



# CF-registret

---

ÅRSRAPPORT 2020

Rapporten omfattar uppgifter från det nationella kvalitetsregistret t.o.m. 2020-12-31

## Innehåll

Registerhållarens ord .....	2
Anslutningsgrad och täckningsgrad.....	4
Kumulativt antal aktiva patienter.....	6
Bakgrundstabell för aktiva patienter i CF-registret år 2020.....	6
Antal aktiva patienter med årskontroll 2020 .....	8
Diagnos.....	10
Kumulativt antal diagnostiserade patienter.....	10
Genetik .....	11
Antal aktiva patienter med två delF508-mutationer i CF-registret år 2019.....	12
Effekten av registrets insatser i vården.....	13
Patientutfall.....	13
Lungfunktion .....	13
FEV 1 vid årskontroll.....	13
FEV 1 som box-plots år 2020 för barn och vuxna.....	15
FVC som box-plots år 2020 för barn och vuxna .....	15
Mikrobiologi .....	17
Antal aktiva patienter kroniskt koloniserade med <i>Pseudomonas aeruginosa</i> 2020.....	17
Nutrition .....	19
Lungtransplantation .....	21
Mortalitet .....	<b>Fel! Bokmärket är inte definierat.</b>
Kumulativt antal avlidna patienter i CF-registret.....	<b>Fel! Bokmärket är inte definierat.</b>
PROM och PREM .....	23
Forskning, utveckling och hur registret utnyttjas av kliniker som matar in data.....	26
Utveckling och utnyttjande .....	26
CF-registrets styrgrupp 2020.....	28
Medverkande vårdgivare .....	29
Författare .....	29

## Registerhållarens ord

### Sjukdomen och organisation av vården

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). Sjukdomen med komplikationer orsakas av att en kloridkanal som kallas cystic fibrosis transmembrane conductance regulator (CFTR) saknas helt eller delvis i cellväggen i de organ som ger symptom vid sjukdomen. CF diagnostiseras 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 (ca 65%).

Sjukdomsgruppen sköts av både barnläkare och lungläkare som samverkar för att ge optimal vård av patienterna. 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. De patienter som bor långt bort har sin regelbundna uppföljning på sitt närsjukhus och sköts i "shared care" (delad vård) med ett CF-center. Omhändertagandet av barn och vuxna sker i form av multidisciplinära team som ska innehålla läkare, sjuksköterska, sjukgymnast, dietist, kurator samt psykolog enligt europeisk consensus.

### Kvalitetsregister cystisk fibros

Registerhållare för svenska CF-registret är barnläkare Anders Lindblad, Göteborg CF-center. Isabelle de Monestrol, barnläkare på Stockholms CF center är ordförande för styrgruppen. Styrgruppen består av representanter från patientföreningen, representanter från varje personalgrupp engagerad i vården av CF patienter, läkare från varje center samt en läkare som representerar "shared care".

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 övergripande syftet med registret är att förbättra både överlevnad och livskvalitet samt säkerställa jämställd och jämlik vård i hela Sverige. Vissa nyckeltal, som anses viktiga för kvaliteten av den givna vården följs över tid som mått på vårdens kvalitet. Exempel på sådana nyckeltal är lungfunktionsmått såsom forcerad expiratorisk volym på 1 sekund (FEV1.0), andelen barn/vuxna som är kroniskt infekterade med bakterien *Pseudomonas aeruginosa*, nutritionsmått såsom BMI hos vuxna och BMI z-score på barn under 18 år samt andelen med normala serumnivåer av fettlösliga vitaminer.

I registret finns även möjlighet att registrera olika behandlingar varför "benchmarking" av läkemedelsanvändning kan göras direkt mellan centra.

## Anslutningsgrad och täckningsgrad

### Registrerande CF-center

Alla fyra svenska CF-centra till registret och ansvarar för att varje år registrera data i CF - registret i samband med årskontrollen.

Ett obegränsat antal "Månadsbesök" kan registreras på varje patient för att till exempel visa patientens bästa lungfunktionsvärden under kalenderåret eller få mer information om komplikationer etc. "Annat besök" kan införas för minimidata om en Årskontroll inte genomförts.

### Täckningsgrad

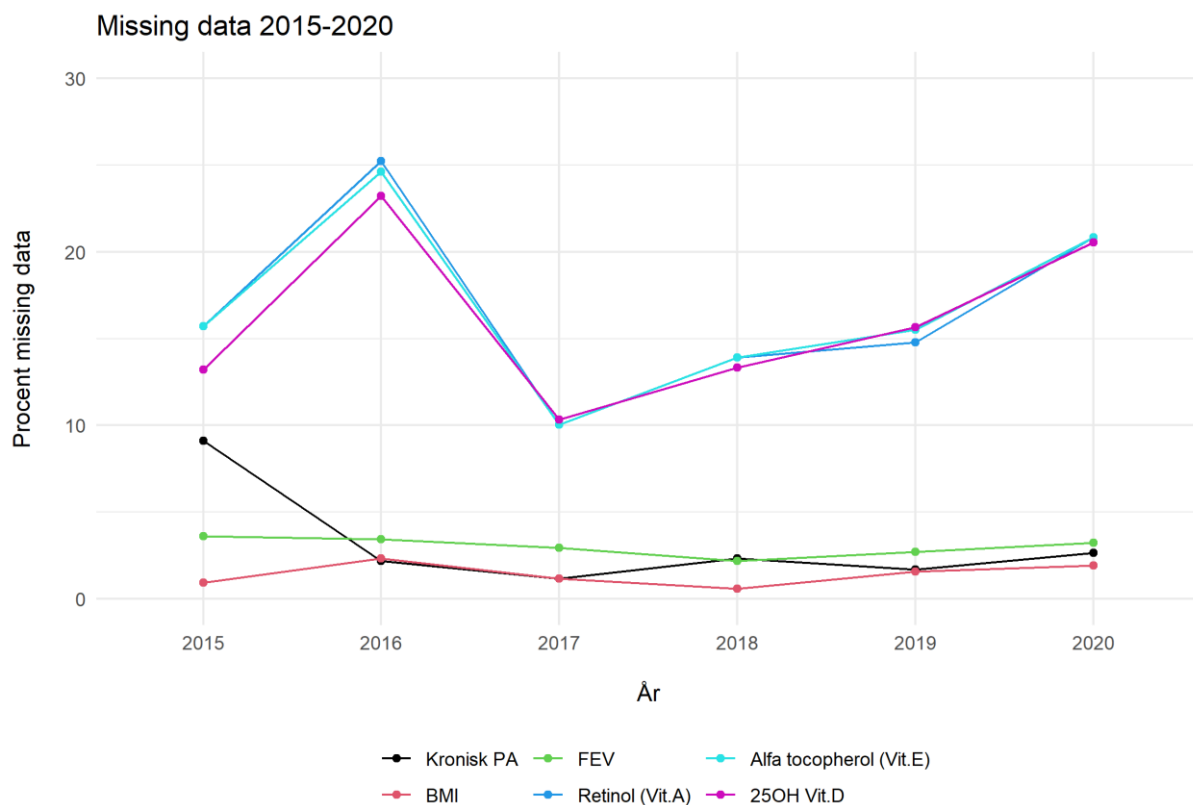
År 2012 ökade anslutningsgraden av inmatade CF-center i princip till 100% av alla kända patienter med CF då CF-registret blev ett kvalitetsregister och fick medel från SKL. Ett litet antal CF-patienter har avböjt att vara med i kvalitetsregistret. Därefter har varje års täckningsgrad av totala antalet anslutna patienter varit ca 95% för årliga data. Ett litet antal patienter avböjer årskontroll vid CF-center eller bedömts inte behöva årskontroll varje år då lungfunktionen varit stabil över många år. Årliga täckningsgraden är därför ca 95% nationellt medan antalet aktiva patienter i registret är nära 100%.

För de viktigaste variablerna BMI, FEV1, kronisk kolonisering av bakterien *Pseudomonas aeruginosa* (Kronisk PA) och vitaminnivåer av de fettlösliga vitaminerna retinol (vitamin A), alfa-tokoferol (vitamin E) och 25-OH vitamin D, framgår andel "missing"/värden som ej matats in (se nedan bifogad tabell).

### "Missing data" i CF-registret 2015-2020

Andel som saknar data årsvis totalt i registret (av patienter som rapporterat Årsbesök eller Annat besök)

	2015	2016	2017	2018	2019	2020
Antal patienter (n)	636	642	677	683	703	677
Kronisk PA (%)	9.1	2.2	1.2	2.3	1.7	2.7
BMI (%)	0.9	2.3	1.2	0.6	1.6	1.9
FEV1, över 6 års ålder, (%)	3.6	3.4	3.0	2.2	2.7	3.2
Retinol, vitamin A (%)	15.7	25.2	10.0	13.9	14.8	20.8
Alfa tocopherol, vitamin E (%)	15.7	24.6	10.0	13.9	15.5	20.8
25-OH-vitamin D (%)	13.2	23.2	10.3	13.3	15.6	20.5



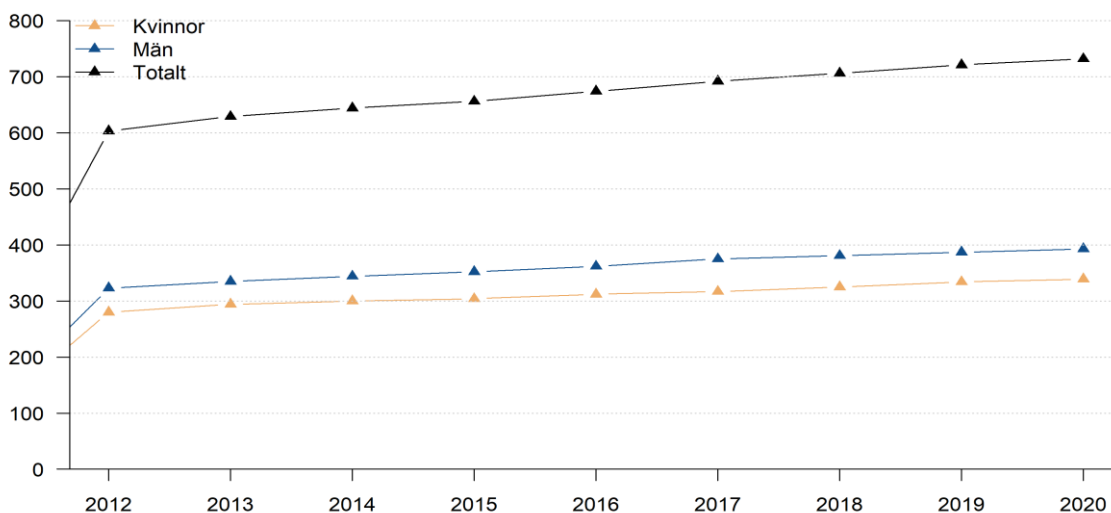
Andel aktiva patienter som inte har registrerat värde under rapportåret  
per center

