



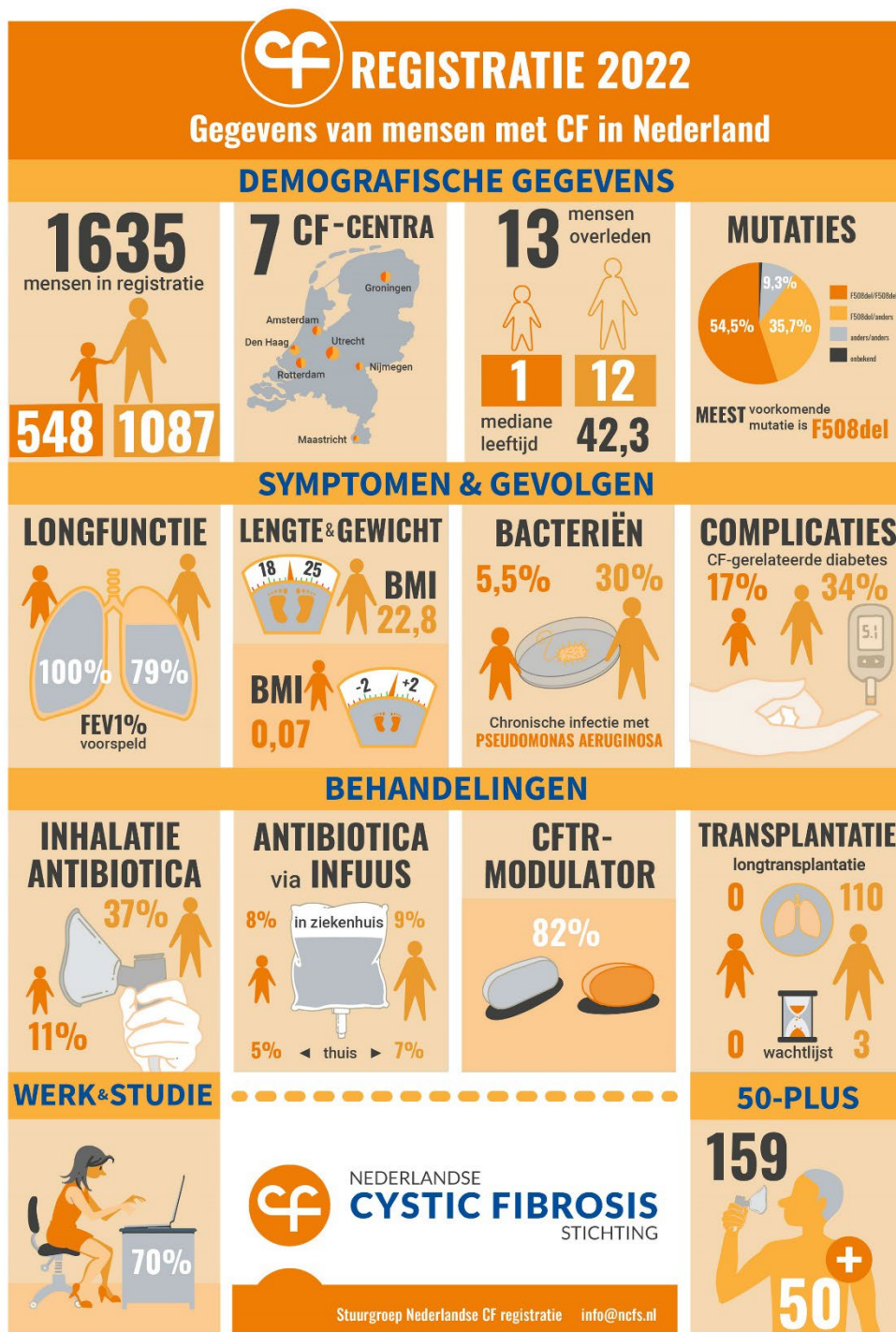
Nederlandse Cystic Fibrosis Registratie

Gegevens van mensen met taaislijmziekte
Rapport van het jaar 2022

Uitgegeven in 2023, citeersuggestie:
Nederlandse CF Registratie Jaarrapport 2022, Baarn, Nederland,
Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting © 2023



1. Infographic 2022



2. Voorwoord

Betere zorg leidt tot een beter en langer leven voor mensen met CF. Door gebruik te maken van data kan de zorg worden verbeterd en passende zorg worden gedefinieerd. De Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting neemt dit uitgangspunt al sinds de eerste rapportage (2007) en werkt als expertisecentrum nauw samen met de CF-centra die zorg verlenen aan mensen met cystic fibrosis (CF).

