

ZIEKTEKOSTSTUDIE VAN EPIDERMOLYSIS BULLOSA

COST-OF-ILLNESS STUDIE VAN EPIDERMOLYSIS BULLOSA

Aantal woorden: 6559

Stefanie Mot

Stamnummer: 02214604

Promotor: dr. Ruben Willems

Masterproef voorgelegd voor het behalen van de graad van Master of science in het Management en het
Beleid van de Gezondheidszorg

Academiejaar: 2023 - 2024

ZIEKTEKOSTSTUDIE VAN EPIDERMOLYSIS BULLOSA

COST-OF-ILLNESS STUDIE VAN EPIDERMOLYSIS BULLOSA

Aantal woorden: 6559

Stefanie Mot

Stamnummer: 02214604

Promotor: dr. Ruben Willems

Masterproef voorgelegd voor het behalen van de graad van Master in het Management en het Beleid van de Gezondheidszorg

Academiejaar: 2023 - 2024



UNIVERSITEIT
GENT

© Copyright

Inhoudsopgave

WOORD VOORAF	I
ABSTRACT	II
SAMENVATTING	IV
POPULARISERENDE SAMENVATTING	VI
INLEIDING	1
LITERATUURSTUDIE	3
1. EPIDERMOLYSIS BULLOSA	3
1.1. <i>De huid</i>	4
1.2. <i>De verschillende vormen van EB</i>	4
1.3. <i>Symptomen</i>	5
1.4. <i>Behandeling</i>	6
2. KOSTEN VOOR EB-PATIËNTEN	7
THEORETISCH KADER	9
METHODE	11
GOEDKEURING VAN DE ETHISCHE COMMISSIE	11
DESIGN EN SETTING	11
STEEKPROEF	11
DATAVERZAMELING	12
DATA-ANALYSE	12
RESULTATEN	16
KARAKTERISTIEKEN PATIËNTENPOPULATIE	16
KOSTEN PER CATEGORIE	18
REGRESSIEMODELLEN	20
PARAMETRISCHE EN NIET-PARAMETRISCHE TEST	21
DISCUSSIE	22
RESULTATEN	22

ONDERZOEK	23
PRAKTISCHE (BELEIDS)IMPLICATIES.....	25
CONCLUSIE.....	27
LITERATUURLIJST	28
BIJLAGEN.....	33
BIJLAGE 1: METHODE LITERATUURSTUDIE	33
BIJLAGE 2: ZOEKSTRINGS.....	35
BIJLAGE 3: STAPSGEWIJZE SELECTIE AAN DE HAND VAN PRISMA FLOW DIAGRAM	36
BIJLAGE 4: EVIDENTIETABEL	37
BIJLAGE 5: TUSSENKOMSTEN VOOR EB-PATIËNTEN	42
BIJLAGE 6: GOEDKEURING COMMISSIE VOOR MEDISCHE ETHIEK UZ GENT	45
BIJLAGE 7: INFORMED CONSENT FORM	51
BIJLAGE 8: AANSCHRIJVING VIA MAIL.....	55
BIJLAGE 9: VRAGENLIJST.....	56
BIJLAGE 10: VISUALISATIES (SPREIDING) VAN DATA	77
BIJLAGE 11: VISUALISATIE TABEL GEMIDDELTE KOST PER KOSTENCATEGORIE.....	90
BIJLAGE 12: REGRESSIEMODEL (GLIM).....	91
BIJLAGE 13: OUTPUT ANOVA	93
BIJLAGE 14: OUTPUT KRUSKALL-WALLIS	97

Tabel 1: kostencategorie, type kost (directe medische kost, directe niet-medische kost en indirecte niet-medische kost) en detail.....	8
Tabel 2: karakteristieken van participanten	17
Tabel 3: gemiddelde kost, 80% betrouwbaarheidsinterval en mediaan per kostencategorie	19
Tabel 4: GLiM medische kosten.....	20
Tabel 5: p -waarden bij one-way ANOVA en Kruskal-Wallis voor afhankelijke en onafhankelijke variabelen	21
Tabel 6: in- en exclusiecriteria literatuurstudie.....	34
Tabel 7: evidentietabel van geïnccludeerde artikels.....	37
Tabel 8: type tussenkomst met weergave op welk niveau en detail van de tussenkomst.....	42
Tabel 9: GLiM eigen aandeel patiënt	91
Tabel 10: GLiM tegemoetkoming	91
Tabel 11: GLiM niet-medische kosten	92
Tabel 12: totale medische kosten vs leeftijdsklasse ANOVA	93
Tabel 13: totale medische kosten vs geslacht ANOVA	93
Tabel 14: totale medische kosten vs soort EB ANOVA	93
Tabel 15: totaal eigen aandeel vs leeftijdscategorie ANOVA	94
Tabel 16: totaal eigen aandeel vs geslacht ANOVA.....	94
Tabel 17: totaal eigen aandeel vs soort EB ANOVA	94
Tabel 18: tegemoetkoming vs leeftijdscategorie ANOVA	95
Tabel 19: tegemoetkoming vs geslacht ANOVA.....	95
Tabel 20: tegemoetkoming vs soort EB ANOVA	95
Tabel 21: niet-medische kosten vs leeftijdscategorie ANOVA.....	96
Tabel 22: niet-medische kosten vs geslacht ANOVA	96
Tabel 23: niet medische kosten vs soort EB ANOVA	96
Tabel 24: totale medische kosten vs leeftijdscategorie Kruskal-Wallis.....	97
Tabel 25: totale medische kosten vs geslacht Kruskal-Wallis.....	97
Tabel 26: totale medische kosten vs soort EB Kruskal-Wallis	97
Tabel 27: eigen aandeel vs leeftijdscategorie Kruskal-Wallis	98
Tabel 28: eigen aandeel vs geslacht Kruskal-Wallis.....	98
Tabel 29: eigen aandeel vs soort EB Kruskal-Wallis	98
Tabel 30: tegemoetkoming vs leeftijdscategorie Kruskal-Wallis	99
Tabel 31: tegemoetkoming vs geslacht Kruskal-Wallis.....	99
Tabel 32: tegemoetkoming vs soort EB Kruskal-Wallis	99

Tabel 33: niet-medische kosten vs leeftijdscategorie Kruskal-Wallis.....	100
Tabel 34: niet-medische kosten vs geslacht Kruskal-Wallis	100
Tabel 35: niet-medische kosten vs soort EB Kruskal-Wallis	100

Figuur 1: boxplot van de totale kost (= eigen aandeel + tegemoetkoming) op jaarbasis voor raadpleging in het EB-centrum. Met weergave van gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro). 77

Figuur 2: boxplot van de totale kost (= eigen aandeel + tegemoetkoming) op jaarbasis voor raadpleging bij een arts/specialist. Met weergave van gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens, outlier en gegevenslabels (in euro). 78

Figuur 3: boxplot van de totale kost (= eigen aandeel + tegemoetkoming) op jaarbasis voor consultatie bij een paramedici. Met weergave van outlier, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro). 78

Figuur 4: boxplot van de totale kost (= eigen aandeel + tegemoetkoming) op jaarbasis voor een thuisverpleegkundige. Met weergave van outlier, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro). 79

Figuur 5: boxplot van de totale kost (= eigen aandeel + tegemoetkoming) op jaarbasis voor een ziekenhuisopname. Met weergave van outlier, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro). 79

Figuur 6: boxplot van de totale kost = eigen aandeel op jaarbasis voor aankoop van medicatie. Met weergave van outlier, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro). 80

Figuur 7: boxplot van de totale kost = eigen aandeel op jaarbasis voor aankoop van crèmes, zalven en lotions. Met weergave van gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro). 80

Figuur 8: boxplot van de totale kost = eigen aandeel op jaarbasis voor aankoop van ontsmettingsmiddelen. Met weergave van outlier, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro). 81

Figuur 9: boxplot van de totale kost = eigen aandeel op jaarbasis voor aankoop van windels. Met weergave van outliers, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro). 81

Figuur 10: boxplot van de totale kost = eigen aandeel op jaarbasis voor aankoop van (wond)verbanden. Met weergave van outlier, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro). 82

Figuur 11: boxplot van de totale kost = eigen aandeel op jaarbasis voor aankoop van andere medische producten. Met weergave van gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro). 82

Figuur 12: visualisatie kost per kostencategorie 90

WOORD VOORAF

Na jaren van toewijding en inzet is het moment aangebroken om mijn masterproef voor de Master of Science in het management en het beleid van de gezondheidszorg aan de Universiteit Gent te presenteren. Het was een reis gevuld met uitdagingen en ontdekkingen die mijn academische en persoonlijke groei hebben gevormd.

Ik wil graag mijn diepe waardering uitspreken voor de onschatbare steun van mijn ouders, mijn echtgenoot, vrienden en collega's gedurende deze intensieve periode. Dankzij hun onvoorwaardelijke steun en begrip heb ik de kracht kunnen vinden om door te zetten, zelfs op de meest veeleisende momenten.

Daarnaast ben ik mijn promotor, Dr. Ruben Willems, zeer erkentelijk. Zijn deskundige begeleiding en waardevolle inzichten hebben een cruciale rol gespeeld bij het vormgeven van deze masterproef. Het is zijn toewijding aan mijn academische ontwikkeling die de drijvende kracht is geweest achter het succes van dit onderzoek.

Een speciale dank gaat uit naar Ingrid Jageneau van patiëntenorganisatie Debra Belgium voor haar waardevolle bijdrage. Haar input, hulp en bereidwilligheid om de vragenlijst te verspreiden, hebben een onschatbare bijdrage geleverd aan de diepte en relevantie van mijn onderzoek. Hierbij wens ik ook de participanten te bedanken die tijd vrij maakten om de vragenlijst in te vullen. Hun antwoorden waren van uiterst belang voor het onderzoek.

Deze masterproef is het resultaat van de gezamenlijke inspanningen, begeleiding en ondersteuning van velen. Dit werk zou een bijdrage kunnen leveren aan het domein van management en beleid in de gezondheidszorg en voor alle EB- patiënten in België. Dit document zal met trots en dankbaarheid aan de academische gemeenschap worden gepresenteerd.

Stefanie Mot

31 mei 2024

ABSTRACT

Background

Epidermolysis bullosa (EB) is a rare, genetic condition that leads to extreme skin fragility and blistering. The severity varies, and patients often require intensive care. This study quantifies the financial burden (medical and non-medical costs) of EB patients and their families in Belgium.

Objective

The aim is to provide insight into the total costs of EB, both direct (medical and non-medical costs) and indirect (loss of productivity). The study also formulates policy recommendations to alleviate the financial burden.

Method

This exploratory statistical and cross-sectional cost-of-illness study employs a quantitative approach via a standardized online questionnaire. The questionnaire was distributed among EB patients in Flanders and Wallonia through Debra Belgium and the EB center of UZ Leuven. The sample included EB patients of all ages and types. Data were collected over a period of one year. For data analysis, Excel and SPSS were used, applying methods such as GLIM, one-way ANOVA, and Kruskal-Wallis tests.

Results

The average annual medical costs per patient are 9 044,51 euro, while non-medical costs are 13 120,25 euro per year. These costs include wound care, medication, and specialized care. The costs vary depending on the severity of the disease and demographic factors. The financial impact on patients and their families is significant, often resulting in high out-of-pocket expenses.

Discussion

While the study provides valuable insights, there are limitations such as the small sample size and self-reporting. Future research should use larger samples and improved data collection methods to obtain a more comprehensive understanding of the impact of EB.

Practical Policy Implications

- Financial support and administrative simplification: easy reimbursements and a third-party payer system.
- Inclusive policy: integration of EB patients into broader health policy agendas for rare diseases and disabilities.
- Need for information and support: more manpower to guide patients through administrative complexities.
- Support for caregivers: psychosocial support and leave arrangements.
- Research funding: increased funding for research into effective treatments and a cure for EB.

Samenvatting

Achtergrond

Epidermolysis bullosa (EB) is een zeldzame, erfelijke aandoening die leidt tot extreme huidfragiliteit en blaarvorming. De ernst varieert, en patiënten hebben vaak intensieve zorg nodig. Deze studie kwantificeert de financiële lasten (medische en niet-medische kosten) van EB-patiënten en hun families in België.

Doelstelling

Het doel is inzicht te geven in de totale kosten van EB, zowel direct (medische en niet-medische kosten) als indirect (verlies van productiviteit). De studie formuleert ook beleidsaanbevelingen om de financiële lasten te verlichten.

Methode

Deze exploratief-statistische en cross-sectionele ziektekoststudie maakt gebruik van een kwantitatieve benadering via een gestandaardiseerde online vragenlijst. De vragenlijst werd verspreid onder EB-patiënten in Vlaanderen en Wallonië via Debra Belgium en het EB-centrum van UZ Leuven. De steekproef omvatte EB-patiënten van alle leeftijden en types. Data werd verzameld over een periode van één jaar. Voor de data-analyse werden Excel en SPSS gebruikt, met methoden zoals Glim, one-way ANOVA en Kruskal-Wallis-tests.

Resultaten

De gemiddelde jaarlijkse medische kosten per patiënt bedragen 9 044,51 euro, terwijl de niet-medische kosten 13 120,25 euro per jaar zijn. Deze kosten omvatten wondverzorging, medicatie en gespecialiseerde zorg. De kosten variëren afhankelijk van de ernst van de ziekte en demografische factoren. De financiële impact op patiënten en hun families is aanzienlijk, vaak resulterend in hoge eigen bijdragen.

Discussie

Hoewel de studie waardevolle inzichten biedt, zijn er beperkingen zoals de kleine steekproefgrootte en zelfrapportage. Toekomstig onderzoek moet grotere steekproeven en verbeterde methoden voor gegevensverzameling gebruiken om een completer beeld te krijgen van de impact van EB.

Praktische beleidsimplicaties

- Financiële ondersteuning en administratieve vereenvoudiging: eenvoudige terugbetalingen en een derdebetaler-regeling.
- Inclusief beleid: integratie van EB-patiënten in bredere gezondheidsbeleidsagenda's voor zeldzame ziekten en handicaps.
- Nood aan informatie en ondersteuning: meer mankracht om patiënten te begeleiden in administratie.
- Ondersteuning voor mantelzorgers: psychosociale ondersteuning en verlofregelingen.
- Onderzoeksfondsen: verhoogde financiering voor onderzoek naar effectieve behandelingen en genezing van EB.

POPULARISERENDE SAMENVATTING

EB is een zeldzame erfelijke aandoening die de huid en slijmvliezen aantast, gekenmerkt door extreme gevoeligheid voor blaarvorming, zelfs bij het minste contact. Dit leidt tot het poëtische label "vlinderkindjes" voor jonge patiënten, verwijzend naar de delicate aard van hun huid. Met een incidentie van slechts zes gevallen per jaar in België en ongeveer vijfhonderdduizend getroffen individuen wereldwijd, is EB een zeldzame aandoening, waarvoor momenteel geen afdoende behandeling bestaat.

Deze masterproef onderzoekt de totale kosten van de behandeling van EB, een terrein dat in België nog grotendeels onbekend is. Door een ziektekoststudie uit te voeren, beoogt het onderzoek niet alleen de financiële last voor patiënten in kaart te brengen, maar ook de factoren die deze kosten beïnvloeden. Dit is cruciaal omdat onwetendheid over de kosten een vertekend beeld geeft van de levenskwaliteit. Een correcte begeleiding van patiënten vereist minstens dat we een realistisch beeld hebben van de kosten.

De studie, op vraag van Debra Belgium, belicht niet alleen de financiële impact van EB, maar benadrukt ook het belang van passende terugbetaling en beleidsmaatregelen. EB vraagt een multidisciplinaire benadering en intensieve dagelijkse verzorging, wat resulteert in aanzienlijke directe medische kosten, zoals verbanden en ziekenhuisopnames. Daarnaast zijn er directe niet-medische kosten, zoals aanpassingen aan leefomgevingen, en indirecte kosten, zoals inkomensverlies door verminderde werkcapaciteit.

Uit de studie blijkt dat de totale jaarlijkse medische kosten per patiënt hoog zijn met een gemiddelde jaarlijkse medische kost van 9 044,51 euro en een gemiddelde niet-medische kost van 13 120,25 euro. Een groot deel van de kosten komt op de schouders van de patiënten terecht. Dit onderstreept de nood aan een ruimere terugbetaling via het RIZIV.

Naast de strikt financiële ondersteuning is er ook nood aan een inclusief beleid voor zeldzame ziekten en ondersteuning voor mantelzorgers. Door gerichte conventies voor EB-patiënten te implementeren, kan het RIZIV een actievere rol spelen in het verbeteren van de toegang tot betaalbare zorg. Dit onderzoek draagt bij aan een beter begrip van de totale kosten van EB en benadrukt het belang van financiële ondersteuning voor EB-patiënten en hun families.

INLEIDING

Vanwege de neiging tot blaarvorming bij minimaal contact, wordt EB soms poëtisch beschreven als een huid *zo teer als vlindervleugels*, wat leidt tot de term 'vlinderkindjes' voor jonge patiënten. EB is een zeldzame erfelijke aandoening van de huid en slijmvliezen en vormt een complexe uitdaging voor degenen die ermee leven. De aandoening kent een incidentie van slechts zes gevallen per jaar in België (één op tweëntwintigduizend geboorten). Wereldwijd treft ze ongeveer vijfhonderdduizend individuen, zowel mannen als vrouwen (*Wat Is EB ?* | *Debra Belgium* Vzw, z.d.).

De ernstige vormen van EB zijn nog zeldzamer en brengen niet alleen fysiek ongemak met zich mee, maar creëren ook de nood aan intensieve en vaak pijnlijke verzorging (*Wat Is EB ?* | *Debra Belgium* Vzw, z.d.).

Momenteel is er geen afdoende behandeling voorhanden. Het beheer is slechts gericht op het voorkomen van infecties en complicaties. Het dagelijkse ritueel van openprikken van nieuwe blaren, gevolgd door zorgvuldige reiniging en het aanbrengen van zalven en verband, kan uren in beslag nemen. Sommige patiënten rapporteren overigens niet alleen blaarvorming, maar ook vergroeiingen van handen en voeten, evenals een verhoogd risico op tumoren. De aanpak van EB vereist dan ook een multidisciplinaire benadering, inclusief psychosociale begeleiding voor zowel de patiënt (vaak kinderen) als de familie (*Verzorging* | *Debra Belgium* Vzw, z.d.).

De intensieve zorg die EB vereist, brengt vaak hoge kosten met zich mee. Deze masterproef heeft tot doel de totale kosten van de behandeling van EB te onderzoeken, een terrein dat in België nog onontgonnen is. Door een ziektekoststudie uit te voeren, willen we niet alleen de volledige financiële last voor patiënten in kaart brengen, maar ook de factoren identificeren die deze kosten beïnvloeden. Deze informatie kan niet alleen dienen als basis voor toekomstige vergelijkende analyses met nieuwe behandelingen, maar ook als basis voor het evalueren van terugbetaling en beleidsmaatregelen.

Het onderwerp van deze ziektekoststudie werd vooropgesteld door Debra Belgium vzw. Wereldwijd zijn er meer dan vijftig andere Debra organisaties waaronder in Nederland en het Verenigd Koninkrijk. Hun missie is o.a. patiënten met EB informeren. (*Onze Vereniging* | *Debra Belgium* Vzw, z.d.) (*Home* | *DEBRA International*, z.d.). Het onderwerp werd gemotiveerd door de beperkte kennis over EB, gezien het om een zeldzame aandoening gaat, bij uitstek wat de kosten betreft in België.

Terwijl verschillende landen (Frankrijk, Ierland, Spanje, Oostenrijk, Verenigd Koninkrijk, etc.) al eerder ziektekostenstudies hebben uitgevoerd werd dit in België nog niet gedaan.

Franse patiënten rapporteren een gemiddelde directe kost van 8 097 euro en indirecte kost van 6 834 euro, in Duitsland gaat het om een directe kost van 11 474 euro en indirecte kost van 34 642 euro, in Italië 13 122 euro directe kost en 36 111 euro indirecte kost en in Spanje 5 166 euro directe kost en 37 971 euro indirecte kosten (*Life With EB in Ireland*, 2023) (Angelis et al., 2016) (Angelis et al., 2015).

België staat uiteraard voor unieke uitdagingen, waaronder de complexiteit van tussenkomst via het Bijzonder Solidariteitsfonds (BSF) enerzijds en de regeling actieve verbanden gelinkt aan de maximumfactuur (MAF) anderzijds die niet altijd adequaat blijken voor alle patiënten (*Kosten en Tegemoetkomingen | Debra Belgium Vzw*, z.d.). Hier zou het Rijksinstituut voor Ziekte- en Invaliditeitsverzekering (RIZIV) een meer actieve rol kunnen spelen door gerichte conventies voor EB-patiënten te implementeren.

Deze ziektekoststudie beoogt de financiële impact van EB weer te geven en de cruciale rol van passende terugbetaling aan te tonen. Deze masterproef wil een bijdrage leveren aan een beter begrip van de totale kosten van EB en benadrukt het belang van financiële ondersteuning.

De literatuurstudie geeft een analyse van de stand van zaken met betrekking tot de onderzoeksvragen. Hiervoor werd o.a. gebruik gemaakt van studies die gevonden werden in online databanken en online. De methode en bijhorende zoekstrings kunnen teruggevonden worden in bijlage 1.

1. Epidermolysis bullosa

De term 'epidermolysis bullosa' is afgeleid van de Griekse woorden voor "loslaten" (lysis) van de bovenste laag van de huid (epidermis) en "blaar" (bullosa) (*Epidermolysis Bullosa* | UMCG, z.d.).

EB omvat een diverse groep van zeldzame erfelijke huidziekten die gekenmerkt worden door een chronische, aangeboren afwijking in de huideiwitten (*Wat Is EB ?* | *Debra Belgium Vzw*, z.d.). De overerving van EB kan plaatsvinden via autosomaal dominante of recessieve patronen (Tabolli et al., 2010). In België wordt de incidentie van EB geschat op ongeveer 0,38 gevallen per miljoen inwoners (Moren et al., 2005). Andere bronnen schatten dat EB zich voordoet bij zes geboorten per jaar in België (één op 22.000) (*Wat Is EB ?* | *Debra Belgium Vzw*, z.d.). In Europa wordt gemiddeld één à twee per 100.000 inwoners getroffen door EB. (Angelis et al., 2015).

De aandoening veroorzaakt bij de geringste wrijving of aanraking blaarvorming op de huid, maar kan zich ook manifesteren op slijmvliezen zoals in de mond, keel, luchtwegen, longen, nagels, ogen, tanden en het spijsverteringsstelsel (De Jonge et al., 2005) (Wodinsky, 1984) (Wolff & Johnson, 2005) (Jonkman et al., 2003). Deze blaren kunnen ontsteken op de huid, terwijl ze in de mond, keel en spijsvertering problemen veroorzaken met voedselinname en in de luchtwegen en longen ademhalingsproblemen kunnen veroorzaken (Greenwood et al., 2000).

De oorzaak van EB ligt in aangeboren defecten in de vorming van verschillende huideiwitten, waardoor de hechting tussen huidlagen verstoord raakt en blaren en open wonden ontstaan (*Wat Is EB ?* | *Debra Belgium Vzw*, z.d.). Het belang van preventie en behandeling van infecties, pijn, jeuk en ondervoeding bij EB-patiënten kan niet overschat worden.

1.1. De huid

De huid is een veelzijdig orgaan dat verschillende cruciale functies vervult: ze fungeert als een beschermende barrière die het lichaam afschermt tegen schadelijke invloeden, voorkomt dat essentiële lichaamsvloeistoffen verloren gaan, absorbeert schokken, reguleert de lichaamstemperatuur en faciliteert de opname van vitamine D (Hunter et al., 1995b). De huid bestaat uit drie hoofdlagen: de opperhuid (epidermis) en de lederhuid (dermis), die samen de eigenlijke huid vormen, en de onderhuid (subcutis) (Hunter et al., 1995b) (Fokke, 1966).

1.2. De verschillende vormen van EB

In essentie is EB een fout in de vorming van essentiële huideiwitten. Dit resulteert in een verstoring van de hechting tussen de verschillende huidlagen, wat leidt tot de vorming van blaren. Afhankelijk van het niveau in de huidlagen waar deze fout optreedt, worden vier hoofdtypen EB onderscheiden (Tabolli et al., 2010). Die kunnen verder worden onderverdeeld in verschillende subtypes op basis van aanvullende klinische bevindingen en laboratoriumonderzoek (huidbiopten en DNA-onderzoek) (Tabolli et al., 2010).

De ernst van EB kan variëren, gaand van een milde vorm, waarbij alleen lokale blaarvorming optreedt en de levensverwachting niet significant wordt beïnvloed, tot een ernstige vorm met aanzienlijke invaliditeit en mogelijk zelfs vroegtijdig overlijden als gevolg (Tabolli et al., 2010) (Jonkman et al., 2003). De ernst van de aandoening kan dus sterk variëren, afhankelijk van het specifieke type EB (*Wat Is EB ? | Debra Belgium Vzw, z.d.*).

De (sub)typen EB omvatten:

- EB simplex (EBS): blaren bevinden zich voornamelijk in de epidermis.
 - EBS localised. De betrokken genen zijn KRT5 en KRT14. Het overervingspatroon is dominant en recessief.
 - EBS generalised intermediate. De betrokken genen zijn KRT5 en KRT14. Het overervingspatroon is dominant en recessief.
 - EBS generalised severe. De betrokken genen zijn KRT5 en KRT14. Het overervingspatroon is dominant en recessief.
- Junctionele EB (JEB): blaarvorming treedt op net onder de epidermis ter hoogte van de lamina lucida.
 - JEB generalised intermediate. De betrokken genen zijn LAMA3, LAMB3, LAMC2 en COL17A1. Het overervingspatroon is recessief.

- JEB generalised severe. De betrokken genen zijn LAMA3, LAMB3 en LAMC2. Het overervingspatroon is recessief. Dit is de meest ernstige vorm, kinderen overlijden enkele maanden na de geboorte.
- Dystrofische EB (DEB): blaarvorming vindt plaats op het niveau van de hechting tussen de epidermis en de onderliggende dermis.
 - Dominante DEB (DDEB) generalised. Het betrokken gen is COL7A1. Het overervingspatroon is dominant.
 - Recessieve DEB (RDEB) generalised intermediate. Het betrokken gen is COL7A1. Het overervingspatroon is recessief.
 - Recessieve DEB (RDEB) generalised severe. Het betrokken gen is COL7A1. Het overervingspatroon is recessief.
- Kindlersyndroom: veroorzaakt door een fout in een eiwit dat de hechting van cellen in de epidermis regelt (*Wat Is EB ? | Debra Belgium Vzw, z.d.*) (*Epidermolysis Bullosa | UMCG, z.d.*).

Deze lijst is niet exhaustief maar capteert de vaakst voorkomende vormen, waarop ook de vragenlijst werd gebaseerd.

1.3. Symptomen

Blaarvorming, wonden en daaropvolgende infecties, pijn en jeuk, vormen de kernsymptomen van EB. Bovendien kunnen letsels aan de mond en slokdarm optreden wanneer de slijmvliezen zijn aangetast, wat leidt tot problemen bij het slikken en verteren van voedsel. In de luchtwegen en longen kunnen blaren ademhalingsproblemen veroorzaken.

Daarnaast worden vaak oogproblemen waargenomen bij EB-patiënten, en kunnen chronische wonden op lange termijn het risico op agressieve huidkanker vergroten. Eerder zeldzame symptomen van EB omvatten het ontbreken van nagels en hoofdhaar, gebitsproblemen, obstipatie en vergroeiingen van vingers en tenen (*Wat Is EB ? | Debra Belgium Vzw, z.d.*) (Beeckmans, 2004) (Greenwood et al., 2000).

1.4. Behandeling

1.4.1. Huidige behandeling

Op dit moment bestaat er voor geen enkel subtype een behandeling die EB kan genezen (*Verzorging | Debra Belgium Vzw, z.d.*). De huidige behandelingsopties zijn voornamelijk gericht op het beheersen van symptomen en het minimaliseren van complicaties. Naast een aantal preventieve maatregelen, omvat de huidige behandeling voor elk type EB in hoofdzaak lokale wondverzorging (*Verzorging | Debra Belgium Vzw, z.d.*). De intensiteit en duur van deze verzorging variëren afhankelijk van het type EB.

