

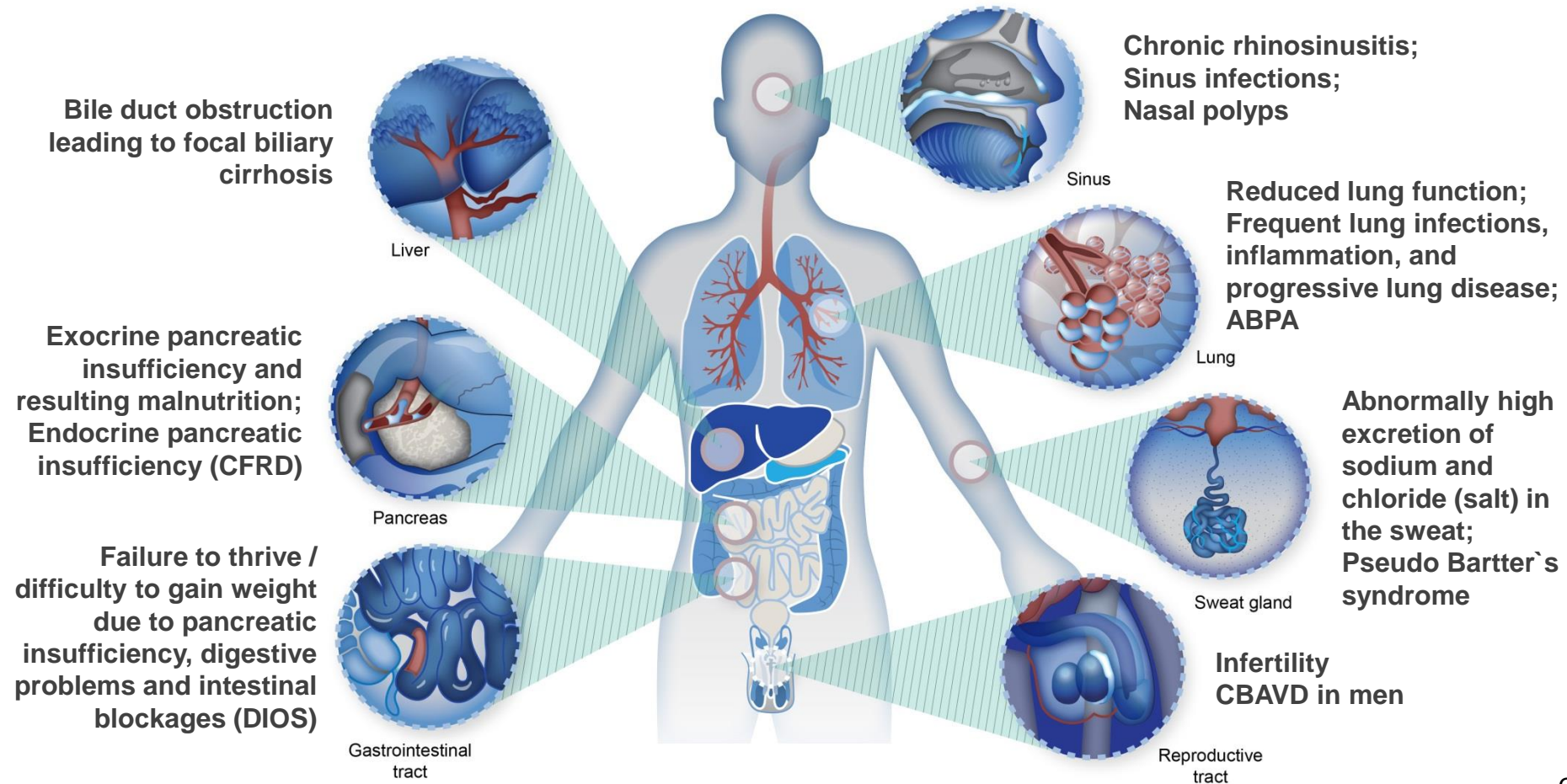
The European Cystic Fibrosis Society Patient Registry (ECFSPR)