Bijna alle mensen met CF in Nederland hebben toestemming gegeven hun data op te nemen in deze registratie.

In dit rapport worden informatie en trends met betrekking tot diagnostiek en behandeling van CF besproken. Gegevens waaruit blijkt hoe het met alle mensen met CF in Nederland gaat en waar verbeteringen in de zorg wenselijk en mogelijk zijn.

De gegevens worden per CF-centrum én op landelijk niveau gepresenteerd. Ook is informatie opgenomen over indicatoren die iets zeggen over de kwaliteit van de CF-zorg.

De CF-centra ontvangen van de NCFS overzichten van hun eigen data, afgezet tegen de landelijke gemiddelden. De NCFS organiseert jaarlijkse bijeenkomsten om de uitkomsten en verschillen tussen de centra in een open en positieve sfeer te bespreken met diverse disciplines en actiepunten ter verbetering vast te stellen. De ervaring leert, dat dit tot meetbare verbetering van de zorg leidt. En dat komt mensen met CF ten goede.

Sinds 2022 gebruiken veel mensen met CF een CFTR-modulator, op 31-12-2022 is dat percentage 76,3%. In meer dan 90% gaat het om de drievoudige CFTR-modulator elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio). Dit heeft grote impact op de zorg. Uit de registratiedata blijkt dat ook: er wordt aan minder mensen een IV-behandeling met antibiotica gegeven, de longfunctie van alle leeftijdsgroepen is hoger dan ooit, infecties komen minder vaak voor en diverse medicijnen worden minder vaak voorgeschreven.

De registratie is ook van toenemend belang bij de ontwikkeling, de vergoeding en de evaluatie van nieuwe medicijnen.

De samenvatting is weergegeven als infographic.

Oktober 2023

Dr. J. Noordhoek, voorzitter Stuurgroep Nederlandse CF Registratie

3. Inhoudsopgave

1. Infographic 2022	2
2. Voorwoord	3
3. Inhoudsopgave.....	4
4. Demografische gegevens.....	6
a. Aantallen	6
b. Leeftijd.....	7
c. Overleden mensen met CF	9
d. CF-zorg in Nederland.....	10
5. CF-diagnose	12
a. Kinderen geboren sinds 2017	12
b. Uitslagen van de hielprikscreening vanaf 2017	13
c. Symptomen van kinderen bij CF-diagnose	14
d. Leeftijd rondom CF-diagnose	15
6. CF en mutaties	16
a. Mutatieverdeling mensen met CF	16
b. Mutaties kinderen met CF-SPID	17
c. Meest voorkomende mutaties	18
7. Behandeling van CF:.....	19
CFTR-modulatoren	19
a. Mensen met een CFTR-modulator	19
b. Gebruikers per CFTR-modulator	20
8. Behandeling van CF: overig	23
a. Luchtwegklachten en behandeling.....	23
b. Antibiotica via het infuus.....	25
c. Maagdarmlieverklachten en behandeling.....	27
d. Transplantaties.....	28
9. Longfunctie	29
a. Longfunctie per leeftijdsgroep.....	29
b. Longfunctie van kinderen.....	31
c. Longfunctie van volwassenen.....	32
10. Lengte en gewicht kinderen met CF.....	33
a. Maten voor lengte en gewicht bij kinderen	33
b. Lengte en gewicht in groepen.....	34
11. Lengte en gewicht van volwassenen.....	36
a. Leeftijd en BMI van volwassenen.....	36
b. BMI per volwassencentrum	37
c. Verschillen tussen mannen en vrouwen	38
12. Bacteriën en schimmels	39