Het essentiële belang van wondverzorging ligt in het voorkomen van nieuwe blaarvorming, infecties, pijn en jeuk. Deze lokale behandeling omvat doorgaans het doorprikken van nieuwe blaren om vocht te verwijderen, gevolgd door desinfectie en het aanbrengen van een verzorgende zalf. Daarna wordt de wond bedekt met een beschermend, niet-klevend verband en indien nodig een secundair verband (*Verzorging | Debra Belgium Vzw, z.d.*). Verschillende soorten verbanden en windels, zoals Mepilex en Mepitel, worden gebruikt voor deze behandeling (zie 2. Kosten voor EB-patiënten) (Kirkorian et al., 2013).

Bij ernstige vormen van EB vraagt de aandoening levenslang intensieve dagelijkse verzorging. Dat kan een aanzienlijke tijdsinvestering van patiënten en hun verzorgers vergen. Dagelijkse verzorging neemt al gauw twee tot vier uur in beslag, wat een organisatorische en een extra financiële barrière opwerpt (zie 2. Kosten voor EB-patiënten).

In een poging om alles overzichtelijk en werkbaar te houden voor de patiënten biedt het EB-centrum van het UZ-Leuven hen dan ook met een behandelplan voor thuis aan. Het plan biedt een leidraad voor de dagdagelijkse verzorging, met daarin medicatie, te gebruiken zalven, cremes en lotions, ontsmettingsmiddelen, windels (fixatieverbanden), (wond)verbanden en andere medische producten zoals vitamine-supplementen, voedingssupplementen, badproducten, naalden, schaatjes etc. (*EB-centrum | Debra Belgium Vzw, z.d.*).

1.4.2. Zoektocht naar betere diagnose en behandeling

Verschillende onderzoekslijnen spitsen zicht toe op de zoektocht naar nieuwe behandelingen van EB (*Kosten en Tegemoetkomingen | Debra Belgium Vzw, z.d.*). Debra International heeft enkele onderzoeksprioriteiten vastgesteld, waaronder het verkrijgen van een dieper inzicht in de biologie en genetica van alle EB-types. Dergelijke onderzoeken hebben het potentieel om nieuwe benaderingen te onthullen voor zowel de diagnose als de behandeling van EB. Dit kan leiden tot de ontwikkeling van innovatieve therapieën, zoals gen-, cel-, geneesmiddel- en

proteïne therapie. Bovendien kan verbeterd inzicht in de wondgenezing, de ontwikkeling van huidkanker bij EB en de zoektocht naar verbeterde behandelingen en preventiestrategieën een positieve impact hebben op de aandoening. Daarnaast is er onderzoek gaande naar klinische zorg om de symptomen van EB te verlichten (*Inleiding* | *Debra Belgium Vzw*, z.d.). Ondanks intensieve onderzoeksinspanningen, zijn er tot op heden geen effectieve behandelingen gevonden voor EB. Een opmerkelijke studie naar allogene stamceltransplantatie bij zeven EB-patiënten heeft aangetoond dat een transplantatie weliswaar kan resulteren in verbeterde wondgenezing en verminderde blaarvorming na de transplantatie. Echter, twee patiënten zijn overleden als gevolg van de transplantatie (Kirkorian et al., 2013).

Daarnaast bestaat ook de gentherapie Vyjuvek. Die werd al veilig bevonden en erkend in de Verenigde Staten van Amerika, maar het is wellicht de duurste behandeling ooit. De levenslange behandeling zou al gauw vijftien à twintig miljoen US dollar kosten (Ault, 2024).

2. Kosten voor EB-patiënten

Om de totale kostprijs voor de behandeling van EB in kaart te brengen werd in de literatuur gezocht naar kosten voor EB-patiënten. Deze ziektekoststudie capteert zowel directe medische kosten zoals verbanden, zalven, windels, etc. als directe en indirecte niet-medische kosten. Voor een opsplitsing en meer uitleg over de soorten kosten wordt verwezen naar het theoretisch kader. In tabel 1 werden de kostencategorieën onderverdeeld per type kost en een detail ervan (*Verzorging* | *Debra Belgium Vzw*, z.d.) (*Kosten en Tegemoetkomingen* | *Debra Belgium Vzw*, z.d.) (Beeckmans, 2004) (*Inleiding* | *Debra Belgium Vzw*, z.d.) (Sampogna et al., 2012) (Siongers, 2007) (*Life With EB in Ireland*, 2023).

Om de kosten die EB-patiënten maken te compenseren hebben zij gelukkig ook recht op bepaalde tussenkomsten. Wat betreft uitkeringen, vergoedingen, tegemoetkomingen en terugbetalingen is België echter een ingewikkeld land. De regeling voor personen met een handicap of ziekte overspant namelijk verschillende bestuurlijke niveaus. Sommige tegemoetkomingen zijn federala materie (bv. ziekteverzekering en kinderbijslag). Andere vallen onder de bevoegdheid van de gemeenschappen, provincies of gemeentes. Een overzicht van deze tussenkomsten kan teruggevonden worden in bijlage 5.

Tabel 1: kostencategorie, type kost (directe medische kost, directe niet-medische kost en indirecte niet-medische kost) en detail

Kostcategorie	Type kost	Detail	
Multidisciplinaire aanpak	Directe medische kosten	Psycholoog, handspalken (preventief en na handchirurgie) en tandprothese, EB-centrum Leuven, thuiszorgverpleegkundigen, dermatoloog, plastisch chirurg, revalidatiearts, pediater,...	
Doktersbezoeken	Directe medische kosten	Pediater, huisarts, dermatoloog, oogarts, tandarts...,	
Paramedische zorgen	Directe medische kosten	Kinesist, psycholoog,...	
Professionele thuisverpleging of thuiszorg	Directe medische kosten	Dagelijkse wondzorg of hulp bij het huishouden	
Ziekenhuisopname en heelkundige ingrepen	Directe medische kosten	Tandheelkunde, handchirurgie, plaatsen maagsonde, slokdarmdilatatatie,...	
Verplaatsingskosten	Directe niet-medische kosten	Verbruik wagen, parkeerkosten, openbaar vervoer,...	
Verzorging	Directe medische kosten	Wondverzorging, mondverzorging, oogverzorging, medicatie, zalven, crèmes, pasta's, wondverbanden, fixatieverbanden, windels, badproducten, ontsmettingsproducten, steriele naalden of mesjes, antieukmiddelen, pijnstillers, antibiotica, medicatie ter bescherming van het slijmvlies van slokdarm en maag, voedingssupplementen, sondevoeding,...	Bij de ernstige vormen kan de verzorging een tijdrovende bezigheid zijn, die zeer belastend is voor de patiënt en de verzorger (2 tot 4 uur per dag)
Kleding, schoenen en beddengoed	Directe niet-medische kosten	Extra aangepaste kleding die niet schuurt, en extra beddengoed (wordt sneller vuil door wondvocht en zalven). Ook hebben ze vaak orthopedisch of aanpast schoeisel en inlegzolen.	
Hulpmiddelen	Directe niet-medische kosten	Rolstoel, buggy, anti decubitus matras, airco, aangepaste wagen of badkamer	
Fysieke- en tijdsinvestering	Indirecte niet-medische kosten	Kinderen met EB hun ouders moeten een enorme fysieke en tijdsinvestering doen, zij kunnen vaak niet of maar deeltijds gaan werken. Ook EB-patiënten zelf kunnen vaak niet of nauwelijks gaan werken (beperking in arbeidsuitoefening) = productiviteitsverlies	

THEORETISCH KADER

Er zijn verschillende soorten *studies* over (de kost van) een ziekte. We onderscheiden:

Prevalentie- en incidentie studies: deze studies bepalen hoe vaak EB voorkomt in een bepaalde populatie (prevalentie) en hoe vaak nieuwe gevallen van EB zich voordoen binnen een bepaalde tijdsperiode (incidentie). Deze cijfers zijn essentieel voor het begrijpen van de totale last van de ziekte (Fine et al., 2014).

Kosten van zorg studies: deze studies analyseren de directe medische kosten bij het behandelen van EB. Ze geven een beeld van de kost van ziekenhuisopnames, medicatie, behandelingen, doktersbezoeken, enzovoort. Hierop zal de focus liggen tijdens deze masterproef (Pope et al., 2012).

Kosten van niet-medische zorg studies: hierbij ligt de focus niet zozeer op de strikt medische kosten maar op alle niet-medische kosten die verband houden met EB, zoals reiskosten voor behandeling, verloren productiviteit van de patiënt of de verzorger en aanpassingen aan de leefomgeving. Ook deze kosten werden gecapteerd in voorliggend onderzoek (Singh et al., 2023).

Kosten van productiviteitsverlies studies: deze studies onderzoeken het verlies aan productiviteit als gevolg van EB, zowel voor de patiënt zelf als voor hun verzorgers of familieleden die mogelijk inkomen mislopen door voor hen te zorgen. Deze kosten werden ook gecapteerd in voorliggend onderzoek (Annemans, 2008).

Vervolgens zijn er ook verschillende soorten *kosten*:

Directe medische kosten: deze kosten houden direct verband met de medische behandeling van EB, zoals ziekenhuisopnames, medicatie, chirurgische ingrepen en doktersbezoeken. Dit zijn zowel kosten waarvoor terugbetaling voorzien is, als out-of-pocket kosten die patiënten zelf dienen te betalen.

Directe niet-medische kosten: deze kosten omvatten uitgaven die niet direct gerelateerd zijn aan medische behandelingen, maar toch voortkomen uit de ziekte, zoals reiskosten voor behandeling of aanpassingen aan de leefomgeving.

Indirecte niet-medische kosten: dit zijn kosten die voortkomen uit verloren productiviteit als gevolg van EB, zoals verloren inkomen voor patiënten die niet kunnen werken vanwege hun ziekte, of verloren inkomen voor verzorgers/ouders die hun professionele activiteiten moeten terugschroeven om voor de patiënt te zorgen, maar ook specifieke noden qua vervoer, opvang of school.

De directe medische, directe niet-medische en indirecte niet-medische kosten werden opgenomen in deze masterproef.

Daarnaast zijn er ook indirecte medische kosten en intangible kosten die vanwege het beperkte tijds kader van een masterproef onderzoek niet werden meegenomen (Willems, 2020) (Drummond et al., 2005b) (Annemans, 2018).

Hoeveel kost de huidige behandeling van EB? Om deze globale onderzoeksvraag te beantwoorden, hanteren we binnen deze studie verschillende subvragen die elk voor zich verwijzen naar de verschillende kostensoorten.

Onderzoeksvragen, gebaseerd op eerdere buitenlandse cost-of-illness studies (zie inleiding en bijlage 1):

- Wat zijn de directe medische kosten?
- Hoeveel bedragen de directe medische kosten?
- Wat zijn de directe niet-medische kosten?
- Hoeveel bedragen de directe niet-medische kosten?
- Wat zijn de indirecte niet-medische kosten?
- Hoeveel bedragen de indirecte niet-medische kosten?

Methode

Goedkeuring van de ethische commissie

De Commissie voor medische ethiek van het UZ Gent verleende op 16-01-2024 haar volledige goedkeuring voor dit onderzoek (zie bijlage 6). Aan de participanten werd een Informed Consent Form (ICF) meegestuurd met alle nodige informatie over het onderzoek en de rechten als deelnemer. Alle participanten gaven hun voorafgaande toestemming door dit aan te duiden in Qualtrics of gaven geschreven geïnformeerde toestemming. Het ICF kan worden geraadpleegd in bijlage 7. De gegevens van de participanten waren via de enquête volledig anoniem en werden aldus ook anoniem verwerkt en bewaard.

Design en setting

Deze studie behelst exploratief-statistisch onderzoek en cross-sectioneel onderzoek. Het is een cost-of-illness studie waarbij EB-gerelateerde medische en niet-medische kosten worden gecapteerd. We hanteren een kwantitatieve benadering, via een gestandaardiseerde (online) vragenlijst. Voor de enquête werden (gesloten) vragen opgesteld om zo gestandaardiseerd mogelijke antwoorden te krijgen. Er werd een lijst opgemaakt met verschillende types kosten die EB met zich meebrengt. Deze werden geïdentificeerd uit de literatuurstudie. De vragenlijst werd gereviseerd en verdeeld onder de EB-patiënten (of hun familie) in Vlaanderen en Wallonië via patiëntenorganisatie Debra Belgium. Daarnaast stond het EB-centrum van het UZ Leuven mee in voor de verdeling van de vragenlijst. De enquête werd verstuurd op vijf maart en beëindigd op vijf april.

Steekproef

De participanten voor het onderzoek waren EB-patiënten (of hun familie) met verschillende types EB. Alle leeftijden werden geïnccludeerd. Naar schatting zijn er in België honderachtenwintig EB-patiënten. Gegevens van de aangesloten leden van Debra Belgium leren dat twintig van de Belgische EB-patiënten tussen 0 en 12 jaar zijn, twaalf EB-patiënten tussen 12 en 18 jaar, zevenzestig patiënten tussen 18 en 65 jaar en zestien EB-patiënten zouden ouder dan 65 jaar zijn.

De enquête werd opgesteld in het Nederlands en nadien vertaald naar het Frans. Deze werd via e-mail (zie bijlage 8) en per post verstuurd via patiëntenorganisatie Debra Belgium en het EB-centrum van UZ Leuven. Er volgden meerdere herinneringsmails, ook via de EB-nieuwsbrief en de sociale media van Debra Belgium.

Dataverzameling

De data werd verzameld aan de hand van een enquête, opgesteld in Qualtrics en op papier. De patiënten of hun familie dienden deze vragenlijst zelf in te vullen (self-reporting). Allereerst werden socio-demografische vragen en vragen over de ziekte gesteld. Daarna werd dieper ingegaan op de kostencategorieën, zowel medische als niet-medische kosten. Aansluitend werd gepolst naar de verloren productiviteit ten gevolge van EB. Tot slot kon de participant indien gewenst zelf iets toevoegen. De vragen werden gesteld over een retrospectieve periode van één jaar voor de vragenlijst werd ingevuld. De vragenlijst is opgesteld in samenspraak met Debra Belgium en kan teruggevonden worden in bijlage 9.

Ingrid Jageneau van Debra Belgium, een sociaal assistente van UZ Leuven en een persoonlijke vriendin hebben de enquête via Qualtrics getest (pilot).

Data-analyse

Voor het bepalen van de eenheidskosten van consultatie in het EB-centrum, bij arts/specialisten, paramedici en thuisverpleegkundige werden nomenclatuurcodes via het RIZIV opgezocht, waarbij telkens de eenheidskost werd weergegeven, samen met de tegemoetkoming en het remgeld dat in de algemene ziekteverzekering zit (*NomenSoft - RIZIV*, z.d.). Op basis van het ingevulde aantal consultaties of raadplegingen werd de kostprijs hiervan berekend per patiënt.

Voor ziekenhuisopnames werden de kosten opgezocht op basis van APR-DRG (*TCT*, z.d.). Er werd gevraagd naar de reden en de duur van opname. Om te berekenen wat de tegemoetkoming is en wat het remgeld, werd gebruik gemaakt van de regel dat 75% van de kosten terugbetaald word door de mutualiteit (*Ziekenhuisopname*, 2024).

Voor alle medicatie, crèmes, lotions, windels, etc., werd de prijs opgezocht via BCFI of via Farmad (apotheksoftware) (*BCFI*, z.d.). Er werd gevraagd naar het aantal verpakkingen die per jaar verbruikt werden. Op basis hiervan kon de kostprijs berekend worden per patiënt. De meeste wondzorg incl. medicatie wordt niet terugbetaald via de gewone verplichte ziekteverzekering (tenzij op voorschrift). Voor verzorgingsmateriaal is er wel een mogelijke terugbetaling voorzien via het BSF van het RIZIV en actieve verbanden via de verplichte ziekteverzekering gelinkt aan de MAF maar dit werd niet bevraagd in de vragenlijst gezien de complexiteit. Patiënten zijn zelf niet altijd op de hoogte op welke terugbetaling(en) ze recht hebben tenzij ze gevolgd worden in UZ Leuven of aangesloten zijn bij Debra Belgium. Zelfs als ze er recht op hebben, vragen ze het niet altijd aan gezien de complexiteit. Er werd daarom aangenomen dat er geen terugbetaling is.

Niet alle vragen werden even goed of even duidelijk beantwoord door de patiënten of hun familie. Om deze missing data bij gezondheidszorggebruik alsnog te kunnen invullen werd het rekenkundig gemiddelde genomen in de veronderstelling dat de data missing at random zijn.

Vervolgens werden er totalen berekend voor tegemoetkoming, eigen aandeel en totale kost voor volgende medische kosten categorieën:

- raadpleging in het EB-centrum;
- raadpleging bij arts/specialist;
- raadpleging bij paramedici;
- thuisverpleegkundige voor wondzorg;
- ziekenhuisopname;
- medicatie;
- crèmes, zalven en lotions;
- ontsmettingsmiddelen;
- windels (fixatieverband);
- (wond)verband;
- andere medische producten;
- andere medische kosten.

Daarnaast werden de totale niet-medische kosten berekend. Deze werden onderverdeeld in volgende categorieën:

- verplaatsingskosten (berekend o.a. via kilometervergoeding);
- niet-medische kosten;
- hulpmiddelen;
- extra kosten;
- afwezigheid op het werk;
- niet tewerkgesteld.

De laatste twee categorieën werden berekend voor de EB-patiënt of ouder van een EB-patiënt maar ook voor een eventuele partner of tweede ouder aanwezig is binnen het gezin die mogelijks productiviteitsverlies hebben ten gevolge van EB. Tevens werden de laatste twee categorieën berekend op basis van een productiviteitsverlies per eenheidskost van 532 euro per dag ongeacht sociodemografische karakteristieken, leeftijd of geslacht (Verlinden & Vander Sijpe, 2019) (Willems et al., 2023).

Alle kosten werden berekend voor één jaar en weergegeven in euro gebaseerd op waarden in 2024.

Voor de data-analyse werd gebruik gemaakt van softwarepakketten Excel en SPSS (versie 29.0.2.0). Een p -waarde van $\leq 0,20$ werd beschouwd als statistisch significant.

Achttien EB-patiënten is weinig om statistisch significante verschillen te kunnen bemerken, de onderzoekspopulatie biedt geen afspiegeling van de verdeling in de populatie. Hierbij dient tevens opgemerkt te worden dat er een verschil in ernst van ziekte is tussen de vier soorten van EB waarbij er een verschil is in behandeling en dus ook in de ziektekost.

Om deze enorme verschillen te duiden en te visualiseren werd er van elke kostencategorie een boxplot gemaakt. Daarnaast werden er ook boxplots gemaakt om tegemoetkoming, eigen aandeel en totale kost te vergelijken betreffende medische kosten op jaarbasis, net zoals een boxplot voor de totale niet-medische kost en totale kost EB. Voor de totale kost van EB werden ook boxplots gemaakt om de drie onafhankelijke variabele te bekijken: soort EBT, geslacht en leeftijdscategorie. Deze werden opgesplitst in boxplots die de vier afhankelijke variabelen (tegemoetkoming, eigen aandeel, totale medische kost, totale niet-medische kost) weergaven. De medische kost werd gevisualiseerd in twee figuren. Een taartdiagram betreft medische kosten waarvoor patiënten een tegemoetkoming ontvangen en een volgend diagram medische kosten waarvoor ze geen tegemoetkoming ontvangen. Deze visualisaties zijn terug te vinden in bijlage 10.

Allereerst werden descriptieve analyses uitgevoerd. Hierbij werden karakteristieken van de patiëntenpopulatie bepaald. Categorische variabelen werden weergegeven als frequentie en percentage. Continue variabelen (vb. leeftijd) werden weergegeven als gemiddelde met standaarddeviatie, mediaan en interkwartielafstand. Vervolgens werd er gekeken naar de kostencategorieën waarbij het gemiddelde werd berekend per categorie, 80% bias-corrected en accelerated betrouwbaarheidsinterval met bootstrapping met duizend iteraties.

Er werd een Generalized linear model (Glm) (regressiemodel) met log-link function en gamma distributie toegepast om te onderzoeken wat de potentiële voorspellers zijn van de vier afhankelijke variabele: totale medische kost, eigen aandeel kost van patiënten, tegemoetkoming en totale niet-medische kost. Drie covarianten/onafhankelijke variabelen werden geïnccludeerd in vier aparte modellen: leeftijdscategorie, geslacht en soort EB. Deze werden gekozen omdat het algemeen waarschijnlijk is dat zij verband houden met het gebruik van gezondheidszorg en de daarmee samenhangende kosten. Binnen dit statistisch analysemodel werden mannen als referentiecategorie opgenomen, net als EB-patiënten tussen 0-12 jaar omdat patiënten met een ernstige vorm van EB vaak niet oud worden.

Daarnaast werd DEB tevens als referentiecategorie weerhouden omdat dit de ernstigste vorm is die bij de deelnemers voorkwam.

Gezien het beperkt aantal respondenten (achttien) konden er weinig statistische tests uitgevoerd worden, aangezien er geen normale verdeling in de populatie was. Om dit aan te geven, werden enkele boxplots gemaakt. Aan de hand van de resultaten werd nagegaan welke determinanten bepalend zijn voor de variatie in kosten: leeftijd (-scategorie), verschillende vormen van EB en geslacht. Hierbij werd gekeken naar eventuele significante verschillen, waarvoor een one-way ANOVA en Kruskal-Wallis-test werden uitgevoerd.

De keuze voor de one-way ANOVA en de Kruskal-Wallis-test werd gemaakt op basis van de aard van onze gegevens. Aangezien de kosten van EB mogelijk niet normaal verdeeld zijn, was een niet-parametrische test zoals de Kruskal-Wallis-test geschikter voor het detecteren van verschillen tussen groepen. De one-way ANOVA werd gebruikt als aanvulling om eventuele verschillen te bevestigen en te verfijnen, en omdat het een krachtige tool is voor het vergelijken van groepen als aan de vereisten van normaliteit en homogeniteit van variantie wordt voldaan.

Resultaten

Karakteristieken patiëntenpopulatie

In totaal hebben drieëntwintig deelnemers de enquête ingevuld via Qualtrics. Vijf enquêtes werden echter onvolledig ingediend, één enquête werd geëxcludeerd omdat de persoon aangaf niet gediagnosticeerd te zijn met EB. Er werd één vragenlijst manueel ingevuld, deze werd handmatig toegevoegd aan de resultaten uit Qualtrics. In totaal werden achttien bruikbare antwoorden verkregen.

Karakteristieken van de achttien EB-patiënten die de enquête hebben ingevuld, kunnen teruggevonden worden in tabel 2. De meeste participanten waren mannen (55,6%), en waren Nederlandstalig (66,7%). De gemiddelde leeftijd was $25,18 \pm 23,78$. Bij 94,4% van de studiepulatie werd EB vastgesteld gebaseerd op klinische vaststellingen en laboratoriumonderzoek.

De gemiddelde leeftijd waarbij EB werd vastgesteld bij de patiënten is 5,59 jaar (SD 11,41). Gemiddeld werd 5 jaar (SD 10,73) na de eerste symptomen de diagnose gesteld maar bij dertien patiënten was dit binnen de eerste zes maand na de geboorte.

61,1% van de enquêtes werden ingevuld door ouders van een kind met EB. 66,7% van de EB-patiënten is afhankelijk van het inkomen van ouders.

Het grote merendeel (61,1%) van de patiënten die de enquête hebben ingevuld, hebben de milde vorm Epidermolysis Bullosa Simplex (EBS), gevolgd door dystrofische EB (DEB) met 27,8% en junctionele EB (JEB) met 27,8%. Geen enkele deelnemer heeft de KEB-variant (volgens Debra Belgium is er ook niemand in België gekend met deze diagnose).

Wat betreft de subtypes weet 38,9% van de patiënten niet welk subtype ze hebben. 16,7% van de patiënten heeft DDEB generalized. EBS localized, EBS generalised severe, JEB generalised intermediate en RDEB generalised intermediate hebben ieder een verdeling van 11,1%. Tevens heeft niemand JEB generalised severe daar dit de meest ernstige vorm is en niemand in België hiermee gediagnosticeerd is.

Tabel 2: karakteristieken van participanten

VARIABLE	STUDIEPOPULATIE
ANTWOORDEN, N (%)	18 (14,1)
GENDER, N (%)	
MAN	10 (55,6)
VROUW	8 (44,4)
LEEFTIJD (JAREN), GEM +/- SD	25,18 ±23,78
INTERKWARTIELRANGE	41
LEEFTIJDSCATEGORIEËN (JAREN), N (%)	
0-12	7 (38,9)
12-18	3 (16,7)
18-65	5 (27,8)
>65	3 (16,7)
TAAL, N (%)	
NEDERLANDS	12 (66,7)
FRANS	6 (33,3)
VOOR WIE INGEVULD, N (%)	
VOOR ZICHZELF	7 (38,9)
ALS OUDER VOOR KIND	11 (61,1)
INKOMENSTYPE, N (%)	
AFHANKELIJK VAN OUDERS	12 (66,7)
WERK	2 (11,1)
PENSIOEN	3 (16,7)
ZIEKTE- OF INVALIDITEITSUITKERING	1 (5,6)
DIAGNOSE, N (%)	
VASTGESTELD	17 (94,4)
OP BASIS VAN SYMPTOMEN	1 (5,6)
LEEFTIJD WAAROP EB WERD	
VASTGESTELD (JAREN), GEM +/- SD	5,59 ± 11,41
INTERKWARTIELRANGE	4
TIJD VAN EERSTE SYMPTOMEN TOT EB	
DIAGNOSE (JAREN), GEM +/- SD	5,08 ±10,73
INTERKWARTIELRANGE	3,25
SOORT EB, N (%)	
EPIDERMOLYSIS BULLOSA SIMPLEX (EBS)	11 (61,1)
JUNCTIONELE EB (JEB)	2 (11,1)
DYSTROFISCHE EB (DEB)	5 (27,8)
KINDLER EPIDERMOLYSIS BULLOSA (KEB)	0 (0)
SUBTYPE EB, N (%)	
EBS LOCALISED	2 (11,1)
EBS GENERALISED SEVERE	2 (11,1)
JEB GENERALISED INTERMEDIATE	2 (11,1)
DDEB GENERALISED	3 (16,7)
RDEB GENERALISED INTERMEDIATE	2 (11,1)
WETEN HET NIET	7 (38,9)

Kosten per categorie

Kosten per categorie kunnen teruggevonden worden in tabel 3. De totale jaarlijkse medische kost per patiënt bedraagt 9 044,51 euro (80% betrouwbaarheidsinterval: €3 955,09-13 940,21). Het grootste deel hiervan gaat naar (wond)verbanden met een gemiddelde kostprijs van 3 065,64 euro (€840,98-5 221,64). Ziekenhuisopname is eveneens een belangrijke kost maar dit werd slechts door één participant gerapporteerd. 63,48% van de medische kosten zijn out-of-pocket kosten die door de patiënt zelf gedragen worden. Dit in de veronderstelling dat de patiënt dus geen bijkomende tegemoetkoming ontvangt van de gewone verplichte ziekteverzekering voor medicatie, verbanden, etc.

De gemiddelde niet-medische kost is per patiënt 13 120,25 euro (€5 247,69-21 100,29) met een mediaan van 1 486 euro (IQR:€0,00-5 646,36).

Een verdere visualisatie van tabel 3 kan teruggevonden worden in bijlage 11.

