



# CF-registret

---

ÅRSRAPPORT 2018

Rapporten omfattar uppgifter från det nationella kvalitetsregistret t.o.m. 2018-12-31

## Innehåll

Registerhållarens ord .....	2
Anslutningsgrad och täckningsgrad.....	4
Kumulativt antal inkluderade patienter .....	5
Kumulativt antal aktiva patienter.....	6
BAKGRUNDSTABELL FÖR AKTIVA PATIENTER I CF-REGISTRET ÅR 2018.....	6
Antal aktiva patienter med registrerat besök på CF-center år 2018.....	7
Antal aktiva patienter med årskontroll 2018 .....	8
Diagnos.....	11
Kumulativt antal diagnosticerade patienter .....	11
Antal personer diagnosticerade med CF/ år under 2014-2018, och kumulativt antal totalt .....	11
Genetik .....	13
Antal aktiva patienter med två delF508-mutationer i CF-registret år 2018.....	13
Effekten av registrets insatser i vården.....	14
Patientutfall .....	14
Lungfunktion .....	14
FEV 1 vid årskontroll.....	14
FEV 1 som box-plots år 2018 för barn och vuxna.....	15
FVC som box-plots år 2018 för barn och vuxna .....	15
Mikrobiologi .....	17
Antal aktiva patienter kroniskt koloniserade med <i>Pseudomonas aeruginosa</i> 2018.....	17
Nutrition .....	18
Lungtransplantation .....	19
Antal lungtransplanterade patienter kumulativt registrerad i CF-registret.....	19
Mortalitet .....	20
Kumulativt antal avlidna patienter i CF-registret .....	20
PROM och PREM .....	21
Forskning och utveckling under de två senaste åren.....	22
Utveckling och förbättringsarbeten .....	22
Förteckning av publikationer m.m. som publicerats under år 2018.....	22
CF-registrets styrgrupp 2019.....	23
Medverkande vårdgivare .....	24
Författare .....	24

## Registerhållarens ord

### Sjukdomen

Cystisk fibros (CF) är en autosomalt recessivt ärftlig sjukdom som drabbar organ med slemproducerande körtlar. De vanligast drabbade organen är lungor, bukspottkörtel, lever, bihålor och underlivsorganen (infertilitet, framför all hos män). Sjukdomen och dess komplikationer såsom lunginsufficiens, diabetes mellitus, levercirrhos, kronisk sinuit och infertilitet orsakas av att en kloridkanal som kallas cystic fibrosis transmembrane conductance regulator (CFTR) saknas helt eller delvis i cellväggen, eller fungerar sämre. Kloridkanalen uttrycks i och har en viktig funktion i de organ som ger symptom. CF diagnosticeras oftast tidigt under de första levnadsåren men diagnosen kan även ställas i vuxen ålder. Den vanligaste orsaken till för tidig död är lungsvikt (ca 95%). CF har under de senaste 30 åren uppvisat en kraftigt förbättrad överlevnad och har gått från att vara en barnsjukdom till att majoriteten av alla patienter nu är i vuxen ålder. Cirka 60-65% av alla i patienter i Sverige är nu vuxna.

Sjukdomsgruppen sköts av både barnläkare och lungläkare som behöver samverka för att ge optimal vård av patienterna både under barn- och vuxenåren. CF-kvalitetsregister för barn och vuxna ligger därför på samma plattform och ingen överflyttning i registerhänseende görs i samband med överföringen till vuxenvården.

I Sverige finns 4 CF-centra (Göteborg, Lund, Stockholm och Uppsala). Alla centra har både ett barnteam och ett vuxenteam som sköter patienterna. Alla patienter bör ses minst 1 gång per år vid ett CF-center, även de som bor långt bort och har sin regelbundna uppföljning på sitt närsjukhus. Undantag kan ske vid mycket lindrig, atypisk/icke-klassisk sjukdom. Omhändertagandet av barn och vuxna sker i form av multidisciplinära team som ska innehålla följande personalkategorier: Läkare, sjuksköterska, sjukgymnast, dietist, kurator samt psykolog. Rekommenderad tid avsatt per personalkategori i förhållande till antal patienter vid mottagningen finns beskrivet i ett europeiskt consensusdokument.

### Kvalitetsregister cystisk fibros

Det svenska cystisk fibros (CF)-registret har sitt ursprung i en databas som initialt utvecklades på Stockholm och Göteborg CF-center. Stockholm CF-center har registrerat alla patienters årskontroller sedan centrets start år 1974. Göteborg CF-center har registrerat data sedan 1990-talets början. När CF-registret blev ett Nationellt kvalitetsregister och erhöll ekonomiskt stöd via Sveriges Kommuner och landsting, SKL, kunde Lund och Uppsala CF-center också registrera i databasen med start från 2012. Kompletta data för Sverige finns alltså från 2012.

Det svenska CF-registret ligger på barn- och vuxenregistrens plattform Compos som drivs av företaget Carmona. Det är en web-baserad databas. Under år 2016 togs en visualiserings- och analysplattform, VAP, fram. Delar av denna plattform ska göras tillgängliga för allmänheten/patienter/anhöriga på registerhemsidan och genom länkning från hemsidorna för Arbetsgruppen för CF och patientföreningen (Riksförbundet för Cystisk Fibros).

Syftet med registret är att kontinuerligt följa alla patienter över tid och säkerställa jämställd och jämlikvård över Sverige. Vissa nyckeltal, som anses viktiga för kvaliteten av den givna vården, ska följas kontinuerligt över tid som anses viktiga för kvaliteten av den givna vården. Exempel på sådana nyckeltal är lungfunktionsmått såsom forcerad expiratorisk volym på 1 sekund (FEV1.0), andelen barn/vuxna som är kroniskt koloniserade (infekterade) med bakterien *Pseudomonas aeruginosa*, mått på nutrition såsom BMI hos vuxna och z-score BMI på barn under 18 år.

Målsättningen med registret är att förbättra kvaliteten av vården med förbättrad överlevnad och livskvalitet i hela landet som utfall. I registret finns även möjlighet att registrera olika behandlingar varför "benchmarking" av läkemedelsanvändning kan göras direkt mellan centra.

Registerhållare för svenska CF-registret är barnläkare Anders Lindblad, Göteborg CF-center

## Anslutningsgrad och täckningsgrad

### Registrerande CF-center

De fyra svenska CF-centra ansvarar för att varje år registrera data i CF -registret och anslutningsgraden till registret för landets CF-centra är 100%.

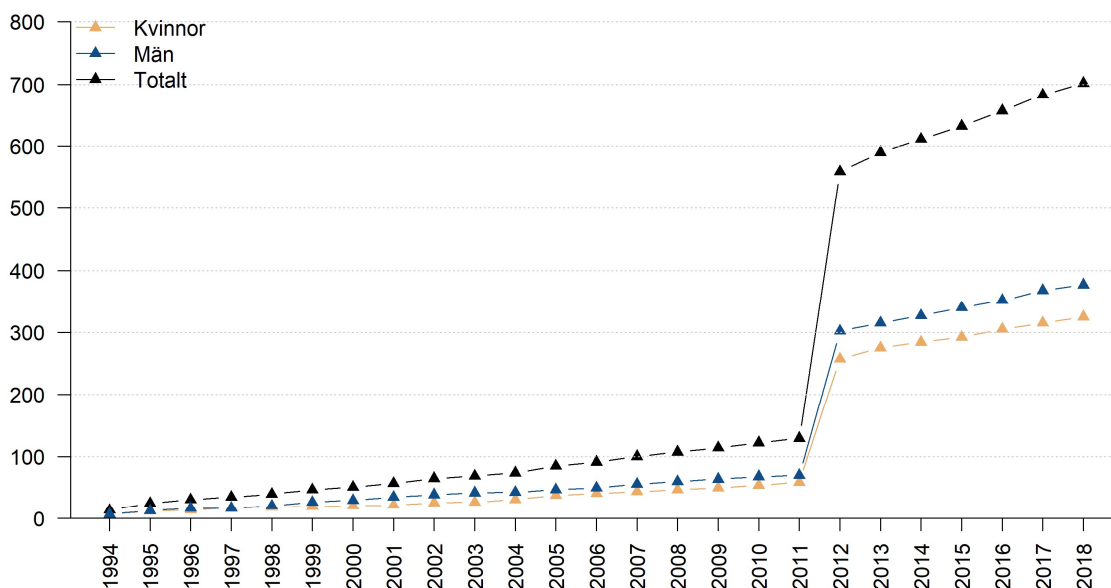
Diagnosen CF ska fastställas på ett CF-center och landets alla CF-patienter ska höra till ett CF-center. Patienterna sköts ibland tillsammans med en vårdenhets på hemorten (s.k "shared care") men med regelbunden uppföljning på sitt CF-center, vanligen i samband med en årlig omfattande årskontroll. Endast i undantagsfall vid mycket lindrig sjukdom sker sådan kontroll med längre intervall.