a.	Chronische en niet-chronische infecties.....	39
b.	Schimmelinfecties in de longen.....	40
c.	Non-tuberculeuze mycobacteriën (NTM).....	41
d.	Coronavirus bij mensen met CF	41
13.	Extra aandoeningen bij CF	42
a.	Meest voorkomende extra aandoeningen	42
b.	Veel voorkomende extra aandoeningen.....	43
c.	Weinig voorkomende extra aandoeningen	44
14.	Werk en gezin	45
a.	Werk/maatschappelijk aandeel.....	45
b.	Zwangerschappen.....	46
15.	Mensen met een longtransplantatie.....	47
a.	Door de jaren heen.....	47
b.	Demografie.....	48
c.	Medicijnen.....	49
d.	Extra aandoeningen.....	49
e.	Lengte en gewicht.....	50
f.	Longfunctie.....	51
g.	Andere transplantaties.....	51
16.	50+ en CF	52
a.	Leeftijd en mutatie, aantal per centrum.....	52
b.	Longfunctie.....	53
c.	BMI.....	53
d.	Behandeling, extra aandoeningen	54
e.	Werk.....	55
17.	Kwaliteit van zorg.....	56
18.	Bijlage 1. Methodes.....	63
a.	Internationale afstemming	63
b.	Berekeningen	63
c.	Begrippen.....	63
d.	Afkortingen	64
19.	Bijlage 2. Stuurgroep Registratie	65
	Stuurgroep Registratie.....	65

4. Demografische gegevens

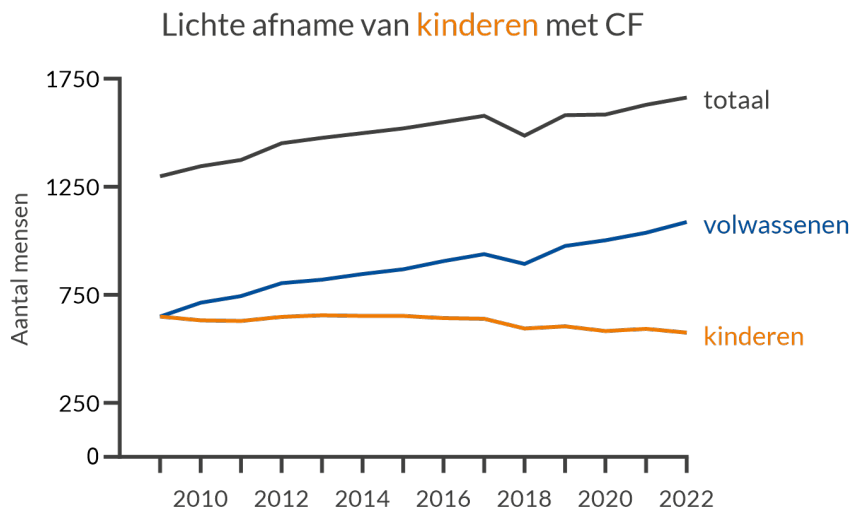
Hoeveel kinderen en volwassenen in Nederland hebben taaislijmziekte (cystic fibrosis, CF)? Zijn dat meer mensen dan eerdere jaren? Antwoord op deze vragen en meer vind je in dit hoofdstuk. Ook is zichtbaar gemaakt welke ziekenhuizen aan hoeveel mensen gespecialiseerde CF-zorg verlenen.

a. Aantallen

In het jaar 2022 zijn van 1635 mensen met CF gegevens verzameld in de Nederlandse CF registratie. Van nog eens 28 kinderen worden ook gegevens verzameld; zij hebben CF-SPID: de hielprikscreening voor CF gaf een positieve uitslag, maar de diagnose is niet bevestigd met twee CF-veroorzakende mutaties en/of een zweetwaarde van 60 mmol/l of meer. Mogelijk gaan deze kinderen later CF ontwikkelen, daarom worden zij begeleid in een CF-centrum en worden hun data geregistreerd. Het totaal aantal mensen, kinderen en volwassenen met CF of CF-SPID in de registratie in 2022, is daarmee 1663.