Tabel 3: gemiddelde kost, 80% betrouwbaarheidsinterval en mediaan per kostencategorie

Kostencategorie	Gemiddelde	BCa 80% CI lager	BCA 80% CI hoger	Mediaan kost (IQR)	% out-of- pocket
EB-centrum	54,12	38,33	69,90	40,59 (0,00- 91,32)	7,00
arts/specialist	84,97	52,35	122,47	36,21 (0,00- 126,03)	10,88
paramedici	75,64	22,14	132,18	213,00 (0,00-76,26)	65
thuisverpleegkundige	479,41	319,61	639,22	0,00 (0,00- 0,00)	0
ziekenhuisopname	3 558,58	0,00	3 558,58	0,00 (0,00- 0,00)	25
medicatie	389,84	15,67	763,85	5,13 (0,00- 28,33)	100
crèmes, zalven en lotions	235,18	167,91	309,82	103,79 (25,56- 477,43)	100
ontsmettingsmiddelen	104,60	63,06	148,30	39,73 (6,33- 158,00)	100
windels (fixatieverbanden)	212,91	95,60	324,13	16,55 (0,00- 195,37)	100
(wond)verbanden	3 065,64	840,98	5 221,64	266,57 (2,14- 1 655,17)	100
andere medische producten	516,86	313,90	737,90	48,23 (0,00- 1 437)	100
andere medische kosten	263,33	166,67	360,00	0,00 (0,00- 0,00)	100
Totaal medische kosten	9 044,51	3 955,09	1 3940,21	1 788,01 (311,22- 5 753,70)	63,48
Verplaatsingskosten	37,13	17,78	57,74	0,00 (0,00- 11,07)	100
Niet-medische kosten	162,22	94,23	230,77	50 (0,00- 300,00)	100
Hulpmiddelen	210	71,11	348,88	0,00 (0,00- 0,00)	-
Productiviteitsverlies	23 050,72	8 883,50	37 334,00	784,00 (0,00- 6 662,75)	100
Aangepast onderwijs	183,33	183,33	183,33	0,00 (0,00- 0,00)	100
Totaal niet-medische kosten	13 120,25	5 247,69	21 100,29	1 486 (0,00- 5 646,36)	100

Regressiemodellen

Het regressiemodel met totale medische kost als afhankelijke variabele gaf significante resultaten voor de covarianten *leeftijdscategorie* 0-12 jaar en EBS als *soort EB*, zie tabel 4.

Patiënten ouder dan 65 jaar hebben 19,3% (7,7-48,2%) minder kosten in vergelijking met patiënten van 0-12 jaar. Ook patiënten tussen 18 en 65 jaar hebben 8,6% (3,5-20,8%) minder kosten, net zoals patiënten in de leeftijdscategorie van 12-18: zij hebben 18,3% (10,2-32,7%) minder kosten dan de referentiecategorie. Patiënten met EBS hebben 19,5% (10,4-40,4%) minder kosten dan patiënten met DEB.

Tabel 4: Glim medische kosten

Parameter	B	Standard Error	Wald test, p-value	Percent change compared to reference (%)	80% wald confidence interval Lower (%)	80% wald confidence interval Upper(%)
Leeftijdscategorie (jaren)						
>65	-1,645	0,7144	0,021	-19,3	-7,7	-48,2
18-65	-2,458	0,6916	<0,001	-8,6	-3,5	-20,8
12-18	-1,698	0,4520	<0,001	-18,3	-10,2	-32,7
0-12	0 ^a	.	.	.		
Geslacht						
Man	-0,761	0,6098	0,212	-46,7	-21,4	102,0
Vrouw	0 ^a	.	.	.		
Soort EB						
EBS	-1,632	0,5655	0,004	-19,5	-10,5	-40,4
JEB	-0,300	0,6676	0,653	-74,1	-31,5	174,2
DEB	0 ^a	.	.	.		

Gelijkaardige resultaten voor eigen aandeel: significante verschillen voor *leeftijdscategorie* en voor EBS als *type EB*. Met hier 33,1% (14,5-75,5%) minder kosten voor >65 jaar in vergelijking met patiënten van 0-12 jaar, 480,2% (7,5-57,9%) minder kosten voor 18-65 jarigen en 29,9% (17,3-51,5%) minder kosten voor 12-18 jarigen. 13,5% (7,1-26%) minder kosten voor EBS dan voor DEB. Zie tabel 10, bijlage 12.

Bij tegemoetkoming als afhankelijke variabele zijn covarianten *leeftijdscategorie* significant verschillend bij leeftijdscategorieën >65 jaar, 16-65 jaar en 12-18 jaar waarbij ze respectievelijk 1,9% (0,8-4,4%), 1,5 (0,6-3,9%) en 3,5% (1,3-9,6%) minder moeten betalen ten opzichte van 0-12 jarigen. Tevens bij *geslacht* waarbij mannen 12,8% (6-27,3%) minder betalen dan vrouwen. Zie tabel 11, bijlage 12.

Het regressie model met niet-medische kosten als afhankelijke variabele gaf significante resultaten voor de covariant *leeftijdscategorie* zie tabel 12, bijlage 12. Patiënten van >65 jaar en 12-18 jaar hebben respectievelijk 16,8% (16,8-16,8%) en 8,2% (1,9-34,1%) minder kosten dan patiënten tussen 0 en 12 jaar. Integenstelling tot patiënten tussen 18 en 65 jaar, zij hebben 578,9% (216,8-1545,6%) meer kosten dan patiënten tussen 0 en 12 jaar.

Parametrische en niet-parametrische test

Als niet parametrische test werd een one-way ANOVA uitgevoerd. Afhankelijke variabelen (totale medische kost, eigen aandeel patiënt, tegemoetkoming en niet-medische kost) werden vergeleken met onafhankelijke variabelen (leeftijdscategorie, geslacht en soort EB). Verschillen werden als significant beschouwd $\leq 0,20$. Zie bijlage 13 voor de one-way ANOVA test.

Aangezien er weinig significante verschillen op te merken waren werd een Kruskal-Wallis test uitgevoerd.

Zie bijlage 14 voor de output vanuit SPSS betreffende de Kruskal-Wallis test.

In tabel 5 kunnen de p -waarden van beide tests teruggevonden worden.

Tabel 5: p -waarden bij one-way ANOVA en Kruskal-Wallis voor afhankelijke en onafhankelijke variabelen

One-way ANOVA			
	Leeftijdscategorie	Geslacht	Soort EB
Totale medische kost	0,286	0,556	0,041
Eigen aandeel patiënt	0,215	0,988	0,017
Tegemoetkoming	0,614	0,315	0,253
Niet-medische kost	0,687	0,765	0,914
Kruskal-Wallis			
Totale medische kost	0,020	0,534	0,022
Eigen aandeel patiënt	0,033	0,657	0,019
Tegemoetkoming	0,012	0,195	0,032
Niet-medische kost	0,651	0,452	0,831

Discussie

Resultaten

De bevindingen van dit onderzoek waarbij zowel de kosten van zorg, kosten van niet-medische zorg en kosten van productiviteitsverlies werden onderzocht (cost-of-illness studie) door patiënten met EB een vragenlijst te laten invullen werpen belangrijke vragen op over de economische impact van EB en suggereren implicaties voor het beleid (zie hoofdstuk Praktische (beleids)implicaties). Het is essentieel om bij deze bevindingen rekening te houden met de complexiteit van de zorg voor zeldzame aandoeningen zoals EB.

Allereerst kan er geconcludeerd worden dat de financiële lasten waarmee EB-patiënten en hun families worden geconfronteerd aanzienlijk zijn. De gemiddelde jaarlijkse medische kosten van 9 044,51 euro per patiënt en niet-medische kosten van 13 120,25 euro onderstrepen de uitdagingen waarmee deze patiëntenpopulatie wordt geconfronteerd (outliers, patiënten die hogere kosten hebben zijn reëel). Deze bevindingen zijn in lijn met eerdere studies die hebben gewezen op de hoge kosten van zeldzame aandoeningen en de impact ervan op huishoudbudgetten en kwaliteit van leven. Zo hadden patiënten volgens Angelis et al. (2016) in Frankrijk een gemiddelde directe kost van 8 097 euro en indirecte kost van 6 834 euro, in Duitsland directe kost van 11 474 euro en indirecte kost van 34 642 euro, in Italië 13 122 euro als directe kost en 36 111 euro als indirecte kost en in Spanje 5 166 euro als directe kost en 37 971 euro voor indirecte kosten.

Volgens het onderzoek van Angelis zijn determinanten van deze kosten voornamelijk het soort EB en de leeftijdscategorie. Bij de studie door Debra in Ierland werd enkel de determinant 'subtype EB' opgenomen en hanteerde men een onderscheid tussen wie de bevraging invulde (patiënt of verzorger). Ook de studie van Angelis et al. (2016) maakt enkel een vergelijking tussen de 4 soorten van EB.

Volgens de studie door Debra in Ierland had 61% van de participanten EBS, 4% JEB, 31% DEB en 2% KEB. Dit ligt in lijn met de participanten van deze masterproef: 61% EBS, 11% JEB, 28% DEB en 0% KEB. Bij de studie in Ierland was 63% van de participanten vrouwen, 35% mannen. Dit was bij deze masterproef het omgekeerde: 56% mannen en 44% vrouwen. Binnen de Ierse studie was 18% tussen 0 en 12 jaar, 7% tussen 12 en 21 jaar, 54% tussen 21 en 60 jaar en 21% ouder dan 61 jaar. Dit verschilt ook bij deze masterproef met het grootste

aandeel (39%) participanten als baby's/kinderen tussen 0 en 12 jaar, 17% tussen 12 en 18 jaar, 28% tussen 18 en 65 jaar en 16,7% ouder als 65 jaar.

Mepilex was volgens de Ierse studie ook het meest gebruikt voor de wondzorg, daarnaast pijnstillers vrij van voorschrift en hydraterende crèmes. Dit werd tevens in dit onderzoek bevestigd met een gemiddelde kostprijs van 3 065,64 euro voor (wond)verbanden. Er werd bij de andere onderzoeken geen onderscheid gemaakt tussen eigen aandeel (out-of-pocket) en terugbetaling (reimbursed) kosten, er werd enkel gewerkt met de totale kost.

(Smith et al., 2020) (Van Den Akker-van Marle et al., 2010) (Epidermolysis Bullosa Patient Insights, 2023) (*Life With EB in Ireland*, 2023) (Angelis et al., 2016) (Angelis et al., 2015).

Onderzoek

Het onderzoek vertoonde methodologische sterktes door zijn exploratieve en cross-sectionele ontwerp, passend gezien de beperkte literatuur over het onderwerp, vooral in België. Dit droeg bij aan meer inzicht en kennis over de ziektekosten van EB. Het gebruik van enquêtes bood een gestandaardiseerde manier om informatie te verzamelen van een divers scala aan patiënten, waardoor een breder inzicht werd verkregen in de medische en niet-medische kosten geassocieerd met EB-behandelingen. Bovendien omvatte de grondige data-analyse gedetailleerde berekeningen en statistische modellen, waaronder Glim en parametrische en niet-parametrische tests, wat een robuuste analyse oplevert.

Er zijn echter ook methodologische beperkingen die moeten worden erkend. Ondanks de inspanningen om de enquête te verspreiden, was de respons relatief laag, wat de representativiteit van de bevindingen kan beïnvloeden en de generaliseerbaarheid van de resultaten beperkt. De lage respons-rate kan te wijten zijn aan de lijvige vragenlijst (vijfenvijftig vragen) en er was geen incentive voorzien voor de deelnemers. Deelname aan het onderzoek was volledig vrijwillig. Hierdoor konden niet alle EB-patiënten in België aangemoedigd worden de vragenlijst in te vullen. Daarnaast kan het gebruik van zelfrapportage in de enquêtes leiden tot subjectieve beoordelingen en mogelijk vertekende resultaten, vooral waar het aankomt op het herinneren van kosten en financiële details. Toekomstig onderzoek met grotere steekproeven en longitudinale ontwerpen is nodig om deze bevindingen verder te valideren en te verfijnen.

Wat betreft inhoudelijke sterktes, werd een diepgaande kostenanalyse uitgevoerd, waarbij zowel medische als niet-medische kosten werden meegenomen, inclusief gedetailleerde berekeningen voor verschillende categorieën van medische uitgaven. Dit bood een volledig

beeld van de financiële lasten van EB voor de patiënten en hun families. Bovendien werd in de analyse rekening gehouden met relevante covariaten zoals leeftijd, geslacht en type EB, wat de analyse versterkte door potentiële voorspellers van kostenvariatie te identificeren. Tevens zijn er ook inhoudelijke beperkingen. De beperkte steekproefgrootte, met name in relatie tot het aantal patiënten met EB in België, kan de mogelijkheid om significante verschillen te identificeren beperken. Ook kan het optreden van ontbrekende gegevens bij het invullen van de enquêtes de nauwkeurigheid van de analyses verminderen en tot onvolledige conclusies leiden, vooral wat betreft de gezondheidszorgkosten.

Over het algemeen biedt het onderzoek waardevolle inzichten in de financiële implicaties van EB-behandelingen in België, maar er zijn methodologische en inhoudelijke overwegingen die moeten worden meegenomen bij het interpreteren van de resultaten en het plannen van toekomstig onderzoek.

EB is en blijft een complexe aandoening, zowel qua diagnose als qua behandeling maar zeker ook wat betreft (terug)betaling.

Toekomstig onderzoek zou zich kunnen richten op het vergroten van de steekproefomvang, het verfijnen van methoden voor gegevensverzameling en het onderzoeken van langetermijneffecten van EB-behandelingen op de financiële en psychosociale welzijn van patiënten en hun families.

Praktische (beleids)implicaties

De kosten voor EB bedragen jaarlijkse gemiddeld 9 044,51 euro per patiënt voor medische kosten en 13 120,25 euro voor niet-medische kosten.

Reden genoeg om ons met enkele aanbevelingen en suggesties te richten tot de beleidsmakers.

- Financiële ondersteuning: financiële ondersteuning voor EB-patiënten en hun families is broodnodig. Dit kan onder meer subsidies, vergoedingen of belastingvoordelen omvatten. Maar allereerst is een eenvoudige terugbetaling via het RIZIV noodzakelijk voor alle patiënten met EB die BSF, actieve verbanden verbonden aan de MAF vervangt (*Ministry of Health, Labour and Welfare, z.d.*).
- Administratieve vereenvoudiging: administratieve vereenvoudiging en kortere wachttijd zijn hierin het belangrijkste. Zowel BSF als actieve verbanden nemen erg veel tijd in beslag. Actieve verbanden is ook gelinkt aan MAF wat omslachtig is en maanden duurt. In landen zoals Frankrijk en Nederland vindt men dat die vergoeding niet de zorg van de patiënt moet zijn en wordt alles via een derdebetaler-regeling tussen leverancier en zorgverzekeraar geregeld.
Het RIZIV kan hier zeker een meer actieve rol in spelen, verdergaand nog dan gerichte conventies voor EB-patiënten te implementeren. Die conventie komt er maar zal bedoeld zijn voor het EB-team, voor financiering van case management, etc. Ze zal niets veranderen aan de complexiteit van vergoedingen voor de individuele patiënten.
- Nood aan informatie en ondersteuning: er is nood aan mankracht om patiënten wegwijs te maken in het kluwen van vergoedingen. De hoop is er dat door de conventie iemand binnen het EB-team van Leuven meer tijd zou hebben om patiënten te begeleiden in hun administratie.
- Inclusief beleid: integreer de behoeften van EB-patiënten in bredere gezondheidsbeleidsagenda's, waaronder beleid voor zeldzame ziekten, handicaps en toegang tot gezondheidszorg. Dit kan zorgen voor een meer inclusieve en rechtvaardige benadering van gezondheidszorg voor alle burgers, ongeacht hun medische aandoeningen.
- Ondersteuning voor mantelzorgers: bied ondersteuning en middelen aan mantelzorgers van EB-patiënten, aangezien zij vaak te maken hebben met zowel emotionele als financiële lasten. Dit kan een verlostelsel zijn, psychosociale ondersteuning en educatieve programma's omvatten.

- Onderzoeksfondsen: vergroot de financiering voor onderzoek naar EB, met name naar effectieve behandeling. Dit kan door publiek-private partnerschappen aan te gaan, subsidies te verstrekken aan onderzoeksinstituten en het stimuleren van samenwerking tussen wetenschappers en farmaceutische bedrijven.

De huidige nood aan durebehandeling (bijvoorbeeld wondverzorging, voeding, tandverzorging, plastische chirurgie) zou drastisch beperkt worden bij succesvolle stamcel- en andere therapieën (*Onderzoek Naar Klinische Zorg | Debra Belgium Vzw, z.d.*). In een vervolgonderzoek zou een vergelijking kunnen gemaakt worden tussen de kostprijs van de huidige behandeling en de kostprijs van stamcel- en andere therapieën (kosteneffectiviteitsstudie).

Door deze praktische beleidsimplicaties te overwegen en te implementeren, kan de last voor EB-patiënten en hun families worden verminderd, de kwaliteit van zorg worden verbeterd en een meer ondersteunende en inclusieve samenleving worden bevorderd, kunnen beleidsmakers en klinici een verschil maken in het leven van EB-patiënten en hun families.

Conclusie

Deze masterproef is de eerste ziektekoststudie van EB-patiënten in België, wat een waardevolle bijdrage levert aan het begrip van de financiële lasten van EB. Door een exploratief-statistische benadering en een grondige analyse van medische en niet-medische kosten, hebben we inzicht gekregen in de economische impact van deze zeldzame huidaandoening op patiënten en hun families.

De bevindingen van dit onderzoek benadrukken de financiële lasten die gepaard gaan met de behandeling. Het aandeel van de kosten dat door de patient zelf gedragen moet worden is hoog, zeker voor (wond)verbanden. Met een gemiddelde jaarlijkse medische kost per patiënt van 9 044,51 euro en een gemiddelde niet-medische kost van 13 120,25 euro, is het duidelijk dat EB niet alleen een fysieke, maar ook een aanzienlijke economische belasting met zich meebrengt.

Ondanks de waardevolle inzichten die dit onderzoek heeft opgeleverd, zijn er enkele methodologische en inhoudelijke beperkingen die moeten worden erkend. De beperkte respons en kleine steekproefgrootte kunnen de generaliseerbaarheid van de bevindingen beïnvloeden, en het gebruik van zelfrapportage kan leiden tot subjectieve beoordelingen van kosten.

Toekomstig onderzoek zou zich kunnen richten op het vergroten van de steekproefomvang, het verfijnen van methoden voor gegevensverzameling en het onderzoeken van langetermijneffecten van EB-behandelingen op de financiële en psychosociale welzijn van patiënten en hun families.

Dit onderzoek biedt belangrijke inzichten in de economische impact van EB en legt het een basis voor verdere verkenning en interventie op dit gebied. Het benadrukt de noodzaak van een holistische benadering van zorg die niet alleen de medische behoeften van patiënten aanpakt, maar ook hun financiële welzijn waarborgt.

EB is en blijft een complexe aandoening, zowel qua diagnose als qua behandeling maar zeker ook wat betreft terugbetaling. Algemeen is er nood aan meer bewustzijn bij de beleidsmakers betreffende de gezondheid en economische consequenties van EB-patiënten. Daarnaast is het niet eenvoudig voor patiënt om zich door het kluwen van verschillende terugbetalingsmodaliteiten zoals actieve verbanden via de verplichte ziekteverzekering gelinkt aan de MAF en het BSF van het RIZIV een weg in te vinden.

Literatuurlijst

- Angelis, A., Mellerio, J. E., & Kanavos, P. (2022). Understanding the socioeconomic costs of dystrophic epidermolysis bullosa in Europe: a costing and health-related quality of life study. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 17(1). <https://doi.org/10.1186/s13023-022-02419-1>
- Angelis, A., Tordrup, D., & Kanavos, P. (2015). Socio-economic burden of rare diseases: A systematic review of cost of illness evidence. *Health Policy*, 119(7), 964–979. <https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2014.12.016>
- Angelis, A., Kanavos, P., & Lopez-Bastida, J. (2016). Social/economic costs and health-related quality of life in patients with epidermolysis bullosa in Europe. *Eur J Health Econ*, 17 (suppl 1): S32-S42. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/27107597/>
- Annemans, L. (2008). *Health Economics for Non-Economists: An Introduction to the Concepts, Methods and Pitfalls of Health Economic Evaluations*. <http://ci.nii.ac.jp/ncid/BB09466299>
- Annemans, L. (2018). *Health economics for non-economists*. <https://www.amazon.com/Health-economics-non-economists-Lieven-Annemans/dp/9463371133>
- Ault, A. (2024, February 8). Study: Lifetime cost of Vyjuvek gene therapy for DEB could be \$15-\$22 million. *Medscape*. <https://www.medscape.com/viewarticle/study-lifetime-cost-vyjuvek-gene-therapy-deb-could-be-15-22-2024a10002qf?form=fpfv>
- BCFI – Uw onafhankelijke genesmiddellengids. BCFI. <https://www.bcfi.be/nl/>
- Beeckmans, T. (2004). *Verpleegkundige zorgen aan een patiënt met epidermolysis bullosa*. [Bachelorproef]. KAHO Sint-Lieven.
- De Jonge, A., Naulaers, G., Tisson, D., & Morren, M. A. (2005). Epidermolysis bullosa: een abnormaal zwakke huid. *Gezondheidsbrief*.
- Drummond, M. E., Sculpher, M. J., Torrance, G. W., O'Brien, B. J., & Stoddart, G. L. (2005b). Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes. In *Oxford University Press eBooks*. <https://doi.org/10.1093/oso/9780198529446.001.0001>
- EB-centrum | Debra Belgium vzw. (z.d.). Debra Belgium. <http://www.debra-belgium.org/nl/epidermolysis-bullosa/eb-centrum/>
- Epidermolysis bullosa | UMCG (z.d.). <https://www.umcg.nl/-/epidermolysis-bullosa>
- Epidermolysis Bullosa Patient Insights. (2023). [Slide show; Synergy healthcare research].

- Feinstein, J. A., Bruckner, A. L., Chastek, B., Anderson, A., & Roman, J. (2022). Clinical characteristics, healthcare use, and annual costs among patients with dystrophic epidermolysis bullosa. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 17(1). <https://doi.org/10.1186/s13023-022-02509-0>
- Fine, J., Bruckner-Tuderman, L., Eady, R. A., Bauer, E. A., Bauer, J. W., Has, C., Heagerty, A., Hintner, H., Hovnanian, A., Jonkman, M. F., Leigh, I., Marinkovich, M. P., Martinez, A. E., McGrath, J. A., Mellerio, J. E., Moss, C., Murrell, D. F., Shimizu, H., Uitto, J., . . . Zambruno, G. (2014). Inherited epidermolysis bullosa: Updated recommendations on diagnosis and classification. *Journal Of The American Academy Of Dermatology*, 70(6), 1103–1126. <https://doi.org/10.1016/j.jaad.2014.01.903>
- Fokke, H. E. (1993). *De huid, huidziekten en huidcorrecties* (2nd ed.). Houten/ Zaventem: Bohn Stafleu Van Loghum.
- Forfait voor chronisch zieken | RIZIV. (z.d.). <http://www.inami.fgov.be/nl/themas/kost-terugbetaling/ziekten/chronische-ziekten/Paginas/forfait-chronisch-ziekten.aspx#.VaGAAosQ4uQ>
- Greenwood, J., Dunn, K., & Davenport, P. (2000). Experience with severe extensive blistering skin disease in a paediatric burns unit. *Burns*, 26(1), 82–87. [https://doi.org/10.1016/s0305-4179\(99\)00094-7](https://doi.org/10.1016/s0305-4179(99)00094-7)
- Het statuut van persoon met een chronische aandoening verbetert de toegang tot de zorgen | RIZIV. (z.d.). <http://www.inami.fgov.be/nl/themas/kost-terugbetaling/ziekten/chronische-ziekten/Paginas/statuut-persoon-chronische-aandoening-toegang-zorgen.aspx#.VaGAAIsQ4uQ>
- Home | DEBRA International. (n.d.). DEBRA International. <https://www.debra-international.org/>
- Homepage | VAPH. (z.d.). <https://www.vaph.be/>
- Hunter, J. a. A., Savin, J., & Dahl, M. V. (1995b). *Clinical Dermatology*. Wiley-Blackwell.
- Inkomensvervangende tegemoetkoming | Handicap FGOV. (z.d.). <http://www.handicap.fgov.be/nl/tegemoetkomingen/inkomensvervangende-tegemoetkoming>
- Inleiding | Debra Belgium vzw. (z.d.). Debra Belgium. <http://www.debra-belgium.org/nl/wetenschappelijk-onderzoek/inleiding/>
- Je baby heeft EB . . . wat nu? | Debra Belgium vzw. (z.d.). Debra Belgium. <http://www.debra-belgium.org/nl/epidermolysis-bullosa/je-baby-heeft-eb-wat-nu/>

- Jeon, I. K., On, H. R., & Kim, S. (2016). Quality of life and economic burden in recessive dystrophic epidermolysis Bullosa. *Annals of Dermatology/Annals of Dermatology*, 28(1), 6. <https://doi.org/10.5021/ad.2016.28.1.6>
- Jonkman, M. F., Rulo, H. F. C., & Duipmans, J. C. (2003). Van gen naar ziekte; epidermolysis bullosa door mutaties in eiwitten in of rond het hemidesmosoom. *Nederlands Tijdschrift Voor Geneeskunde*, 147(23), 1108–13.
- KANDO. (z.d.). *Kando is er voor jou!* KANDO; <https://kando.be/#.VaF9CosQ4uQ>
- Kirkorian, A. Y., Weitz, N. A., Tloutan, B., & Morel, K. D. (2013). Evaluation of Wound Care Options in Patients with Recessive Dystrophic Epidermolysis Bullosa: A Costly Necessity. *Pediatric Dermatology*, 31(1), 33–37. <https://doi.org/10.1111/pde.12243>
- Kosten en tegemoetkomingen | Debra Belgium vzw.* (z.d.). Debra Belgium. <http://www.debra-belgium.org/nl/epidermolysis-bullosa/kosten-en-tegemoetkomingen/>
- Life with EB in Ireland.* (2023). Debra Butterfly.
- Ministry of Health, Labour and Welfare. (z.d.). *Measures for financial assistance for rare and intractable diseases.*
- Moren, M. A., Degreef, H., Van Den Oord, J., De Vos, R., & Legius, E. (2005). Multidisciplinaire aanpak van Epidermolysis Bullosa. *Tijdschrift Voor Geneeskunde*, 61(12), 911–919.
- NomenSoft - RIZIV.* (z.d.). <https://webappsa.riziv-inami.fgov.be/Nomen/nl/search>
- Onderzoek naar klinische zorg | Debra Belgium vzw.* (z.d.). Debra Belgium. <http://www.debra-belgium.org/nl/wetenschappelijk-onderzoek/onderzoek-naar-klinische-zorg/>
- Onthaal | RIZIV.* (z.d.). <https://www.inami.fgov.be/nl>
- Onze vereniging | Debra Belgium vzw.* (n.d.). Debra Belgium. <https://www.debra-belgium.org/nl/debra-belgium/onze-vereniging/>
- Pope, E., Lara-Corrales, I., Mellerio, J., Martinez, A., Schultz, G., Burrell, R., Goodman, L., Coutts, P., Wagner, J., Allen, U., & Sibbald, G. (2012). A consensus approach to wound care in epidermolysis bullosa. *Journal Of The American Academy Of Dermatology*, 67(5), 904–917. <https://doi.org/10.1016/j.jaad.2012.01.016>
- Sampogna, F., Tabolli, S., Di Pietro, C., Castiglia, D., Zambruno, G., & Abeni, D. (2012). The evaluation of family impact of recessive dystrophic epidermolysis bullosa using the Italian version of the Family Dermatology Life Quality Index. JEADV. *Journal of the European Academy of Dermatology and Venereology/Journal of the European Academy of Dermatology and Venereology*, 27(9), 1151–1155. <https://doi.org/10.1111/j.1468-3083.2012.04682>

- Singh, S., Kirtschig, G., Anchan, V. N., Chi, C., Taghipour, K., Boyle, R. J., & Murrell, D. F. (2023). Interventions for bullous pemphigoid. *Cochrane Library*, 2023(11). <https://doi.org/10.1002/14651858.cd002292.pub4>
- Siongers, S. (2007). *Definiëren van de psychosociale noden van Epidermolysis Bullosa Simplex-patiënten en hun gezinnen* [Master thesis]. Vrije Universiteit Brussel.
- Smith, A., Moran, R., & Dall'Ara, E., et al. (2020). The economic burden of epidermolysis Bullosa in the United States. *J Am Acad Dermatol*, 83(83), 957–960.
- Tabolli, S., Pagliarello, C., Uras, C., Di Pietro, C., Zambruno, G., Castiglia, D., Sampogna, F., & Abeni, D. (2010). Family Burden in Epidermolysis Bullosa is High Independent of Disease Type/Subtype. *Acta Dermato-venereologica*, 90(6), 607–611. <https://doi.org/10.2340/00015555-0947>
- Tang, J. Y., Marinkovich, M. P., Lucas, E., Gorell, E., Chiou, A., Lu, Y., Gillon, J., Patel, D., & Rudin, D. (2021). A systematic literature review of the disease burden in patients with recessive dystrophic epidermolysis bullosa. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 16(1). <https://doi.org/10.1186/s13023-021-01811-7>
- TCT. (z.d.). https://tct.fgov.be/webetct/etct-web/national_data?lang=nl&menuSelected=apr_drg&selectedSideMenu=222&reset=true
- Van Den Akker-van Marle, M., Rappange, D., & Sturk, A., et al. (2010). Cost-effectiveness of multidisciplinary management of epidermolysis Bullosa in the Netherlands. *BMC Health Serv Res*, 10(238).
- Verlinden, H., & Vander Sijpe, F. (2019). Absenteïsme in 2018. In *Www.securex.be/nl*. Securex.
- Verzorging | Debra Belgium vzw. (z.d.). Debra Belgium. <http://www.debra-belgium.org/nl/epidermolysis-bullosa/verzorging/>
- Wat is EB? | Debra Belgium vzw. (z.d.). Debra Belgium. <http://www.debra-belgium.org/nl/epidermolysis-bullosa/wat-is-eb/>
- Willems, R. (2020). *A health economic analysis of adult congenital heart disease care: exploration of the subsidiarity principle*. <https://biblio.ugent.be/publication/8682371>
- Willems, R., Verhaeghe, N., Perronne, C., Borgermans, L., & Annemans, L. (2023). Cost of illness in patients with post-treatment Lyme disease syndrome in Belgium. *European Journal of Public Health*, 33(4), 668–674. <https://doi.org/10.1093/eurpub/ckad045>
- Wodinsky, H. B. (1984). Cost analysis of the Kozak protocol as used in an Ontario hospital in the treatment of children with epidermolysis bullosa. *PubMed*, 130(6), 715–717. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/6697279>

Wolff, K., & Johnson, R. A. (2005). *Fitzpatrick's Color Atlas & Synopsis of Clinical Dermatology*.