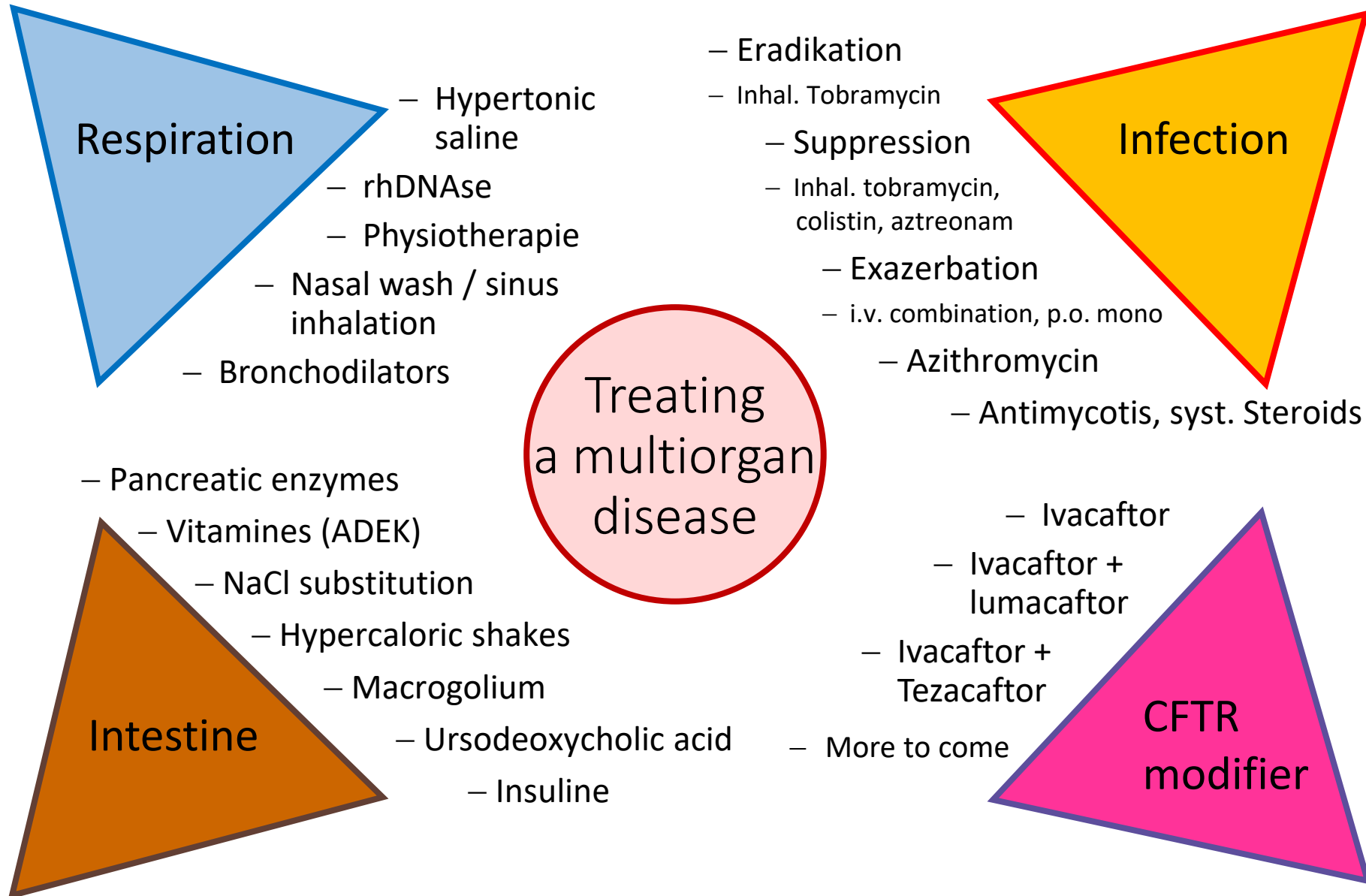


Andreas Jung
ECFSPR Executive Committee