	Göteborg CF-center	Lund CF-center	Stockholm CF-Center	Uppsala CF-center
Antal patienter (n)	186	187	223	81
Kronisk PA, n (%)	11 (5.9)	0 (0.0)	6 (2.7)	1 (1.2)
BMI, n (%)	8 (4.3)	2 (1.1)	1 (0.4)	2 (2.5)
FEV1, över 6 års ålder, (%)	25 (13.4)	18 (9.6)	36 (16.1)	13 (16.0)
Retinol, vitamin A (%)	42 (22.6)	28 (15.0)	42 (18.8)	29 (35.8)
Alfa tocopherol, vitamin E(%)	41 (22.0)	28 (15.0)	42 (18.8)	30 (37.0)
25-OH-vitamin D (%)	44 (23.7)	27 (14.4)	39 (17.5)	29 (35.8)

## Kumulativt antal aktiva patienter sedan år 2012

**Aktiva patienter** beräknas som inkluderade patienter minus avslutade patienter vid årets slut. Orsaker till patientavsluta är dödsfall, flytt utomlands, felaktig diagnos, önskemål om avregistrering.

Antal aktiva patienter (med registrerat inklusionsdatum)



## Bakgrundstabell för aktiva patienter i CF-registret år 2020

Dessa patienter är grunden för årsrapportens grafer:

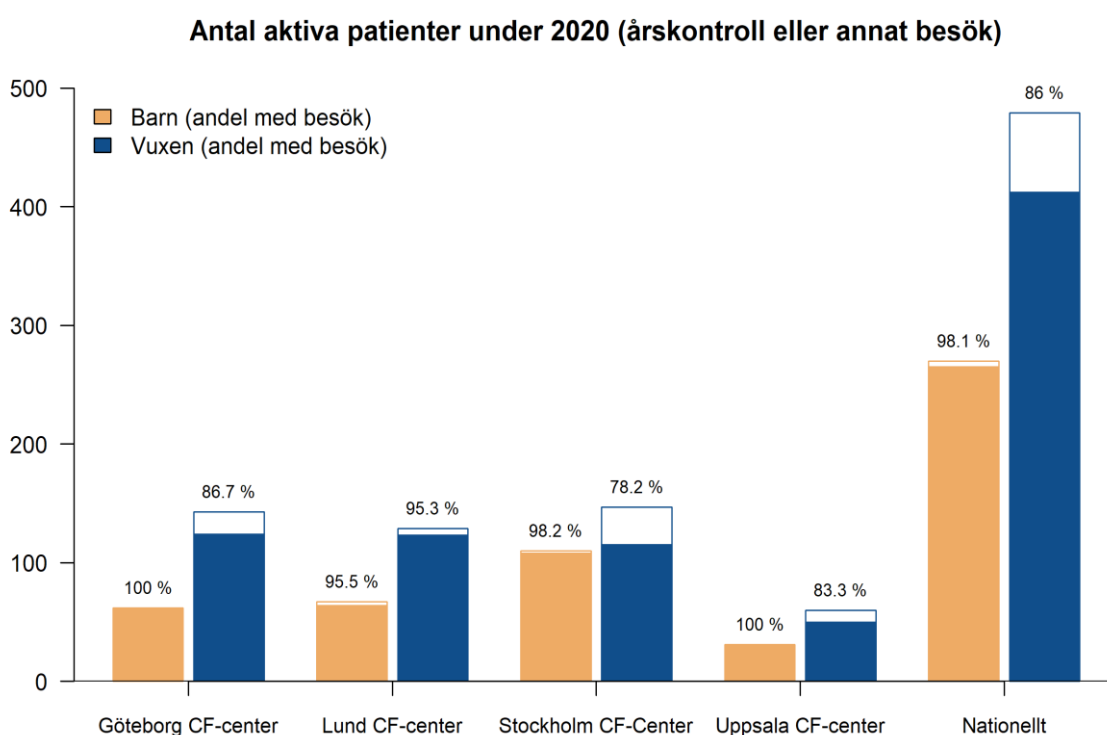
		Göteborg CF-center	Lund CF-center	Stockholm CF-Center	Uppsala CF-center	Totalt
Antal aktiva patienter vid rapportårets slut, n		205	196	257	91	749
Antal diagnostiserade under rapportåret, n (%)		4 (2.0)	3 (1.5)	5 (1.9)	2 (2.2)	14 (1.9)
Kön, n (%)	Kvinnor	87 (42.4)	95 (48.5)	117 (45.5)	47 (51.6)	346 (46.2)
Kön, n (%)	Män	118 (57.6)	101 (51.5)	140 (54.5)	44 (48.4)	403 (53.8)
Ålder vid rapportårets slut, mean (sd)		28.14 (15.98)	28.04 (16.32)	24.22 (16.25)	26.98 (15.63)	26.63 (16.19)
Åldersgrupp, n (%)	Barn	62 (30.2)	67 (34.2)	110 (42.8)	31 (34.1)	270 (36.0)
Åldersgrupp, n (%)	Vuxen	143 (69.8)	129 (65.8)	147 (57.2)	60 (65.9)	479 (64.0)
Pankreasinsufficiens, n (%)		166 (81.0)	172 (87.8)	216 (84.0)	76 (83.5)	630 (84.1)
Lungtransplanterade, n (%)		24 (11.7)	35 (17.9)	17 (6.6)	12 (13.2)	88 (11.7)
Levertransplanterade, n (%)		6 (2.9)	3 (1.5)	2 (0.8)	1 (1.1)	12 (1.6)

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 årskontroll, eller Annat besök, år 2020

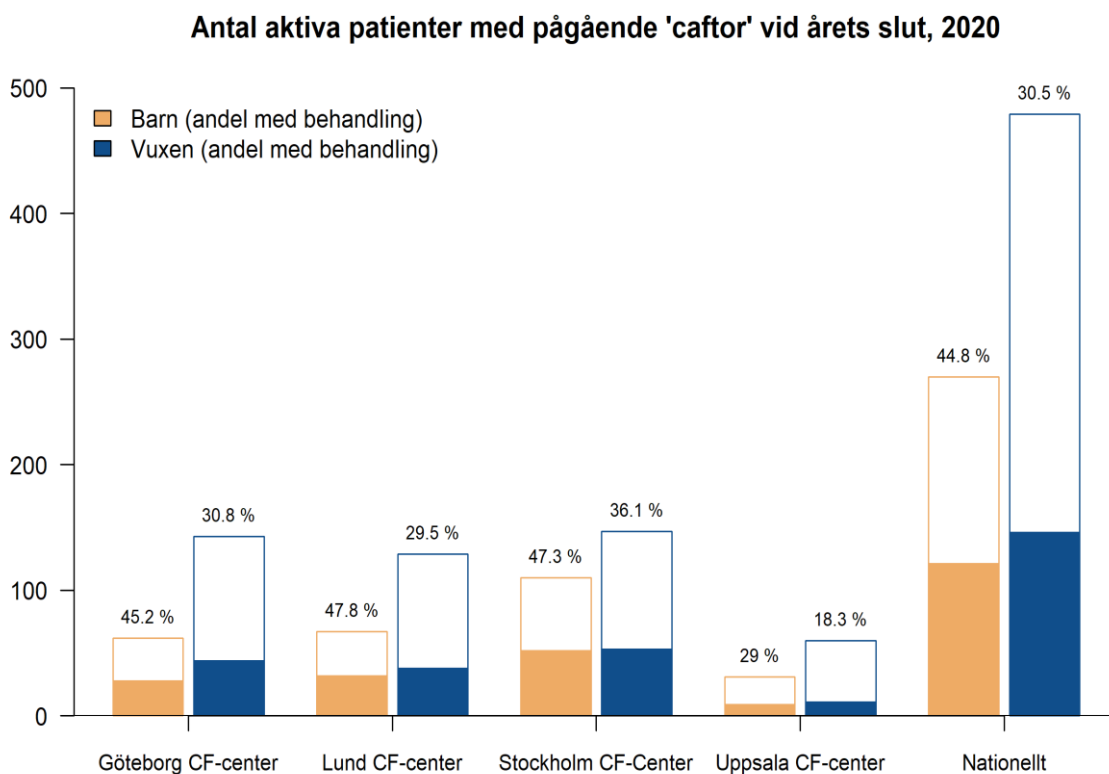


Bildtext: Grafen visar ifylld stapel för de som haft årskontroll och en siluett av en stapel för alla aktiva patienter som borde ha haft årskontroll. Alla patienter, främst de vuxna, genomför inte årskontroll varje kalenderår. Detta gäller till exempel patienter med lindrig CF-sjukdom och transplanterade patienter medan nydiagnostiserade inte har hunnit göra en årskontroll trots att de fått diagnosen och är inkluderade i registret, se nedan. Covid-19-pandemin har även påverkat siffrorna, då årskontroller ibland ej genomförts för att inte riskera Covid-19-smitta, ffa för utomlänspatienter.

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 transplantations-mottagningarna på dessa sjukhus (och genomför därför inte alltid CF-årskontroll.) Andelen vuxna som genomfört årskontroll är lägre än föregående år vid Stockholm och Uppsala CF-center bland annat p.g.a. att utomlänspatienter inte velat resa och riskera Covid-19-smitta.