<http://ci.nii.ac.jp/ncid/BA72310120>

Ziekenhuisopname. (2024, May 3). CM. <https://www.cm.be/nl/diensten-en-voordelen/ziekenhuisopname#:~:text=CM%20betaalt%20bij%20een%20ziekenhuisopname,oplegkosten%20voor%20de%20terugbetaalbare%20geneesmiddelen>

Bijlagen

Bijlage 1: methode literatuurstudie

Dataverzameling

Er werd een literatuurstudie gedaan om te weten te komen welke literatuur reeds beschikbaar is om de volgende onderzoeksvragen te kunnen beantwoorden: wat zijn de medische en niet-medische kosten die patiënten met EB hebben? Voor de verzameling van data voor de literatuurstudie werd gebruik gemaakt van één databank: Pubmed en via de bibliotheek databank van Vrije Universiteit Brussel (VUB), Katholieke Universiteit (KU) Leuven en Universiteit Gent (UGent). Voor opzoeking in de databank werd een onderzoekstring opgemaakt om de meest relevante literatuur te kunnen vinden (bijlage 2). In PubMed werd opgezocht op titel en abstract. Op deze manier werden er 392 artikels gevonden.

Via de bibliotheek databanken werd gezocht op de zoekterm “epidermolysis bullosa” en “epidermolysis bullosa cost/kost”. Via de VUB bibliotheek werden geen resultaten gevonden. Via de KULeuven bibliotheek werden er 8 823 resultaten gevonden. Artikels konden niet geraadpleegd worden, geen enkel artikel was online te raadplegen of toegang toe, mits KUL legitimatie. Eén boek/eindwerk werd geraadpleegd: Verpleegkundige zorgen aan een patiënt met epidermolysis bullosa (Beeckmans, 2004). Twee boeken werden ook op de website van KUL bibliotheek gevonden maar tevens ook in UGent en werden daar ontleent.

Via UGent bibliotheek werden 23 resultaten gevonden. Twee boeken werden relevant gevonden, deze waren ook terug te vinden op de KUL website. Deze twee boeken werden ontleend. Atlas & Synopsis of Clinical Dermatology. 5th ed. New York: McGraw Hill (Wolff & Johnson, 2005) en De huid, huidziekten en huidcorrecties (Fokke, 1966).

Dataselectie

Voor de selectie van de artikels uit PubMed werd gebruik gemaakt van het softwarepakket EndNote. De artikels werden vanuit Pubmed geëxporteerd naar EndNote, waar deze alfabetisch werden geordend. Om de meest relevante artikels voor de literatuurstudie te selecteren, werden in verschillende stappen artikels geëxcludeerd. Allereerst werden dubbele artikels uit de lijst gefilterd. Na ontdebelling waren er nog tweëntachtig artikels over om mee verder te werken. Daarna werden de titels van alle artikels gelezen, rekening houdend met de in- en exclusiecriteria (zie tabel 6).

De titels die niet als voldoende relevant werden beschouwd, of waarin exclusiecriteria te vinden waren, werden geëxcludeerd. In een volgende stap werden ook de abstracts doorgenomen, waarna terug een selectie werd gemaakt op relevantie voor de literatuurstudie.

Ook hierbij werd telkens rekening gehouden met de in- en exclusiecriteria. Als voorlaatste stap werden de artikels volledig gelezen, waardoor nog een laatste selectie kon gemaakt worden. Ten slotte werd beslist welke artikels zouden gebruikt worden voor het literatuuronderzoek door de meest relevante artikels te selecteren en de minder relevante studies te excluseren. Er werden uiteindelijk vijf artikels gebruikt voor de literatuurstudie. Deze werden aangevuld met informatie die online te vinden is, gekregen artikels vanuit patiëntenorganisatie Debra of uit de boeken via de bibliotheek. Een overzicht van de selectieprocedure staat in bijlage 3, waarbij tevens een evidentietabel werd opgemaakt die in bijlage 4 kan teruggevonden worden.

Tabel 6: in- en exclusiecriteria literatuurstudie

Inclusiecriteria	Exclusiecriteria
Studies met EB-patiënten	Studies zonder EB-patiënten
Studies over cost-of-illness	Studies over andere thema's mbt EB
Studies met patiënten van alle leeftijdsgroepen	
Studies die de verschillende subtypen van EB behandelen	
Studies met verschillende behandelingsmodaliteiten	Studies over alternatieve behandelingswijzes
Studies met full tekst	Studies met enkel abstract
Studies in het Engels of Nederlands	Studies in een andere taal dan Nederlands of Engels
Studies weergegeven in euro of dollar	Studies met weergave van andere munteenheden
Studies vanaf 2010 tot 2024	Studies voor 2010

Bijlage 2: zoekstrings

Pubmed:

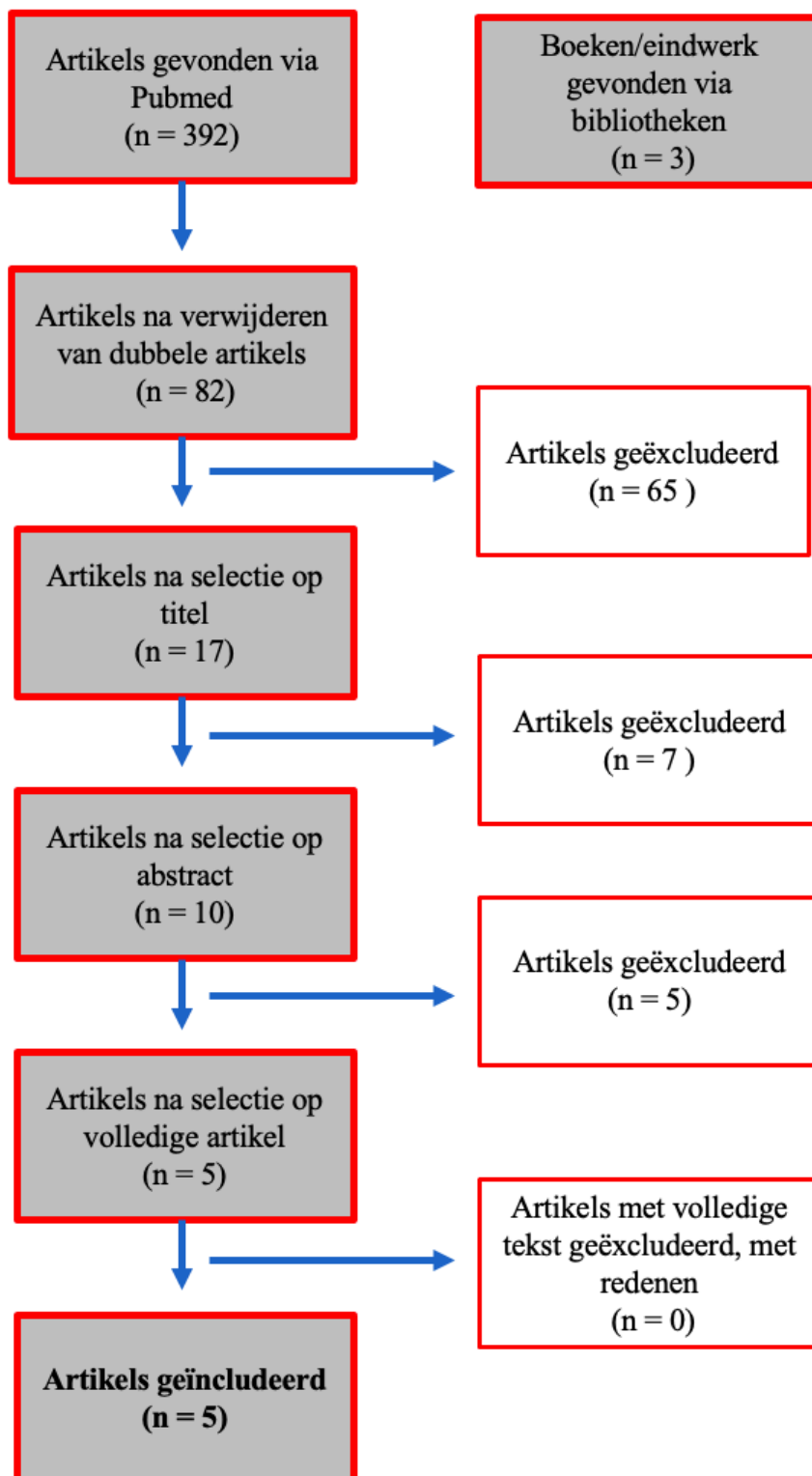
Cost of illness study van Epidermolysis bullosa.

Kosten = cost, charge, expense

Cost of illness study = cost of illness, cost analysis

Epidermolysis bullosa = EB

- (cost of illness study) AND epidermolysis bullosa: 13 artikels
- (cost of illness study[Title/Abstract]) AND epidermolysis bullosa[Title/Abstract]: 0 artikels
- (cost of illness) AND epidermolysis bullosa: 18 artikels
- ((cost of illness)[Title/Abstract] AND epidermolysis bullosa[Title/Abstract]): 17 artikels
- (cost) AND epidermolysis bullosa: 82 artikels
- (cost[Title/Abstract]) AND epidermolysis bullosa[Title/Abstract]: 50 artikels
- (cost analysis) AND epidermolysis bullosa: 43 artikels
- (cost analysis[Title/Abstract]) AND epidermolysis bullosa[Title/Abstract]: 3 artikels
- (((((((cost) OR charge) OR expense)) AND cost of illness study) OR cost of illness) OR cost analysis) AND epidermolysis bullosa) OR EB: 93 386 artikels gevonden maar EB werd hier aanzien als de afkorting van iets anders en niet Epidermolysis bullosa. Artikels warden niet gedownload om te verwerken via Endnote.
- (((((((((cost) OR charge) OR expense)) AND cost of illness study) OR cost of illness) OR cost analysis) AND epidermolysis bullosa)): 45 artikels
- ((((((((((cost)[Title/Abstract] OR charge)[Title/Abstract] OR expense))[Title/Abstract] AND cost of illness study)[Title/Abstract] OR cost of illness)[Title/Abstract] OR cost analysis)[Title/Abstract] AND epidermolysis bullosa))[Title/Abstract]): 45 artikels
- (epidermolysis bullosa[Title/Abstract]) AND cost: 76 artikels



Bijlage 4: evidentietabel

Tabel 7: evidentietabel van geïnccludeerde artikels

Nr.	Artikel	Auteur	Jaartal	Land	Kosten EB
1	Social/economic costs and health-related quality of life in patients with epidermolysis bullosa in Europe (Angelis et al. 2016)	A. Angelis et al.	2016	Verschillende landen Europa (Bulgarije, Frankrijk, Duitsland, Hongarije, Italië, Spanje, Zweden en Verenigd Koninkrijk (VK))	Jaarlijkse kosten varieerden van 9 509 euro tot 49 233 euro. Directe medische kosten varieerden van 419 euro tot 10 688 euro. Directe niet-medische kosten varieerden van 7 449 euro tot 37 451 euro. Verlies in productiviteit ging van 0 euro tot 7 259 euro. Gemiddeld hadden patiënten op jaarbasis 31 390 euro aan kosten waarvan 5 646 euro aan directe medische kosten, 23 483 euro aan directe niet-medische kosten en 2 261 euro aan indirecte kosten.
2	Understanding the socioeconomic costs of dystrophic epidermolysis bullosa in Europe: a costing and health-related quality of life study (Angelis et al., 2022)	A. Angelis et al.	2022	Verschillende landen in Europa (Frankrijk, Duitsland, Italië, Spanje en Verenigd Koninkrijk)	De gemiddelde jaarlijkse kost per patiënt met DEB is gemiddeld 53 359 euro, maar varieert van 18 783 euro voor Frankrijk tot 79 405 voor Duitsland. Gemiddelde directe medische kosten waren 8 357 euro en varieert van 5 658 euro voor Frankrijk tot 12 576 euro voor Duitsland. Gemiddelde directe niet-medische

					kosten is 41 353 euro en varieert van 11 961 euro voor Frankrijk tot 57 000 euro voor Duitsland. De gemiddelde indirecte kost is 3 649 euro en varieert van 1 025 euro voor Italië tot 9 930 euro voor VK.
3	Clinical characteristics, healthcare use, and annual costs among patients with dystrophic epidermolysis bullosa (Feinstein et al., 2022)	Feinstein et al.	2022	USA	De gemiddelde jaarlijkse directe medische kost per patiënt gaat van 22 179 US dollar tot 48 419 US dollar voor patiënten met DEB. Patiënten met DEB (type ongekend) hadden gemiddelde de hoogte totale kosten met 50 482 US dollar ten opzichte van patiënten met EB (niet gespecificeerd) die 26 501 US dollar kosten hadden.
4	Quality of Life and Economic Burden in Recessive Dystrophic Epidermolysis Bullosa (Jeon et al., 2016)	In Kyung Jeon et al.	2016	Korea	Volgens deze studie was de gemiddelde medische kost (excl. dressing costs) per maand 257,54 US dollar en de gemiddelde kost voor aankleden (dressing cost) 358,41 US dollar was. De medische kost was weinig niet verschillend voor vrouwen en mannen, maar de dressing cost was wel hoger voor mannen dan voor vrouwen. RDEB generalised severe is qua medische kos ten dressing kost duurder dan RDEB generalised intermediated als subtype.

5	A systematic literature review of the disease burden in patients with recessive dystrophic epidermolysis bullosa (Tang et al., 2021)	Jean Yuh Tang	2021	USA	De totale medische kost in Ierland was 84 534 US dollar per jaar, in Korea bedroeg dit 7 392 US dollar. In de USA ging dit van 4 000 US dollar tot 245 000 US dollar.
---	--	---------------	------	-----	---

Daarnaast werden nog andere artikels verkregen via Debra Belgium waarin ook interessante informatie werd gevonden en verwerkt in de literatuurstudie. Een korte samenvatting kan hieronder teruggevonden worden.

1. Angelis A et al. deden in 2015 een "Cost of illness" onderzoek, genaamd het BURQUOL-RD project.

In het kader van dit project werden de “sociaaleconomische last en gezondheidsgelateerde levenskwaliteit bij patiënten met zeldzame ziekten in Europa”, bestudeerd op vlak van directe en indirecte kosten en dit voor 10 zeldzame ziekten, waaronder EB.

Algemeen lijkt informatie over kosten bij zeldzame ziekten zeer schaars te zijn. In totaal werden 77 studies geïdentificeerd voor alle ziekten. Hieruit blijkt dat CF (n = 29) en hemofilie (n = 22) relatief goed werden bestudeerd in vergelijking met andere aandoeningen, waaronder EB, waar slechts zeer weinig “kosten van ziekten”-informatie beschikbaar was.

Algemeen werd vastgesteld door Angelis A et al. dat de beschikbaarheid van gegevens in één lijn ligt met het bestaan van een farmaceutische behandeling. Ook werd vastgesteld dat indirecte kosten een belangrijk aandeel van de totale kosten lijken te vertegenwoordigen.

Angelis et al. concludeerde dat de meeste van de zeldzame ziekten die onderzocht werden geassocieerd kunnen worden met een significante economische last, zowel direct als indirect (Angelis et al., 2015).

2. Volgens Greenwood et al. is de financiële kost van de behandeling en herstel van kinderen met EB in Verenigd Koninkrijk gaan bestuderen. De kosten per dag in het brandwondencentrum ter behandeling lopen op tot £943 en £450 per dag elders. De totale kosten van de zorg voor tien kinderen is meer dan £124,000. Greenwood et al. concludeerde met deze studie dat de financiële kosten van het behandelen van deze aandoeningen in de acute fase extreem hoog is (Greenwood et al., 2000).

3. Volgens Tabolli et al. heeft EB belangrijke klinische en sociaaleconomische gevolgen, zowel voor de patiënten als hun families. EB heeft namelijk effect op de persoonlijke, fysieke, emotionele en professionele aspecten van de patiënten hun leven. Zo heeft deze aandoening effect op de mobiliteit, impact op de ouders, interpersoonlijke relaties, burgerlijke staat en grootte van het gezin. Verder hebben EB-patiënten vaak psychische nood en niet - psychotische psychologische stoornissen, zoals depressie en angst, die natuurlijk dienen behandeld te worden. Vaak zijn er ook problemen met het volgen van onderwijs en het uitoefenen van een job. Volgens de studie van Taboill et al. hebben de meeste gezinnen (57,1%) een jaarlijks inkomen van meer dan €17.000, maar 64,3% van de patiënten is hier niet tevreden mee. 81,5% krijgt steun van zijn familie (Tabolli et al., 2010).
4. Wondverzorging en kledij veranderen zijn een belangrijk onderdeel van het dagelijkse leven van mensen met EB. Het doel van de studie van Kirkorian et al. was om verschillende wondzorg opties die kunnen worden gebruikt bij een patiënt met EB te gaan vergelijken op basis van de kosten van de verschillende opties. Dit op basis van publiek beschikbare prijzen van wondverzorgingsproducten.

Het scala aan kosten voor wondverzorging is breed. Bijvoorbeeld, kledij voor een pasgeborene baby met EB varieert van \$10,64 voor de minst dure optie tot \$127,54 voor de duurste optie. Gebruik van geavanceerde, non-adherent kledij bij patiënten met EB vermindert de pijn en verbetert de wondgenezing.

Wondverzorging bij patiënten met ernstige, gegeneraliseerde EB heeft niet alleen een belangrijk economisch effect, maar heeft ook direct invloed op de kwaliteit van leven. Het optimaliseren van de wondgenezing, het voorkomen van infectie en het verminderen van pijn zijn routinematig aspecten van goede wondverzorging voor alle patiënten. Voor personen met EB met inherente huid fragiliteit, meerdere wonden, en een neiging tot progressieve slopende littekens en contracturen, het verminderen van huid trauma geassocieerd met het veranderen van kledij is een bijzonder belangrijk argument voor de medische noodzaak van geavanceerde wondverzorging producten. Silicone wondverband en gaas verband werden samen gebruikt, de hoeveelheid silicone wondverband en gaas dat gebruikt werd, werd equivalent gebruikt naar gelang de grote van het betrokken gebied.

Dagelijkse wondverzorgingskosten kunnen variëren naar gelang leeftijd (oppervlakte te behandelen wonden) en naar gelang de keuze van een bepaalde optie. De wondzorgkosten variëren van \$22,15 tot \$270,92 per dag voor een baby en van \$54,54 tot \$668,23 voor een 10-jarige jongen (Kirkorian et al., 2013).

5. Volgens Sampogna et al. heeft EB een impact op werk/studie, op huishoudelijk werk en zorgt het voor een toename van de uitgaven van een huishouden. Verder zou het beperkingen hebben op de werkgelegenheid, het sociale leven, persoonlijke relaties, het psychologisch welbevinden met depressies en emotionele stress tot gevolg (Sampogna et al., 2012).
6. Volgens het eindwerk van Beeckmans zou medicatie en verzorgend materiaal 6 345,85 euro/maand kosten. Een voedingssonde 236,05 euro/jaar.
Het forfaitair honoraria van het Wit-Gele kruis zorgt voor het basismateriaal en hiervan kan een deel teruggevorderd worden via het ziekenfonds (tenzij niet terugbetaald). Sondevoeding kost 15,85 euro, hiervan wordt volgens het eindwerk van Beeckmans 2,97 euro terugbetaald door de mutualiteit. De huidverzorging kost 512,79 euro waarvan 95% wordt terugbetaald door de mutualiteit. Tenslotte kost medicatie 7,95 euro waarvan 75% wordt terugbetaald (Beeckmans, 2004).
7. Volgens de studie die in Ierland werd uitgevoerd “Life with EB in Ireland” zijn psycholoog/psychiater, tandarts, thuisverpleging, EB-centrum, kinesist en medicatie belangrijke kostenposten. In Ierland is de gemiddelde totale kost voor EB €130.021 per persoon per jaar. De vier kostensoorten (directe en indirecte medische kosten, directe en indirecte niet-medische kosten) worden in deze studie duidelijk weergegeven. Cost-of-illness is het totaal aan directe en indirecte kosten (*Life With EB in Ireland*, 2023).

Bijlage 5: tussenkomsten voor EB-patiënten

Tabel 8: type tussenkomst met weergave op welk niveau en detail van de tussenkomst

Type tussenkomst	Niveau (federaal, gewestelijk,..)	Detail
Terugbetaling verzorgingsmateriaal	Federaal (Bijzonder Solidariteitsfond van het RIZIV)	Het verzorgingsmateriaal dat dagelijks nodig om de wonden te verzorgen wordt deels vergoed door de gewone verplichte ziekteverzekering, via de regeling actieve verbanden. Niet al het gebruikte materiaal zit daarin, om hieraan een deel tegemoet te komen wordt er sinds 2001 een terugbetaling voorzien van het verzorgingsmateriaal dat EB-patiënten dagelijks nodig hebben, via het Bijzonder Solidariteitsfonds van het RIZIV (<i>Kosten en Tegemoetkomingen Debra Belgium Vzw, z.d.</i>).
Verhoogde kinderbijslag	Gewestelijk	Ouders van een kind met een handicap hebben heel wat kosten: medische onderzoeken, behandelingen, therapieën, hulpmiddelen, aangepaste kledij en speelgoed, speciale voeding, ... De verhoogde kinderbijslag voor kinderen met een handicap dient om die meerkosten gedeeltelijk te dragen (<i>KANDO, z.d.</i>)
Tegemoetkoming van het VAPH	Gewestelijk	Om gebruik te maken van een door het Vlaams Agentschap voor Personen met een Handicap (VAPH) erkende dienst of voorziening voor begeleiding of opvang moeten EB-patiënten een aanvraag indienen bij het VAPH (indien meerderjarig), of bij de Intersectorale toegangspoort (ITP), voor een kind (<i>Homepage VAPH, z.d.</i>).
Tegemoetkoming door het statuut van persoon met een chronische ziekte	Federaal: RIZIV en ziekenfonds	Dankzij het statuut van persoon met een chronische aandoening ("statuut chronische aandoening") zullen EB-patiënten automatisch genieten van voordelen, zoals de derdebetalersregeling of een vermindering remgelden in het kader van de maximumfactuur en WIGW. Het statuut wordt automatisch toegekend in bepaalde gevallen, of op basis van een medisch getuigschrift dat aan het ziekenfonds moet worden bezorgd (<i>Het Statuut Van Persoon Met Een Chronische Aandoening Verbetert De Toegang Tot De Zorgen RIZIV, z.d.</i>).

Forfait voor chronisch zieken	Federaal (ziekenfonds)	De verplichte ziekteverzekering (verzekering voor geneeskundige verzorging) voorziet een forfait voor chronisch zieken die aan bepaalde voorwaarden voldoen (<i>Forfait Voor Chronisch Zieken</i> RIZIV, z.d.).
Tegemoetkoming in de prijs van pijnstillers	Federaal (ziekenfonds)	De verplichte ziekteverzekering (verzekering voor geneeskundige verzorging) komt in bepaalde gevallen tegemoet in de prijs van pijnstillers (<i>Onthaal</i> RIZIV, z.d.).
Tegemoetkoming in de prijs van actieve verbandmiddelen	Federaal (ziekenfonds)	De verplichte ziekteverzekering (verzekering voor geneeskundige verzorging) komt in bepaalde gevallen tegemoet in de prijs van actieve verbandmiddelen (<i>Onthaal</i> RIZIV, z.d.).
Invaliditeitsuitkering (inkomensvervangende tegemoetkoming)	Federaal (Federale overheidsdienst sociale zekerheid en ziekenfonds)	Om recht te hebben op een tegemoetkoming, moet de handicap erkend zijn door artsen van de FOD sociale zekerheid. Voor een inkomensvervangende tegemoetkoming houdt de FOD sociale zekerheid daarnaast rekening met de invloed van handicap op de mogelijkheid om te werken (en niet met de handicap op zich) = productiviteitsverlies (<i>Inkomensvervangende tegemoetkoming</i> <i>Handicap FGOV</i> , z.d.).

Een tegemoetkoming van het Bijzonder Solidariteitsfonds kan bekomen worden afhankelijk van de behoefteschaal.

Om te kunnen genieten van een invaliditeitsuitkering (inkomensvervangende tegemoetkoming) en een verhoogde kinderbijslag moet de toekenning van deze tegemoetkomingen gebeuren op basis van een puntensysteem. Voor het ontvangen van een invaliditeitsuitkering, moet een gebrek of vermindering van de zelfredzaamheid zijn vastgesteld. Voor zes Activiteiten van het Dagelijks Leven (ADL's) gaat men na in welke mate de zelfredzaamheid is aangetast, wat uitgedrukt wordt in een aantal punten, gaande van 0 punten indien men geen moeilijkheden ondervindt, tot drie punten indien men een ADL niet zonder hulp kan uitvoeren. Vanaf zeve, punten in de totaalscore komt de patiënt in aanmerking voor een tegemoetkoming.

Voor de kinderbijslag wordt gebruik gemaakt van een puntentoekenning in drie pijlers: lichamelijke of geestelijke graad van invaliditeit (maximum zes punten), beperkingen in de activiteit en participatiegraad (maximum 12 punten) en de familiale belasting van de toestand van het kind (maximum 18 punten). Indien men in totaal minstens zes punten heeft of in de eerste pijler vier punten, heeft het gezin recht op verhoogde kinderbijslag voor het kind.

Voor de meeste gezinnen is het belangrijk een tegemoetkoming te ontvangen om aan de kosten opgesomd in 2. Kosten voor EB-patiënten tegemoet te komen. Jammer genoeg krijgen maar weinig gezinnen een invaliditeitsuitkering of verhoogde kinderbijslag toegekend (*Kosten en Tegemoetkomingen | Debra Belgium Vzw, z.d.*) (*Je Baby Heeft EB . . . Wat Nu? | Debra Belgium Vzw, z.d.*).

Afzender : Commissie voor medische ethiek

Dr. Ruben Willems
Vakgroep Volksgezondheid en Eerstelijnszorg
UGent

contact Commissie voor medische ethiek	telefoon +32 (0)9 332 33 36	e-mail Ethisch.comite@uzgent.be
Aanvrager Stefanie Mot	datum 22/01/2024	pagina 1/6
Onze referentie: THE-2023-0397	EudraCT-nr:	Belg. Regnr:

Betreft:
Ziektekoststudie van Epidermolysis Bullosa.
Cost-of-illness study of Epidermolysis Bullosa.