Sedan 1994 matas svaren på CF-patienternas Årskontroller in vid Stockholms och Göteborgs CF-center. När registret fick status Kvalitetsregister år 2012 startade alla centra att mata in och registret är mer eller minder komplett avseende Årskontrolldata sedan 2012. Sedan 2016 matas ett "Annat besök" in om patienten inte genomfört sin årskontroll under kalenderåret. "Annat besök" används i utsökning för kalenderåret och funktionen göra det lättare att fånga upp alla patienter som varit på centrat under året. "Månadsbesök" kan registreras för att till exempel visa patientens bästa lungfunktionsvärde under kalenderåret. Det finns ingen begränsning för hur många "Månadsbesök" man lägger in men man lägger aldrig in mer än en "Årskontroll" eller "Annat besök" per år.

### Täckningsgrad

Ca 95%. Ett litet antal CF-patienter har avböjt att vara med i kvalitetsregistret. Ett litet antal patienter har också avböjt årskontroll vid CF-center eller bedömes inte behöva årskontroll varje år då lungfunktionen är stabil över många år. Täckningsgraden kan variera lite från år till år men är år 2018 93% för vuxna CF-patienter och 97% för barnpatienter (se sid 8).

## Kumulativt antal inkluderade patienter



Bildtext: År 2012 ökade anslutningsgraden av inmatade CF-center till 100% då CF-registret blev ett kvalitetsregister och fick medel från SKL. Därför matades många nya patienter in i registret år 2012 och täckningsgraden av totala antalet patienter har sedan dess varit ca 95%. Antalet kumulativt inkluderade patienter är även inkluderat patienter som senare avlider.

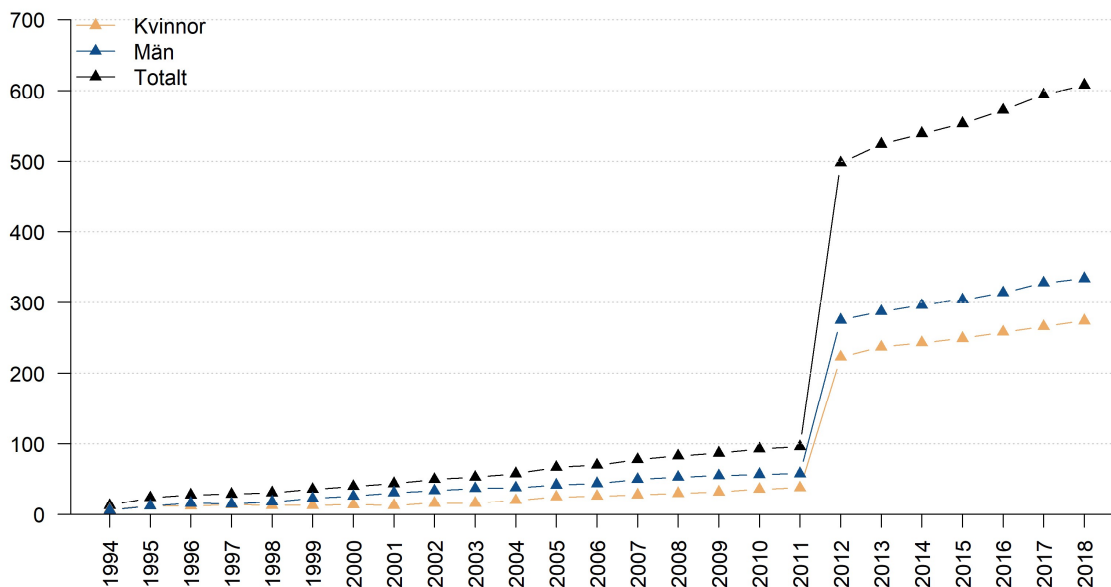
## Kumulativt antal inkluderade patienter år 2014-2018, i siffror

	Göteborg CF-Center			Lund CF-Center			Stockholm CF-Center			Uppsala CF-Center			Nationellt		
	Kvinnor	Män	Totalt	Kvinnor	Män	Totalt	Kvinnor	Män	Totalt	Kvinnor	Män	Totalt	Kvinnor	Män	Totalt
2014	83	114	197	89	88	177	143	146	289	47	41	88	362	389	751
2015	86	117	203	89	94	183	146	146	292	49	45	94	370	402	772
2016	88	119	207	94	95	189	151	155	306	50	45	95	383	414	797
2017	89	124	213	99	97	196	155	164	319	50	45	95	393	430	823
2018	91	125	216	100	98	198	160	170	330	52	46	98	403	439	842

## Kumulativt antal aktiva patienter

Aktiva patienter beräknas som inkluderade patienter minus avslutade patienter vid årets slut.

Orsaker till patientavsluta är dödsfall, flytt utomlands, felaktig diagnos, önskemål om avregistrering.



## BAKGRUNDSTABELL FÖR AKTIVA PATIENTER I CF-REGISTRET ÅR 2018

Dessa patienter är grunden för årsrapportens följande grafer

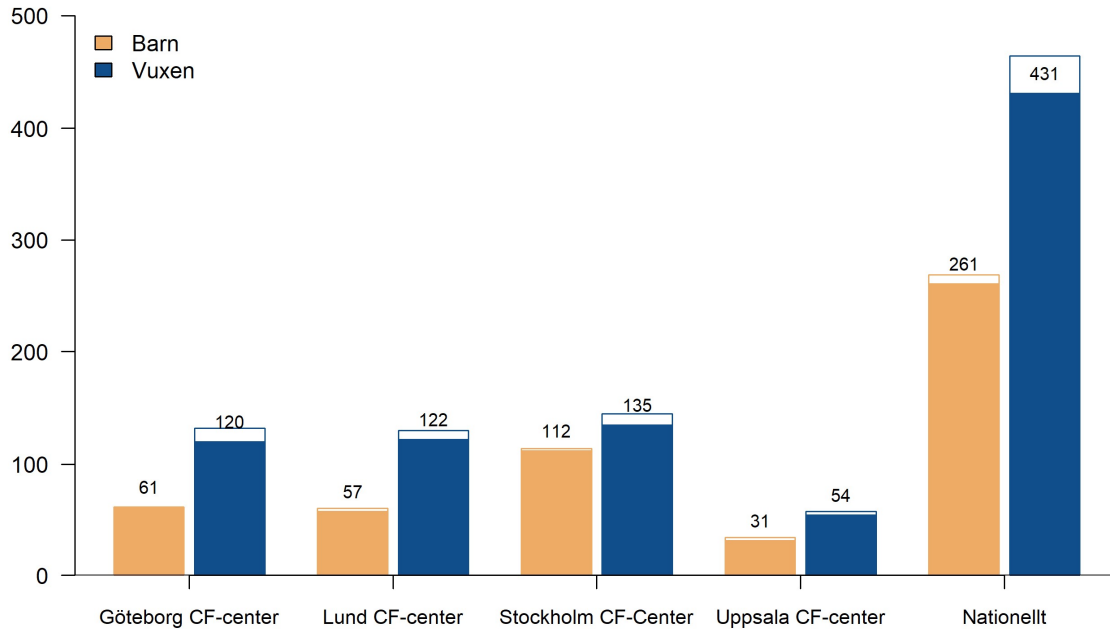
	Göteborg CF-center	Lund CF-center	Stockholm CF-Center	Uppsala CF-center	Totalt
Antal aktiva patienter vid rapportårets slut	193	190	259	91	733
Antal diagnostiserade under rapportåret	5	5	16	1	27
Avslutade under rapportåret	2	0	3	1	6
Kvinnor, n (%)	81 (42.0)	93 (48.9)	116 (44.8)	47 ( 51.6)	337 (46.0)
Män, n (%)	112 (58.0)	97 (51.1)	143 (55.2)	44 ( 48.4)	396 (54.0)
Ålder vid rapportårets slut, medel (sd)	27.36 (15.40)	27.44 (16.02)	23.14 (16.32)	25.74 (14.93)	25.69 (15.93)
Barn, n (%)	61 (31.6)	60 (31.6)	114 (44.0)	34 ( 37.4)	269 (36.7)
Vuxna, n (%)	132 (68.4)	130 (68.4)	145 (56.0)	57 ( 62.6)	464 (63.3)
Pankreasinsufficienta, n (%)	157 (81.3)	166 (87.4)	219 (84.6)	79 ( 86.8)	621 (84.7)
Lungtransplanterade, n (%)	20 (10.4)	34 (17.9)	17 ( 6.6)	11 ( 12.1)	82 (11.2)
Levertransplanterade, n (%)	6 ( 3.1)	2 ( 1.1)	2 ( 0.8)	0 ( 0.0)	10 ( 1.4)

Bildtext: Dessa patienter är grunden för alla följande grafer. Uttag är från registrets Basdata.