## Antal aktiva patienter med pågående behandling med de nya terapierna, CFTR-modulerare ("caftorer"), 31/12 2020



Bildtext: De nya terapierna, CFTR-modulerarna ("caftorer"), är läkemedel som är mutationsspecifika och de olika CFTR-modulerarna är godkända för olika åldrar beroende på hur länge de varit i bruk. Den vanligaste av "caftorer" är Orkambi som kan ges till CF-patienter med två F508del-mutationer över 2 års ålder. Övriga är ca 10 patienter med Kalydeco (godkänd från 6 månader) samt Kaftrio som ges på "compassionate use" till mycket svårt sjuka patienter 12 år och äldre (ca 30 patienter)

Det är viktigt att de patienter med CFTR-modulerare/"caftorer" följs upp noggrant då det är dyra läkemedel och antalet patienter på denna behandling kommer öka kraftigt de närmaste åren då nya CFTR-modulerare/"caftorer" kommer att introduceras. Då de nya "caftorer" även kommer ned i åldrarna samt även har effekt på patienter med en mutation av typen deltaF508 räknar man med att ca 80-85% av alla patienter kommer vara tillgängliga för behandling.

## Siffrorna bakom föregående grafer

Andel patienter som gjort Årskontroll under 2020, inkluderat Annat besök

Grupp	Center	Nej	Ja	Totalt	Andel Ja
Barn	Göteborg CF-center	0	62	62	1.00
Vuxen	Göteborg CF-center	19	124	143	0.87
Barn	Lund CF-center	3	64	67	0.96
Vuxen	Lund CF-center	6	123	129	0.95
Barn	Stockholm CF-Center	2	108	110	0.98
Vuxen	Stockholm CF-Center	32	115	147	0.78
Barn	Uppsala CF-center	0	31	31	1.00
Vuxen	Uppsala CF-center	10	50	60	0.83
Barn	Summa	5	265	270	0.98
Vuxen	Summa	67	412	479	0.86
Totalt		72	677	749	0.90

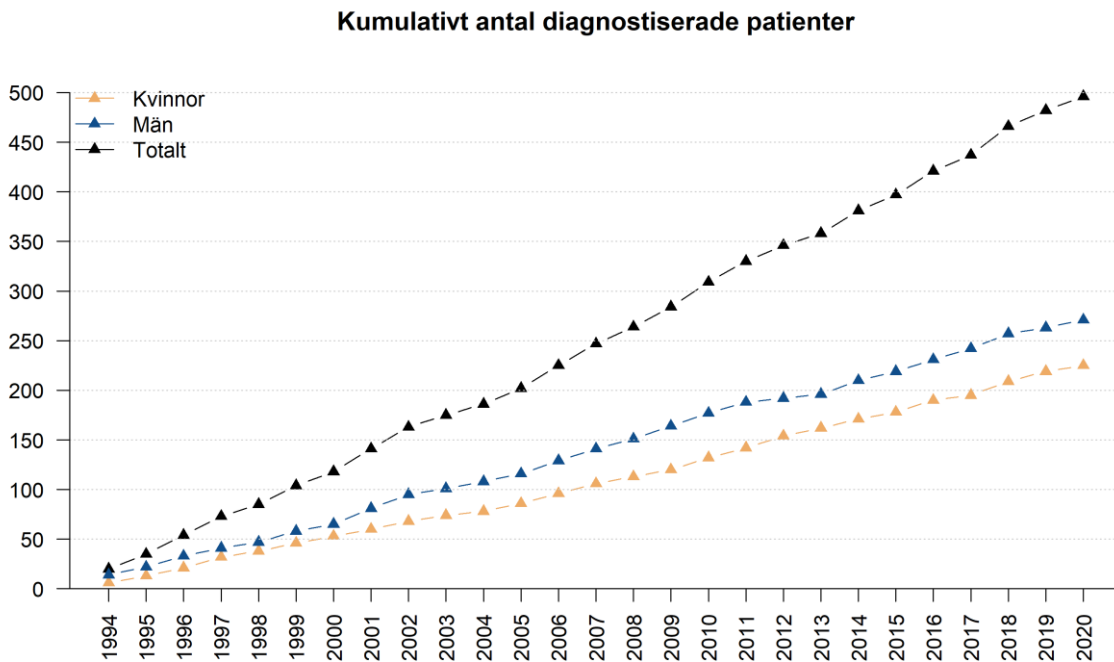
Antal aktiva patienter med pågående behandling med de nya terapierna, CFTR-modulerare/"caftorer" 31/12 2020

Grupp	Center	Nej	Ja	Totalt	Andel Ja
Barn	Göteborg CF-center	34	28	62	0.45
Vuxen	Göteborg CF-center	99	44	143	0.31
Barn	Lund CF-center	35	32	67	0.48
Vuxen	Lund CF-center	91	38	129	0.29
Barn	Stockholm CF-Center	58	52	110	0.47
Vuxen	Stockholm CF-Center	94	53	147	0.36
Barn	Uppsala CF-center	22	9	31	0.29
Vuxen	Uppsala CF-center	49	11	60	0.18
Barn	Summa	149	121	270	0.45
Vuxen	Summa	333	146	479	0.30
Totalt		482	267	749	0.36

## 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 diagnostiserade patienter



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

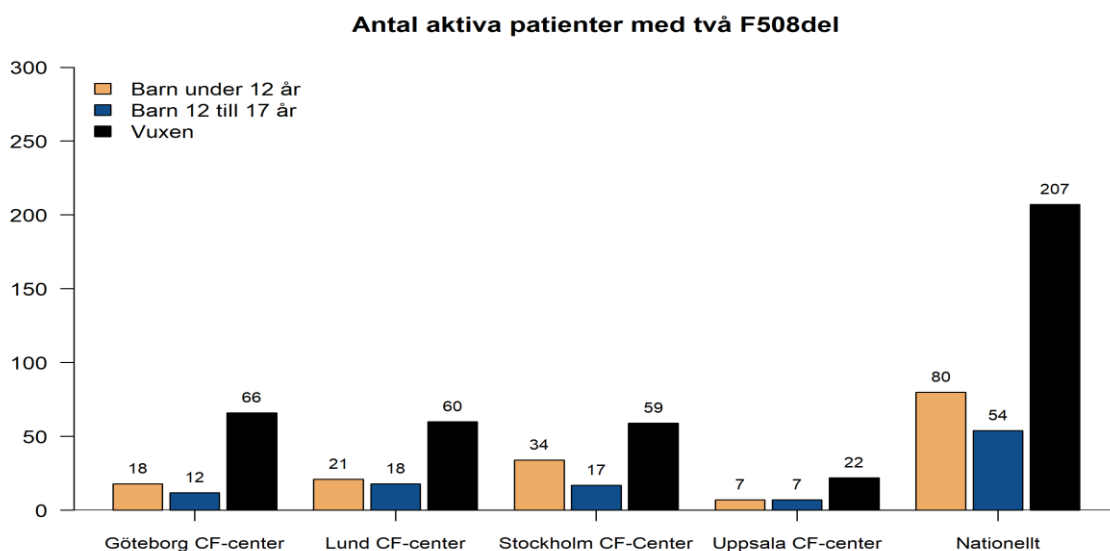
## Genetik

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 F508del. Ca 99% av alla nu levande patienter har en eller två kända mutationer i registret.

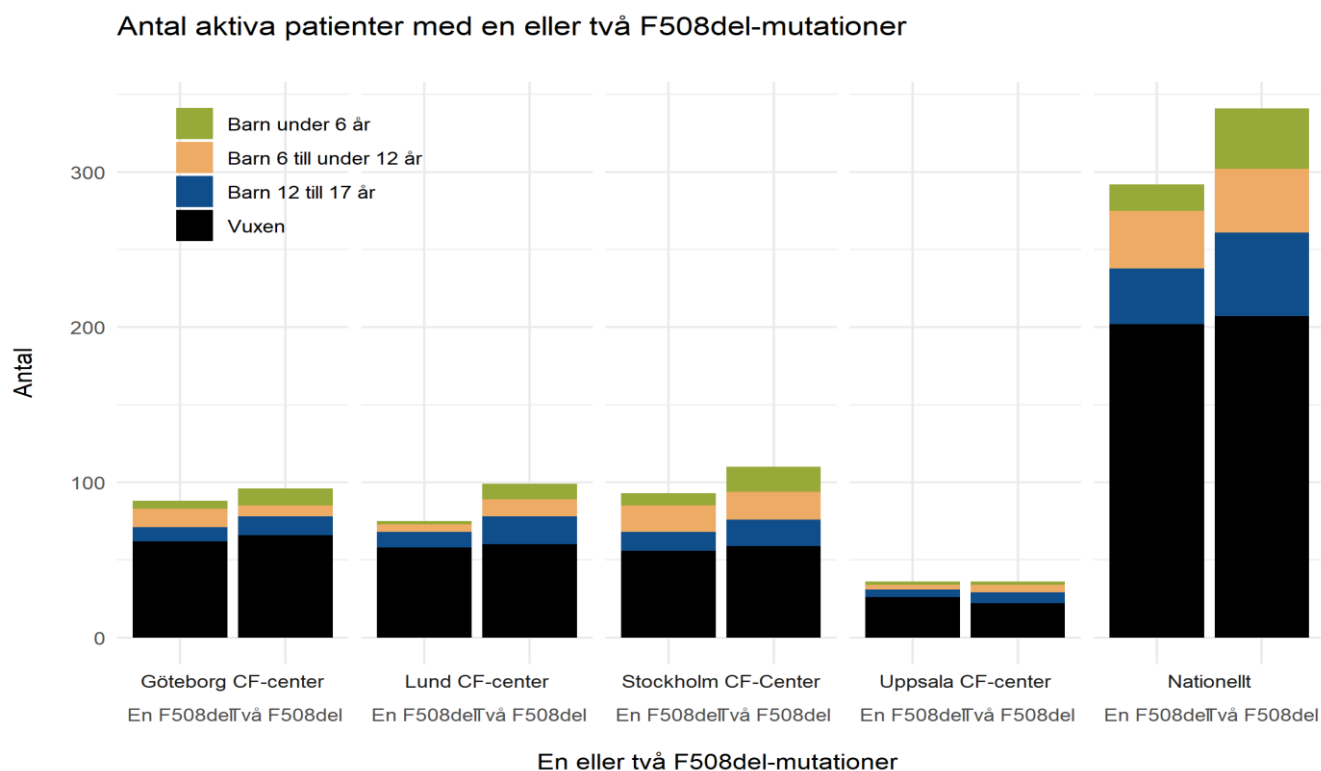
Vilken typ av mutation varje patient har är viktigt att veta. Anledningen är att det finns nya mutationsspecifika terapierna där typ av mutation avgör möjlighet till ev. behandling. Den första tillgängliga mutationsspecifika terapin, Kalydeco, har sedan 2012 förskrivits till ett fåtal patienter i Sverige med ovanliga mutationer som påverkar CFTR kanalens funktion (t ex G551D). Den andra mutationsspecifika terapin, Orkambi, började förskrivas i juli 2018 till CF-patienter med två F508del-mutationer. Tandvårds- och läkemedelsförmåns-verket, TLV, har beslutat att Orkambi-förskrivningen ska följas upp via CF-registret och speciella "Orkambi-rapporter" görs. Ytterligare en mutationsspecifik behandling (som kan ges till patienter med endast en F508del-mutation, vilket är ytterligare ca 35% av patienterna) finns men den ingår ännu inte i den svenska läkemedelsförmånsrabatten.