Beste collega

De Commissie Medische Ethiek (CME) verbonden aan de Universiteit Gent (Ugent) en het Universitair Ziekenhuis Gent (UZ Gent) heeft het bovenvermelde dossier onderzocht en besproken op haar vergadering van 16/01/2024.

Dit project valt niet onder de bevoegdheid van de wet van 7/5/2004.

De CME heeft geen bezwaar tegen het project op voorwaarde dat de gegevens vertrouwelijk worden beheerd en in overeenstemming met de Belgische wetgeving inzake privacy.

Voor de beoordeling van dit dossier is rekening gehouden met documenten ingediend op 14/12/2023.

De studie kan vanaf nu (19/01/2024) starten in ons centrum.

Ingediende documenten: zie bijlage 1

Ledenlijst: zie Bijlage 2

Aandachtspunten: zie Bijlage 3a

ALGEMENE DIRECTIE
Commissie voor Medische Ethiek

VOORZITTER:
Prof. dr. R. Peleman

SECRETARIS:
Dr. L. Goossens

INGANG 75
ROUTE 7522

Met vriendelijke groeten,
Prof. dr. Renaat Peleman
Voorzitter
Commissie voor Medische Ethiek U(Z) Gent



Universitair Ziekenhuis Gent
C. Heymanslaan 10 | B 9000 Gent
www.uzgent.be

CC: FAGG
Cc: HIRUZ_CTU (Clinical Trial Center UZ Gent)

Unofficial translation in English:

The Ethics committee (EC) of University Ghent and Ghent University Hospital (UZ Gent) has examined and discussed the above mentioned dossier at its meeting of 16/01/2024.

The EC has no objection to the project provided that the data is managed confidentially and in compliance with the Belgian legislation on privacy.

This project does not fall within the scope of the Law of 7/5/2004.

For the assessment of this dossier, documents submitted on 14/12/2023,
have been taken into account.

The study can now (19/01/2024) start on our site.

Submitted documents: see Annex 1

List of members: see appendix 2

Points of concern: see appendix 3b



Universitair Ziekenhuis Gent
C. Heymanslaan 10 | B 9000 Gent
www.uzgent.be

Bijlage 1: Documenten

Categorie: Bewijs erkenning opdrachtgever

- Bevestiging Debra Belgium, versie geüpload dd. 01/08/2023 (NL)

Categorie: CV

- Stefanie Mot, versie geüpload dd. 08/10/2023 (NL)

- Ruben Willems, versie geüpload dd. 26/11/2023 (NL)

Categorie: GCP certificaat

- Ruben Willems, dd. 01/02/2021 (EN)

Categorie: Gegevensverwerkingsregister

- Generic DMP + / GDPR / DPIA, dd. 31/10/2023 (EN)

Categorie: Informatie- en toestemmingsformulier

- ICF, versie geüpload dd. 26/11/2023 (NL)

Categorie: Rekruteringsmateriaal

- Aanschrijving via mail, versie geüpload dd. 26/11/2023 (NL)

- Herinneringsmail, versie geüpload dd. 26/11/2023 (NL)

Categorie: Statistical analysis plan

- Strategisch analyse plan, versie geüpload dd. 26/11/2023 (NL)

Categorie: Vragenlijsten

- Vragenlijst, versie 1 dd. 31/10/2023 (NL)



Universitair Ziekenhuis Gent
C. Heymanslaan 10 | B 9000 Gent
www.uzgent.be

Bijlage 2: Overzicht leden CME U(Z) Gent

voorzitter: Prof. dr. R. Peleman
Secretaris: Dr. L. Goossens

Effectief lid	Plaatsvervangend lid
Prof. dr. G. Van Lancker UZ Gent - klinisch farmacoloog, ♀	Prof. dr. S. Rottey UZ Gent - klinisch farmacoloog, ♀
Prof. dr. D. De Bacquer UGent - statisticus, ♂	Prof. dr. P. Coorevits UGent - statisticus, ♂
Dr. M. Cosyns Extern - huisarts, ♂	Dr. J. Matthys Extern - huisarts, ♂
Dr. J. Van Elsen Extern - huisarts, ♂	Dr. J. Matthys Extern - huisarts, ♂
Prof. dr. K. De Groot UZ Gent - kindercardioloog, ♀	Dr. P. De Bruyne UZ Gent - kindergastro-enteroloog, ♀
Prof. dr. W. Notebaert UGent - psycholoog, ♂	Dhr. W. Schrauwen UGent - psycholoog, ♂
Mevr. R. Vrielynck UZ Gent - verpleegkundige, ♀	Mevr. A. Charles UZ Gent - verpleegkundige, ♀
Dhr. C. Demeestere UZ Gent - verpleegkundige, ♂	Dhr. G. De Smet UZ Gent - verpleegkundige, ♂
Apr. K. Kint UZ Gent - apotheker, ♀	Apr. L. Huys UZ Gent - apotheker, ♀
Dhr. B. Vanderhaegen UZ Gent - Ethicus, ♂	Dhr. K. Raus UZ Gent - Ethicus, ♂
Prof. dr. T. Goffin UGent - jurist, ♂	Mevr. V. Vanscheewijck UGent - jurist, ♀
Mevr. C. Van Caeneghem extern - patiëntvertegenwoordiger, ♀	Mevr. S. Degroote extern - patiëntvertegenwoordiger, ♀
Prof. dr. W. Van Biesen UZ Gent - nefroloog, ♂	Dr. A. Beyens UZ Gent - geneticus, ♀
Prof. dr. R. Peleman UZ Gent - internist en pneumoloog, ♂	Dr. L. Goossens UZ Gent - neonatoloog, ♀
Dr. T. Martens UZ Gent - hartchirurg, ♂	Dr. H. Eker UZ Gent - algemene en hepatobiliaire chirurg, ♂
Dr. L. Dhaenens UZ Gent - fertilititsarts, ♀	Dr. I. Dehaene UZ Gent - verloskunde, ♀
Dr. R. Van Der Looven UZ Gent - kinderrevalidatie, ♀	Dr. M. Neckebroek UZ Gent - anesthesist, ♀
Dr. E. Schoentjes UZ Gent - (kinder- jeugd)psychiater, ♂	Prof. dr. K. Dhondt UZ Gent - (kinder- jeugd)psychiater, ♀

Appendix 3a: Aandachtspunten (indien van toepassing)

De CME bevestigt te werken in overeenstemming met de ICH-GCP-principes (International Conference on Harmonization Guidelines on Good Clinical Practice), de nieuwste versie van de Verklaring van Helsinki, het Oviedo-verdrag inzake mensenrechten en biogeneeskunde en toepasselijke wet- en regelgeving.

De CME benadrukt de verantwoordelijkheid van de PI/promotor van dit onderzoek met betrekking tot de privacy van de persoons-/patiëntgegevens in contact met patiënten, of bij de toegang tot patiëntgegevens, inclusief de juiste implementatie hiervan door collega's en studenten.

De CME verlangt dat het hoofd/personeel van de klinische afdeling geïnformeerd wordt over en akkoord gaat met dit onderzoek; dit is de verantwoordelijkheid van de PI.

De PI/promotor is verantwoordelijk voor de uitvoering van het projectvoorstel in overeenstemming met de toepasselijke wet- en regelgeving waaronder, maar niet beperkt tot, de EU-verordening 2016/679 (Algemene Verordening Gegevensbescherming), de Belgische Wet op de patiëntenrechten van 22/8/2002, en het beleid van de instelling waar het onderzoek wordt uitgevoerd.

De CME verwijst naar de ICH/GCP-richtlijnen op haar website en bevestigt dat van elke onderzoeker een GCP-training vereist is. Het is de verantwoordelijkheid van de hoofdonderzoeker dat elk lid van het onderzoeksteam een geldig GCP-certificaat heeft.

De CME bevestigt te werken in overeenstemming met de ICH-GCP-principes (International Conference on Harmonization Guidelines on Good Clinical Practice), de nieuwste versie van de Verklaring van Helsinki, het Oviedo-verdrag inzake mensenrechten en biogeneeskunde en toepasselijke wet- en regelgeving.

De CME bevestigt dat - in geval van belangenverstrengeling - betrokken leden niet deelnemen aan de stemming over het onderzoek.

De conformiteit van vertaalde documenten ten opzichte van de Nederlandse documenten is de verantwoordelijkheid van de opdrachtgever.

Mits er een Clinical Trial Agreement is, kan de studie pas starten wanneer de Clinical Trial Agreement werd goedgekeurd en ondertekend door de CEO van het UZ Gent (en/of door een gemachtigde vertegenwoordiger van de UGent).

Gelieve rekening te houden met de reglementen van het ziekenhuis inzake weefselbeheer en de reglementen van de wet van 19 december 2008.

Dit advies van De CME houdt niet in dat zij de verantwoordelijkheid voor het geplande onderzoek op zich neemt. U blijft verantwoordelijk voor het onderzoek. Daarnaast dient u ervoor te zorgen dat uw mening als betrokken onderzoeker wordt weergegeven in publicaties, rapporten voor de overheid etc. die het resultaat zijn van dit onderzoek.

De CME-goedkeuring die voor een specifiek project wordt gegeven, is één jaar geldig. Wij verzoeken u ons te informeren als het onderzoek niet wordt gestart of als het onderzoek niet binnen 1 jaar na goedkeuring start.

EC bevestigt dat - in geval van belangenverstrengeling - betrokken leden niet deelnemen aan de stemming over het onderzoek.

Appendix 3b: Points of concern (if applicable)

The EC confirms working in accordance with the ICH-GCP principles (International Conference on Harmonization Guidelines on Good Clinical Practice), the latest version of the Declaration of Helsinki, the Oviedo Convention on Human Rights and Biomedicine and applicable laws and regulations.

The EC emphasizes the responsibility of the PI/promotor of this study concerning the privacy of the person/patient data in contact with patients, or when accessing patient data, including the correct implementation thereof by coworkers and students.

The EC requires that the head/staff of the clinical department are informed about and concur with this study; this is the PI's responsibility.

The PI/promotor is responsible for the implementation of the project proposal in accordance with applicable laws and regulations including, but not limited to, the EU regulation 2016/679 (General Data Protection Regulation), the Belgian Law on patients' rights of 22/8/2002, and the policy of the institution where the research will be carried out.

The EC refers to the ICH/GCP guidelines on its website, and confirms that a GCP-training is required from each investigator. It is the responsibility of the principal investigator that each member of the study team has a valid GCP-certificate.

The EC confirms working in accordance with the ICH-GCP principles (International Conference on Harmonization Guidelines on Good Clinical Practice), the latest version of the Declaration of Helsinki, the Oviedo Convention on Human Rights and Biomedicine and applicable laws and regulations.

The EC confirms that - in case of conflict of interest - involved members do not take part in the vote concerning the study.

The conformity of translated documents compared to the Dutch documents, is the responsibility of the sponsor.

Provided that there is a Clinical Trial Agreement, the study can only start when the Clinical Trial Agreement has been approved and signed by the CEO of UZ Gent (and/or by an authorized representative of UGent).

Please take into account the regulations of the hospital concerning tissue management and the regulations of the law of December 19, 2008.

This advice of the EC does not imply that it will assume responsibility for the planned study. You will remain responsible for the study. In addition, you should ensure that your opinion as an involved researcher is reproduced in publications, reports for the government, etc. which are the result of this study.

The EC approval given for a specific project, is valid for one year. We request you to inform us if the study will not be initiated or if the study does not start within 1 year after approval.

EC confirms that - in case of conflict of interest - involved members do not take part in the vote concerning the study.

INFORMATIE- EN TOESTEMMINGSFORMULIER

LUIK 1 – INFORMATIEBRIEF DEELNEMERS ONDERZOEK

Titel van de studie: Cost of illness studie van Epidermolysis bullosa

Dit is een onderzoek dat wordt uitgevoerd door de Universiteit Gent in samenwerking met UZ Leuven (EB-centrum) en Debra Belgium. De verantwoordelijke onderzoekers zijn:

Stefanie Mot	Ruben Willems
Student Master of Science in het Management en Beleid van de Gezondheidszorg	Volksgezondheid en Eerstelijnszorg
Universiteit Gent	Universiteit Gent
E-mail: stefanie.mot@ugent.be	E-mail: ruben.willems@ugent.be
Tel. nr.: +32 496 11 69 35	Tel. nr.: +32 488 30 77 49

Beste,

Mijn naam is Stefanie Mot, student Master of Science in het Management en het Beleid van de Gezondheidszorg aan de Universiteit van Gent. Ik nodig u graag uit om deel te nemen aan een wetenschappelijk onderzoek in het kader van mijn masterproef. In deze gezondheidseconomische studie van epidermolysis bullosa (EB) verwerven we via vragenlijsten inzicht in de kostprijs van de behandeling van EB. Neem voldoende tijd om deze informatiebrief aandachtig te lezen voor u beslist deel te nemen aan deze studie. Aarzel niet om vragen te stellen aan de onderzoeker als er onduidelijkheden zijn of indien u bijkomende informatie wenst. Zorg ervoor dat u alles begrijpt. Eens u beslist heeft om deel te nemen aan de studie zal dient u het toestemmingsformulier in bijlage van de mail in te vullen.

A. Info over het onderzoek

Doel van het onderzoek

De resultaten van dit onderzoek kunnen mee het beleid ondersteunen en bijsturen, bijvoorbeeld in het kader van een mogelijke herziening van de eigen bijdrage van de patiënt door het Rijksinstituut voor ziekte- en invaliditeitsverzekering (RIZIV). Uw deelname aan dit onderzoek is cruciaal voor het bekomen van deze inzichten.

Ethische commissie

Deze studie werd op 16/01/2024 goedgekeurd door de Ethische Commissie van de Faculteit Geneeskunde en Gezondheidswetenschappen van de Universiteit Gent. In geen geval dient u de goedkeuring door de Ethische Commissie te beschouwen als een aanzet tot deelname aan deze studie.

Informatie m.b.t. privacy en persoonsgegevens

In deze studie worden geen persoonsgegevens verzameld. Alle gegevens die worden verzameld zijn van bij aanvang anoniem. Dit betekent dat ik noch andere personen uw identiteit kunnen afleiden uit de verzamelde gegevens of deze gegevens kunnen koppelen aan uw identiteit. De gegevens zullen volgens de geldende richtlijnen 10 jaar bewaard worden. De gegevens zullen niet gebruikt worden voor andere onderzoeken.

B. Informatie m.b.t. deelname

Vrijwillige deelname

De deelname aan deze studie is volledig vrijwillig en er kan op geen enkele manier sprake zijn van dwang. U kunt weigeren om deel te nemen aan de studie en u kunt zich op elk ogenblik terugtrekken uit de studie zonder dat u hiervoor een reden moet opgeven. Indien u niet wenst deel te nemen, of als u beslist zich terug te trekken uit de studie, zal dit op geen enkele manier een invloed hebben op uw verdere relatie met de onderzoeker, of uw behandeling.

Indien u dit wenst, kan u een samenvatting van de onderzoeksbevindingen krijgen wanneer de resultaten bekend zijn. Een samenvatting kan u aanvragen bij mij:
stefanie.mot@ugent.be.

Risico's en voordelen bij deelname

Aan dit onderzoek is geen enkel bekend blijvend risico verbonden. Uw deelname aan dit onderzoek zou helpen waardevolle inzichten te verkrijgen in alle kosten en een totale kostprijs te berekenen van de behandeling van EB.

Er is geen beloning of vergoeding voorzien voor deelname.

LUIK 2 – TOESTEMMINGSFORMULIER

A. Toestemming m.b.t. deelname aan de studie

Gelieve het juiste vakje aan te kruisen	Ja	Nee
Ik neem vrijwillig deel aan deze wetenschappelijke studie en geef toestemming aan de onderzoekers om mijn gegevens te verwerken, ze te bewaren, te analyseren en erover te rapporteren.		
Ik weet dat ik me op elk ogenblik uit de studie mag terugtrekken zonder een reden voor deze beslissing op te geven en zonder dat dit op enige wijze een invloed zal hebben op mijn verdere relatie met de onderzoeker.	☐	☐
Ik begrijp dat het stopzetten van mijn deelname geen negatieve invloed heeft op mijn behandeling of ondersteuning.		
Ik heb het informatieformulier gelezen en heb voldoende uitleg gekregen over de aard, het doel, de duur, en de voorziene effecten van de studie. Ik kreeg de gelegenheid om vragen te stellen en ik heb op al mijn vragen een bevredigend antwoord gekregen.		

Naam deelnemer	Naam onderzoeker
Datum:	Datum:
Handtekening	Handtekening

Geachte,

Mijn naam is Stefanie Mot, student Master of Science in het Management en het Beleid van de Gezondheidszorg aan de Universiteit van Gent. Ik wens u uit te nodigen om deel te nemen aan een wetenschappelijk onderzoek in het kader van mijn masterproef.

Het onderzoek is een gezondheidseconomische studie van Epidermolysis bullosa (EB) waarbij via vragenlijsten inzicht wordt verworven in de kostprijs van de behandeling van EB. De resultaten van dit onderzoek kunnen mee het beleid ondersteunen en bijsturen, bijvoorbeeld in het kader van een mogelijke herziening van de eigen bijdrage van de patiënt door het Rijksinstituut voor ziekte- en invaliditeitsverzekering (RIZIV). Uw deelname aan dit onderzoek is cruciaal voor het bekomen van deze inzichten.

Uw participatie aan het onderzoek is volledig **vrijwillig**. U kunt op elk moment beslissen om niet langer deel te nemen zonder enige verplichtingen. Als u de lijst niet zelf kan invullen, kan iemand u helpen, bijvoorbeeld een familielid.

Graag vraag ik u om de bijgevoegde geïnformeerde toestemming (Informed Consent Form) grondig door te nemen en te ondertekenen ter goedkeuring dat u wenst deel te nemen aan dit onderzoek.

Het invullen van de vragenlijst zal zo'n halfuur beslag nemen en pijlt naar sociodemografische informatie, karakteristieken van de aandoening en naar kosten van de afgelopen 6 maand. U kan de vragenlijst invullen via volgende digitale link:

https://ugent.qualtrics.com/jfe/form/SV_09C90Jxu4lrAQS.

Indien u liever de vragenlijst afdruckt en schriftelijk invult is dit ook mogelijk. U kan de vragenlijst terugvinden in bijlage. Deze kan u ingevuld opsturen naar Debra Belgium Rue Piralewe 1 - 4600 Lanaye. U hebt tijd tot **22 maart 2024** om de vragenlijst in te vullen.

Er is geen beloning of vergoeding voorzien voor deelname. Alle informatie wordt **vertrouwelijk** behandeld zodat uw privacy gewaarborgd blijft.

Indien u verdere vragen heeft over het onderzoek, kunt u contact opnemen met de onderzoeker via + 32 496 11 69 35 of stefanie.mot@ugent.be.

Alvast hartelijk dank om de vragenlijst in te vullen!

Met vriendelijke groeten

Stefanie Mot

Ook in naam van dr. Ruben Willems (Universiteit Gent), prof. dr. Gunnar Naulaers en dr. Caroline Colmant (UZ Leuven) en Ingrid Jageneau (Debra Belgium)

Cost-of-illness studie van epidermolysis bullosa (EB)

Beste,

Mijn naam is Stefanie Mot, student Master of Science in het Management en het Beleid van de Gezondheidszorg aan de Universiteit van Gent. Ik nodig u graag uit om deel te nemen aan een wetenschappelijk onderzoek in het kader van mijn masterproef. In deze gezondheidseconomische studie van epidermolysis bullosa (EB) verwerven we via vragenlijsten inzicht in de kostprijs van de behandeling van EB. Neem voldoende tijd om deze informatiebrief aandachtig te lezen voor u beslist deel te nemen aan deze studie. Aarzel niet om vragen te stellen aan de onderzoeker als er onduidelijkheden zijn of indien u bijkomende informatie wenst. Zorg ervoor dat u alles begrijpt. Eens u beslist heeft om deel te nemen aan de studie zal dient u het toestemmingsformulier in bijlage van de mail in te vullen.

A. Info over het onderzoek

Doel van het onderzoek

De resultaten van dit onderzoek kunnen mee het beleid ondersteunen en bijsturen, bijvoorbeeld in het kader van een mogelijke herziening van de eigen bijdrage van de patiënt door het Rijksinstituut voor ziekte- en invaliditeitsverzekering (RIZIV). Uw deelname aan dit onderzoek is cruciaal voor het bekomen van deze inzichten.

Ethische commissie

Deze studie werd op 16/01/2024 goedgekeurd door de Ethische Commissie van de Faculteit Geneeskunde en Gezondheidswetenschappen van de Universiteit Gent. In geen geval dient u de goedkeuring door de Ethische Commissie te beschouwen als een aanzet tot deelname aan deze studie.

Informatie m.b.t. privacy en persoonsgegevens

In deze studie worden geen persoonsgegevens verzameld. Alle gegevens die worden verzameld zijn van bij aanvang anoniem. Dit betekent dat ik noch andere personen uw identiteit kunnen afleiden uit de verzamelde gegevens of deze gegevens kunnen koppelen aan uw identiteit. De gegevens zullen volgens de geldende richtlijnen 10 jaar bewaard worden. De gegevens zullen niet gebruikt worden voor andere onderzoeken.

B. Informatie m.b.t. deelname

Vrijwillige deelname

De deelname aan deze studie is volledig vrijwillig en er kan op geen enkele manier sprake zijn van dwang. U kunt weigeren om deel te nemen aan de studie en u kunt zich op elk ogenblik terugtrekken uit de studie zonder dat u hiervoor een reden moet opgeven. Indien u niet wenst deel te nemen, of als u beslist zich terug te trekken uit de studie, zal dit op geen enkele manier een invloed hebben op uw verdere relatie met de onderzoeker, of uw behandeling.

Indien u dit wenst, kan u een samenvatting van de onderzoeksbevindingen krijgen wanneer de resultaten bekend zijn. Een samenvatting kan u aanvragen bij mij: stefanie.mot@ugent.be.

Risico's en voordelen bij deelname

Aan dit onderzoek is geen enkel bekend blijvend risico verbonden. Uw deelname aan dit onderzoek zou helpen waardevolle inzichten te verkrijgen in alle kosten en een totale kostprijs te berekenen van de behandeling van EB.

Versie 3 18/02/2024

2

Er is geen beloning of vergoeding voorzien voor deelname.

Alvast hartelijk dank om de vragenlijst in te vullen!

Met vriendelijke groeten

Stefanie Mot

Ook in naam van dr. Ruben Willems (Universiteit Gent), prof. dr. Gunnar Naulaers en dr. Caroline Colmant (UZ Leuven) en Ingrid Jageneau (Debra Belgium)

PERSOONSGEGEVENEN

1. Voor wie vult u deze vragenlijst in?

- ☐ voor uzelf als EB-patiënt
- ☐ voor uw kind dat EB-patiënt is
- ☐ anders, namelijk:

2. Wat is het geslacht van de persoon met EB?

- ☐ man
- ☐ vrouw
- ☐ anders

3. Wat is de leeftijd (in jaren) van de persoon met EB?

..... leeftijd in jaren

4. Welk is uw of uw kind zijn/haar huidig type van inkomen?

- ☐ mijn kind gaat nog niet naar school, afhankelijk van het inkomen van de ouders
- ☐ ik zit nog op school en ben afhankelijk van het inkomen van mijn ouders
- ☐ inkomen uit werk (als loontrekkende of zelfstandige)
- ☐ werkloosheidsuitkering
- ☐ pensioen
- ☐ ziekte- of invaliditeitsuitkering
- ☐ leefloon
- ☐ andere, namelijk:

5. Werd bij u of uw kind reeds de diagnose "EB" gesteld?

- ☐ ja
- ☐ op basis van de symptomen vermoedt de arts dat ik EB heb/mijn kind EB heeft
- ☐ nee
- ☐ ik weet niet

Versie 3 18/02/2024

4

6. Op welke leeftijd (in jaren) werd de diagnose gesteld?

..... leeftijd in jaren

7. Hoeveel tijd verstreek tussen de eerste tekenen (blaren en wonden op het lichaam) en het stellen van die diagnose (in weken, maanden of jaren)?

..... weken, maanden of jaren

8. Welke van de volgende vier soorten EB past het best bij uw of uw kind zijn/haar situatie?

- ☐ epidermolysis bullosa simplex (EBS)
- ☐ junctionele EB (JEB)
- ☐ dystrofische EB (DEB)
- ☐ kindler epidermolysis Bullosa (KEB)
- ☐ ik weet het niet

9. Welk subtype past het best bij uw of uw kind zijn/haar situatie?

- ☐ EBS localised
- ☐ EBS generalised intermediate
- ☐ EBS generalised severe
- ☐ JEB generalised intermediate
- ☐ JEB generalised severe
- ☐ DDEB generalised
- ☐ RDEB generalised intermediate
- ☐ RDEB generalised severe
- ☐ andere, namelijk:
- ☐ ik weet het niet

GEBRUIK VAN GEZONDHEIDSZORG**BELANGRIJKE OPMERKING**

De volgende vragen gaan **enkel** over het gebruik van gezondheidszorg omwille van epidermolysis bullosa of gezondheidsproblemen dat mogelijk met EB te maken heeft. **Gebruik van gezondheidszorg voor andere problemen hoeft u hier niet in rekening te brengen.**

RAADPLEGING SPECIALIST

10. Bent u of uw kind in de afgelopen 12 maanden in het EB-centrum in Leuven geweest voor de EB-raadpleging (multidisciplinaire raadpleging) omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB?
- ☐ 0 keer
 - ☐ 1 keer
 - ☐ 2 keer
 - ☐ 3 keer
 - ☐ 4 keer
 - ☐ anders, namelijk:
 - ☐ ik weet het niet
11. Heeft u of uw kind in de afgelopen 12 maanden een arts/specialist (huisarts, pediater, dermatoloog, oogarts, tandarts,...) geraadpleegd buiten de EB-raadpleging omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB?
- ☐ ja → ga naar vraag 12
 - ☐ nee → ga naar vraag 13

12. Welk soort arts/specialist raadpleegde u of uw kind in de afgelopen 12 maanden, buiten de EB-raadpleging? Dit kan wel een arts/specialist zijn van UZ Leuven. Geef in het vrije tekstvak het aantal keer weer.

soort arts/specialist	aantal keer
☐ huisarts	
☐ pediater	
☐ dermatoloog	
☐ oogarts	
☐ tandarts	
☐ neuroloog	
☐ psychiater	
☐ anatomopatholoog	
☐ anesthesist	
☐ cardioloog	
☐ plastisch chirurg – handchirurg	
☐ vaatchirurg	
☐ endocrinoloog	
☐ gastro-enteroloog	
☐ gynaecoloog – verloskundige	
☐ nefroloog	
☐ oncoloog	
☐ keel-, neus-, oorarts (KNO)	
☐ radioloog	
☐ reumatoloog	
☐ stomatoloog	

Versie 3 18/02/2024

7

☐ uroloog	
☐ orthopedist	
☐ dienst erfelijkheid	
☐ andere, namelijk:	
☐ andere, namelijk:	

□

RAADPLEGING PARAMEDISCHE ZORG

13. Heeft u of uw kind in de afgelopen 12 maanden een paramedisch zorgverstrekker (kinesist, psycholoog,...) geraadpleegd buiten de EB-raadpleging omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB?

☐ ja → ga naar vraag 14

☐ nee → ga naar vraag 15

14. Welk soort paramedisch zorgverstrekker raadpleegde u of uw kind in de afgelopen 12 maanden, buiten de EB-raadpleging? Dit kan wel een paramedisch zorgverstrekker zijn van UZ Leuven. Geef in het vrije tekstvak het aantal keer weer.

soort paramedische zorg	aantal keer
☐ ergotherapeut	
☐ diëtist	
☐ kinesist	
☐ psycholoog	
☐ podoloog	
☐ logopedist	
☐ andere, namelijk:	
☐ andere, namelijk:	

OPNAME (DAG)ZIEKENHUIS

15. Bent u of uw kind in **de afgelopen 12 maanden** opgenomen geweest in een (dag)ziekenhuis omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB?