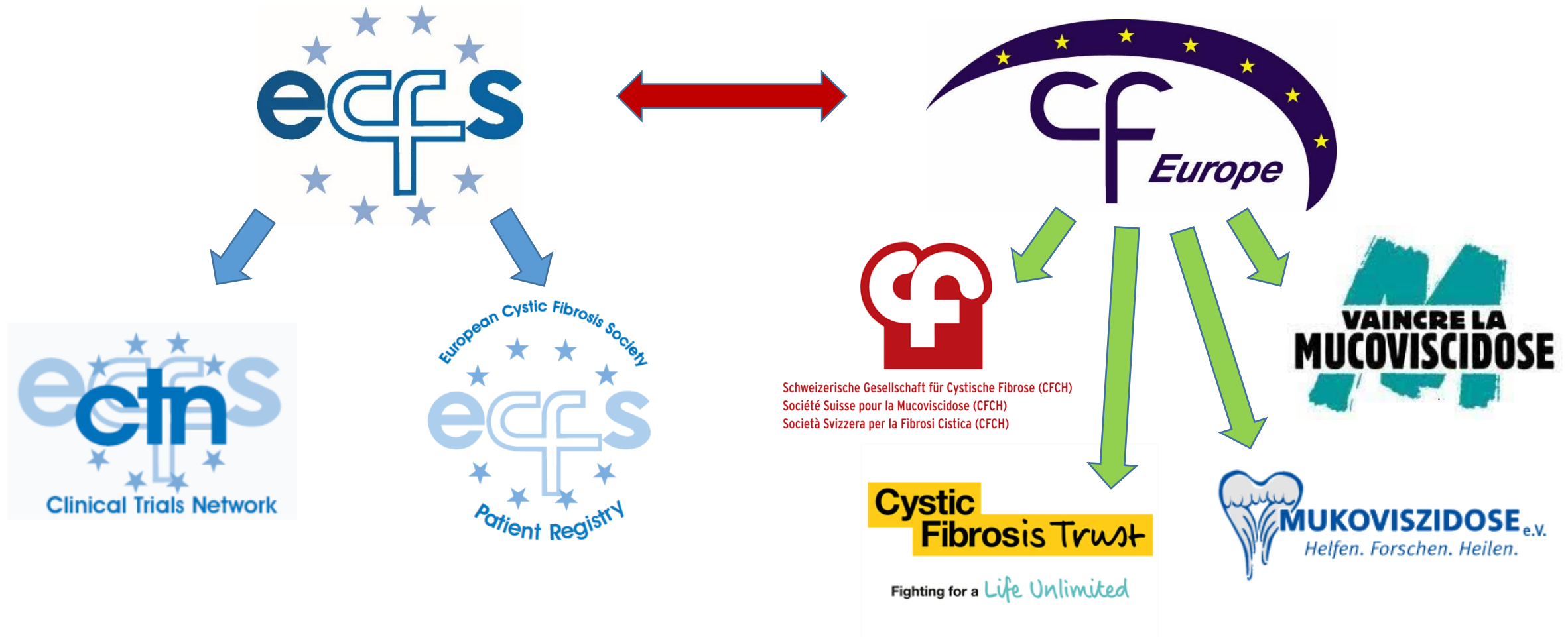
EURODIS Multistakeholder Symposium
February 13th 2019, Brussels