Antal aktiva patienter med en eller två delF508-mutationer i CF-registret år 2020. Det är dessa patienter som kommer att kunna behandlas med de nya CFTR-modulatorerna när de är godkända i Sverige.



Bildtexter ovan: Antalet barn och vuxna patienter med två F508del-mutationer, ca 48% av alla. På bilden nedan visas att det är nästan lika många patienter som har endast en F508del-mutation.



## Effekten av registrets insatser i vården

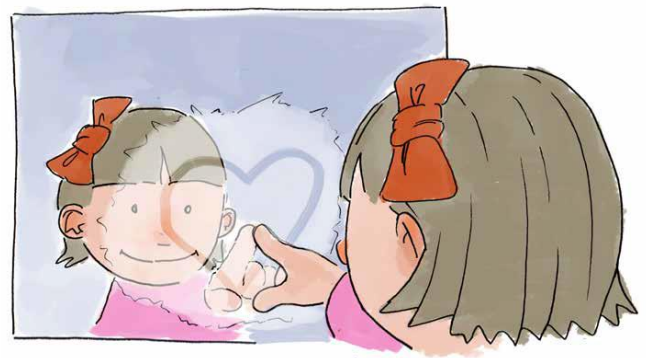
### Patientutfall

De viktigaste utfallsp parametrarna är lungfunktion och nutrition.

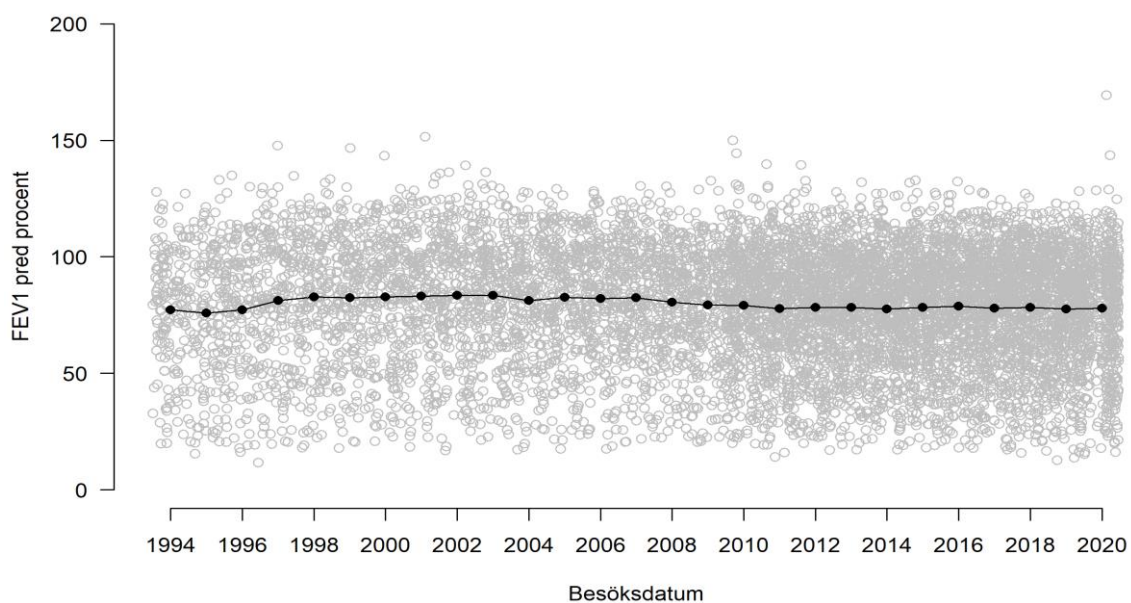
### Lungfunktion

Lungfunktionen mäts vid varje vårdbesök med undersökningen dynamisk spirometri.

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



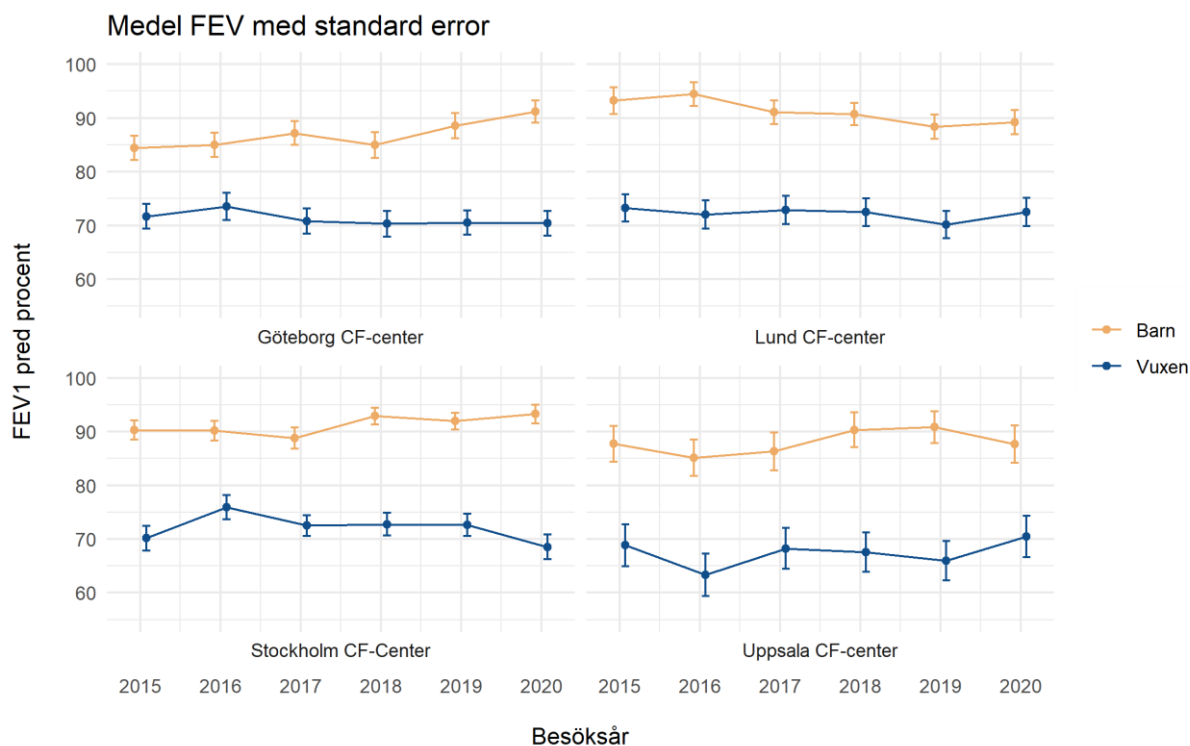
Medelvärde FEV 1 vid årskontroll, från hela registret över tid



Bildtext: FEV1 är väsentligen oförändrat över tid trots att fler mätpunkter finns, p.g.a. att fler patienter överlever till högre ålder och fler årskontroller görs. Jämfört med tidigare årsrapporter har lung-transplanterade patienter tagits bort.

Medelvärde FEV1 med standard error, över tid de senaste sex åren uppdelat på barn och vuxna för de fyra olika CF-centra.

Ingen säker skillnad kan ses mellan olika centra

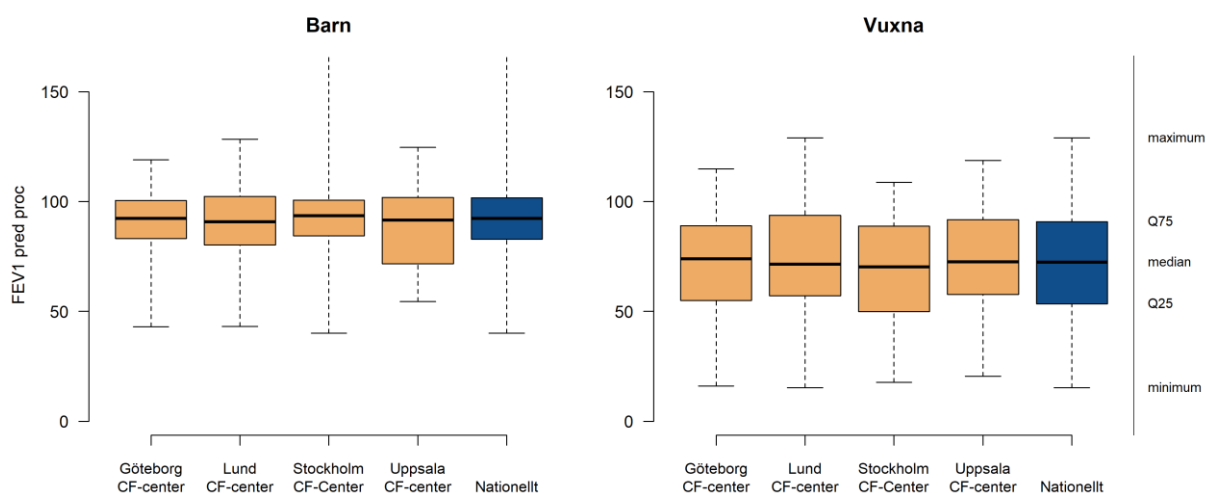


Medelvärde FEV1, över tid de senaste sex åren uppdelat på barn och vuxna nationellt

Grupp	2015	2016	2017	2018	2019	2020
Barn	89.19	88.98	88.59	90.16	90.06	91.12
Vuxen	71.36	72.70	71.55	71.32	70.54	70.38

Bildtext: Siffrorna för medelvärdet, i procent av förväntat värde, för FEV1 i hela CF-registret (från Årskontroller och Annat besök)

