következő konferencia:

Magyar Tudomány Ünnepe, Óbudai Egyetem, 2025 november.