Cystic Fibrosis: a multiorgan disease

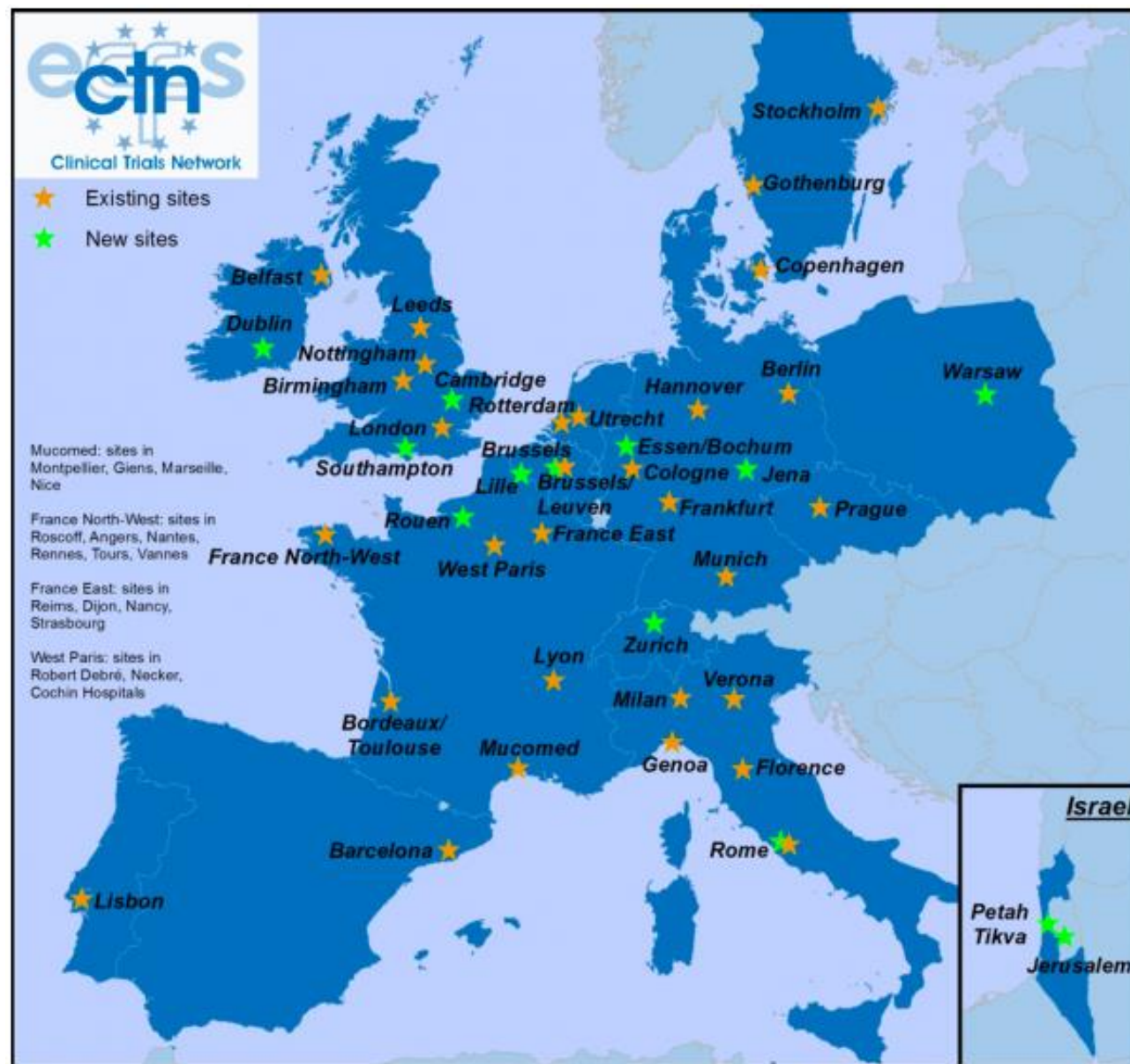




Cystic Fibrosis care in Europe



Cystic Fibrosis clinical trials



The European CF Patient Registry



Aim of international patient registries:
Getting a good picture of rare diseases

Mission:

To collect data to compare aspects of CF and its treatment

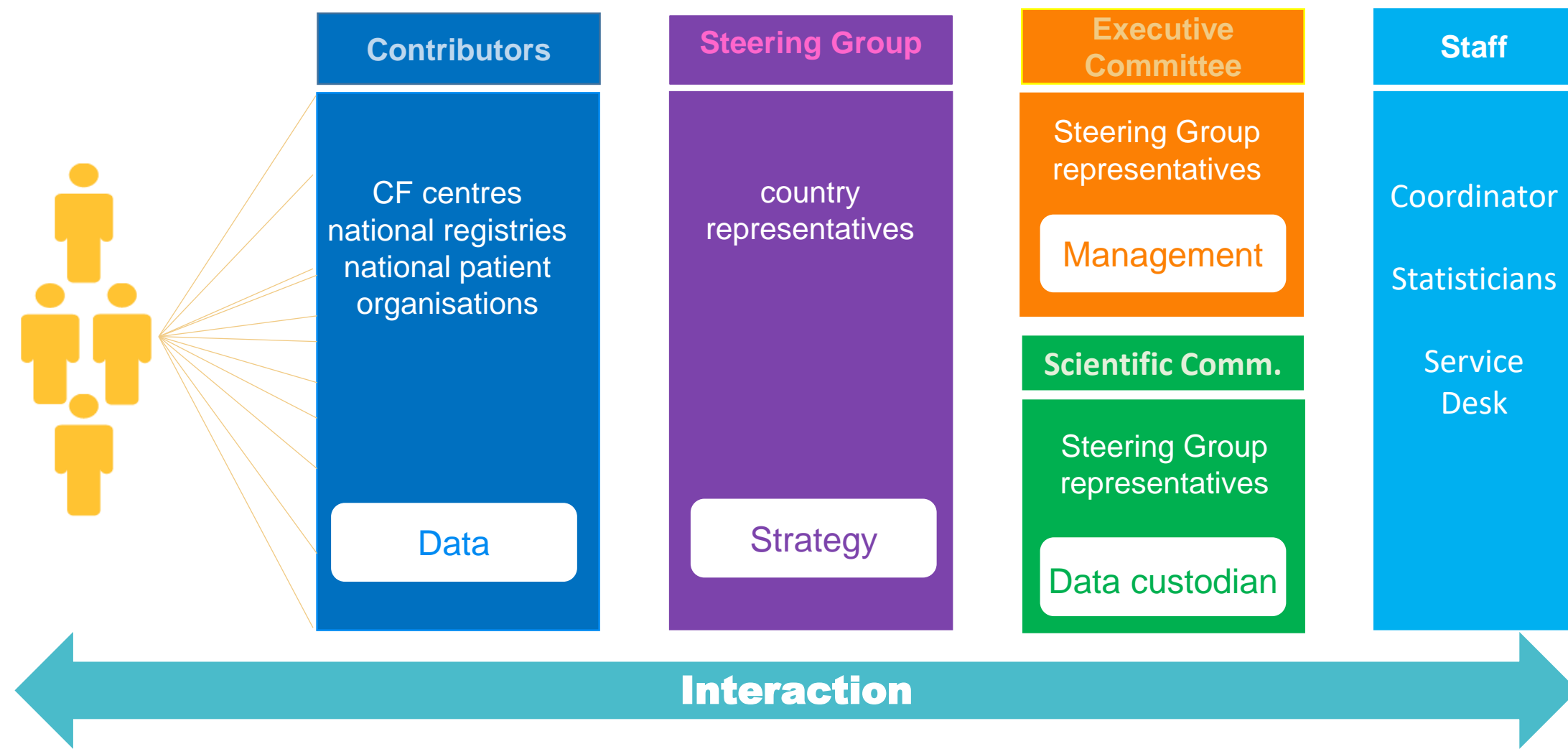
Encourage
new
standards
of CF care

Inform
public
health
planning

Enable
research

Value of a patient registry





38 countries
>48,000 patients



Longitudinal data 2008-2016



Data-collection software: ECFSTracker



A platform for the collection of CF data
for all purposes

- ✓ Online / web-based
- ✓ Data-collection once a year, and/or
- ✓ Encounter data at each patient visit
- ✓ Advanced Security Technology
- ✓ Remote updates
- ✓ Add-on modules



Benchmarking module

Cross-comparison of indicators of quality of care (= benchmarks),
e.g. lung function, BMI, proportion adult patients



Comparison between:

- Centre vs Country / multiple Countries
- Centre vs other centres within the country (upon approval)
- Years