☐ ja → ga naar vraag 16

☐ nee → ga naar vraag 17

16. Gelieve in te vullen wat de reden was ben opname in een (dag)ziekenhuis. Geef ook aan hoeveel dagen u of uw kind verbleef in het ziekenhuis.

Voorbeelden opname dagziekenhuis: tandarts, plaatsen maagsonde, bloedtransfusie,...

Voorbeelden opname ziekenhuis: handchirurgie, slokdarmdilatatie,...

reden van opname voorbeeld: bloedtransfusie dagziekenhuis	aantal dagen bij opname in ziekenhuis voorbeeld: 1 dag

VERPLAATSINGSKOSTEN

17. Heeft u of uw kind in de afgelopen 12 maanden verplaatsingskosten gehad omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB?

☐ ja → ga naar vraag 18

☐ nee → ga naar vraag 19

18. Welke verplaatsingen maakte u of uw kind naar aanleiding van EB in de afgelopen 12 maanden? Geef in het vrije tekstvak de kost hiervan weer in de afgelopen 12 maanden.

soort verplaatsing	kost
☐ met eigen wagen (geef aantal kilometers weer)	
☐ parkeerkosten	
☐ taxi	
☐ openbaar vervoer	
☐ niet dringend ziekenvervoer	
☐ andere, namelijk:	
☐ andere, namelijk:	

WONDZORG

19. Heeft u of uw kind in de afgelopen 12 maanden wondzorg nodig gehad omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB?

☐ ja → ga naar vraag 20

☐ nee → ga naar vraag 23

20. Wie voert de wondzorg uit? Meerdere antwoorden mogelijk.

☐ ik doe de wondzorg zelf

☐ er komt een thuisverpleegkundige

☐ iemand van mijn gezin/familie

☐ anders, specificeer:

21. Hoeveel keer per dag wordt de wondzorg uitgevoerd?
- ☐ 1 keer/dag
 - ☐ 2 keer/dag
 - ☐ 1 keer om de 2 dagen
 - ☐ anders, specificeer:
22. Hoelang duurt de wondzorg?
- ☐ minder dan 30 minuten per keer
 - ☐ tussen de 30 en 60 minuten per keer
 - ☐ meer dan 60 min per keer
 - ☐ anders, specificeer:

BEHANDELPLAN

23. Heeft u of uw kind in **de afgelopen 12 maanden** medicatie (antibiotica, pijnstillers, middelen tegen jeuk, medicatie ter bescherming van slijmvlies van slokdarm en maag,...) gebruikt omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB? Zie behandelplan.
- ☐ ja → ga naar vraag 24
 - ☐ nee → ga naar vraag 25
24. Om welke medicatie (bij voorkeur de merknaam) gaat het? Geef de hoeveelheid aan die gebruikt werd in de afgelopen 12 maanden.

merknaam medicatie voorbeeld: Dafalgan	hoeveelheid afgelopen 12 maanden voorbeeld: 12 dozen van 40 bruistabletten

Versie 3 18/02/2024

11

25. Heeft u of uw kind in **de afgelopen 12 maanden** zalven, crèmes of lotions gebruikt omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB? Zie behandelplan.

☐ ja → ga naar vraag 26

☐ nee → ga naar vraag 27

26. Om welke zalven, crèmes of lotions (bij voorkeur de merknaam) gaat het? Geef de hoeveelheid aan die gebruikt werd in de afgelopen 12 maanden.

merknaam zalf, crème of lotion voorbeeld: Flaminal hydro	hoeveelheid afgelopen 12 maanden voorbeeld: 12 dozen van 50g

27. Heeft u of uw kind in **de afgelopen 12 maanden** ontsmettingsmiddelen gebruikt omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB? Zie behandelplan.

☐ ja → ga naar vraag 28

☐ nee → ga naar vraag 29

28. Om welke ontsmettingsmiddelen (bij voorkeur de merknaam) gaat het? Geef de hoeveelheid aan die gebruikt werd in de afgelopen 12 maanden.

merknaam ontsmettingsmiddel voorbeeld: Diaseptyl	hoeveelheid afgelopen 12 maanden voorbeeld: 24 verpakkingen van 125 ml

29. Heeft u of uw kind in **de afgelopen 12 maanden** windels (fixatieverbanden) gebruikt omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB? Zie behandelplan.

☐ ja → ga naar vraag 31

☐ nee → ga naar vraag 32

30. Om welke windels (fixatieverbanden) (bij voorkeur de merknaam) gaat het? Geef de hoeveelheid aan die gebruikt werd in de afgelopen 12 maanden.

merknaam windel (fixatieverband) voorbeeld: Tubifast 1 meter	hoeveelheid afgelopen 12 maanden voorbeeld: 48 zakjes

31. Heeft u of uw kind in de **afgelopen 12 maanden** (wond)verbanden gebruikt omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB? Zie behandelplan.

☐ ja → ga naar vraag 32

☐ nee → ga naar vraag 33

32. Om welke (wond)verbanden (bij voorkeur de merknaam) gaat het? Geef de hoeveelheid aan die gebruikt werd in de afgelopen 12 maanden.

merknaam (wond)verband voorbeeld: Mepitel 10cmx18cm	hoeveelheid afgelopen 12 maanden voorbeeld: 36 dozen van 10 stuks

Versie 3 18/02/2024

14

33. Heeft u of uw kind in de **afgelopen 12 maanden** andere medische producten (bv. vitamine-supplementen, voedingssupplementen, badproducten, zachte reinigingsproducten,...) gebruikt omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB? Zie behandelplan.

☐ ja → ga naar vraag 34

☐ nee → ga naar vraag 35

34. Om welke andere medische producten (bij voorkeur de merknaam) gaat het? Geef de hoeveelheid aan die gebruikt werd in de afgelopen 12 maanden.

merknaam medisch product voorbeeld: Nutridrink	hoeveelheid afgelopen 12 maanden voorbeeld: 720 flesjes van 200 ml

ANDERE MEDISCHE KOSTEN

35. Heeft u of uw kind in de **afgelopen 12 maanden** nog **andere medische kosten** gehad (bv. sondevoeding, handspalken, tandprothese,....) omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB?

☐ ja → ga naar vraag 36

☐ nee → ga naar vraag 37

36. Om welke **andere medische kosten** gaat het? Geef de kostprijs, wat uzelf betaald hebt, weer voor de afgelopen 12 maanden.

soort medische kosten voorbeeld: sondevoeding	kostprijs afgelopen 12 maanden voorbeeld: 240 euro

Niet-medische kosten

37. Heeft u of uw kind in de **afgelopen 12 maanden** kosten gehad met betrekking tot niet-medische kosten (bv. extra kleding en beddengoed, aangepaste kleding gemaakt van zachte, niet schurende stoffen, naadloze kledingstukken, schoeisel eventueel orthopedisch of aangepast, inlegzolen,...) omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB?

☐ ja → ga naar vraag 38

☐ nee → ga naar vraag 39

38. Gelieve in onderstaande tabel het soort niet-medische kost aan te vullen en de kostprijs, wat u nog zelf betaald hebt, in de afgelopen 12 maanden weer te geven.

soort niet-medische kost voorbeeld: aangepaste schoenen	kostprijs afgelopen 12 maanden voorbeeld: 250 euro

Hulpmiddelen

39. Heeft u of uw kind in de **afgelopen 12 maanden** kosten gehad met betrekking tot hulpmiddelen (bv. rolstoel, buggy of driewieler, anti decubitus matras, zachte kussens en dekens, temperatuurregeling in thuis, aangepaste wagen, aangepaste badkamer,...) omwille van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB?

- ☐ ja → ga naar vraag 40
☐ nee → ga naar vraag 41

40. Gelieve in onderstaande tabel het soort hulpmiddel en de kostprijs, wat u nog zelf betaald hebt, in de afgelopen 12 maanden weer te geven.

soort hulpmiddel voorbeeld: rolstoel	kostprijs afgelopen 12 maanden voorbeeld: 500 euro

Tewerkstelling

Indien de EB patiënt nog schoolplichtig is en niet werkende is, kan u onderstaande vragen als ouder invullen. Deze vragen hebben dan betrekking op u als ouder. Gelieve voor beide ouders in te vullen indien van toepassing.

Ouder 1

41. Bent u momenteel tewerkgesteld (met tewerkstelling bedoelen we zowel deeltijdse of voltijdse tewerkstelling)? Als u momenteel in ziekenverlof bent maar wel een job hebt, antwoord dan 'ja'.
- ☐ ja → ga naar vraag 42
- ☐ nee → ga naar vraag 46
42. Onder welk statuut bent u momenteel tewerkgesteld?
- ☐ werknemer
- ☐ zelfstandige
- ☐ ambtenaar
- ☐ ander, namelijk:
43. Welk is uw huidige tewerkstellingspercentage?
- ☐ voltijds
- ☐ deeltijds
- Indien deeltijds: %
44. Bent u **in de afgelopen 12 maanden** op het werk afwezig geweest ten gevolge van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB?
- ☐ ja → ga naar vraag 45
- ☐ nee → ga naar vraag 48 (partner/andere oudere) of ga naar 55
45. Hoeveel dagen bent u **in de afgelopen 12 maanden** afwezig geweest op het werk ten gevolge van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB?
- dagen

46. Heeft de reden waarom u momenteel niet tewerkgesteld bent te maken met EB of met een gezondheidsprobleem dat mogelijk met EB te maken heeft.
- ☐ ja → ga naar vraag 47
- ☐ nee → ga naar vraag 48 (partner/andere oudere) of ga naar vraag 55
47. Sinds hoelang bent u niet tewerkgesteld omwille van EB of omwille van een gezondheidsprobleem dat mogelijk met EB te maken heeft (in dagen, weken, maanden of jaren)
-

Partner/andere oudere (indien van toepassing)

48. Bent u momenteel tewerkgesteld (met tewerkstelling bedoelen we zowel deeltijdse of voltijdse tewerkstelling)? Als u momenteel in ziekenverlof bent maar wel een job hebt, antwoord dan 'ja'.
- ☐ ja → ga naar vraag 49
- ☐ nee → ga naar vraag 53
49. Onder welk statuut bent u momenteel tewerkgesteld?
- ☐ werknemer
- ☐ zelfstandige
- ☐ ambtenaar
- ☐ ander, namelijk:
50. Welk is uw huidige tewerkstellingspercentage?
- ☐ voltijds
- ☐ deeltijds
- Indien deeltijds: %

51. Bent u in **de afgelopen 12 maanden** op het werk afwezig geweest ten gevolge van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB?
- ☐ ja → ga naar vraag 52
- ☐ nee → ga naar vraag 55
52. Hoeveel dagen bent u in **de afgelopen 12 maanden** afwezig geweest op het werk ten gevolge van EB of een gezondheidsprobleem dat mogelijk te maken had met EB?
- dagen
53. Heeft de reden waarom u momenteel niet tewerkgesteld bent te maken met EB of met een gezondheidsprobleem dat mogelijk met EB te maken heeft.
- ☐ ja → ga naar vraag 54
- ☐ nee → ga naar vraag 55
54. Sinds hoelang bent u niet tewerkgesteld omwille van EB of omwille van een gezondheidsprobleem dat mogelijk met EB te maken heeft (in dagen, weken, maanden of jaren)
-
55. Hebt u nog opmerkingen, aanvullingen of toevoegingen?

.....

.....

.....

.....

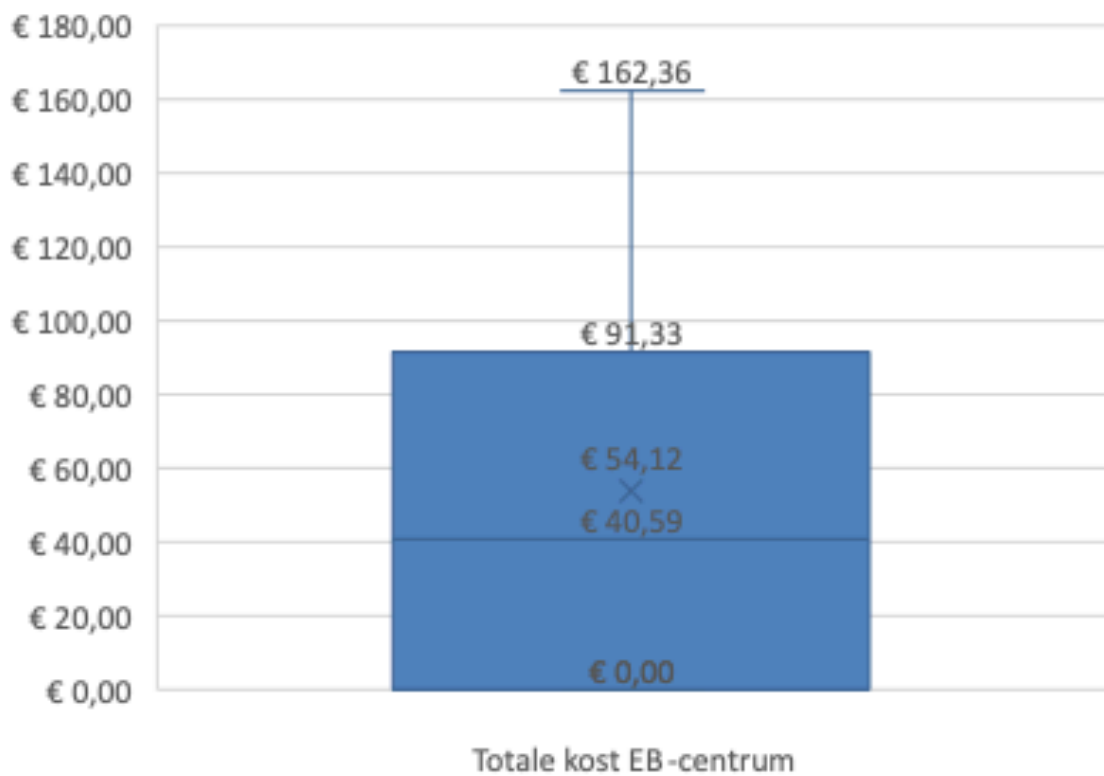
.....

.....

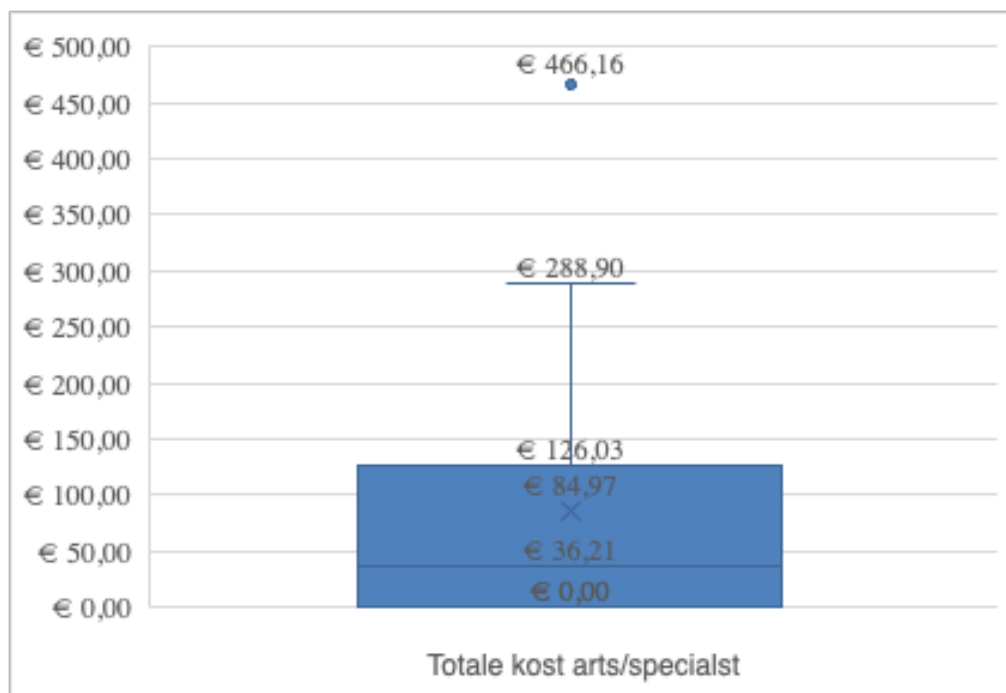
IK DANK U VAN HARTE VOOR HET INVULLEN VAN DE VRAGENLIJST

Bijlage 10: visualisaties (spreiding) van data

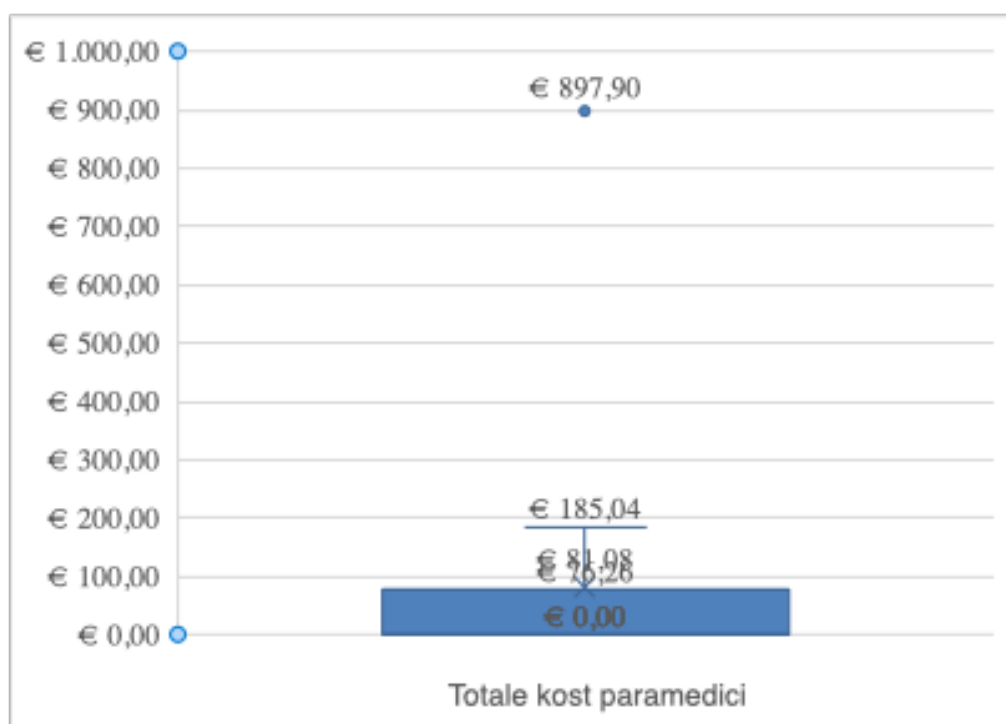
Boxplots als verduidelijking dat de data geen normale verdeling kent in de populatie.



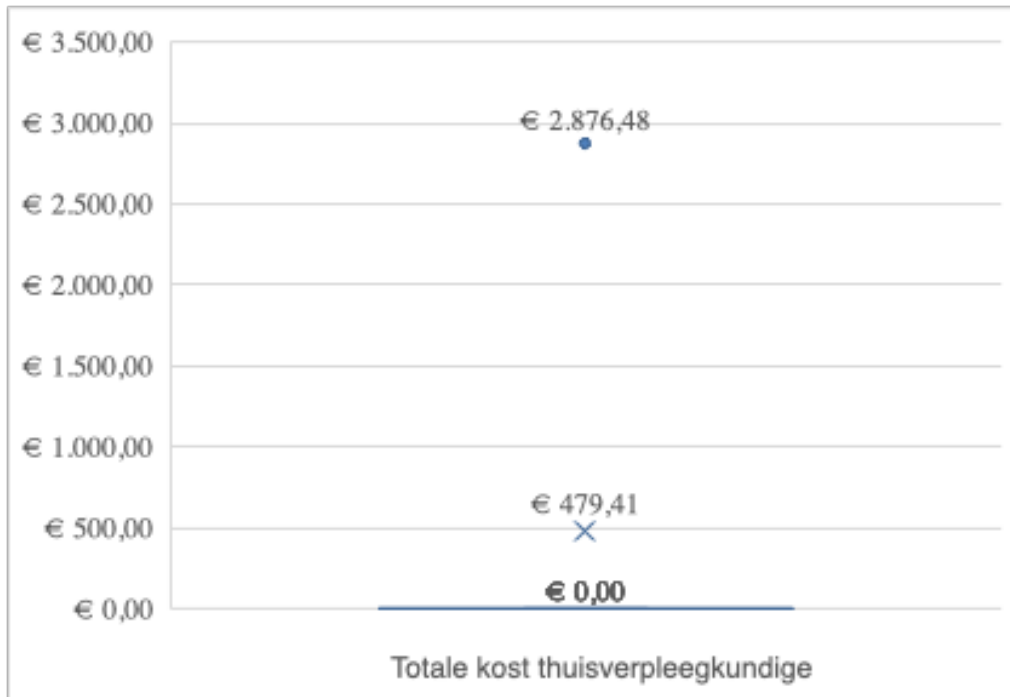
Figuur 1: boxplot van de totale kost (= eigen aandeel + tegemoetkoming) op jaarbasis voor raadpleging in het EB-centrum. Met weergave van gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



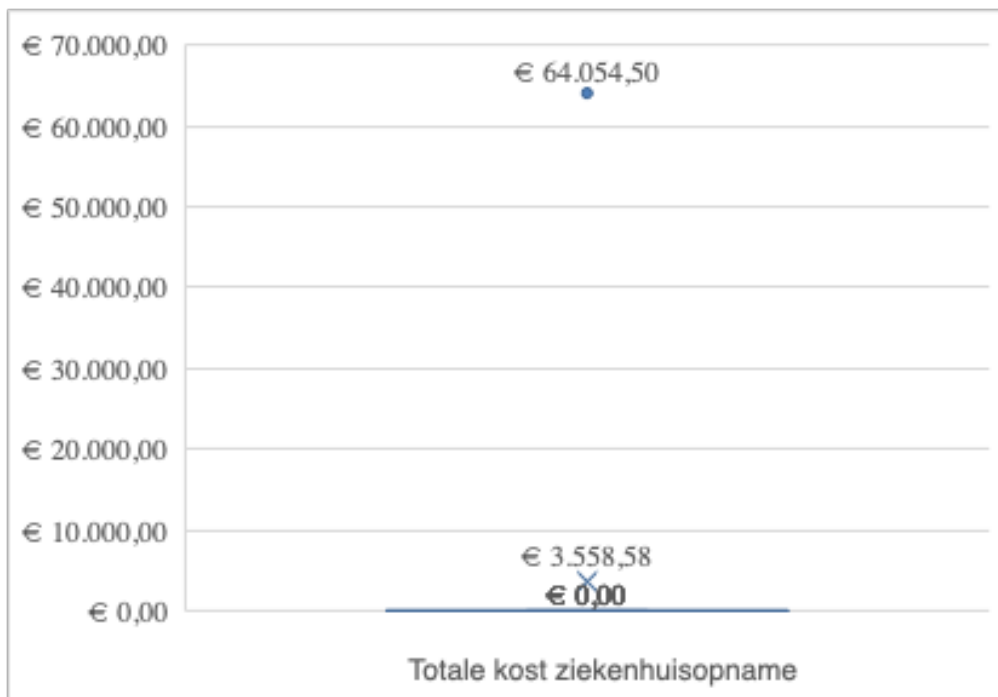
Figuur 2: boxplot van de totale kost (= eigen aandeel + tegemoetkoming) op jaarbasis voor raadpleging bij een arts/specialist. Met weergave van gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens, outlier en gegevenslabels (in euro).



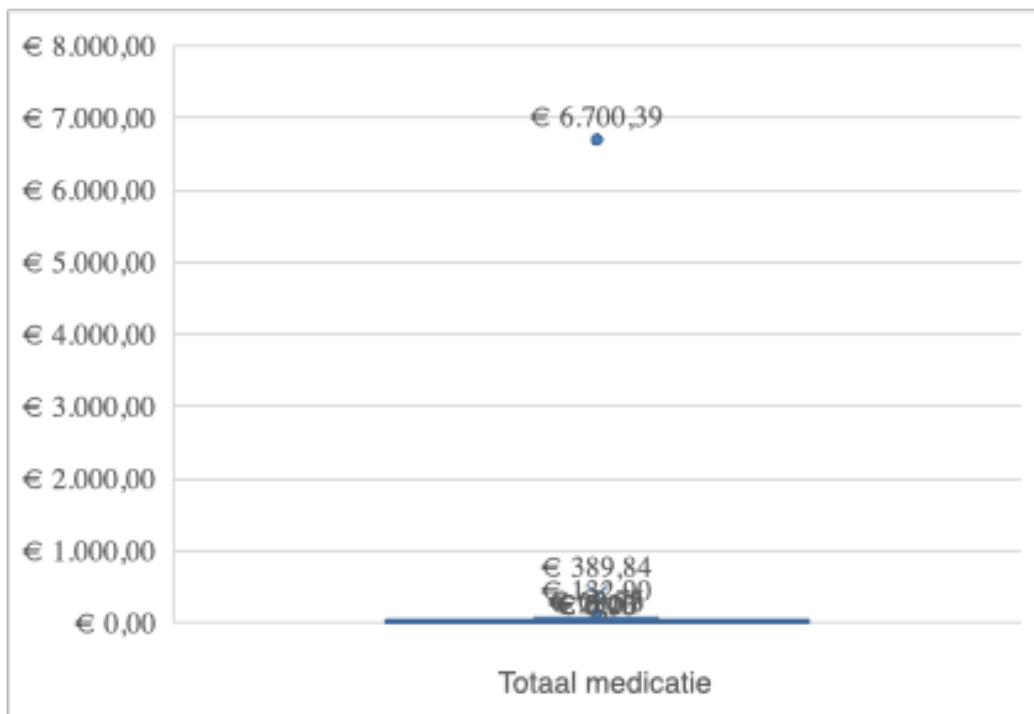
Figuur 3: boxplot van de totale kost (= eigen aandeel + tegemoetkoming) op jaarbasis voor consultatie bij een paramedici. Met weergave van outlier, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



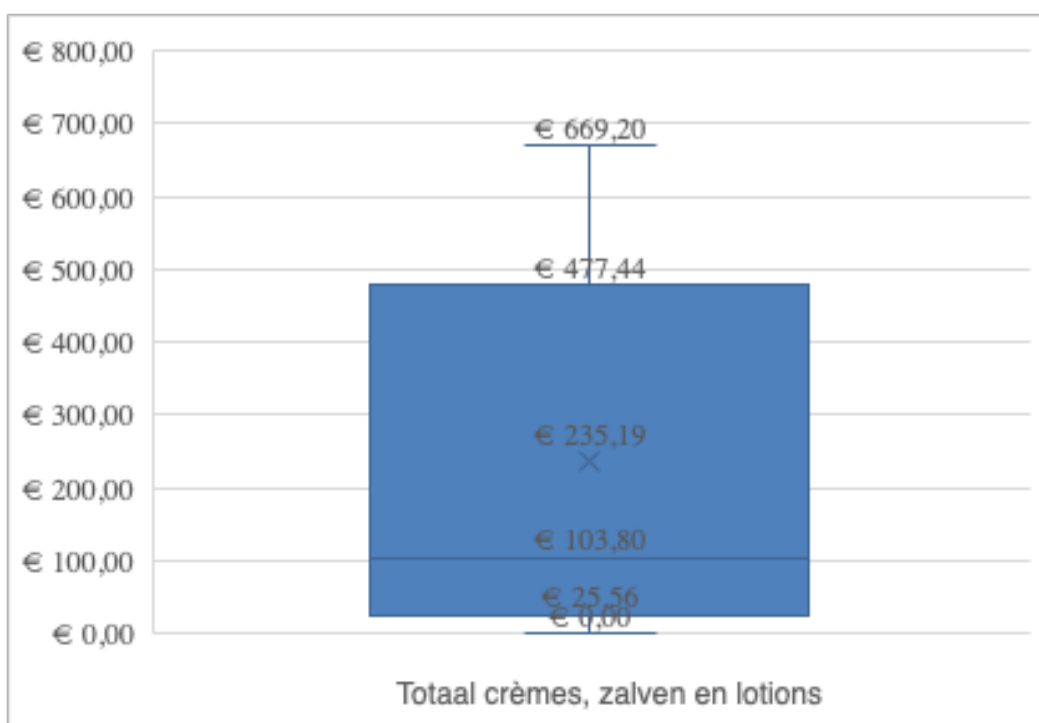
Figuur 4: boxplot van de totale kost (= eigen aandeel + tegemoetkoming) op jaarbasis voor een thuisverpleegkundige. Met weergave van outlier, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