## Rapporteringsgrad och demografi

Varje CF-center har ett barnteam respektive ett vuxenteam varför siffrorna visas uppdelat på barn respektive vuxna på varje center.

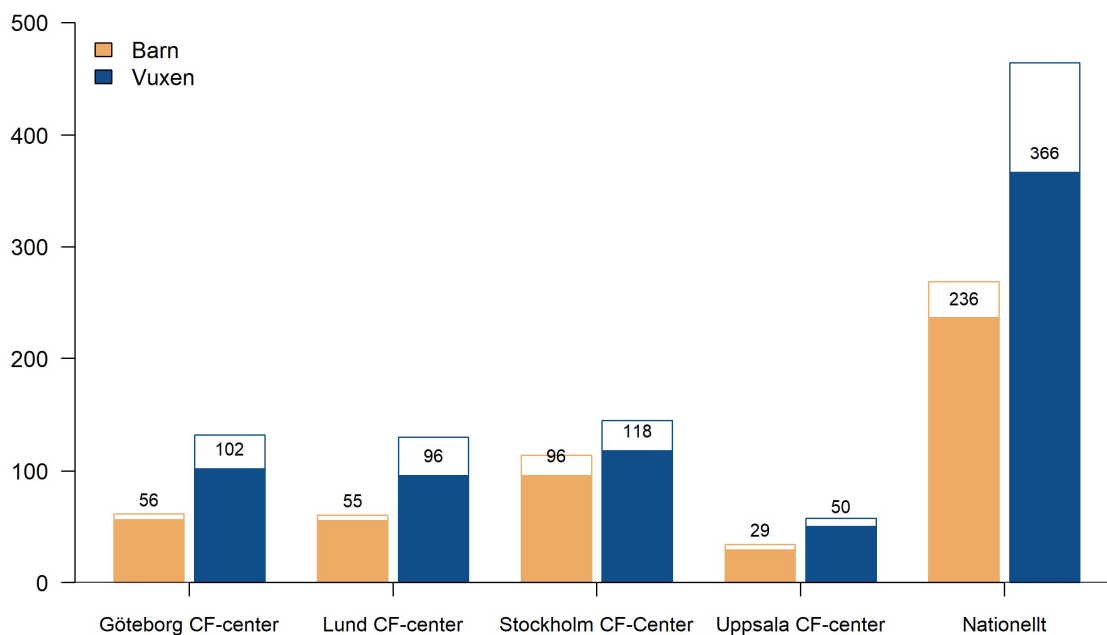
### Antal aktiva patienter med registrerat besök på CF-center år 2018



Bildtext: Ifylld stapel, med siffra, visar antalet patienter med registrerat besök, av totalt antal aktiva patienter.



## Antal aktiva patienter med årskontroll 2018



Bildtext: Ifyllt stapel visar antalet patienter med registrerad årskontroll, av totalt antal aktiva patienter. Alla patienter genomför inte årskontroll varje kalenderår. Framst vuxna patienterna gör inte årskontroll varje kalenderår. Framför allt transplanterade patienter kan istället ha gjort det som kallas "Annat besök" medan nydiagnostiserade inte har hunnit göra en årskontroll trots att de fått diagnosen och är inkluderade i registret, se nedan.

## Siffrorna bakom föregående grafer

## Antal aktiva patienter med någon form av besök under 2018

		Ej besök	Besök	Antal aktiva patienter	Andel med besök
Barn	Göteborg CF-center	0	61	61	1.00
Vuxen	Göteborg CF-center	12	120	132	0.91
Barn	Lund CF-center	3	57	60	0.95
Vuxen	Lund CF-center	8	122	130	0.94
Barn	Stockholm CF-Center	2	112	114	0.98
Vuxen	Stockholm CF-Center	10	135	145	0.93
Barn	Uppsala CF-center	3	31	34	0.91
Vuxen	Uppsala CF-center	3	54	57	0.95
Barn	Nationellt	8	261	269	0.97
Vuxen	Nationellt	33	431	464	0.93

## Andel patienter som gjort Årskontroll under 2018

		Ej årskontroll	Årskontroll	Antal aktiva patienter	Andel med årskontroll
Barn	Göteborg CF-center	5	56	61	0.92
Vuxen	Göteborg CF-center	30	102	132	0.77
Barn	Lund CF-center	5	55	60	0.92
Vuxen	Lund CF-center	34	96	130	0.74
Barn	Stockholm CF-Center	18	96	114	0.84
Vuxen	Stockholm CF-Center	27	118	145	0.81
Barn	Uppsala CF-center	5	29	34	0.85
Vuxen	Uppsala CF-center	7	50	57	0.88
Barn	Nationellt	33	236	269	0.88
Vuxen	Nationellt	98	366	464	0.79

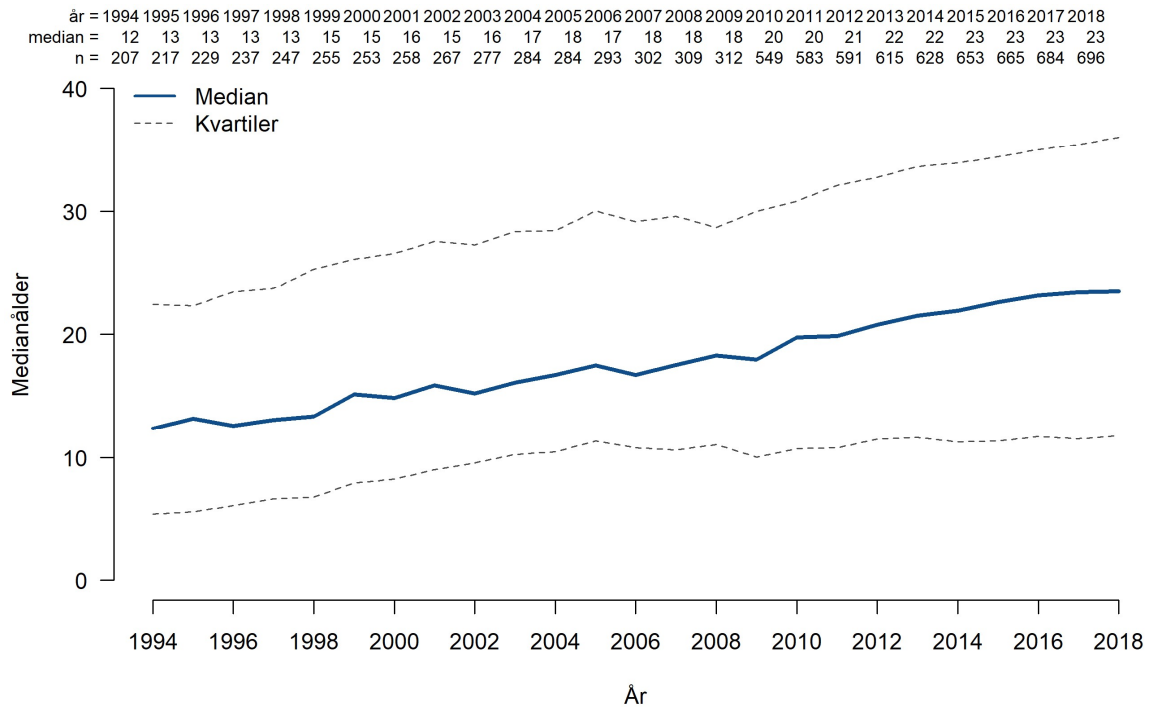
Bildtext: Andelen vuxna som genomfört årskontroll är något lägre vid Göteborg och Lunds CF-center därför att de CF-patienter som genomfört lung-transplantation följs på transplantationsmottagningarna på dessa sjukhus (och genomför därför inte alltid CF-årskontroll.)