Er zijn ook mensen in behandeling bij de CF-centra zonder een bevestigde CF-diagnose en zonder (positieve) hielprikscreening. Zij worden behandeld voor zogeheten CF-gerelateerde klachten. Omdat zij hoogstwaarschijnlijk geen CF gaan ontwikkelen, worden de gegevens van deze mensen sinds 2020 niet meer opgenomen in de registratie.

In 2022 zijn gegevens geregistreerd van 576 kinderen en 1087 volwassenen. Er zijn steeds meer volwassenen met CF in Nederland (18 jaar en ouder, Figuur 1). Dat komt doordat mensen met CF steeds ouder worden (zie Figuur 2). Het aantal kinderen (jonger dan 18 jaar) met CF of CF-SPID neemt, met schommelingen, langzaam af met gemiddeld zes kinderen per jaar minder. Dat komt o.a. doordat het aantal geboortes per jaar iets lijkt af te nemen (zie Figuur 6), maar er zijn ook minstens 30 heel jonge kinderen met CF die niet in de registratie staan. Dat weten we door de jaarlijkse controle van de gegevens met de database voor neonatale registratie afwijkende hielprikscreening (NEORAH).



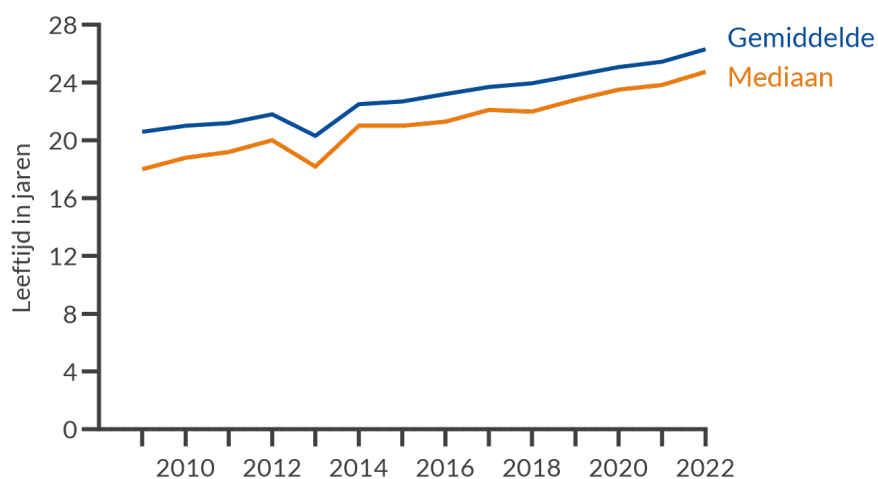
Figuur 1. Aantal mensen met CF, CF-SPID* of CF-gerelateerde ziekte in de Nederlandse CF registratie, van 2009-2022. Vanaf 2020 worden mensen met CF-gerelateerde klachten maar zonder CF-diagnose niet meer opgenomen in de registratie, maar alleen mensen met CF of kinderen met CF-SPID. *CF-SPID: positieve hielprikscreening, geen bevestigde CF-diagnose.

Niet alle mensen of ouders van kinderen met CF of CF-SPID geven toestemming om hun gegevens te laten opnemen in de Nederlandse registratie. De schatting is dat, volgens de gegevens van 2022, er ongeveer 1750 mensen met CF in Nederland behandeld worden.

b. Leeftijd

De gemiddelde leeftijd van mensen met CF of CF-SPID wordt steeds hoger (Figuur 2). In 2022 was de gemiddelde leeftijd 26,3 jaar. De helft van de mensen was ouder dan 24,8 jaar. Dat noemen we de mediane leeftijd. Deze cijfers zeggen puur iets over de huidige leeftijd van mensen met CF, en niet iets over hoe oud mensen met CF worden.