## FEV 1 som box-plots år 2020 för barn och vuxna uppdelat på CF-centra

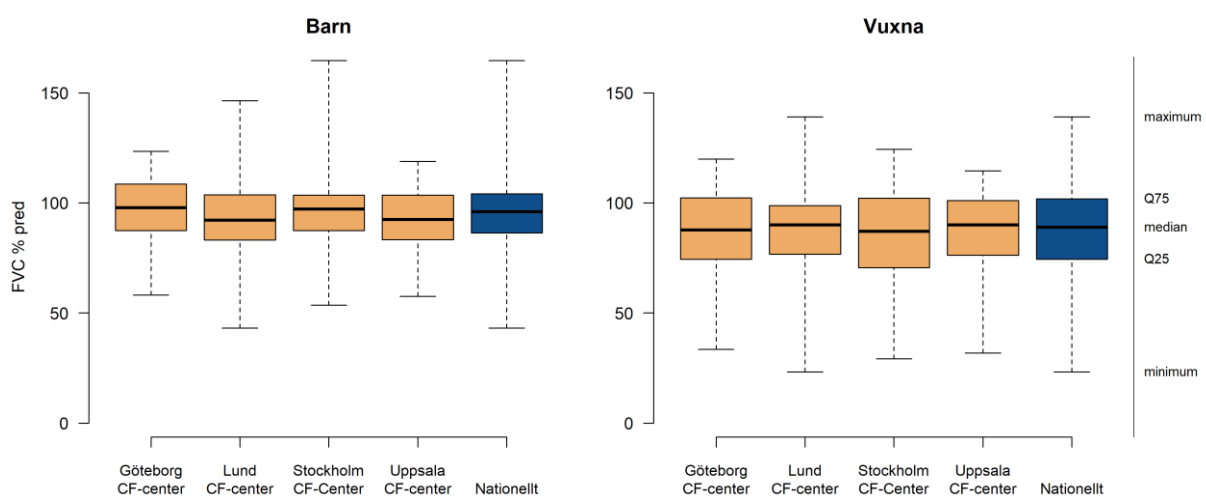


Förklaring till box-plot finns längst till höger i grafen (Q25= kvartil 25%, Q75= kvartil 75%).

Barnen respektive vuxna med CF har väsentligen lika lungfunktion (uttryckt i FEV1 procent av förväntat värde) oavsett vilket center som sköter CF-vården, och så har det varit sedan CF-registret började göra Årsrapporter år 2014.

Observera att aktiva patienter oavsett pankreasstatus är med i underlaget till dessa siffror. Däremot är lungtransplanterade patienter borttagna.

## FVC som box-plots år 2020 för barn och vuxna



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 2020, i samma åldersgrupper som det europeiska CF-registret (ECFSPR) använder

EU-åldersgrupp	n	missing	mean	min	q25	median	q75	max
(6,10]	62	3	99.17	74.2	88.65	96.90	110.20	169.3
(10,15]	93	2	92.30	43.3	84.55	93.20	101.35	123.0
(15,20]	70	0	83.19	16.1	71.55	84.80	96.85	124.7
(20,25]	60	2	76.00	33.2	59.65	79.55	92.07	118.7
(25,30]	73	1	73.63	15.3	59.98	73.45	90.83	118.6
(30,35]	57	1	76.92	16.1	59.73	77.50	94.18	128.9
(35,40]	50	4	62.41	20.5	45.62	58.20	80.53	114.9
(40,45]	28	3	75.64	32.9	62.70	76.20	89.10	116.7
(45,78.3]	69	9	65.48	20.0	49.82	65.70	81.05	110.7

FEV1 år 2019, i samma åldersgrupper som det europeiska CF-registret (ECFSPR) använder

EU åldersgrupp	n	missing	mean	min	q25	median	q75	max
(6,10]	69	2	98.43	62.3	87.40	96.80	111.10	131.6
(10,15]	89	0	92.82	44.4	85.40	93.40	103.80	122.0
(15,20]	67	2	83.11	21.9	72.70	84.40	97.00	113.6
(20,25]	67	4	80.14	28.5	70.95	82.10	94.10	112.1
(25,30]	71	3	77.00	17.0	65.18	76.00	91.03	119.4
(30,35]	49	2	73.08	27.6	50.85	73.40	90.50	116.7
(35,40]	50	0	67.65	24.7	50.35	69.15	87.25	117.0
(40,45]	27	2	69.25	33.1	56.50	67.40	84.20	113.7
(45,77.7]	66	3	70.02	18.1	53.65	70.70	86.20	127.8

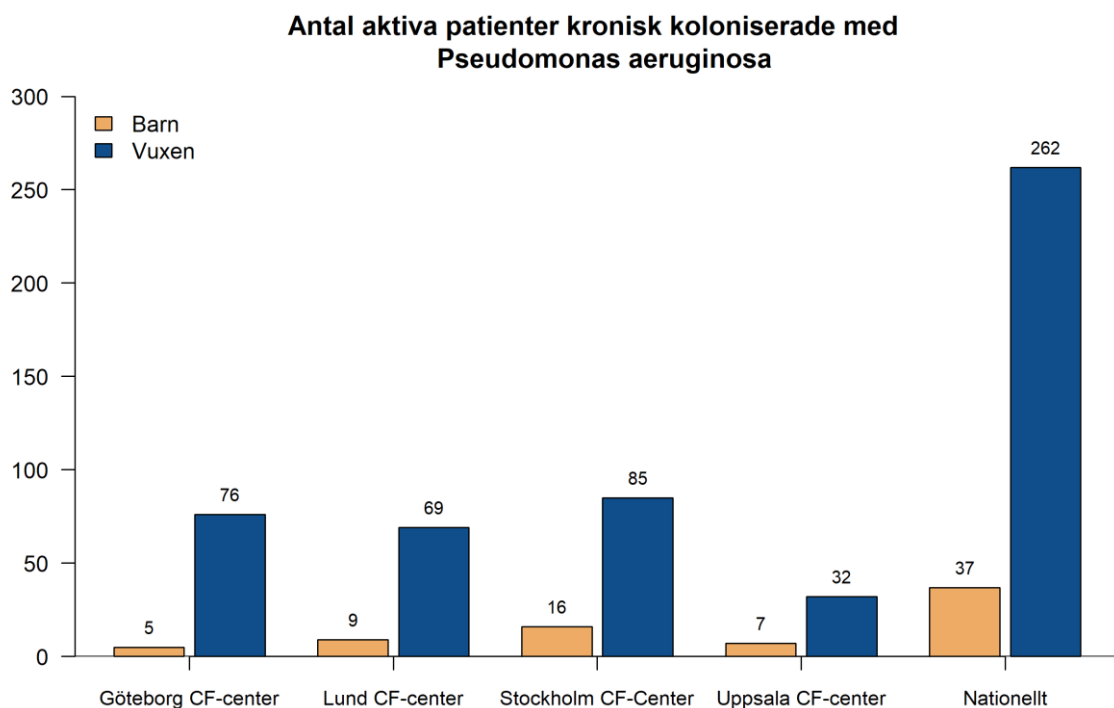
Dessa tabeller har tagits fram för att kunna göra en jämförelse mellan svenska och europeiska siffror v.g. se European Cystic Fibrosis Society Patient Register (ECFSPR):s senaste rapport från 2018 tabell 4.3 på sid 54: [https://www.ecfs.eu/sites/default/files/general-content-files/working-groups/ecfs-patient-registry/ECFSPR\\_Report\\_2018\\_v1.4.pdf](https://www.ecfs.eu/sites/default/files/general-content-files/working-groups/ecfs-patient-registry/ECFSPR_Report_2018_v1.4.pdf)

Lungfunktionen hos svenska CF-patienter är mycket bra jämfört med övriga Europa, ffa för patienterna från 25 års ålder och äldre. Detta trots att Sverige är ett av länderna i Europa 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 infekterade med dessa bakterier. En av de vanligaste bakterierna att bli kroniskt infekterad är *Pseudomonas aeruginosa*.

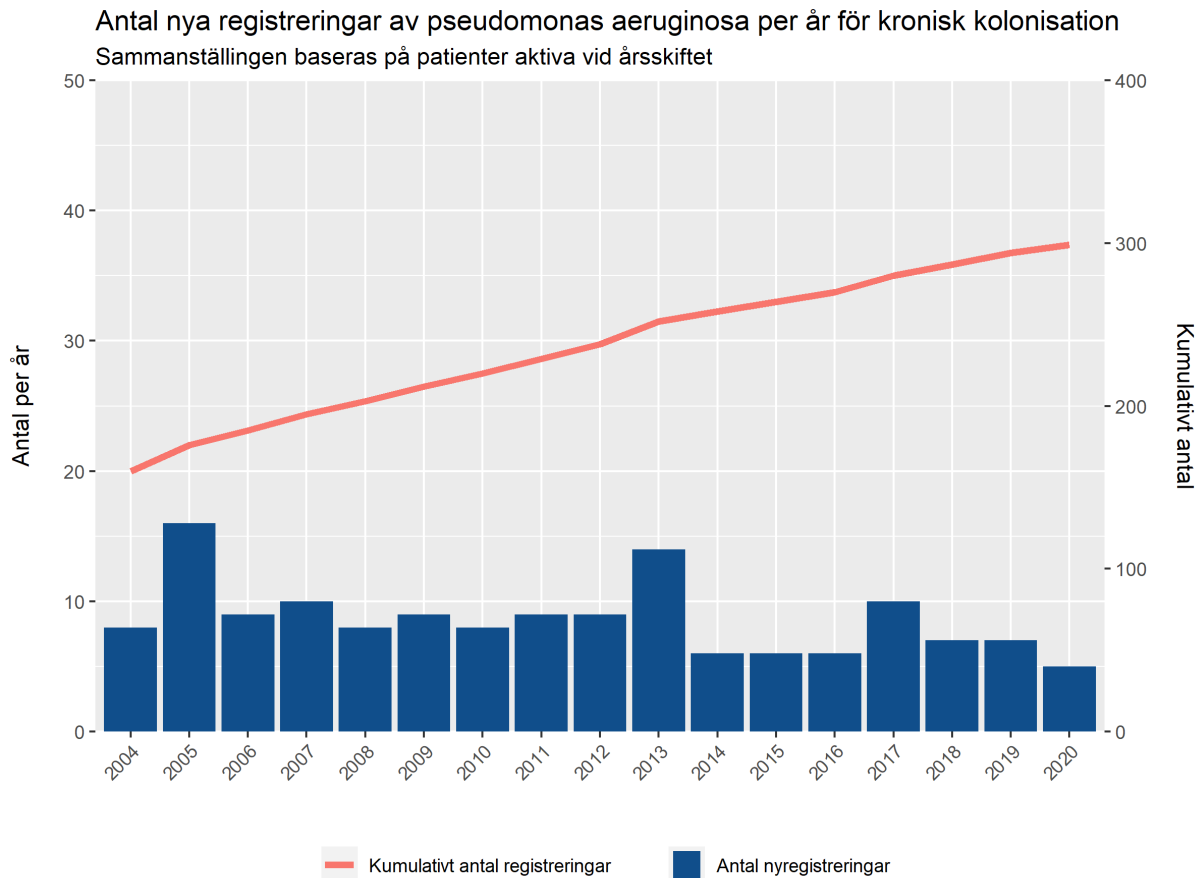
### Antal aktiva patienter kroniskt koloniserade med *Pseudomonas aeruginosa* 2020



Grafen visar antalet CF-patienter som är kroniskt infekterade med bakterien *Pseudomonas aeruginosa*. Dessa patienter behöver regelbundna antibiotikabehandlingar med antibiotika verksamt mot denna bakterie, vilket ffa ges som intravenös eller som inhalations-antibiotika.