A powerful tool to improve of CF care



Direct feedback to centre staff



Identify areas for improvement

Projects

1

Data Quality Group

Ensure accuracy and quality of data

2

Definitions Group

Review variables and definitions

3

Global CF harmonisation project

harmonise variables & definitions to allow comparison worldwide

4

Pharmacovigilance project

Developing a procedure with EMA

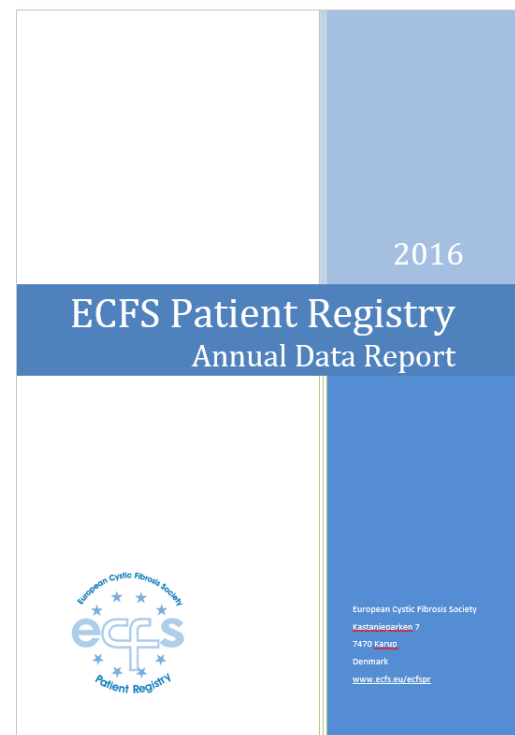
5

Patient awareness project

Joint effort with CF Europe to bring data closer to patients

Output

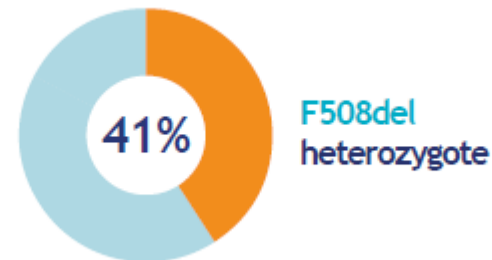
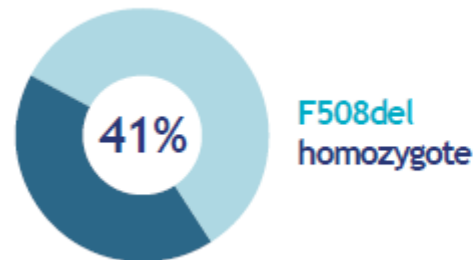
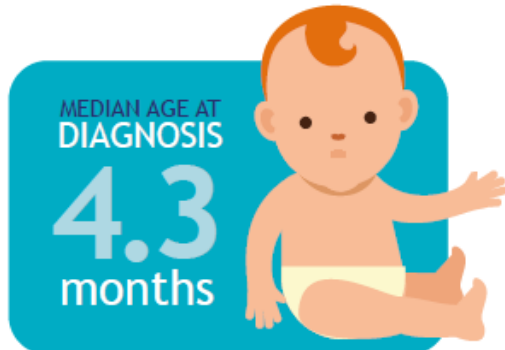
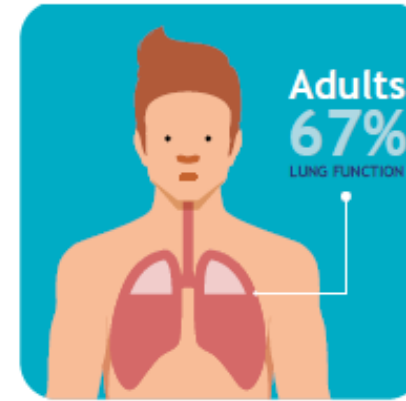
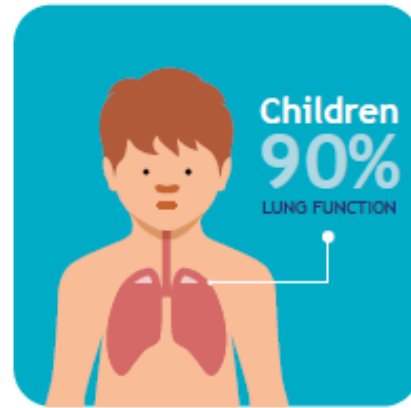
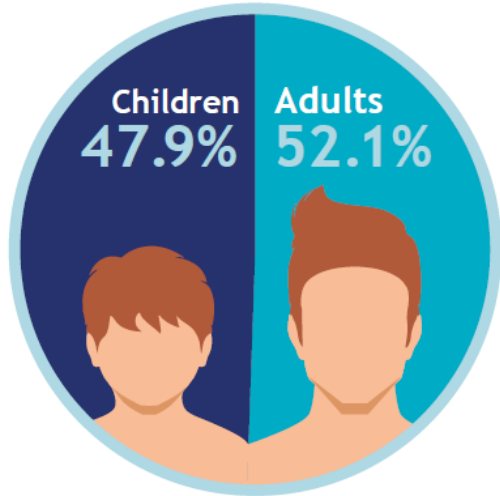
Annual Data Reports



Within 18 months after the close of the follow-up year

Output

At-a-Glance Reports



Zemljevid držav,
ki so leta 2014
prispevale podatke
za Register evropskega
združenja za cistično
fibrozo



**Zakaj je potreben Evropski
register CF bolnikov?**

Cistična fibroza (CF) je redka bolezen. Da bi dobili dobro predstavo o CF v Evropi, potrebujemo čim več podatkov. Ti podatki so pomembni za boljše razumevanje bolezni, spodbujanje novih evropskih standardov oskrbe in zdravljenja, izvajanje raziskav ter oblikovanje javnega zdravstvenega načrta.

**Register evropskega združenja
za cistično fibrozo**

Izbira, meri in primerja podatke otrok in odraslih s cistično fibrozo, ki živijo v Evropi in sosednjih državah, in se vključijo v register. Te informacije uporabljajo za izboljšanje zdravlja in dobrega počutja ljudi s CF.