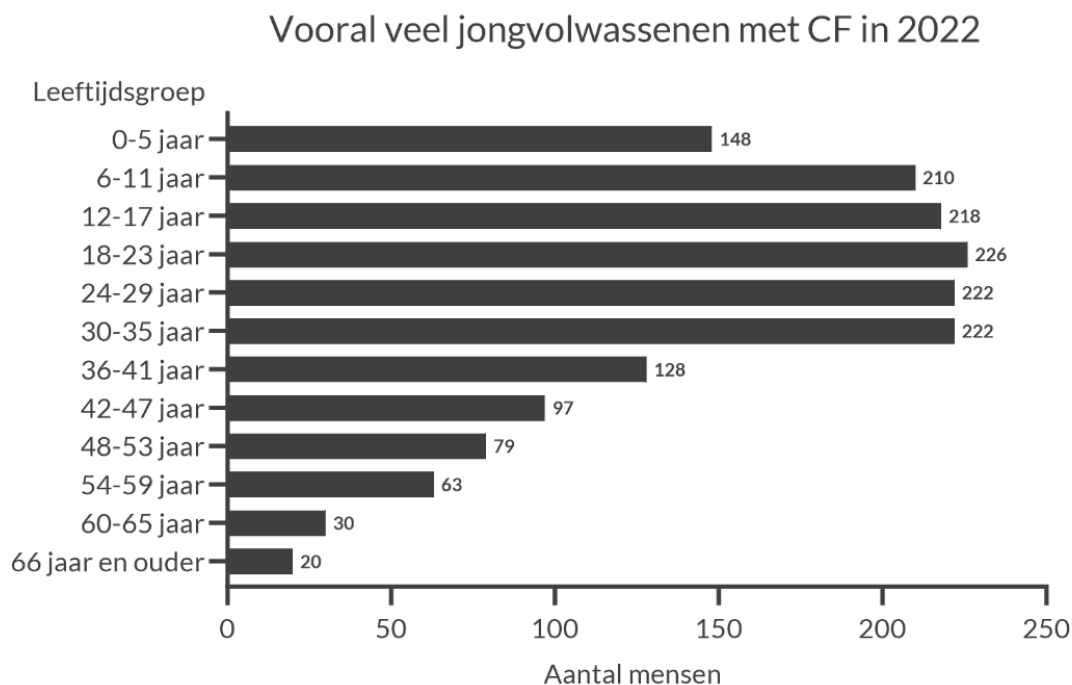
Gemiddelde leeftijd van mensen met CF blijft stijgen



Figuur 2. Gemiddelde en mediane* leeftijd van mensen met CF of CF-SPID en/of CF-gerelateerde ziekte van 2009-2022.

*Mediane leeftijd is het getal waarbij de helft van de mensen ouder is dan dat getal, en de andere helft jonger. Sinds 2020 worden alleen de gegevens van mensen met CF en CF-SPID verzameld in de registratie.

In Figuur 3 zijn de leeftijden van mensen met CF en CF-SPID weergegeven, verdeeld per zes jaar. In de grafiek is te zien dat de meeste mensen 18-35 jaar zijn, volgens de gegevens van 2022. Ook valt op dat 50 mensen 60 jaar of ouder zijn; in 2021 waren dat er 44.