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

## Antal nya patienter kroniskt koloniserade med *Pseudomonas aeruginosa*, per år över tiden 2014-2020, inklusive kumulativt antal



Det årliga antalet nya patienter med kronisk infektion är bra att följa för att mäta hur effektiv behandlingen är vid eradikeringsbehandling av *Pseudomonas aeruginosa*. Önskvärt är att minska antalet nya patienter som blir kroniskt infekterade.

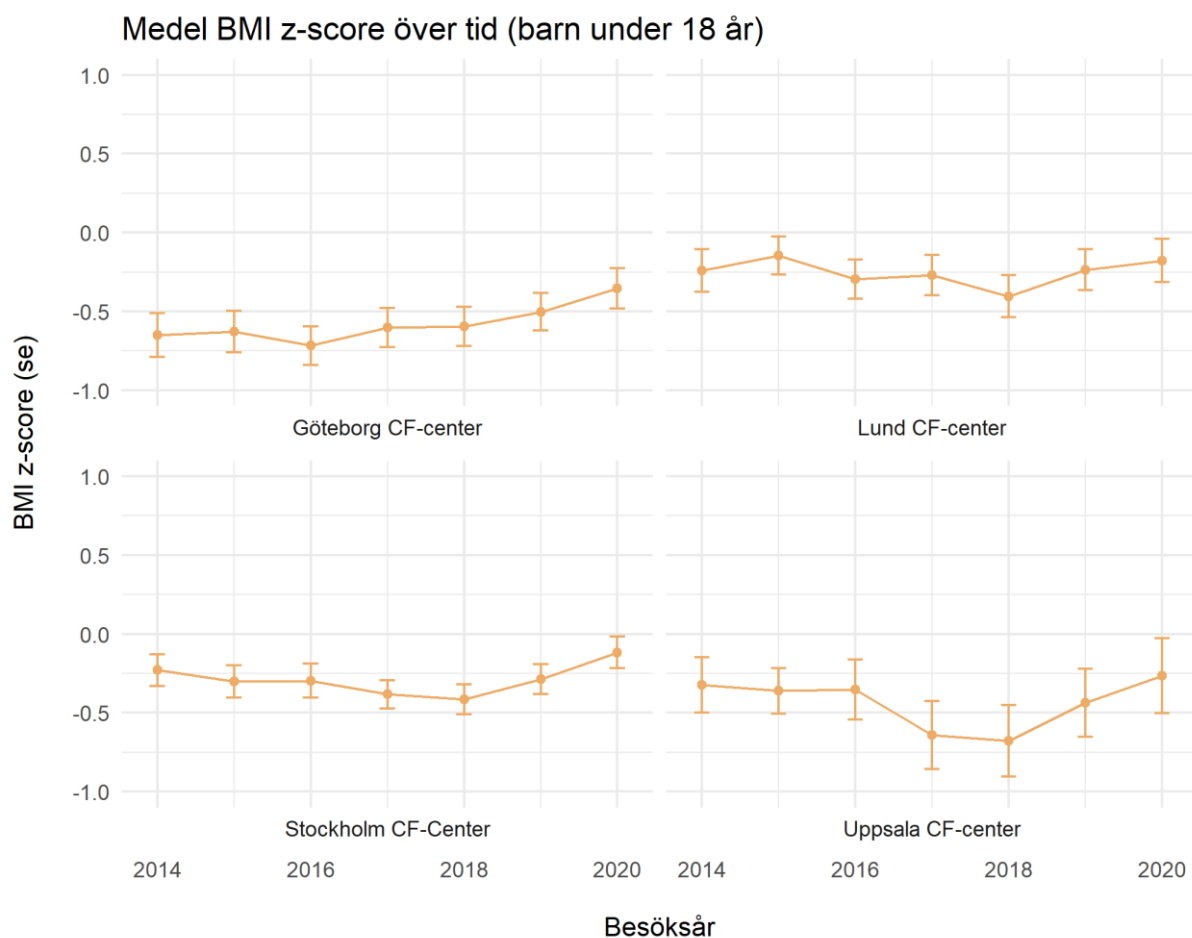
## Nutrition

Nutritionen är en viktig parameter. Hos barn mäts den i BMI z-score och hos vuxna i BMI. Föregående år har scatterplots för alla värden i registrets visats och CF-patienterna ligger nästan helt normalt som hos friska personer. I denna Årsrapport visas därför skillnaden i resultat på de fyra olika CF-centra i Sverige.

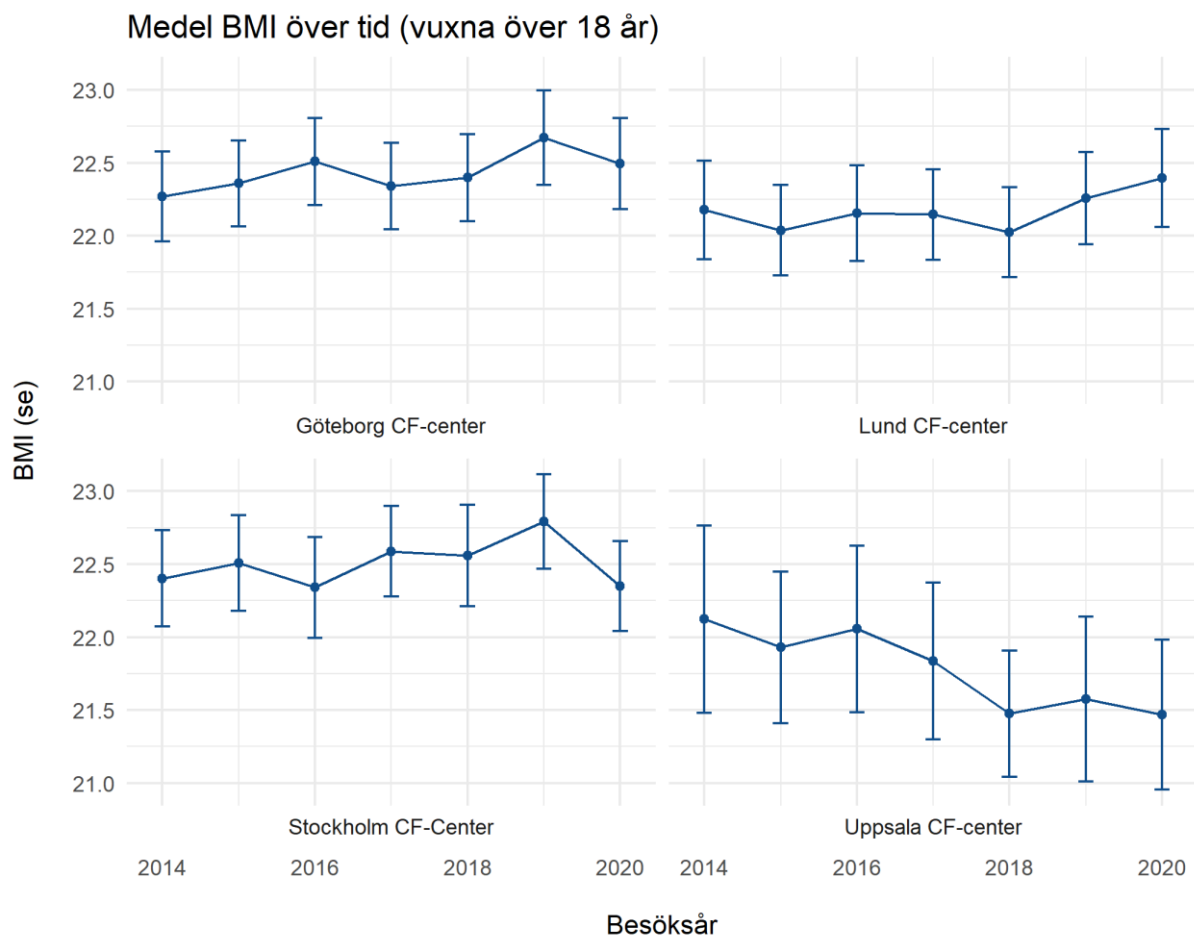
BMI z-score (för barn) och BMI (för vuxna), över tid de senaste sex åren [nationellt från hela registret](#)

Grupp	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020
Barn	-0.35	-0.34	-0.40	-0.44	-0.49	-0.34	-0.21
Vuxen	22.26	22.25	22.31	22.30	22.23	22.46	22.31

BMI z-score (för barn), över tid de senaste sex åren nationellt, [uppdelat på fyra CF-centra](#)