## Medel och medianålder för barn och vuxna vid respektive CF-center

		Medel	Sd	Median	min	Q25	Q75	max
Göteborg CF-center	Barn	10.06	5.13	10.03	0.99	5.98	14.90	17.87
Lund CF-center	Barn	9.21	4.25	10.31	0.58	6.14	12.30	17.94
Stockholm CF-Center	Barn	8.55	4.90	8.24	0.33	4.20	12.40	17.49
Uppsala CF-center	Barn	11.37	4.46	11.61	2.31	8.66	14.51	17.90
Göteborg CF-center	Vuxen	35.36	11.48	33.07	18.14	26.06	43.58	68.52
Lund CF-center	Vuxen	35.85	11.91	35.38	18.02	25.39	43.35	69.03
Stockholm CF-Center	Vuxen	34.61	12.54	30.87	18.18	25.41	45.25	76.56
Uppsala CF-center	Vuxen	34.32	12.09	31.81	18.37	26.03	40.24	74.61

Bildtext: Åldersfördelning vid varje centers barn- respektive vuxenteam

## Medianålder över tid för aktiva patienter i CF-registret

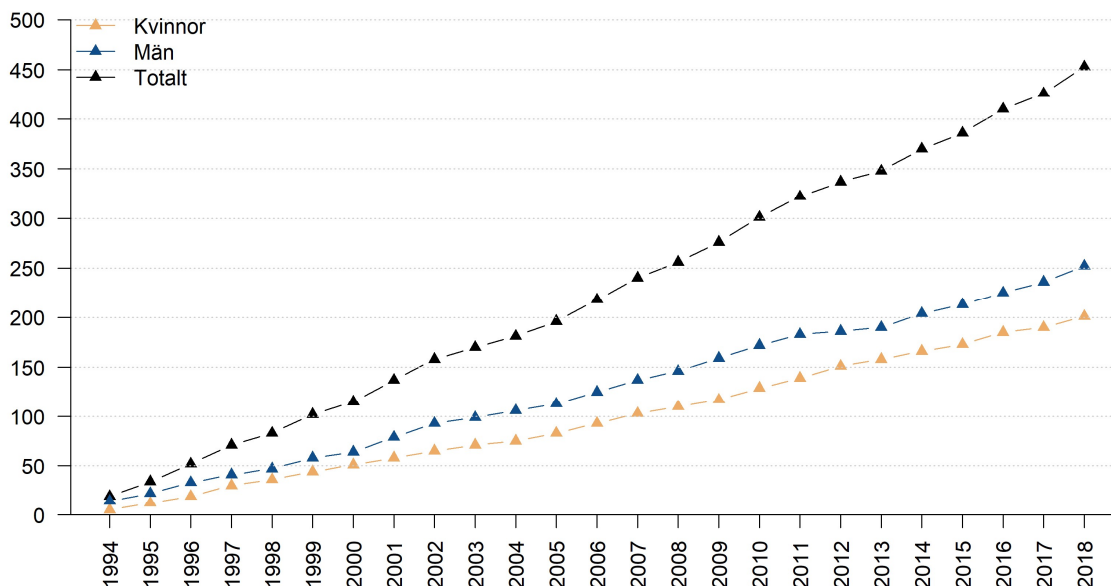


Bildtext: Medianålder för aktiva patienter i CF-registret är 23 år under 2018 (se siffrorna överst i grafen). Medianåldern har ökat över tid p.g.a. en successivt ökad överlevnad för CF-patienter, vilket man ser i hela världen.

## Diagnos

CF-diagnos ska bara ställas på ett av landets fyra CF-center. För en CF-diagnos krävs alltid kliniska symptom förenliga med CF samt två av följande tre kriterier: patologiskt svett-test, kända CF-mutationer eller ärftlighet för CF.

### Kumulativt antal diagnosticerade patienter



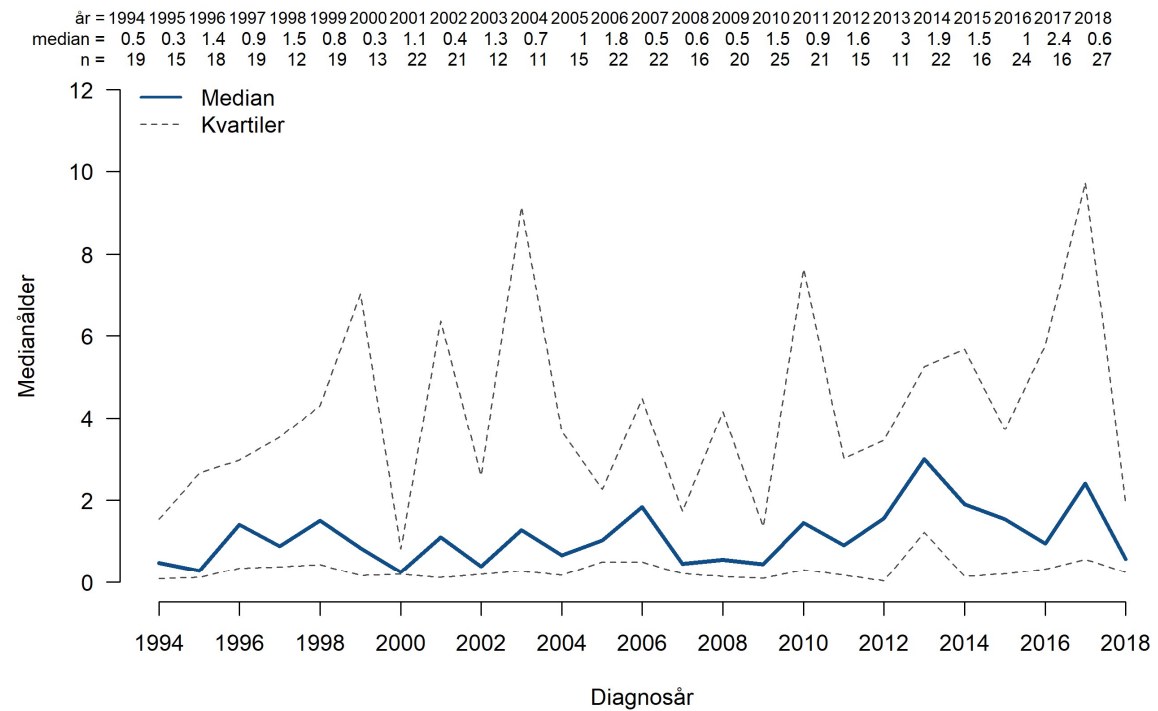
Bildtext: Det har diagnosticerats lite fler män än kvinnor med CF, men ökningen per år är väsentligen lika under de senare åren avseende kön.

### Antal personer diagnosticerade med CF/ år under 2014-2018, och kumulativt antal totalt

	Kvinnor	Män	Totalt	Kumulativ total
2014	8	14	22	736
2015	7	9	16	752
2016	12	12	24	776
2017	5	11	16	792
2018	11	16	27	819

Bildtext: I snitt diagnosticeraras 15 till 25 CF-patienter per år i Sverige, men relativt stor variation ses. I det tidiga intervallet finns en underrapportering eftersom alla center inte var med, och medianöverlevnaden var lägre varför en del patienter som var födda innan 1990 inte finns registrerade i databasen.