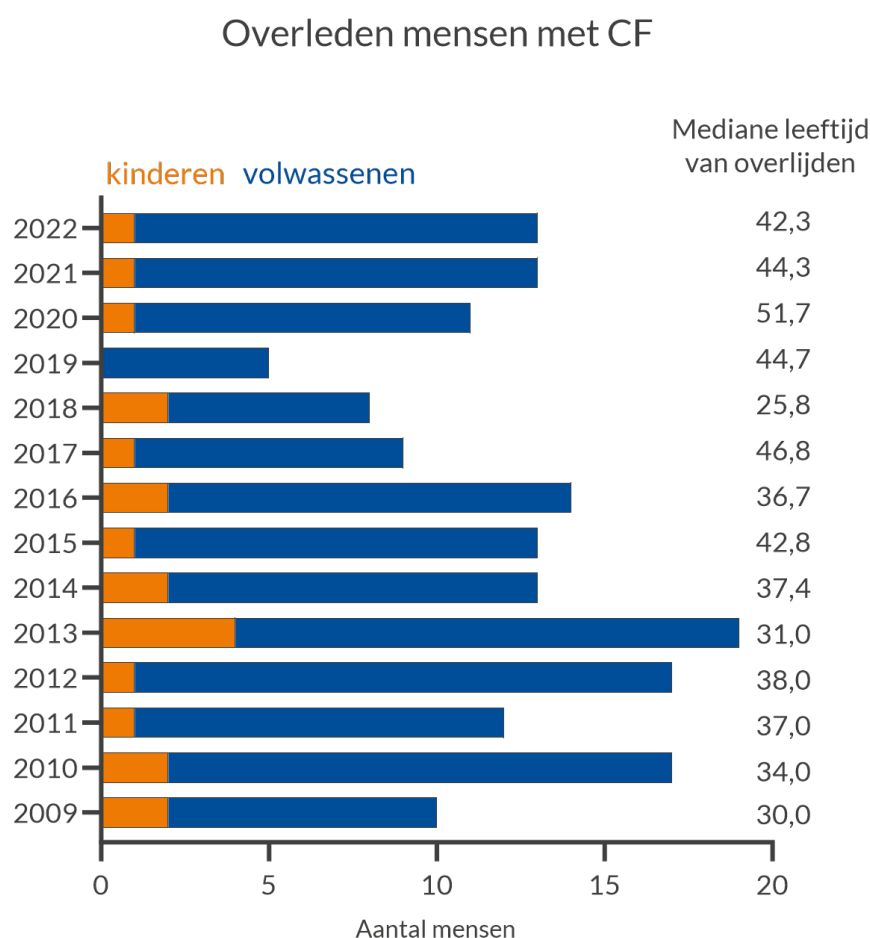


Figuur 3. Aantal mensen per leeftijdsgroep, verdeeld per zes jaar. De cijfers achter elke balk geven aan hoeveel mensen in die leeftijdsgroep zitten in 2022.

c. Overleden mensen met CF

Helaas zijn in 2022 ook een aantal mensen met CF overleden (Figuur 4). Het gaat om dertien mensen. Acht van hen hebben in het verleden een longtransplantatie gehad.

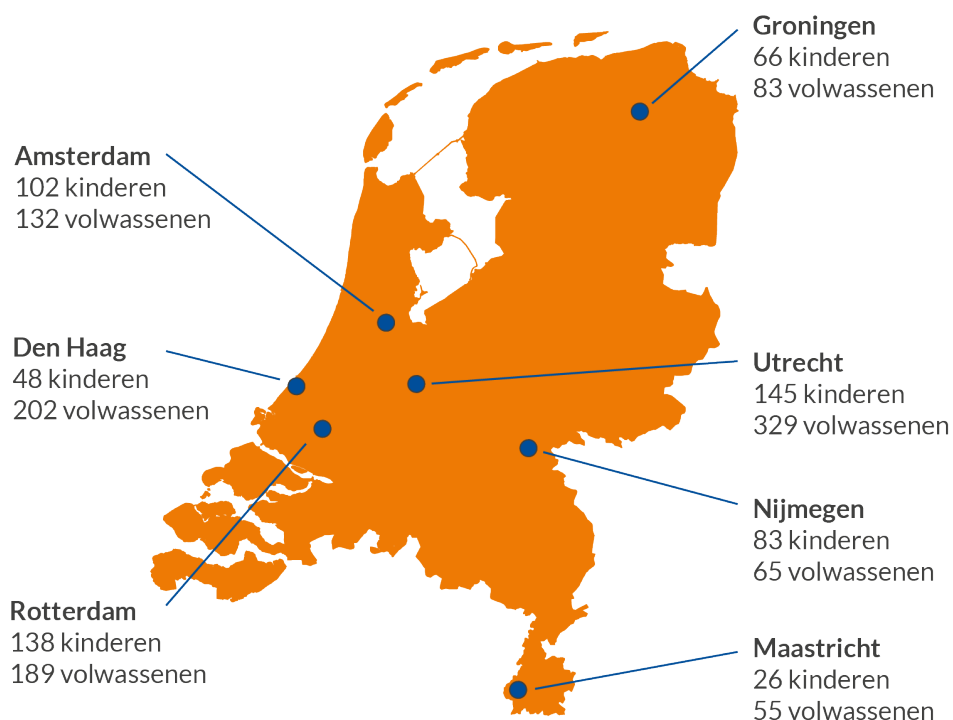
Van de mensen die zijn overleden in 2022 was de leeftijd hoger dan 42,3 jaar. De andere helft was dus jonger. Dat noemen we de mediane leeftijd van overlijden. Het getal schommelt door de jaren. Dit komt doordat het getal wordt berekend met relatief kleine aantallen.