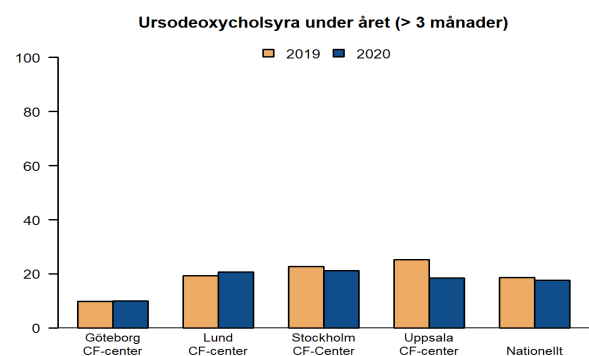
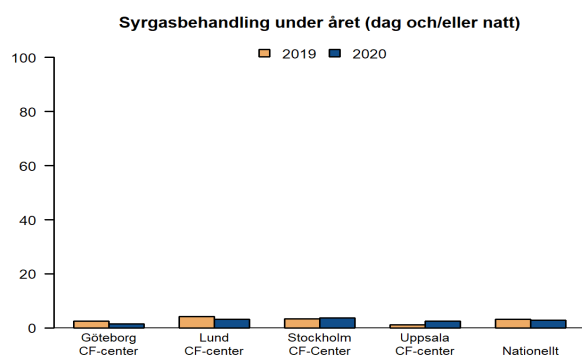
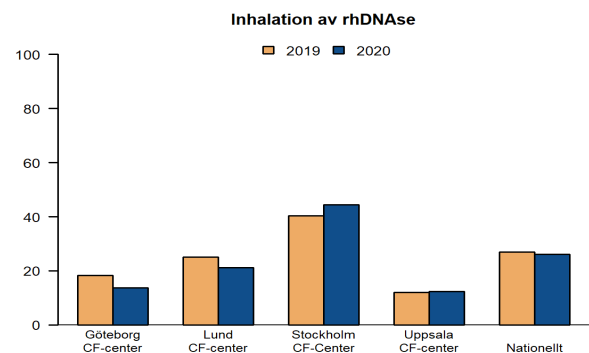
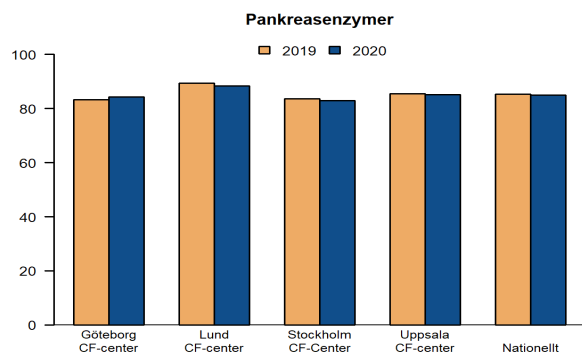
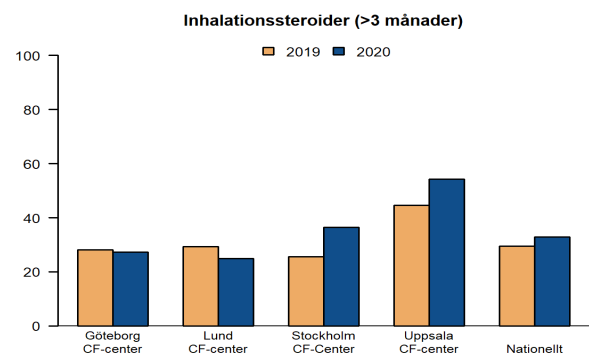
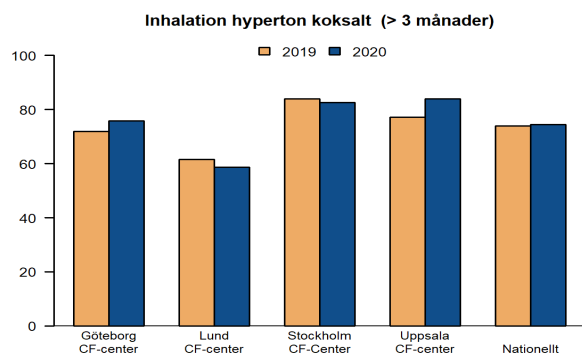
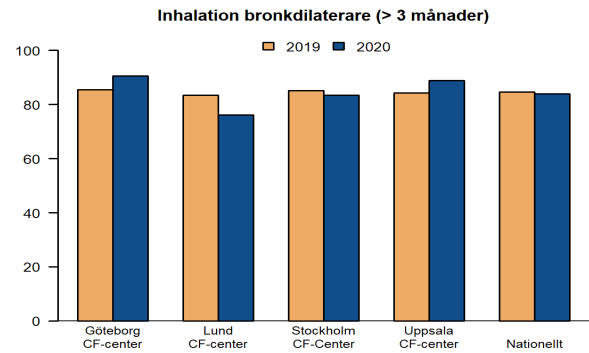
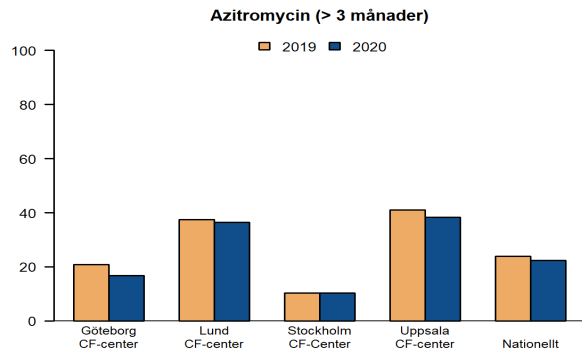
BMI (för vuxna), över tid de senaste sex åren nationellt, uppdelat på de fyra CF-centra



BMI på vuxna har inte samma positiva trend som barnen de sista två åren (2019-2020). Detta är oklar varför men en möjlig förklaring är att en större andel barn står på CFTR-modulerare jämfört med vuxna, se tabell i Årsrapportens början

## Behandlingar år 2019 och 2020, nationellt och uppdelat på CF-center

Andelen aktiva patienter som står på vissa viktiga CF-behandlingar



## Lungtransplantation

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

	Kvinnor	Män	Totalt	Kumulativ total	Kumulativ levande total
2015	0	3	3	104	71
2016	2	2	4	108	72
2017	2	2	4	112	76
2018	5	2	7	119	83
2019	2	3	5	124	87
2020	4	4	8	132	91

Totalt 132 CF-patienter har genomgått lung-transplantation i Sverige fram till 2020-12-31, varav 91 fortfarande idag lever.

## PROM och PREM

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

”Quality of life”-enkäterna 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 därefter årligen, i syfte att utvärdera måendet.

Under 2020 har 54 föräldrapar svarat på CFQR för barn 6-13 år, 9 barn svarat på CFQR 12-13 år samt 94 ungdomar svarat på CFQR för barn och vuxna 14 år och äldre.

Patientrapporterad information till registret (Genia)

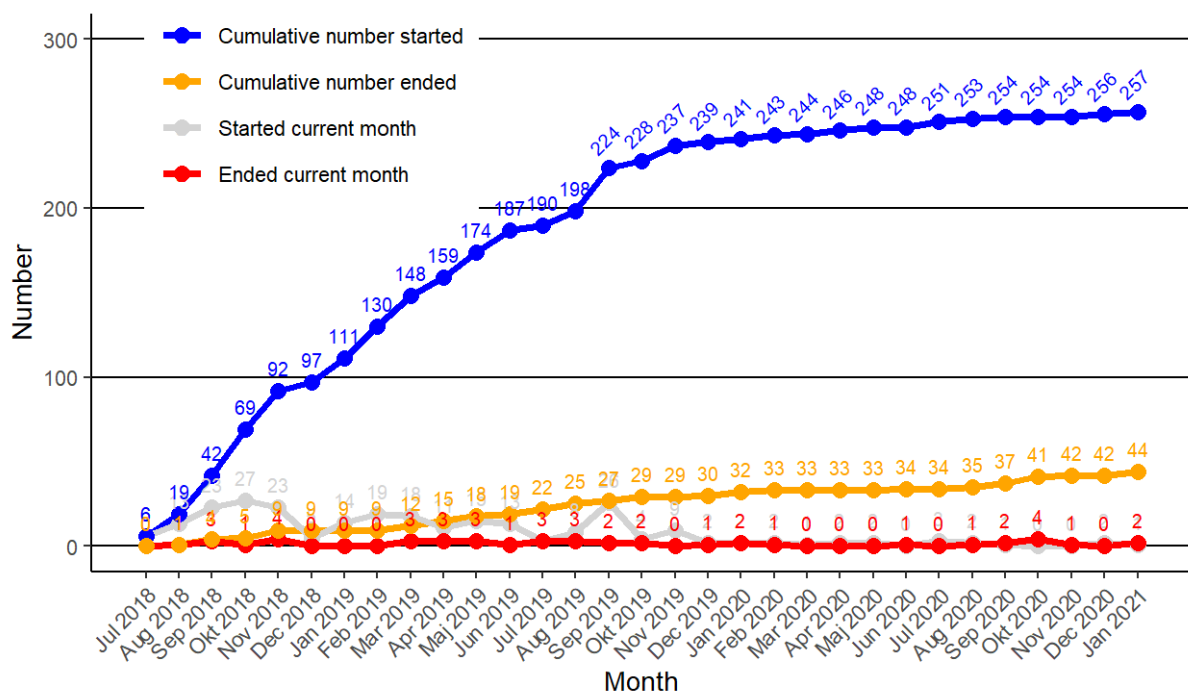
- 337 av 749 (45%) patienter är medlemmar i det till registret knutna patientsupportsystemet Genia vilket är ca 10% jämfört med föregående år.
- 196 av 749 (26%) patienter har gått med i antibiotikauppföljningsprojektet sedan starten 15 maj 2020.
- Målet är att nå 400 patienter (55% av samtliga, 75% av pediatrika och 43% av vuxna) som gått med i antibiotikauppföljningen per 31 dec 2021. Att använda Antibiotikakollen där patienten själv anger start och avslut av antibiotika som förs in i registret automatiskt är med början under hösten 2021 med en studie som siktar på att öka antalet digitala besök samtidigt som information från patienterna importerar direkt i registret (patient-rapporterad data)