## Medianålder vid diagnos över tid



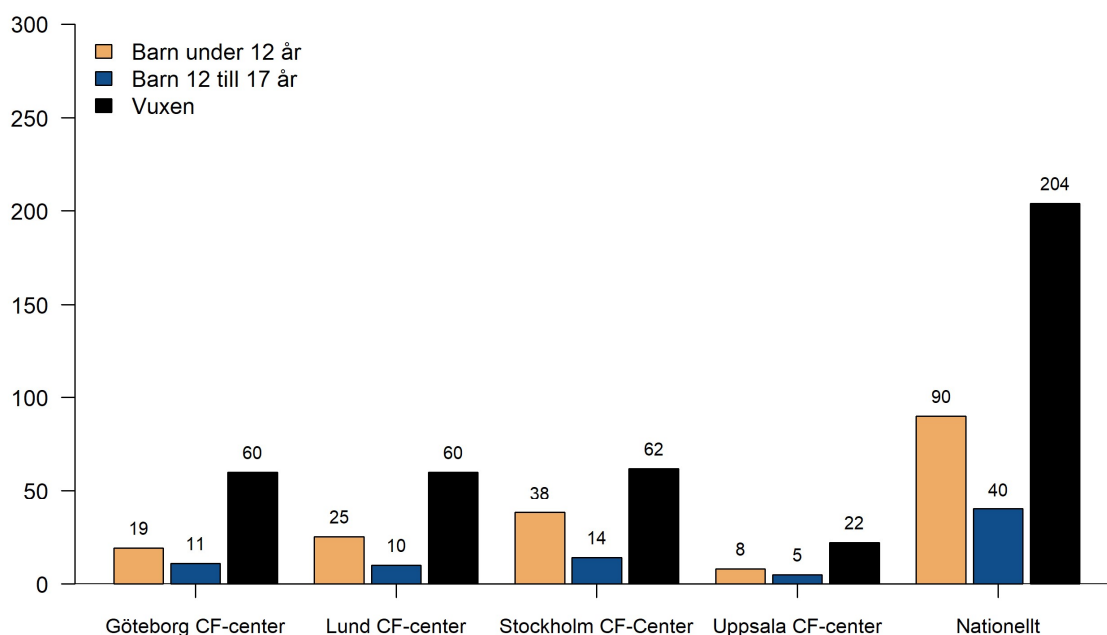
Bildtext: Medianåldern vid diagnos varierar mycket, upp till 2 års ålder (se siffror överst i grafen). Nyföddhetscreening för CF finns inte i Sverige.

## Genetik

CF är en ärftlig medfödd sjukdom. Ärftligheten är autosomt recessiv, vilket innebär att det krävs att man föds med två CF-mutationer för att vara sjuk i CF. Det finns över 2000 olika mutationer som kan ge CF. Den vanligaste CF-mutationen i hela världen är  $\Delta F508$ .



### Antal aktiva patienter med två $\Delta F508$ -mutationer i CF-registret år 2018



Bildtext: Antalet barn och vuxna i Sverige med två  $\Delta F508$ -mutationer (homozygota för denna mutation) är ca 50% av totala antalet patienter. I framtida mutationsspecifika terapier kommer typ av mutation spela stor roll för möjligheten till behandling. Den första tillgängliga mutationsspecifika terapin Kalydeco har sedan 2012 kunnat förskrivas till ett fåtal patienter med i Sverige ovanliga mutationer som påverkar CFTR kanalens funktion. Den andra mutationsspecifika terapin Orkambi har börjat förskrivas till CF-patienter homozygota för  $\Delta F508$ -mutationen fr.o.m. juli 2018. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV, har beslutat att Orkambi-förskrivningen ska följas upp via CF-registret och speciella "Orkambi-rapporter" tas fram.

## Effekten av registrets insatser i vården

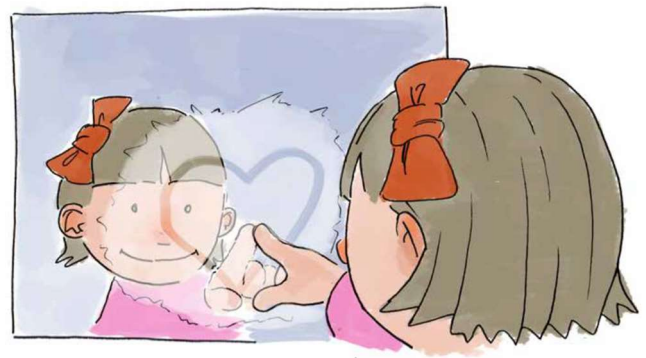
### Patientutfall

De viktigaste utfallsparametrarna är lungfunktion och nutrition.

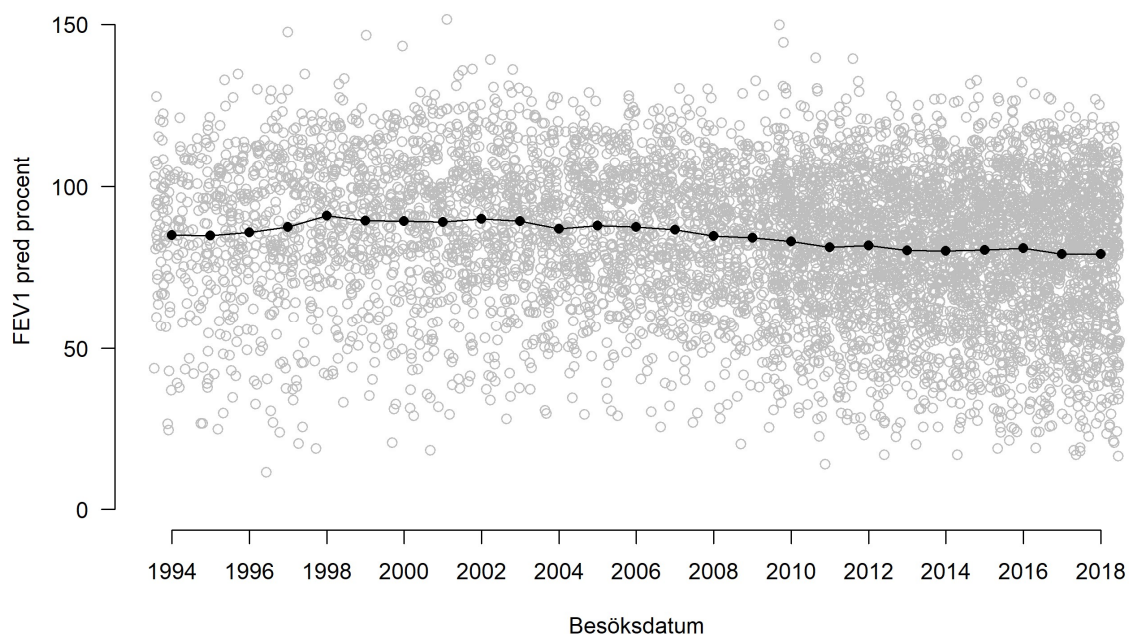
### Lungfunktion

Lungfunktionen mäts vid varje vårdbesök med undersökningen dynamisk spirometri.

De lungfunktionsvärden som oftast används vid internationella jämförelser vid CF är FEV 1 och FVC.

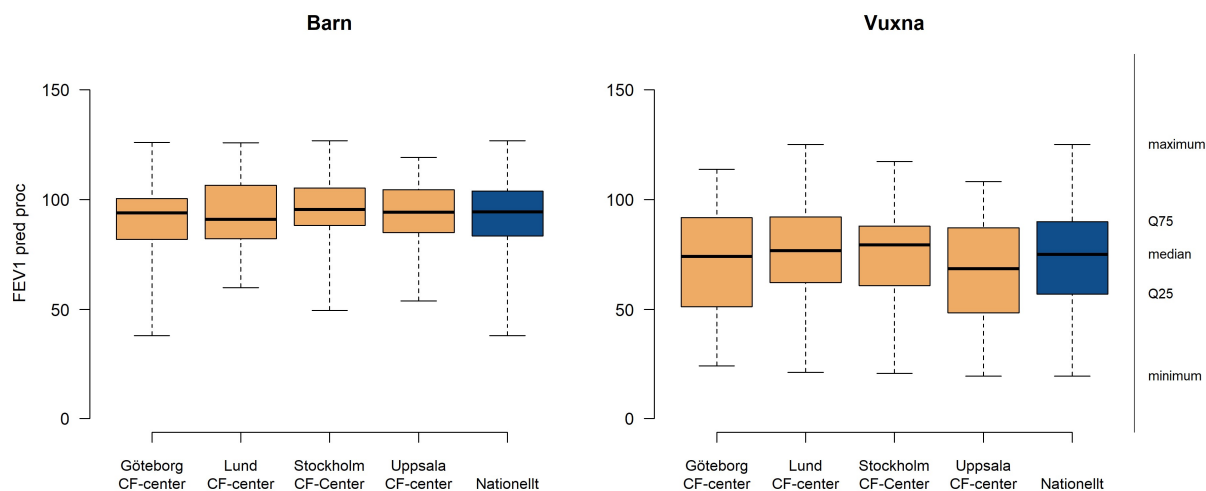


### FEV 1 vid årskontroll



Bildtext: FEV1 är väsentligen oförändrat över tid trots att fler mätpunkter, d.v.s. fler CF-patienter, finns under senare år därför att fler patienter överlever till högre ålder. I denna graf ingår även lungtransplanterade patienter.