Figuur 4. Aantal overleden kinderen en volwassenen met CF, CF-SPID of CF-gerelateerde ziekte. Sinds 2020 worden alleen mensen met CF en CF-SPID geregistreerd. De mediane leeftijd geeft aan dat de helft van de overledenen ouder was dan dat getal en de andere helft jonger.

d. CF-zorg in Nederland

In zeven ziekenhuizen in Nederland wordt gespecialiseerde CF-zorg aan kinderen en volwassenen verleend. Die ziekenhuizen noemen we de CF-centra. Op de kaart (Figuur 5) is te zien in welke plaatsen deze ziekenhuizen staan. De nummers vertellen hoeveel kinderen en volwassenen met CF of CF-SPID daar in behandeling zijn, volgens de cijfers van 2022. In Tabel 1 staan de aantallen mensen per CF-centrum van de afgelopen jaren.



Figuur 5. Kaart van Nederland met de steden waar zich CF-centra bevinden. Per CF-centrum staat vermeld hoeveel volwassenen en kinderen met CF of CF-SPID daar onder behandeling zijn, in 2022. CF-SPID: positieve uitslag van de hielprikscreening, geen bevestigde CF-diagnose.

Tabel 1. Aantal mensen met CF of CF-SPID of CF-gerelateerde ziekte per CF-centrum, vanaf 2016. Sinds 2020 worden alleen de gegevens van mensen met CF of CF-SPID opgenomen in de registratie, en niet meer de gegevens van mensen met CF-gerelateerde ziekte die ook in CF-centra worden behandeld. Er missen naar schatting gegevens van ongeveer 100 mensen met CF. *In 2018 was er tijdelijk een lager aantal deelnemers aan de CF-registratie i.v.m. niet bijtijds getekende toestemmingsformulieren.

	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022
UMC Utrecht							
Kinderen	190	191	158	146	143	144	145
Volwassenen	260	281	251	308	303	333	329
Erasmus MC Rotterdam							
Kinderen	140	149	135	141	137	140	138
Volwassenen	139	138	122	134	153	160	189
HagaZiekenhuis							
Kinderen	59	55	55	52	53	49	48
Volwassenen	217	215	200	204	197	194	202
Amsterdam UMC							
Kinderen	104	100	104	102	101	104	102
Volwassenen	109	116	118	121	125	132	132
UMC Groningen							
Kinderen	74	72	65	67	64	61	66
Volwassenen	83	80	83	90	86	86	83
Radboud UMC Nijmegen							
Kinderen	52	58	67	73	82	88	83
Volwassenen	56	56	57	64	61	60	65
Maastricht UMC							
Kinderen	26	27	29	28	28	25	26
Volwassenen	40	40	43	51	52	54	55
TOTAAL	1549	1578	1487*	1581	1585	1630	1663