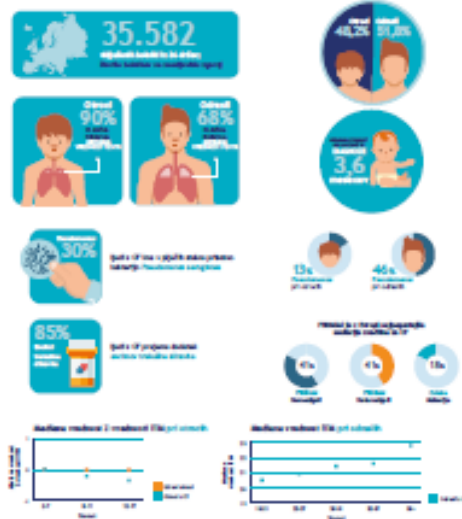
**Kako lahko uporabim podatke
iz registra?**

ECFSPR objavlja letna poročila z demografskimi in kliničnimi podatki po vsej Evropi in letna poročila s ključnimi informacijami o CF v Evropi.

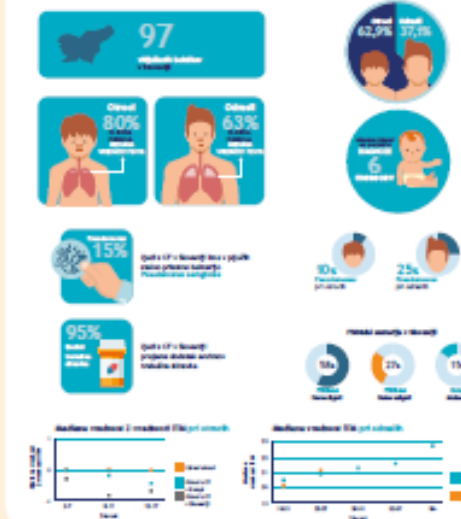
Te poročila omogočajo:

- lokalnim zdravstvenim bolnikom, da razpravljajo z odločevalci v zdravstvu in drugimi udeleženci, o možnostih izboljšave obravnave CF v vaši državi.
- možnost primerjave CF centrov (ov) z drugimi državami in določenimi področji z možnostjo izboljšave.
- da se pogovorite s svojim zdravnikom o izvidih in priporočilih.

CF v Evropi



CF v Sloveniji



Mediana vrednost
je to, da se približno polovica ljudi s CF znajde na eni strani, polovica pa na drugi strani.

ITM
je to, da se približno polovica ljudi s CF znajde na eni strani, polovica pa na drugi strani.

z-vrednost
je to, da se približno polovica ljudi s CF znajde na eni strani, polovica pa na drugi strani.

Piljušna funkcija:

- FEV1 je merilo piljušne funkcije. Predstavlja največji volumen zraka, ki ga lahko izdihne oseba v prvi sekundi po globokem vdihu.
- FEV1 je del celotne vrednosti FVC za zdrave ljudi iste starosti, spol in višine, ki je normalna na 100%.

Oseba s CF ima dve mutaciji genov za CF, ena podedovana od matere in druga podedovana od očeta.

Homozigotni dve mutaciji sta enaki.

Heterozigotni: mutaciji sta različni.

Kateri podatki se zbirajo?

- leto/mesec rojstva, spol
- genotip, simptomi ob postavitvi diagnoze
- piljušna funkcija, teža, višina, vrsta oskrbe, terapija, določeni zapleti

Podatki so anonimni in shranjeni v zaščitni podatkovni zbirki. Za razenjanje s podatki uporabljamo natančno opredeljene umetnice, ki jih nadzira odbor strokovnjakov.

Kako se lahko vključim v ECFSPR?

Preverite pri svojem lokalnem CF centru. Če center sodeluje v ECFSPR, bi morali biti vključeni, če ste podpisali obrazec za privolitev.

Če vaš CF center ne sodeluje, prosite svojega zdravnika, da nas kontaktira, ali pa nam pošljite kontaktne podatke, da bomo lahko stopili v stik z vami.