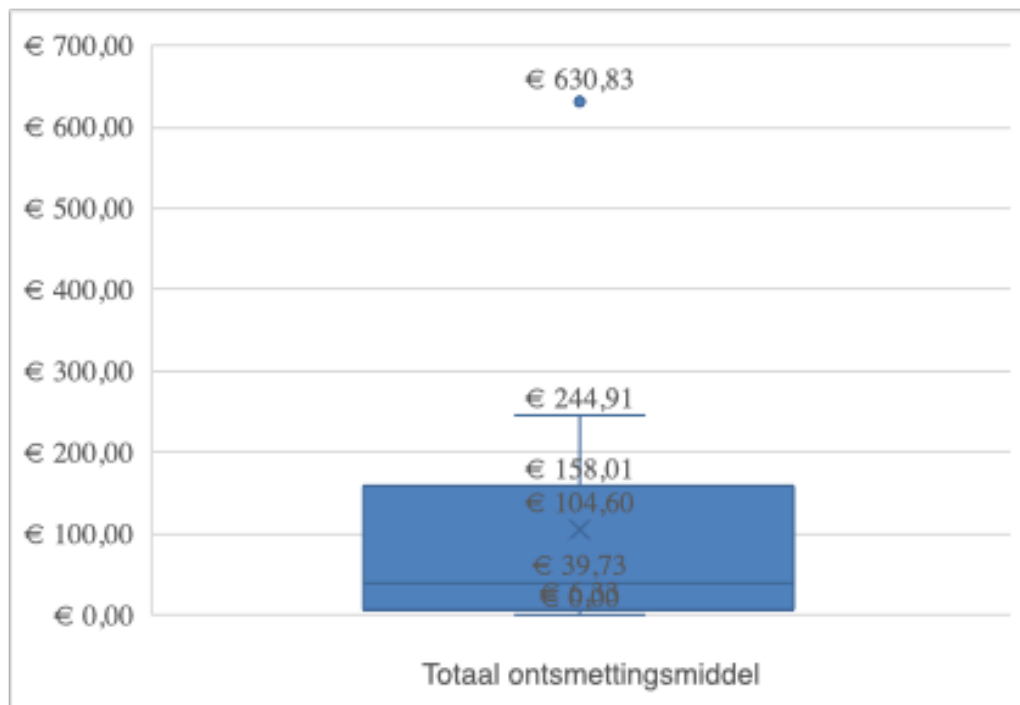
Figuur 5: boxplot van de totale kost (= eigen aandeel + tegemoetkoming) op jaarbasis voor een ziekenhuisopname. Met weergave van outlier, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



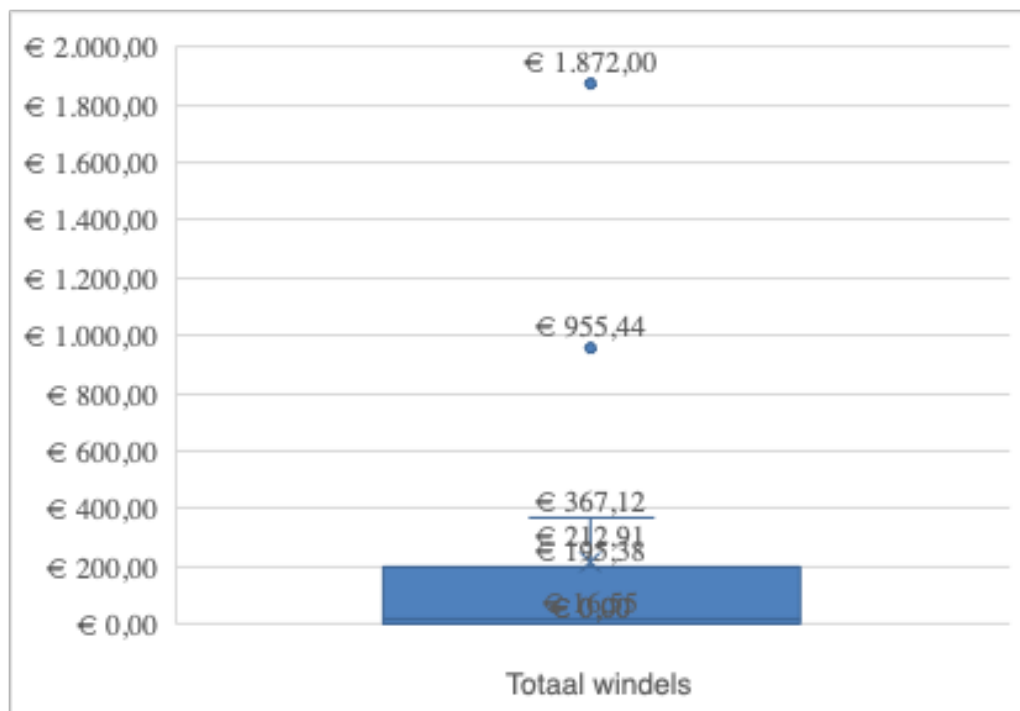
Figuur 6: boxplot van de totale kost = eigen aandeel op jaarbasis voor aankoop van medicatie. Met weergave van outlier, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



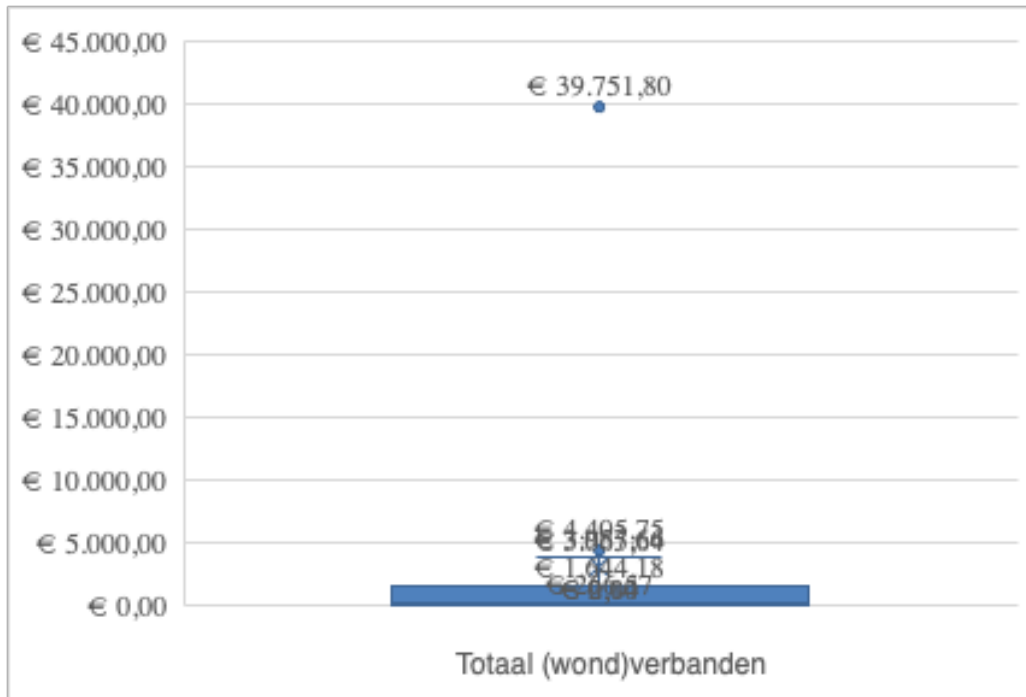
Figuur 7: boxplot van de totale kost = eigen aandeel op jaarbasis voor aankoop van crèmes, zalven en lotions. Met weergave van gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



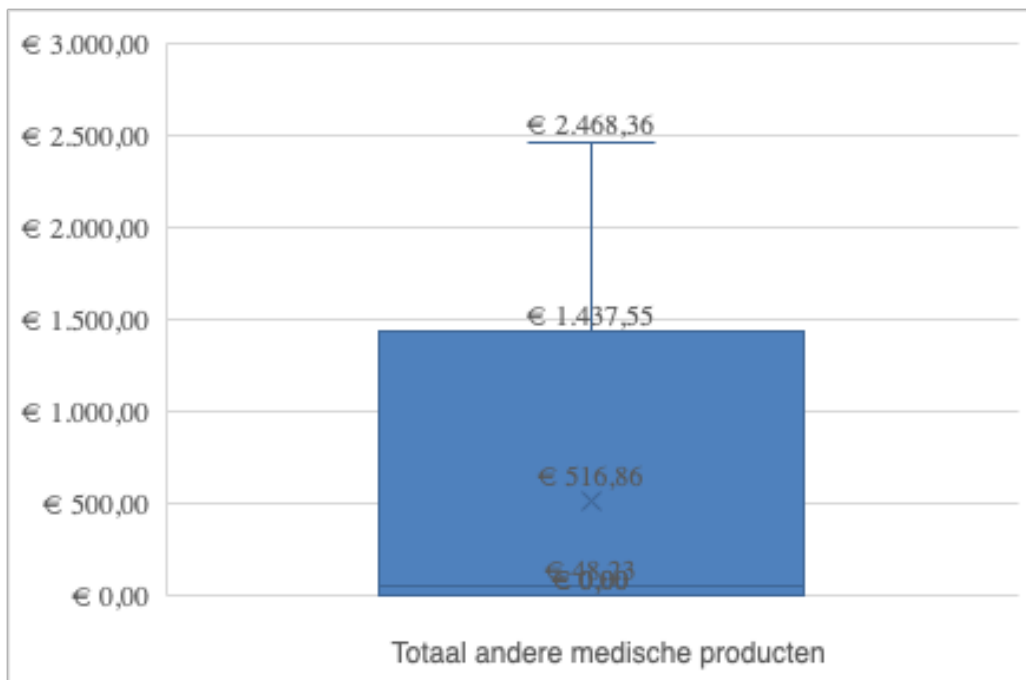
Figuur 8: boxplot van de totale kost = eigen aandeel op jaarbasis voor aankoop van ontsmettingsmiddelen. Met weergave van outliër, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



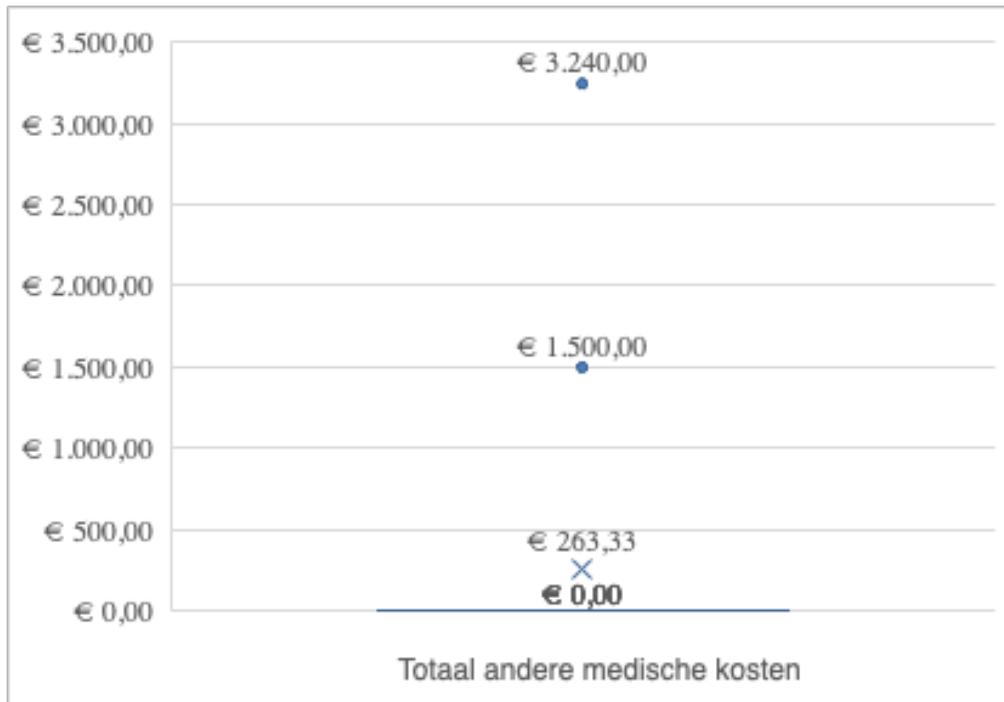
Figuur 9: boxplot van de totale kost = eigen aandeel op jaarbasis voor aankoop van windels. Met weergave van outliers, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



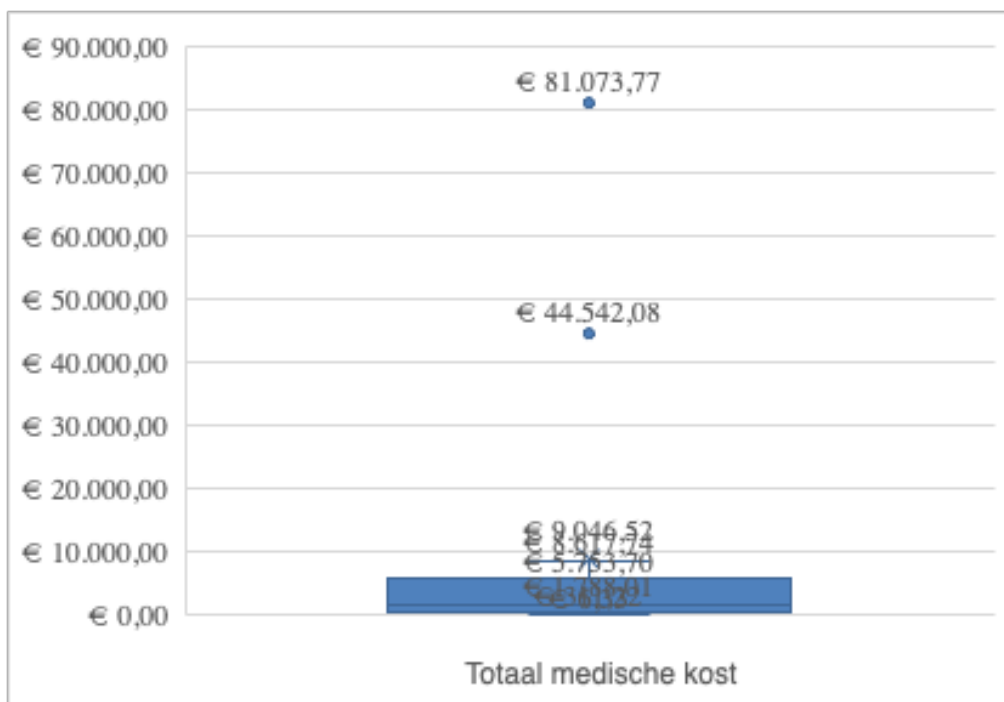
Figuur 10: boxplot van de totale kost = eigen aandeel op jaarbasis voor aankoop van (wond)verbanden. Met weergave van outlier, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



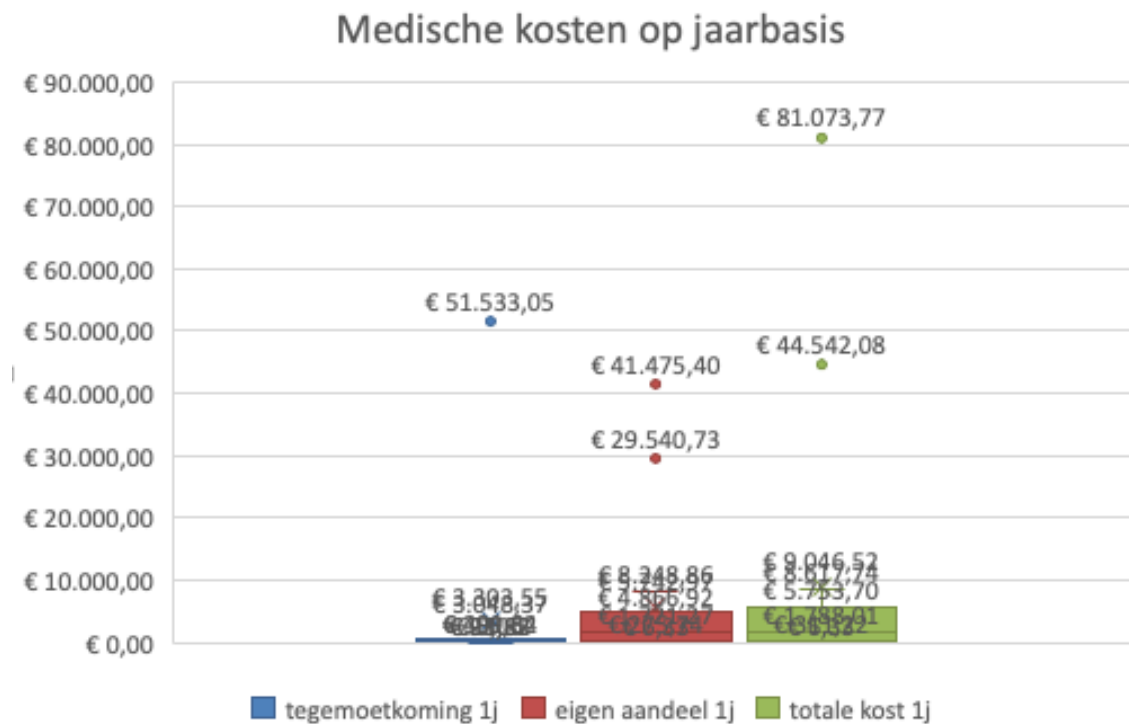
Figuur 11: boxplot van de totale kost = eigen aandeel op jaarbasis voor aankoop van andere medische producten. Met weergave van gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



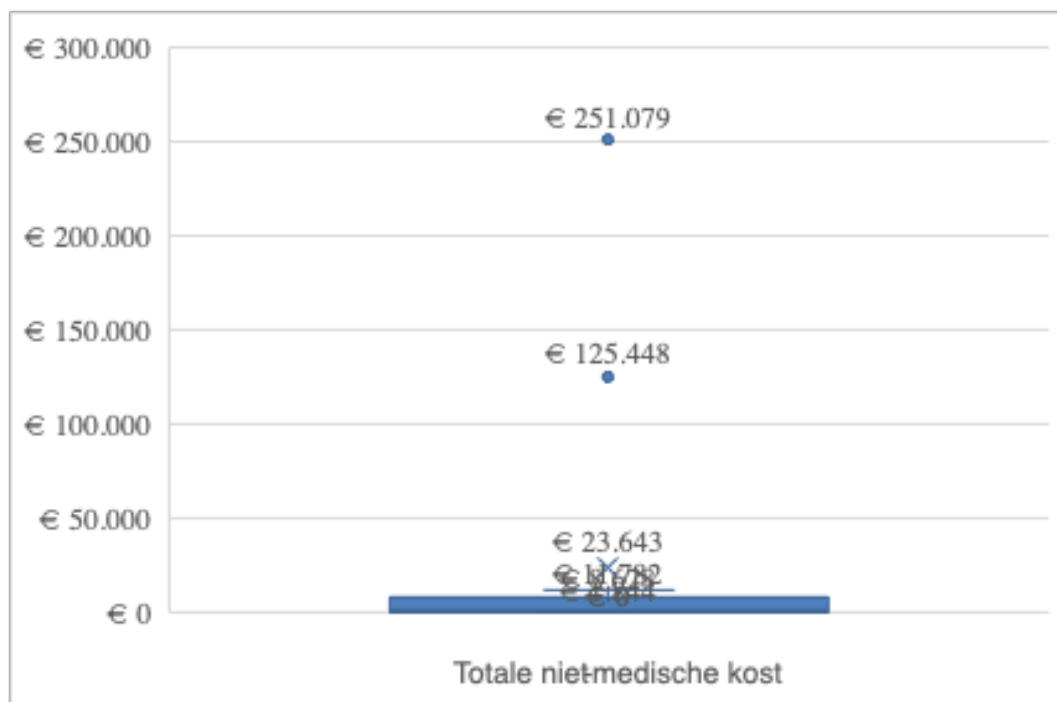
Figuur 12: boxplot van de totale kost = eigen aandeel op jaarbasis voor andere medische kosten. Met weergave van outliers, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



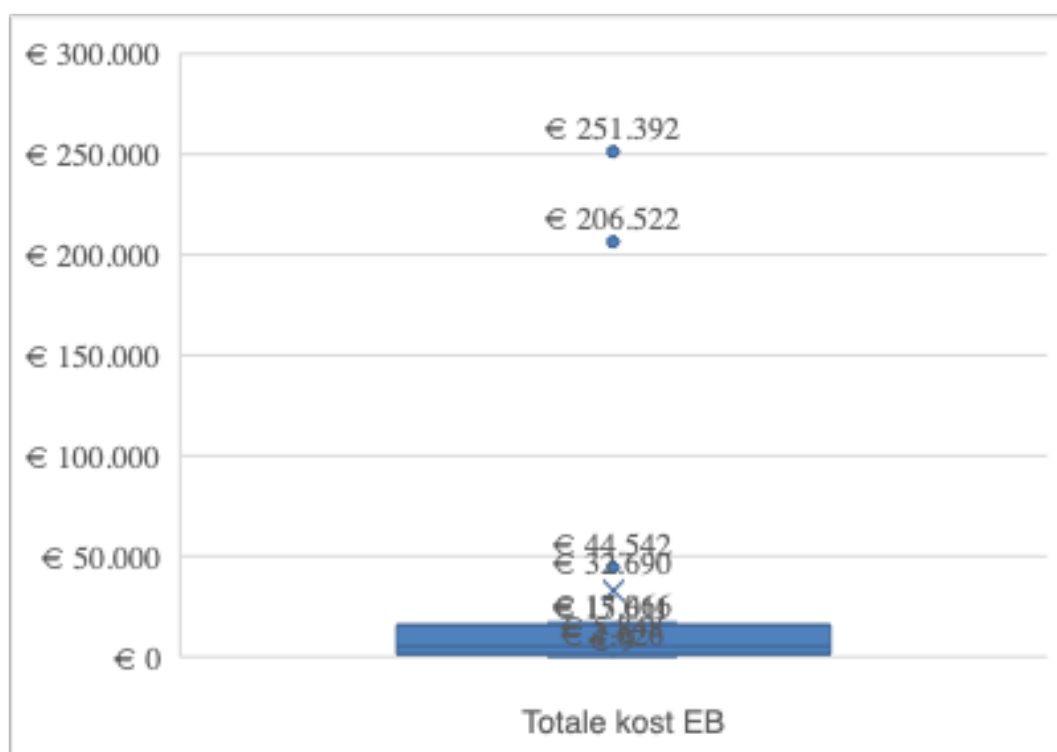
Figuur 13: boxplot van de totale medische kost (alle kostencategorieën opgeteld, eigen aandeel + tegemoetkoming) op jaarbasis. Met weergave van outliers, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



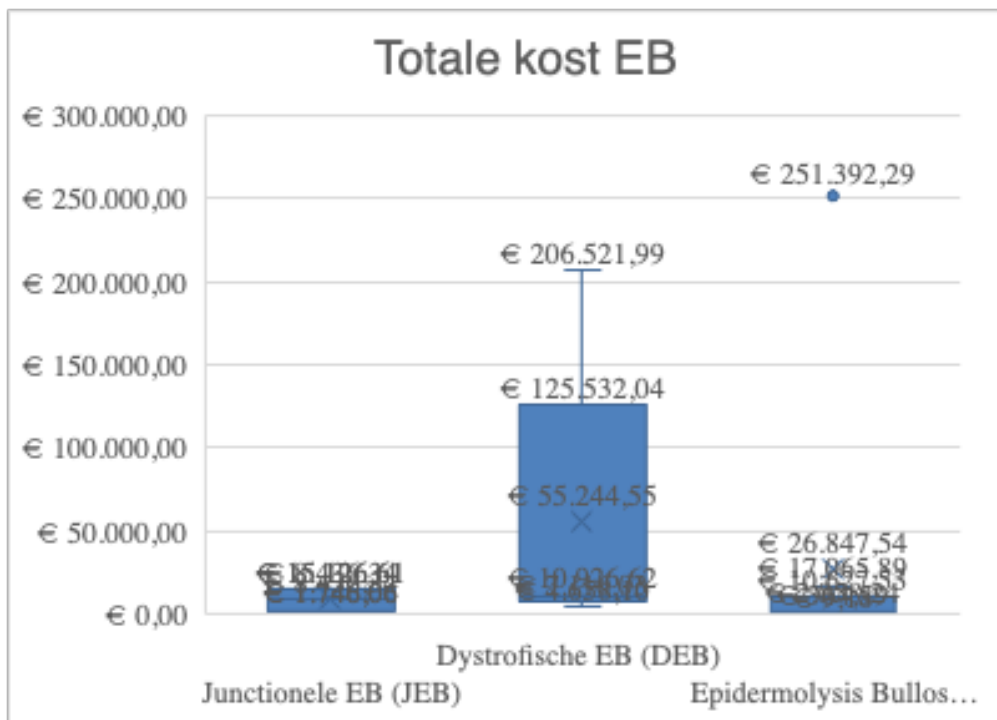
Figuur 14: boxplots van de totale medische kosten op jaarbasis (alle kostencategorieën opgeteld), met links tegemoetkoming, in het midden eigen aandeel en eigen aandeel en rechts de totale kost (= eigen aandeel + tegemoetkoming). Met weergave van outliers, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



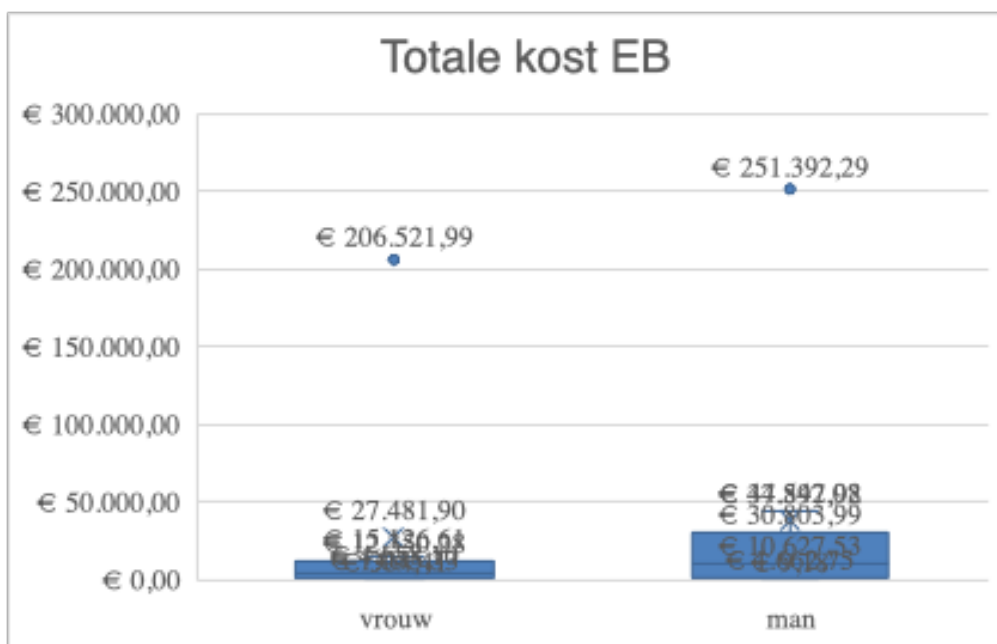
Figuur 15: boxplot van de totale niet-medische medische kost op jaarbasis. Met weergave van outliers, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