## FEV 1 som box-plots år 2018 för barn och vuxna

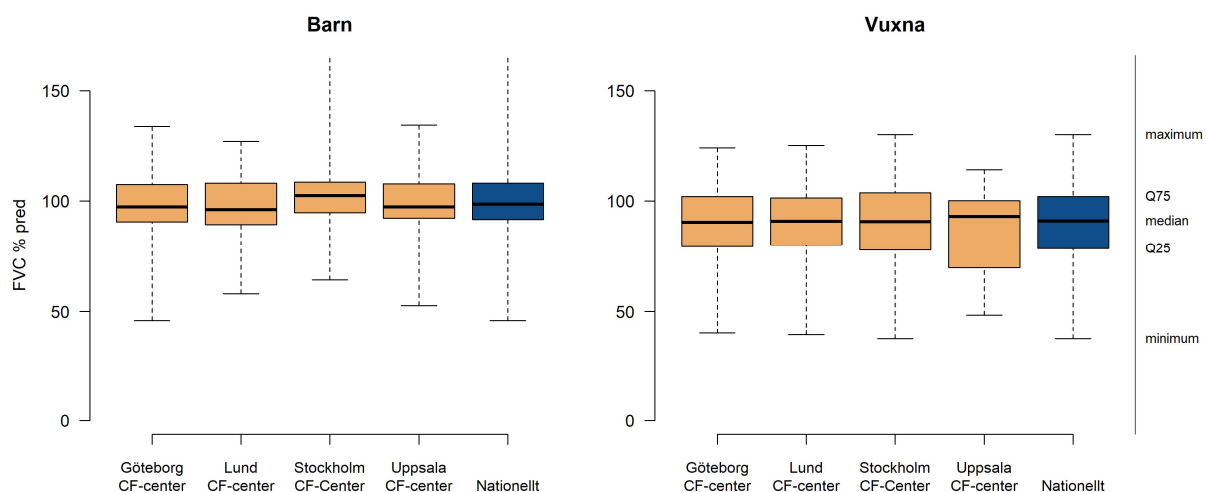


Bildtext: Förklaring till box-plot finns längst till höger i grafen (Q25= kvartil 25%, Q75= kvartil 75%).

Barnen respektive vuxna med CF har väsentligen lika lungfunktion (uttryckt i FEV1 procent av förväntat värde) oavsett vilket center som sköter CF-vården.

Observera att alla aktiva patienter i registret finns med i underlaget till dessa siffror, oavsett pankreasstatus och lungtransplantation.

## FVC som box-plots år 2018 för barn och vuxna



Bildtext: Barnen respektive vuxna med CF har väsentligen lika lungfunktion (även uttryckt i FVC procent av förväntat värde) oavsett vilket center som sköter CF-vården.



FEV1 år 2018, i samma åldersgrupper som det europeiska CF-registret (ECFSPR) använder

EU åldersgrupp	n	missing	mean	min	q25	median	q75	max
(6,10]	78	3	99.13	54.7	93.10	99.60	107.70	127.0
(10,15]	80	0	90.89	49.6	82.52	93.70	102.10	121.5
(15,20]	69	3	84.43	37.8	76.65	86.45	96.15	112.0
(20,25]	67	1	76.63	30.0	65.08	80.35	90.17	115.0
(25,30]	66	0	76.84	19.6	64.15	77.50	93.12	112.6
(30,35]	52	2	72.07	28.8	51.83	73.45	89.40	113.7
(35,40]	51	1	70.88	25.3	56.67	73.70	89.25	125.3
(40,45]	24	1	64.47	33.0	51.25	65.70	80.05	96.9
(45,76.5]	62	0	67.71	20.8	49.52	67.00	86.22	117.2

FEV1 år 2017, i samma åldersgrupper som det europeiska CF-registret (ECFSPR) använder

EU åldersgrupp	n	missing	mean	min	q25	median	q75	max
(6,10]	78	4	97.49	53.8	87.48	97.45	113.20	128.0
(10,15]	72	2	92.16	55.3	82.93	91.70	101.13	128.0
(15,20]	70	0	84.38	29.7	77.45	86.65	97.05	115.5
(20,25]	77	4	75.06	23.2	62.40	75.70	90.00	111.4
(25,30]	63	2	82.75	13.3	71.70	81.40	97.30	117.6
(30,35]	51	2	71.61	24.5	47.30	74.70	92.10	116.2
(35,40]	43	2	66.44	17.1	52.20	67.40	81.30	127.0
(40,45]	26	1	68.50	36.1	57.80	71.90	80.70	95.1
(45,76.5]	60	2	70.20	25.8	53.60	67.30	90.60	118.7

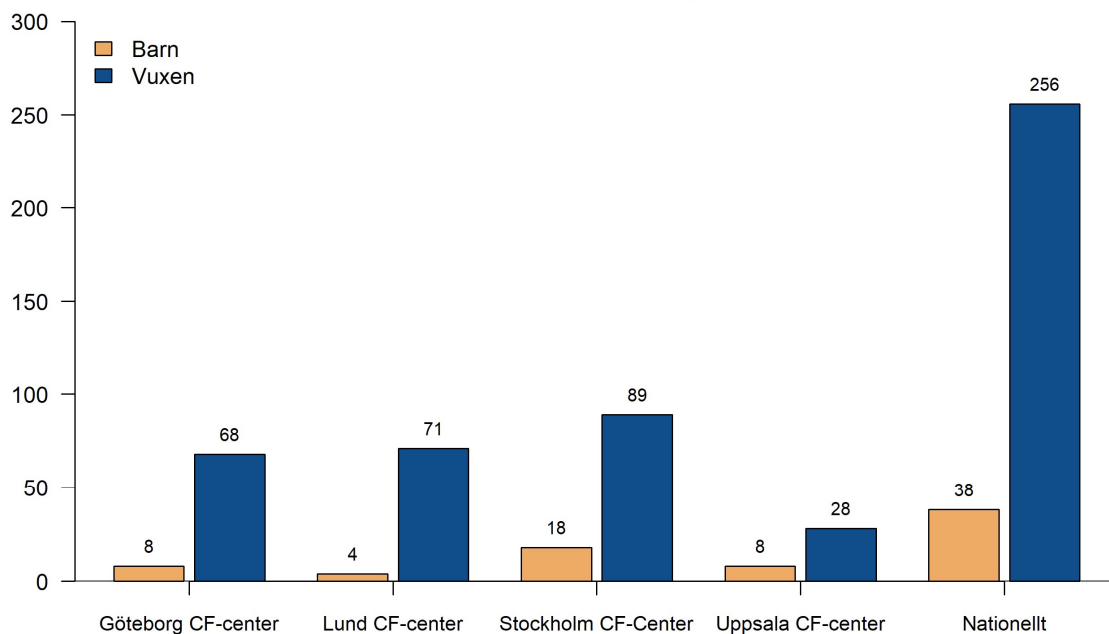
Dessa tabeller har tagits fram för att kunna göra en jämförelse mellan svenska och europeiska siffror v.g. se European Cystic Fibrosis Society Patient Register (ECFSPR):s senaste rapport från 2017 tabell 4.3 på sid 53: [https://www.ecfs.eu/sites/default/files/general-content-images/working-groups/ecfs-patient-registry/ECFSPR\\_Report2017\\_v1.3.pdf](https://www.ecfs.eu/sites/default/files/general-content-images/working-groups/ecfs-patient-registry/ECFSPR_Report2017_v1.3.pdf)

Lungfunktionen hos svenska CF-patienter är mycket bra jämfört med övriga Europa, ffa för patienterna från 25 års ålder och äldre. Detta ses trots att Sverige ett av de europeiska länder som har flest patienter i de äldre åldersgrupperna

## Mikrobiologi

Sputum (slemmet) hos CF-patienterna är saltare, mindre vätskeinhållande och därför mer segt än sputum hos en frisk person. Mikromiljön i CF-sputum är speciell och vissa bakterier trivs extra bra. CF-patienterna blir lättare kroniskt koloniserade med dessa bakterier. En av de vanligaste bakterierna att bli kroniskt koloniserad med som CF-patient är *Pseudomonas aeruginosa*.