Output

Social Media

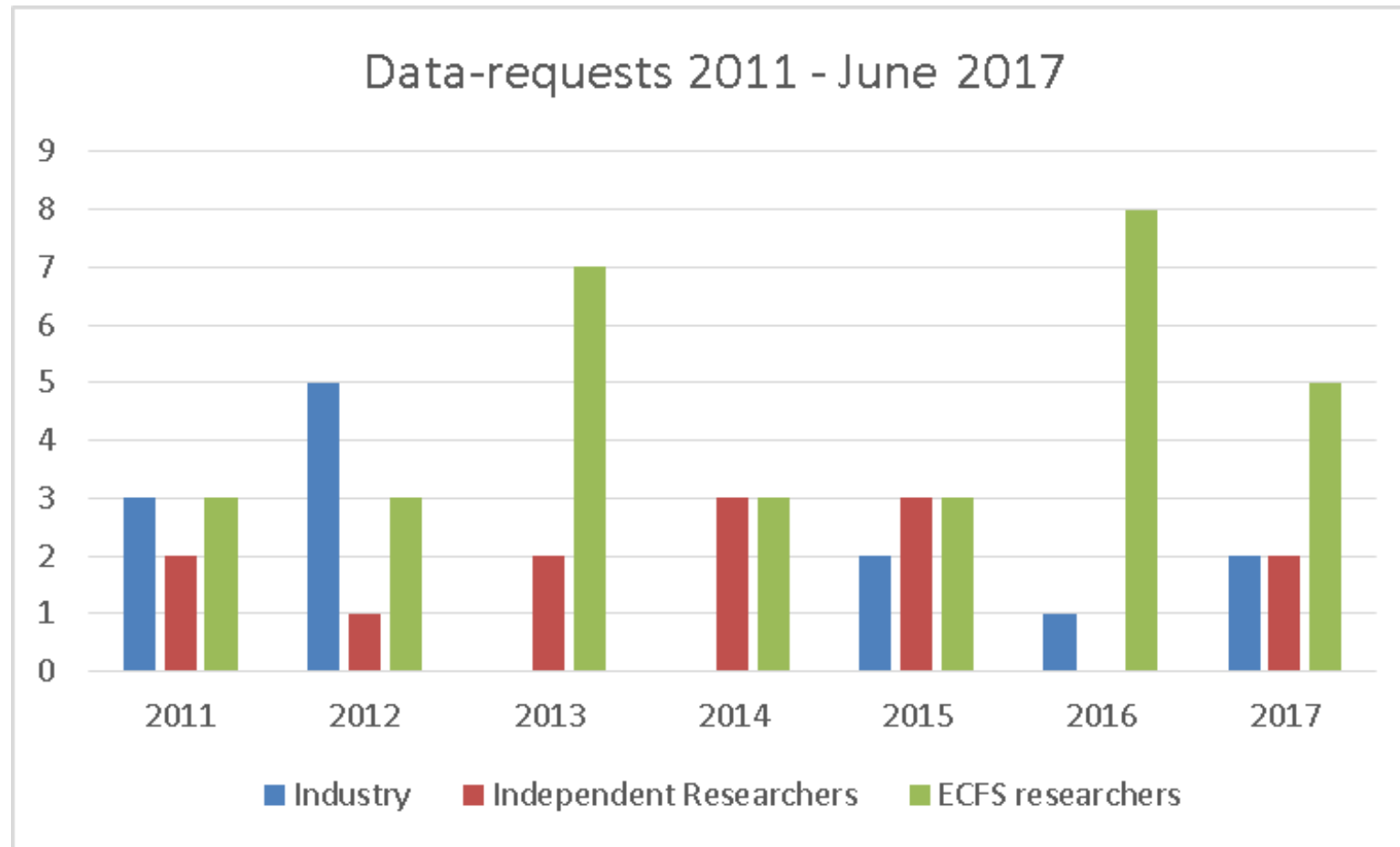
Facebook

Twitter



ECFS Registry
@ECFSRegistry





Manuscripts in the pipeline



1. International and pan-European comparison of **survival** in CF
2. **Risk Factors for the decline in FEV1** among Patients with CF in Europe
3. Changing Epidemiology of the Respiratory **Bacteriology** of Patients with CF in Europe
4. Clinical characteristics of **CFRD**: Lessons from the ECFSPR (HV Olesen)
5. The effect of CFTR **nonsense mutations** on phenotype and mortality in patients with CF
6. Impact of **Dornase Alfa** on rate of decline in lung function in patients with CF
CF-specific **reference equations for FEV1 and BMI**: an updated analysis
7. Incidence, morbidity and mortality of CF **liver disease and cirrhosis**

Publications: www.ecfs.eu/ecfspr

Safety and efficacy studies

New drugs on market need to be monitored:

Post-marketing studies



2016: Start discussions with European Medicine Agency;
ECFSR model for other rare diseases

2018: Qualification of ECFSR as appropriate platform for the collection of data for long-term safety and efficacy of new therapies (post-authorisation safety surveillance (PASS) und efficacy (PAES) studies)

Partners & Sponsors



UNIVERSITÀ
DEGLI STUDI
DI MILANO



GILEAD



THE SCIENCE *of* POSSIBILITY



www.ecfs.eu/ecfspr



ecfs-pr@uzleuven.be

andreas.jung@kispi.uzh.ch