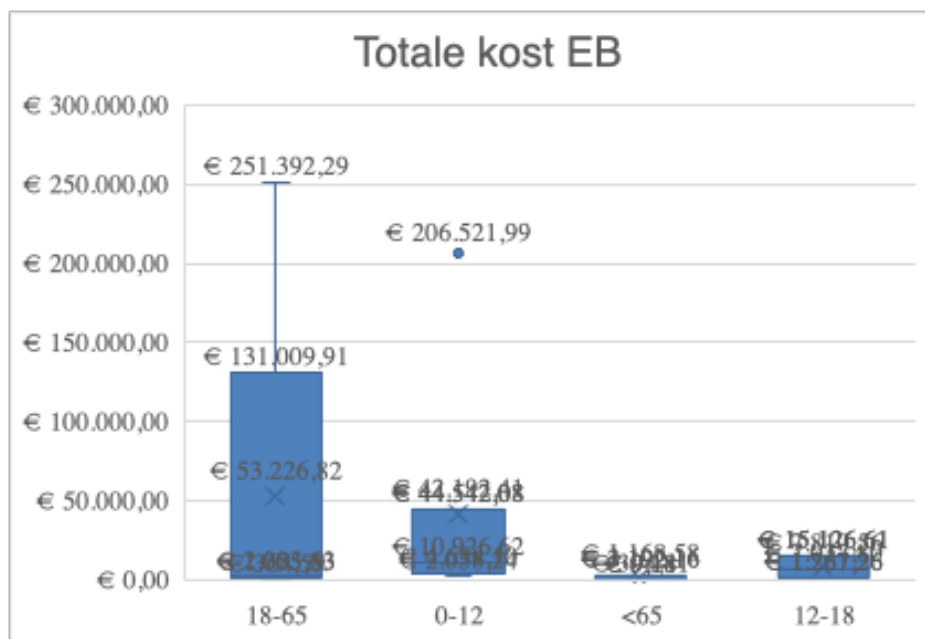
Figuur 16: boxplot van de totale kost van EB (medische en niet-medische kosten) op jaarbasis. Met weergave van outliers, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



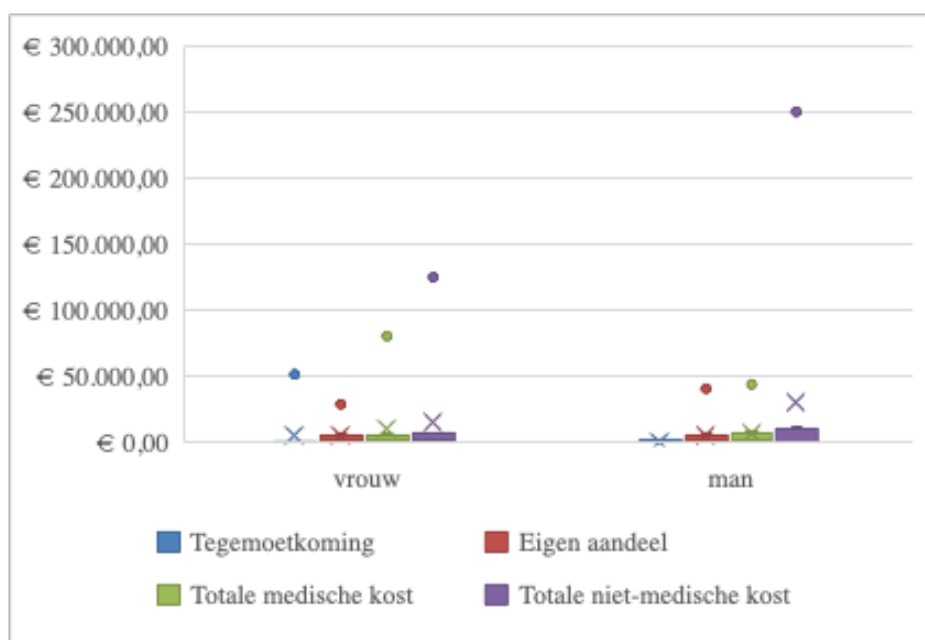
Figuur 17: boxplots van de totale kost (medisch + niet-medisch) op jaarbasis, met links voor patiënten met JEB, in het midden patiënten met DEB en rechts EBS. Met weergave van outliers, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



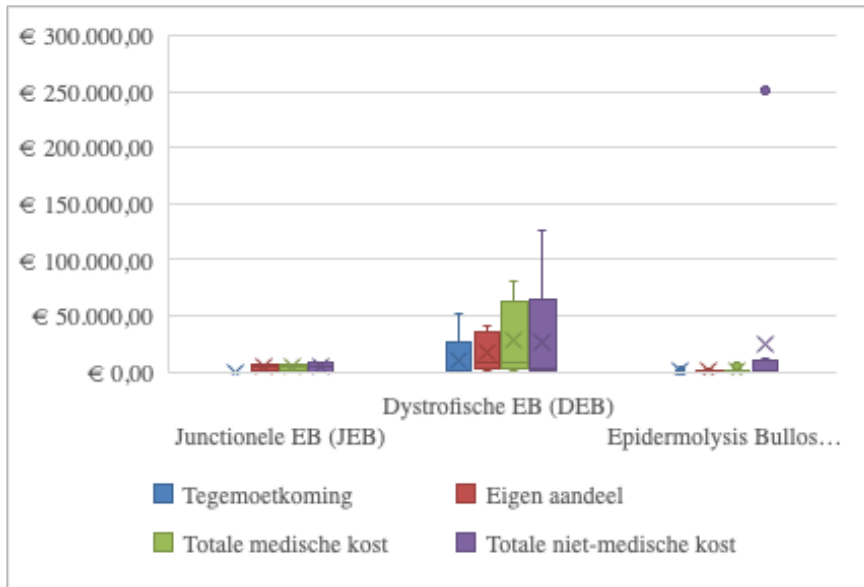
Figuur 18: boxplots van de totale kost (medisch + niet-medisch) op jaarbasis, met links voor vrouwelijke patiënten en rechts voor mannelijke patiënten. Met weergave van outliers, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



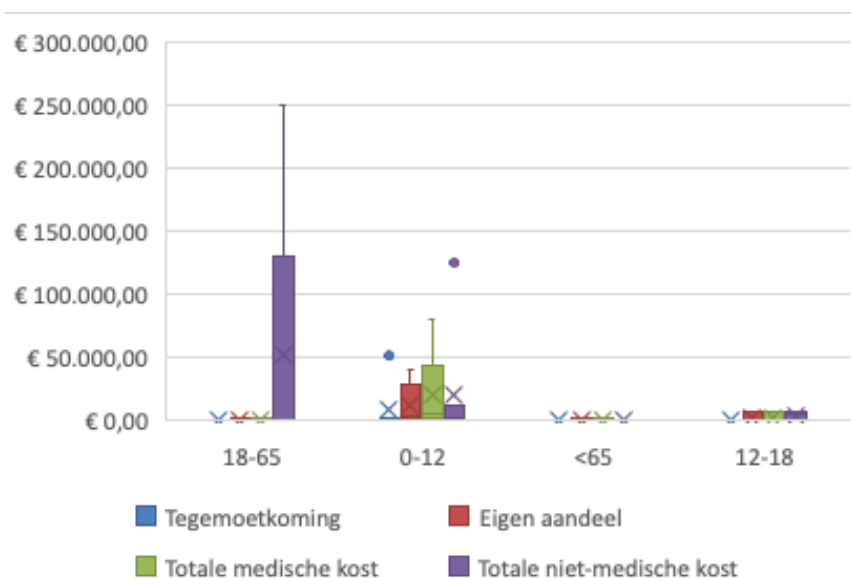
Figuur 20: boxplots van de totale kost (medisch + niet-medisch) op jaarbasis, met links patiënten tussen 18 en 65 jaar, als tweede patiënten tussen 0 en 12 jaar, als derde patiënten met een leeftijd hoger dan 65 jaar en rechts voor patiënten tussen 12 en 18 jaar. Met weergave van outliers, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3, bovengrens en gegevenslabels (in euro).



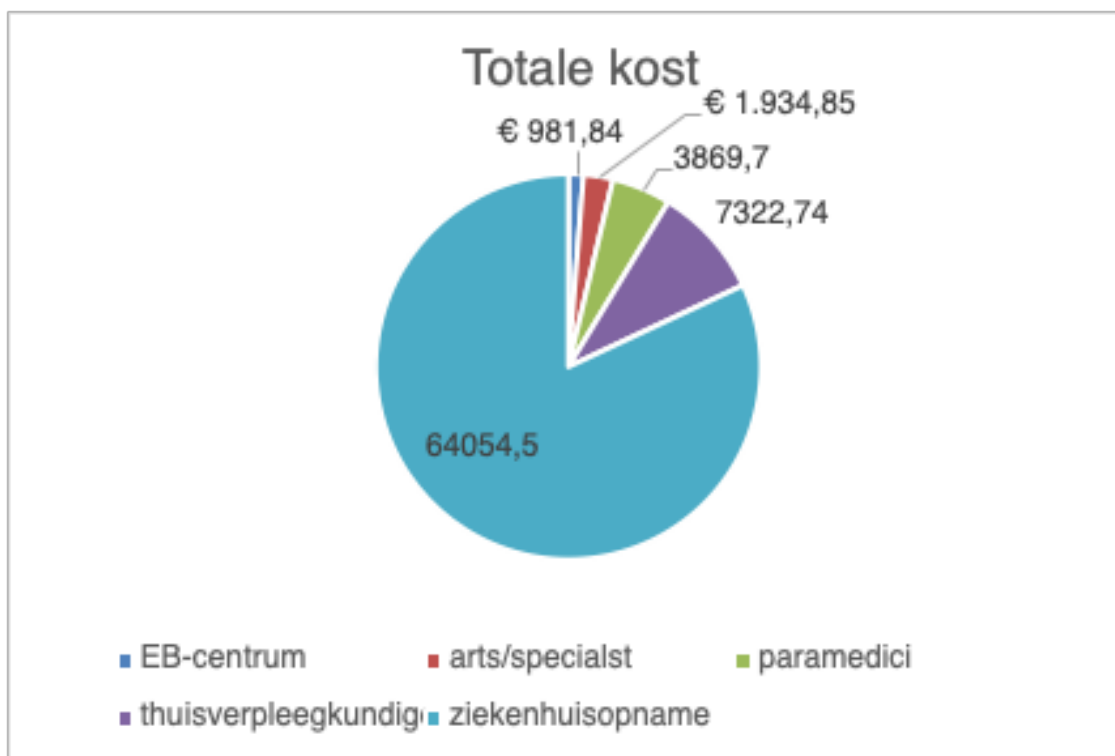
Figuur 21: boxplots van kosten op jaarbasis, met links voor vrouwelijke patiënten en rechts voor mannelijke patiënten, met in het blauw tegemoetkoming, in het rood eigen aandeel, in het groen de totale medische kost en in het paars de totale niet-medische kost. Met weergave van outliers, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3 en bovengrens.



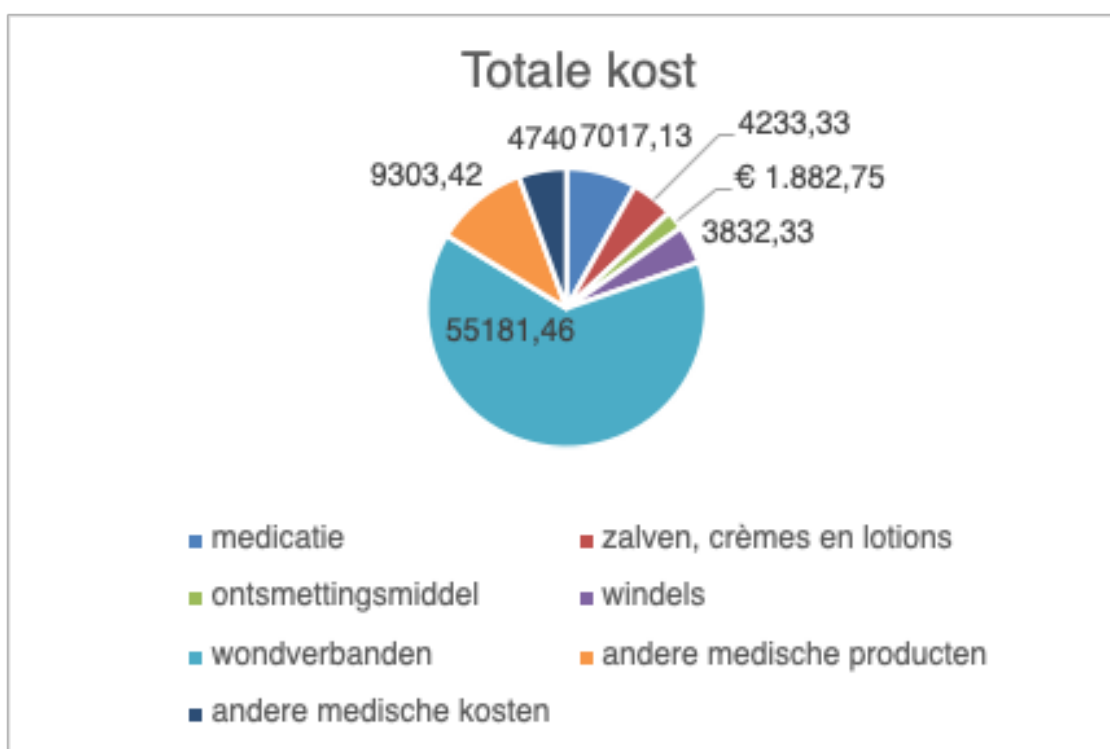
Figuur 22: boxplots van kosten op jaarbasis, met links voor patiënten met JEB, in het midden patiënten met DEB en rechts voor patiënten met EBS, met in het blauw tegemoetkoming, in het rood eigen aandeel, in het groen de totale medische kost en in het paars de totale niet-medische kost. Met weergave van outliers, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3 en bovengrens.



Figuur 23: boxplots van kosten op jaarbasis, met links patiënten tussen 18 en 65 jaar, als tweede patiënten tussen 0 en 12 jaar, als derde patiënten met een leeftijd hoger dan 65 jaar en rechts voor patiënten tussen 12 en 18 jaar, met in het blauw tegemoetkoming, in het rood eigen aandeel, in het groen de totale medische kost en in het paars de totale niet-medische kost. Met weergave van outliers, gemiddelde, Q1, mediaan, Q3 en bovengrens.

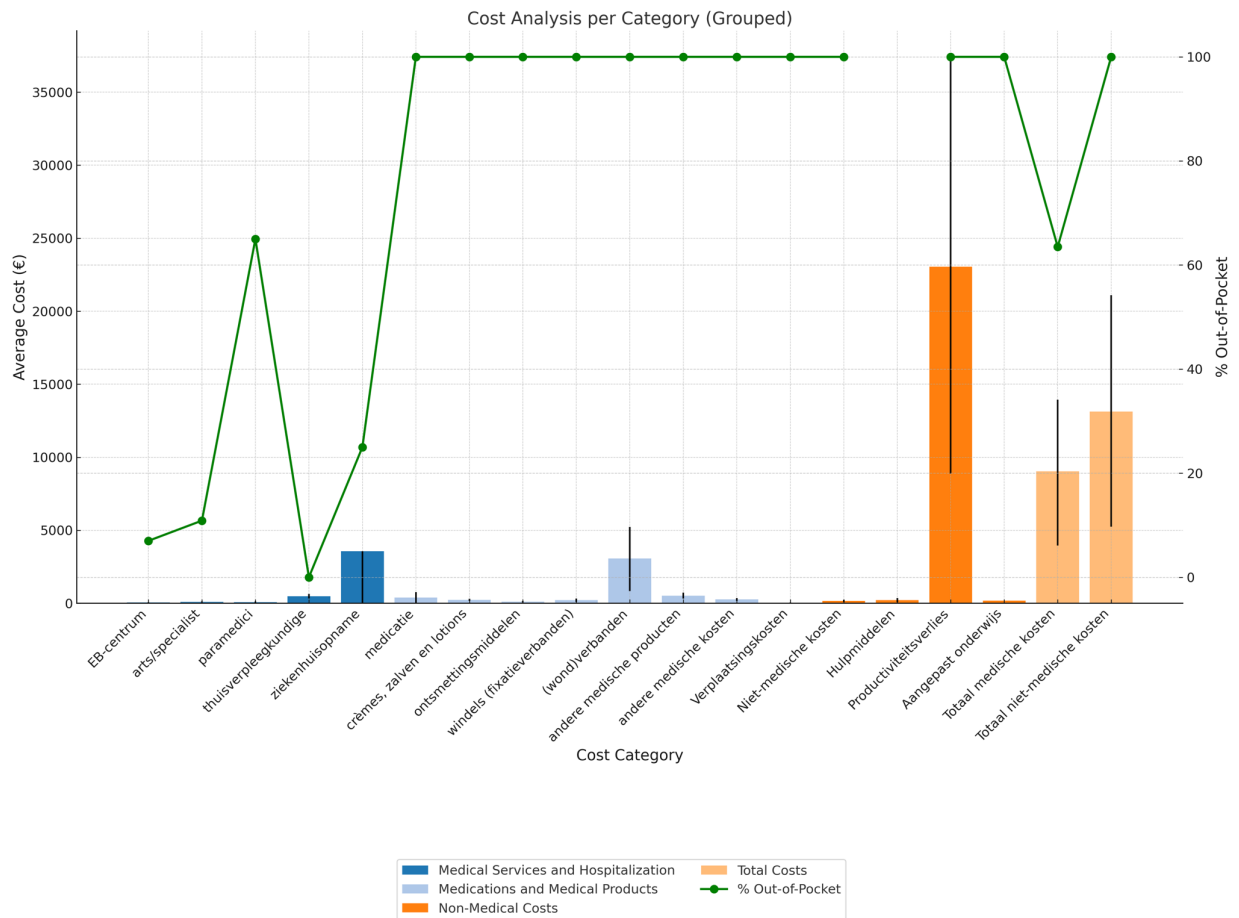


Figuur 24: taartdiagram van medische kosten op jaarbasis, per kostencategorie aangegeven waarvoor patiënten een tegemoetkoming ontvangen.



Figuur 25: taartdiagram van medische kosten op jaarbasis, per kostencategorie aangegeven waarvoor patiënten geen tegemoetkoming ontvangen.

Bijlage 11: visualisatie tabel gemiddelde kost per kostencategorie



Figuur 12: visualisatie kost per kostencategorie

Bijlage 12: regressiemodel (Glim)

Tabel 9: Glim eigen aandeel patiënt

Parameter	B	Standard Error	Wald test, p-value	Percent change compared to reference (%)	95% wald confidence interval Lower (%)	95% wald confidence interval Upper(%)
Leeftijdscategorie (jaren)						
>65	-1,105	0,6425	0,086	-33,1	-14,5	-75,5
18-65	-1,569	0,7980	0,049	-480,2	-7,5	-57,9
12-18	-1,207	0,4250	0,004	-29,9	-17,3	-51,5
0-12	0 ^a	.	.	.	.	.
Geslacht						
Man	-0,227	0,7208	0,753	-79,7	-31,6	200,8
Vrouw	0 ^a	.	.	.	.	.
Soort EB						
EBS	-2,000	0,5066	<0,001	-13,5	-7,1	-26,0
JEB	-0,234	0,7308	0,749	-79,1	-31,0	202,0
DEB	0 ^a	.	.	.	.	.

Tabel 10: GLiM tegemoetkoming

Parameter	B	Standard Error	Wald test, p-value	Percent change compared to reference (%)	95% wald confidence interval Lower (%)	95% wald confidence interval Upper(%)
Leeftijdscategorie (jaren)						
>65	-3,992	0,6731	<0,001	-1,9	-0,8	-4,4
18-65	-4,205	0,7588	<0,001	-1,5	-0,6	-3,9
12-18	-3,346	0,7776	<0,001	-3,5	-1,3	-9,6
0-12	0 ^a	.	.	.	.	.

Geslacht						
Man	-2,053	0,5901	<0,001	-12,8	-6,0	-27,3
Vrouw	0 ^a	.	.	.	.	.
Soort EB						
EBS	-0,256	0,8303	0,758	-77,4	-26,7	224,3
JEB	-0,807	0,8899	0,823	-44,6	-14,3	139,5
DEB	0 ^a	.	.	.	.	.

Tabel 11: GLiM niet-medische kosten

Paramet er	B	Standard Error	Wald test, p-value	Percent change compared to reference (%)	95% wald confidence interval Lower (%)	95% wald confidence interval Upper(%)
Leeftijds categorie (jaren)						
>65	-1,782	0,0000	<0,001	-16,8	-16,8	-16,8
18-65	1,756	0,7663	0,022	578,9	216,8	1545,6
12-18	-2,511	1,1188	0,025	-8,2	-1,9	-34,1
0-12	0 ^a	.	.	.	.	.
Geslacht						
Man	-1,361	1,6517	0,679	-25,6	-3,1	213,0
Vrouw	0 ^a	.	.	.	.	.
Soort EB						
EBS	0,480	1,6491	0,771	161,6	-19,5	1337,0
JEB	1,245	1,1930	0,297	347,3	-75,3	1600,7
DEB	0 ^a	.	.	.	.	.

Bijlage 13: output ANOVA

Tabel 12: totale medische kosten vs leeftijdsklasse ANOVA

ANOVA

Totale_kosten_1J

	Sum of Squares	df	Mean Square	F	Sig.
Between Groups	1673938602.6 86	3	557979534.22 9	1.394	.286
Within Groups	5602074465.4 40	14	400148176.10 3		
Total	7276013068.1 25	17			

Tabel 13: totale medische kosten vs geslacht ANOVA

ANOVA

Totale_kosten_1J

	Sum of Squares	df	Mean Square	F	Sig.
Between Groups	160686588.32 5	1	160686588.32 5	.361	.556
Within Groups	7115326479.8 00	16	444707904.98 8		
Total	7276013068.1 25	17			

Tabel 14: totale medische kosten vs soort EB ANOVA

ANOVA

Totale_kosten_1J

	Sum of Squares	df	Mean Square	F	Sig.
Between Groups	2523297625.7 46	2	1261648812.8 73	3.982	.041
Within Groups	4752715442.3 80	15	316847696.15 9		
Total	7276013068.1 25	17			

Tabel 15: totaal eigen aandeel vs leeftijdscategorie ANOVA

ANOVA

Eigen_aandeel_1J

	Sum of Squares	df	Mean Square	F	Sig.
Between Groups	571865020.41 4	3	190621673.47 1	1.687	.215
Within Groups	1582285698.4 28	14	113020407.03 1		
Total	2154150718.8 42	17			

Tabel 16: totaal eigen aandeel vs geslacht ANOVA

ANOVA

Eigen_aandeel_1J

	Sum of Squares	df	Mean Square	F	Sig.
Between Groups	31061.952	1	31061.952	.000	.988
Within Groups	2154119656.8 90	16	134632478.55 6		
Total	2154150718.8 42	17			

Tabel 17: totaal eigen aandeel vs soort EB ANOVA

ANOVA

Eigen_aandeel_1J

	Sum of Squares	df	Mean Square	F	Sig.
Between Groups	900216256.45 1	2	450108128.22 6	5.384	.017
Within Groups	1253934462.3 91	15	83595630.826		
Total	2154150718.8 42	17			

Tabel 18: tegemoetkoming vs leeftijdscategorie ANOVA

ANOVA

Tegemoetkoming_1J

	Sum of Squares	df	Mean Square	F	Sig.
Between Groups	290507825.46 9	3	96835941.823	.620	.614
Within Groups	2188164913.6 96	14	156297493.83 5		
Total	2478672739.1 65	17			

Tabel 19: tegemoetkoming vs geslacht ANOVA

ANOVA

Tegemoetkoming_1J

	Sum of Squares	df	Mean Square	F	Sig.
Between Groups	156249434.06 8	1	156249434.06 8	1.076	.315
Within Groups	2322423305.0 97	16	145151456.56 9		
Total	2478672739.1 65	17			

Tabel 20: tegemoetkoming vs soort EB ANOVA

ANOVA

Tegemoetkoming_1J

	Sum of Squares	df	Mean Square	F	Sig.
Between Groups	415303424.63 9	2	207651712.32 0	1.510	.253
Within Groups	2063369314.5 26	15	137557954.30 2		
Total	2478672739.1 65	17			

Tabel 21: niet-medische kosten vs leeftijdscategorie ANOVA

ANOVA

Niet_medische_kosten

	Sum of Squares	df	Mean Square	F	Sig.
Between Groups	1975776371.1 11	3	658592123.70 4	.501	.687
Within Groups	18388206318. 657	14	1313443308.4 75		
Total	20363982689. 768	17			

Tabel 22: niet-medische kosten vs geslacht ANOVA

ANOVA

Niet_medische_kosten

	Sum of Squares	df	Mean Square	F	Sig.
Between Groups	117494677.77 3	1	117494677.77 3	.093	.765
Within Groups	20246488011. 995	16	1265405500.7 50		
Total	20363982689. 768	17			

Tabel 23: niet medische kosten vs soort EB ANOVA

ANOVA

Niet_medische_kosten

	Sum of Squares	df	Mean Square	F	Sig.
Between Groups	241972940.91 2	2	120986470.45 6	.090	.914
Within Groups	20122009748. 856	15	1341467316.5 90		
Total	20363982689. 768	17			

Bijlage 14: output Kruskal-Wallis

Tabel 24: totale medische kosten vs leeftijdscategorie Kruskal-Wallis

Test Statistics^{a,b}

	Totale_kosten _1J
Kruskal-Wallis H	9.793
df	3
Asymp. Sig.	.020

a. Kruskal Wallis Test

b. Grouping Variable:
leeftijdsklasse

Tabel 25: totale medische kosten vs geslacht Kruskal-Wallis

Test Statistics^{a,b}

	Totale_kosten _1J
Kruskal-Wallis H	.387
df	1
Asymp. Sig.	.534

a. Kruskal Wallis Test

b. Grouping Variable: geslacht

Tabel 26: totale medische kosten vs soort EB Kruskal-Wallis

Test Statistics^{a,b}

	Totale_kosten _1J
Kruskal-Wallis H	7.620
df	2
Asymp. Sig.	.022

a. Kruskal Wallis Test

b. Grouping Variable: soort_EB

Tabel 27: eigen aandeel vs leeftijdscategorie Kruskal-Wallis

Test Statistics^{a,b}

	Eigen_aandee I_1J
Kruskal-Wallis H	8.738
df	3
Asymp. Sig.	.033

a. Kruskal Wallis Test
b. Grouping Variable: leeftijdsklasse

Tabel 28: eigen aandeel vs geslacht Kruskal-Wallis

Test Statistics^{a,b}

	Eigen_aandee I_1J
Kruskal-Wallis H	.197
df	1
Asymp. Sig.	.657

a. Kruskal Wallis Test
b. Grouping Variable: geslacht

Tabel 29: eigen aandeel vs soort EB Kruskal-Wallis

Test Statistics^{a,b}

	Eigen_aandee I_1J
Kruskal-Wallis H	7.969
df	2
Asymp. Sig.	.019

a. Kruskal Wallis Test
b. Grouping Variable: soort_EB

Tabel 30: tegemoetkoming vs leeftijdscategorie Kruskal-Wallis

Test Statistics^{a,b}

Tegemoetkom
ing_1J

Kruskal-Wallis H	10.938
df	3
Asymp. Sig.	.012

a. Kruskal Wallis Test
b. Grouping Variable:
leeftijdsklasse

Tabel 31: tegemoetkoming vs geslacht Kruskal-Wallis

Test Statistics^{a,b}

Tegemoetkom
ing_1J

Kruskal-Wallis H	1.679
df	1
Asymp. Sig.	.195

a. Kruskal Wallis Test
b. Grouping Variable: geslacht

Tabel 32: tegemoetkoming vs soort EB Kruskal-Wallis

Test Statistics^{a,b}

Tegemoetkom
ing_1J

Kruskal-Wallis H	6.860
df	2
Asymp. Sig.	.032

a. Kruskal Wallis Test
b. Grouping Variable: soort_EB

Tabel 33: niet-medische kosten vs leeftijdscategorie Kruskal-Wallis

Test Statistics^{a,b}

	Niet_medisch e_kosten
Kruskal-Wallis H	2.630
df	3
Asymp. Sig.	.452

a. Kruskal Wallis Test

b. Grouping Variable:
leeftijdsklasse

Tabel 34: niet-medische kosten vs geslacht Kruskal-Wallis

Test Statistics^{a,b}

	Niet_medisch e_kosten
Kruskal-Wallis H	.205
df	1
Asymp. Sig.	.651

a. Kruskal Wallis Test

b. Grouping Variable: geslacht

Tabel 35: niet-medische kosten vs soort EB Kruskal-Wallis

Test Statistics^{a,b}

	Niet_medisch e_kosten
Kruskal-Wallis H	.370
df	2
Asymp. Sig.	.831

a. Kruskal Wallis Test

b. Grouping Variable: soort_EB