### Antal aktiva patienter kroniskt koloniserade med *Pseudomonas aeruginosa* 2018

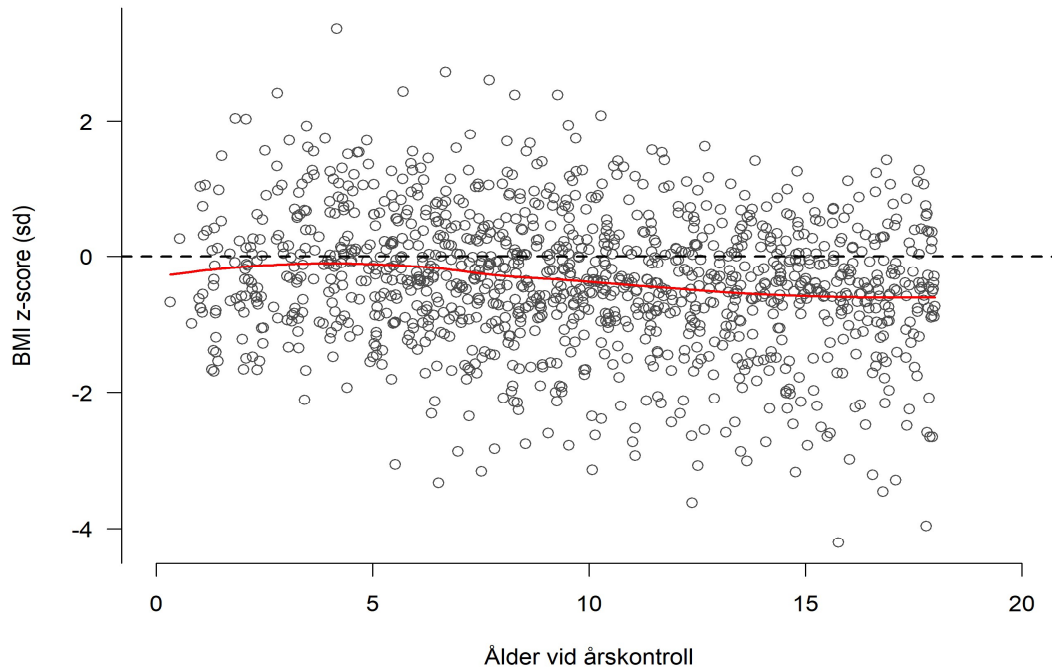


Bildtext: Grafen visar antalet CF-patienter som är kroniskt koloniserade med bakterien *Pseudomonas aeruginosa*. Dessa patienter behöver cirka 2-4 antibiotikabehandlingar/år med antibiotika verksamt mot denna bakterie, vilket ffa ges som intravenös antibiotika (eller som inhalationsantibiotika).

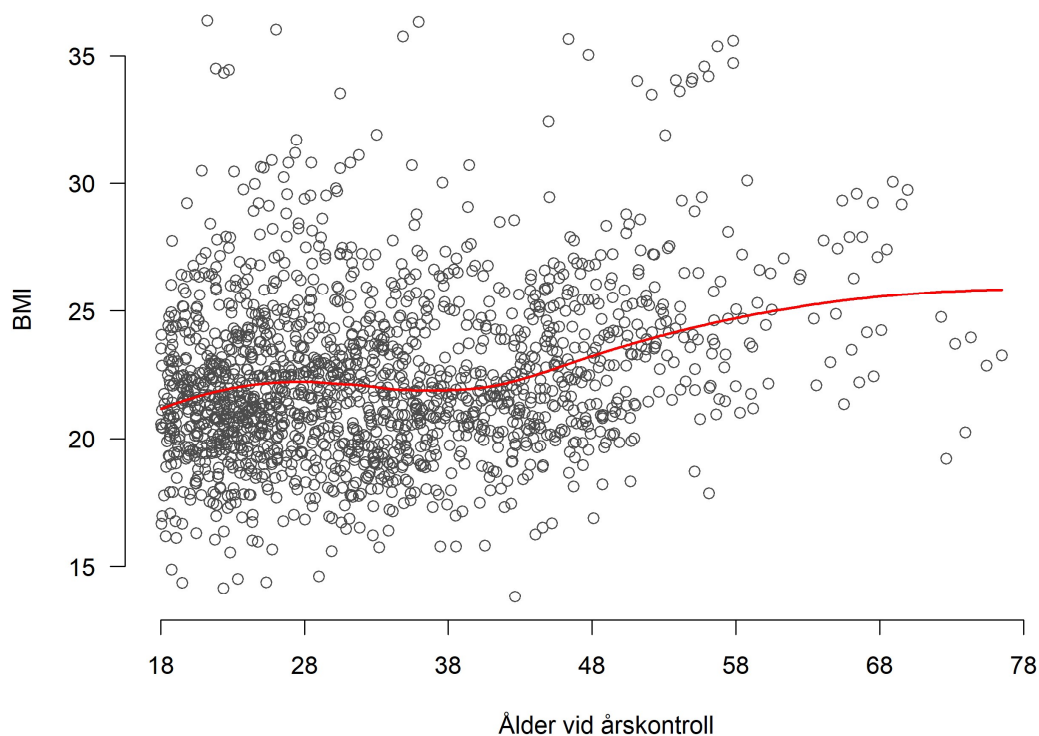
Flera patienter har även enstaka fynd av *Pseudomonas aeruginosa* under året, dock utan att vara kroniskt infekterade/koloniserade.

## Nutrition

Scatterplot över BMI z-score hos barn 0-18 år gamla, år 2018 oavsett pankreasstatus, av alla registrerade patienter, levande och eventuellt avlidna under året.

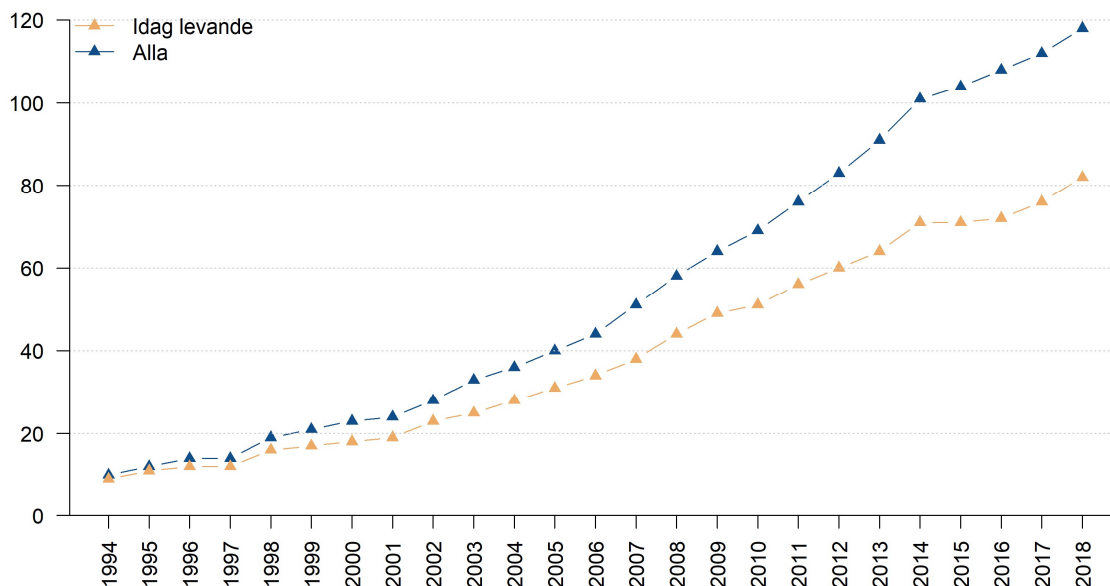


Scatterplot över BMI hos vuxna från 19 år och uppåt, år 2018 oavsett pankreasstatus, av alla registrerade patienter, levande som eventuellt avlidna under året. Ökningen av BMI efter 40 års ålder är en effekt av att mindre sjuka och patienter med fungerande pankreas lever längre medan de svårast sjuka avlider. Den röda linjen är ett lokalt viktat medelvärde.



## Lungtransplantation

## Antal lungtransplanterade patienter kumulativt registrerad i CF-registret



Bildtext: Graf över alla kumulativt registrerade lungtransplanterade patienter i CF-registret sedan registrets start, uppdelat på alla patienter och idag levande patienter. Registrerat på året för genomförd lungtransplantation (x-axeln).