## Exempel från Orkambiuppföljning

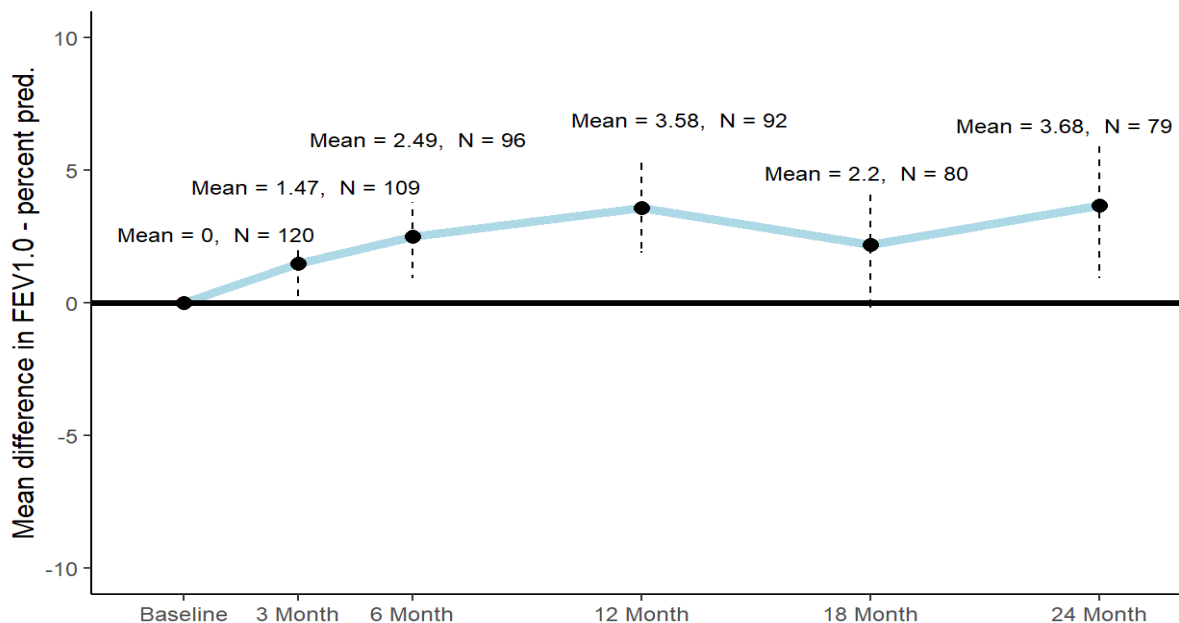
Nedan ges exempel på uppföljningen av läkemedlet Orkambi under 24 månader sedan introduktionen. En mer fullständig rapport skickas till TLV och NT rådet.

### Kumulativt antal patienter insatta på Orkambi sedan 2018-07-01

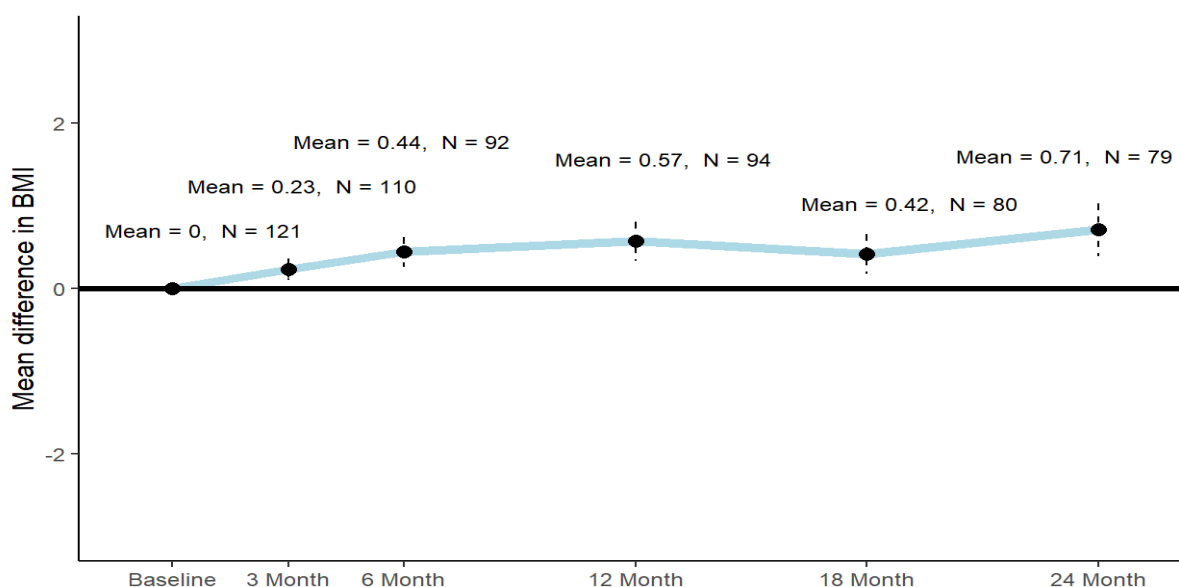


### Skillnad FEV1.0 procent predikterat från start upp till 24 månader uppföljning hos vuxna 18 år och äldre.

Alla med en godkänd spirometri vid start är inkluderade. Figuren visar absoluta skillnaden i FEV1.0 procent av förväntat värde jämfört med start hos vuxna.



### Skillnad i BMI under uppföljningen efter initiering av Orkambi 2018-07-01 hos vuxna patienter över 18 år.



## Utveckling och hur registret utnyttjas av kliniker som matar in data.

### Utveckling och utnyttjande

I det vardagliga arbetet med patienterna används registret i samband med återbesök (månadsbesök, årskontroll, annat besök). Registret innehåller lättöverskådliga trender över bl.a. lungfunktion och längd, vikt och BMI vilka kan visas för patienterna i samband med återbesök. Genom att visa trenderna skapas ett forum för diskussioner tillsammans med patienten om hens hälsa och ev. förbättrings/behandlingsförslag kan diskuteras. Registret är användarvänligt och man kan snabbt få en överblick på t ex hur många intravenösa kurer en specifik patient har haft under året (presenteras på förstasidan), vilka ingrepp som är utförda (FESS-operationer, port-a-cather, PEG, ev. biopsier) samt kolonisation av olika bakterier.

Varje center kan årligen sammanställa data för att jämföra med föregående års sammanställning och på centernivå diskutera hur vården ev. kan förändras, förbättras och förenklas.

De förbättringsarbeten som kvalitetsregister erhållit medel för under flera år, har lett till att varje profession i CF-teamen aktivt har arbetat med CF-registret. Det har gett goda samarbeten mellan center i landet och t.ex. lett till att kuratorerna har utvecklat ett förslag på en ny social flik och psykologerna har följt upp den nyinrättade psykologiska screeningen. Olika professioner har utnyttjat registret för kvalitetssäkring, utvecklings- och forskningsprojekt som också redovisats på internationella CF-möten och kongresser (se olika abstracts nedan).

Från 2019 har statistik tagits fram som visar på hur väl varje center var för sig samt nationellt kontrollerar vitaminnivåer i serum och hur stor andel av nivåerna som ligger inom normalområdet. Under år 2020 har Covid-19-pandemin gjort att en försämring ses. Målet är att förbättra nivåerna till år 2022 hos de som ligger lågt.

Sedan år 2019 har uppföljningen av den nya terapin Orkambi varit det enskilt största projekt som involverat kliniker, vårdpersonal i CF-teamen runt om i landet (både på -CF-center och hemortspersonal i shared care) samt CF-patienter. Under det första året på läkemedlet ska CF-patienten följa ett obligatoriskt besöksschema vid: start, 1 mån, 3 mån, 6 mån, 9 mån och 12 mån. Därefter sker Orkambi-kontrollerna halvårsvis. Vid varje besök registreras olika värden i CF-registret (ex lungfunktion, BMI, blodprover, blodtryck, själv-skattningsenkäter/PROM mm). Denna data från Orkambi-uppföljningen har genererat särskilda rapporter var tredje månad. Rapporterna har skickats till NT (nya terapier)-rådet på TLV för information om uppföljningen för att visa effekt och verkan på gruppnivå.

Registret har omarbetats med nya specifika besökstyper "Läkemedel-start" och "Läkemedels-uppföljning" som nu används för att göra det enklare för registrering samt utsökning av data.

Biverkansrapportering av Orkambi har skett i registret, där biverkanrapport skickats direkt till TLV via registret, vilket har minskat den administrativa tiden för läkare.

I och med den täta Orkambi-uppföljningen har registret blivit mer levande för patienten eftersom det används som ett pedagogiskt redskap mellan vårdpersonal och patienten, genom att titta och diskutera registrets grafer som bl.a. visar lungfunktion, LCI och BMI över tid.

Användningen av elektroniska självskattningsenkäter (PROM/PREM) har också underlättat den administrativa tiden för vårdpersonal. Patienterna fyller i enkäterna elektroniskt, vilka direkt kommer in i registret färdigräknade och klara. Enkäterna blir dessutom korrekt ifyllda när det sker elektroniskt vilket förhindrar "missing"-data.

De kliniska studier som utförs av läkemedelsbolagen är designade för att undersöka en kort tids effektivitet och säkerhet. Endast utvalda parametrar studeras och oftast på en unik liten utvald patientgrupp. När dyra läkemedel bli godkända av TLV blir därför noggrann rapportering i CF-registret ett viktigt redskap för att kunna utvärdera dessa läkemedel över tid och få långtidsdata på hela patientgruppen. Vi kan konstatera att CF-registret är ett viktigt och användbart redskap för att utvärdera nya terapier.

Registret används även lokalt för att ge underlag till resursfördelning (utökad budget, utökade läkar- och paramedicinska tjänster). Registret visar tydligt trenden att antalet vuxna CF-patienter ökar varje år och har identifierat behovet av att det krävs stora satsningar på vuxen-CF-vården.

Patientföreningen (RfCF:s) representanter har under flera år arbetat aktivt i registerstyrgruppen och har sett till att en variabel om "shared care" har införts. Detta för att registret i framtiden ska kunna undersöka om CF-vården är jämlik i landet, oavsett om patienterna sköts helt av ett CF-center eller i "shared care" tillsammans med hemortsläkare.

Genom att utveckla registret för att titta på "shared care" och 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.

## CF-registrets styrgrupp 2020

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

Christine Hansen, Medicine doktor, Överläkare, Lund CF-center, Skånes universitetssjukhus, Barnläkare

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

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

Ulrika Lindberg, Medicine doktor, Överläkare, Lund CF-center, Skånes 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, Skånes universitetssjukhus, CF-sjukgymnast

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

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

Pernilla Neglén, Lunds CF-center, Skånes universitetssjukhus, CF-specialistsjuksköterska och forskningssjuksköterska

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 Lund och vuxenteamet på Lungkliniken Skånes universitetssjukhus Lund, **Stockholm CF-center** med barn- respektive vuxenteam som båda hör till sektionen för cystisk fibros på Tema Barn, Karolinska universitetssjukhuset Huddinge samt **Uppsala CF-center** med gemensamt barn- och vuxenteam på Akademiska barnsjukhuset i Uppsala.

## Författare

Isabelle de Monestrol, Stockholm CF-center och

Anders Lindblad, Göteborg CF-center