## Antal lungtransplanterade patienter, alla och idag levande (kumulativt), i siffror

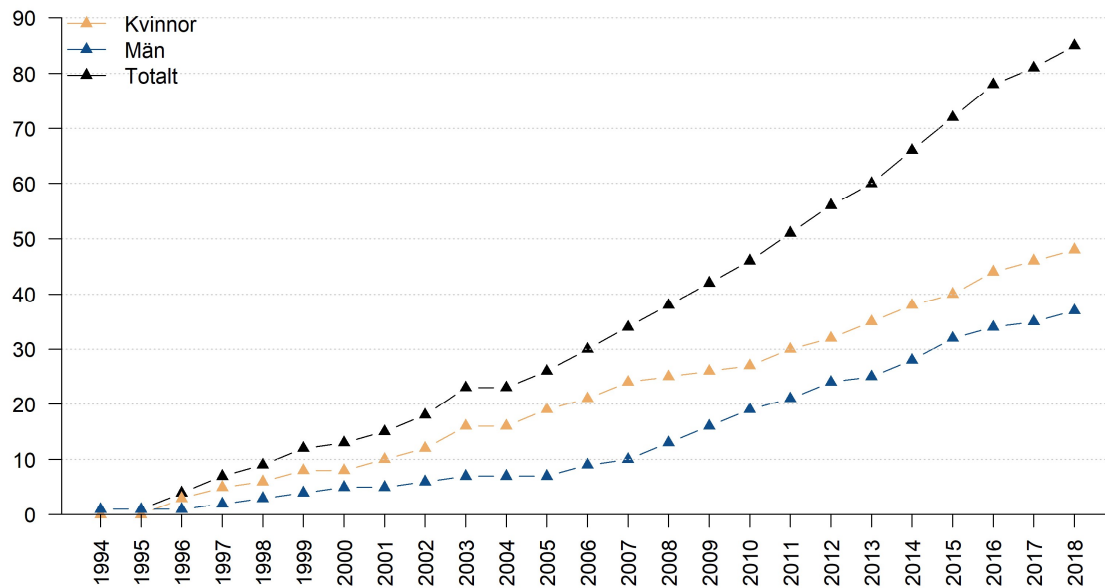
	Kvinnor	Män	Totalt	Kumulativ total	Kumulativ levande total
2014	6	4	10	101	69
2015	0	3	3	104	69
2016	2	2	4	108	70
2017	2	2	4	112	74
2018	5	1	6	118	80

Bildtext: Totalt 118 patienter är transplanterade i Sverige 2018-12-31 varav 80 fortfarande idag lever.

## Mortalitet

CF-patienter avlider till ca 95% av lungsvikt. Ett par procent avlider i leversvikt. CF-patienter dör även av icke-CF relaterade orsaker.

## Kumulativt antal avlidna patienter i CF-registret



Bildtext: Antalet avlidna CF-patienter registrerade i CF-registret uppdelat på kvinnor, män och totalt.

## PROM och PREM

PROM och PREM har börjat registreras i CF-registret år 2018.

”Quality of life”-enkäterna Disabkids och CFQR har använts för att utvärdera effekt utav det nya läkemedlet Orkambi. TLV och NT-rådets behandlingsmål för Orkambi innefattade bland annat målet: *ökning i CFQR-respiratory domain*. Patienten fyller därför i CFQR vid start, efter 3 månader och efter 12 månader, i syfte att utvärdera måendet.

Här nedan visas hur många svar och antalet patienter som svarat PROM under år 2018.

Utvärderingen av PROM kommer redovisas i speciella Orkambi-rapporter.

<b>PROM UNDER 2018</b>	<b>Antal svar</b>	<b>Antal patienter</b>
Disabkids barn	23	19
Disabkids föräldrar	13	10
Disabkids CF	14	12
CFQR (12-13 år)	4	3
CFQR vuxen (14- år)	105	71
CFQR vårdnadshavare (6-13 år)	29	25

## Forskning och utveckling under de två senaste åren

### Utveckling och förbättringsarbeten

Registret används lokalt för att ge underlag till resursfördelning (utökad budget, utökade läkar- och paramedicinska tjänster).

Registret visar att vi nu har fler vuxna än barn med cystisk fibros. Registret visar tydligt trenden att antalet vuxna CF-patienter ökar varje år och har identifierat behovet av att det krävs stora satsningar på vuxenvården.

Genom att använda registret för att titta på fördelning av samhällets stöd i landet arbetar vi för en jämlik vård i detta avseende. Potentialen för att använda registret i förbättringsarbete är stor såväl lokalt som nationellt.

### Förteckning av publikationer m.m. som publicerats under år 2018

1. Creating longitudinal datasets and cleaning existing data identifiers in a cystic fibrosis registry using a novel Bayesian probabilistic approach from astronomy. Hurley PD, Oliver S, Mehta A. PLoS ONE 13(7): e0199815. <https://doi.org/10.1371/journal.pone.0199815>;
2. Cystic Fibrosis Mortality in Childhood. Data from European Cystic Fibrosis Society Patient Registry. Zolin A, Bossi A, Cirilli N, Kashirskaya N, Padoan R. Int. J. Environ. Res. Public Health 2018, 15, 2020; doi:10.3390/ijerph15092020.

### Abstracts med data från svenska CF-registret som presenterats på European CF Society Conference (ECFSC) i Belgrad 2018

1. Outcome of mental screening among Swedish adolescents with Cystic Fibrosis. Laine C, Bergenmar Ivarsson E, Larsson P.
2. Monitoring CF lung disease in school age children with CT. Svedberg M, Gustafsson P, Lindblad A.
3. Presence of *Candida dubliniensis* in the Cystic Fibrosis respiratory tract was associated with a significant decline in lung function – results from a 16-year retrospective study. Al Shakirchi M, de Monestrol I, Hjelte L.

## CF-registrets styrgrupp 2019

Anders Lindblad, Docent, Överläkare, Göteborg CF-center, Drottning Silvias barn- och ungdomssjukhus, Barnläkare

Isabelle de Monestrol, Medicine doktor, Överläkare, Stockholm CF-center, Karolinska universitetssjukhuset, Barnläkare

Lena Hjelte, Professor, Överläkare, Stockholm CF-center, Karolinska universitetssjukhuset, Barnläkare

Helga Elidottir, Biträdande överläkare, Lund CF-center, Lunds universitetssjukhus, Barnläkare

Mary Kämpe, Medicine doktor, Överläkare, Uppsala CF-center, Akademiska sjukhuset, Lungläkare

Christina Krantz, Doktorand, Biträdande överläkare, Uppsala CF-center, Akademiska sjukhuset, Barnläkare

Lennart Hansson, Medicine doktor, Överläkare, Lund CF-center, Lunds universitetssjukhus, Lungläkare

Marita Gilljam, Docent, Överläkare, Göteborg CF-center, Sahlgrenska universitetssjukhuset, Lungläkare

Ulrika Öhman, Överläkare Norrlands universitetssjukhus, Umeå, Lungläkare

Lena Backström Eriksson, Medicine doktor, Stockholm CF-center, Karolinska Universitetssjukhuset, CF-psykolog

Ulrika Dennersten, Master of science in physiology, Lund CF-center, Lunds universitetssjukhus CF-sjukgymnast

Kristina Nilsson, Medicine Magister, Stockholm CF-center, Karolinska universitetssjukhuset, CF-dietist

Eleonora Falk, Stockholm CF-center, Karolinska universitetssjukhuset, CF-kurator

Ulrica Sterky, Riksförbundet för cystisk fibros (RfCF), CF-förälder

Andreas Jarblad, Riksförbundet för cystisk fibros (RfCF), CF-patient



## Medverkande vårdgivare

**Göteborg CF-center** med barnteamet på Drottning Silvias barnsjukhus och vuxenteamet på Sahlgrenska sjukhuset, **Lund CF-center** med barnteamet på barnkliniken Skånes universitetssjukhus och vuxenteamet på lungkliniken Skånes universitetssjukhus, **Stockholm CF-center** med barn- respektive vuxenteam som båda hör till patientflöde cystisk fibros på Tema barn- och kvinnosjukvård, Karolinska universitetssjukhuset samt **Uppsala CF-center** med gemensamt barn- och vuxenteam på Akademiska barnsjukhuset.

## Författare

Isabelle de Monestrol, Stockholm CF-center och

Anders Lindblad, Göteborg CF-center