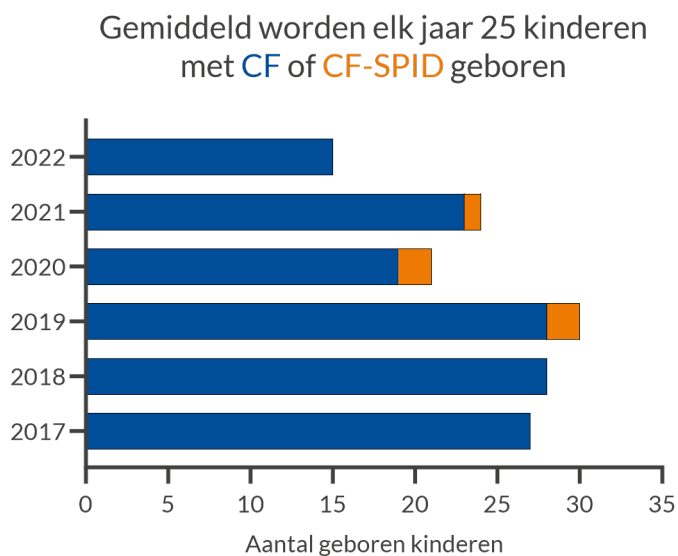
5. CF-diagnose

Hoe oud zijn mensen met CF als ze de diagnose krijgen? En welke kenmerken horen bij deze diagnose? Hoeveel kinderen met CF worden er jaarlijks geboren in Nederland? En hoeveel diagnoses komen voort uit de hieprikscreening? De antwoorden op deze vragen staan in dit hoofdstuk.

a. Kinderen geboren sinds 2017

Sinds 2017 zijn er minstens 145 kinderen met CF of CF-SPID geboren (Figuur 6). Dat zijn gemiddeld 25 kinderen per jaar. Bij dit gemiddelde wordt het jaar 2022 buiten beschouwing gelaten, omdat het meest recente jaar nooit volledig is. Zo kan voor een aantal kinderen het onderzoek naar de diagnose nog niet afgerond zijn aan het einde van het registratiejaar, of de ouders hebben nog geen toestemming gegeven voor de registratie. Dit geldt met name voor kinderen die in de laatste maanden van het jaar zijn geboren. Daarnaast missen er in de periode 2020-2022 nog minstens 30 kinderen met CF in de registratie. Daarom concluderen we dat er gemiddeld in Nederland jaarlijks tussen de 25 en 30 kinderen met CF ter wereld komen.

Van de 28 kinderen met CF-SPID in de registratie, zijn vijf van hen geboren in de tijdspanne 2017-2022 (Figuur 6).



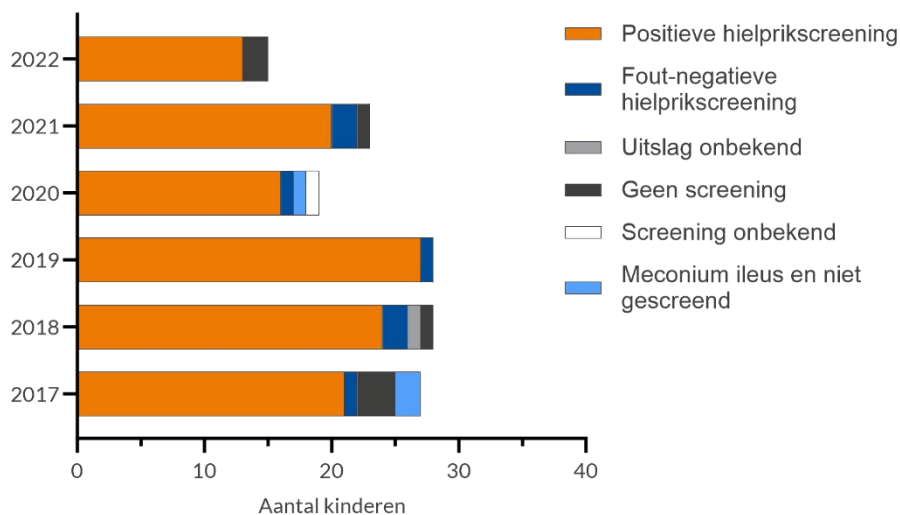
Figuur 6. Kinderen geboren met CF of CF-SPID sinds 2017. CF-SPID betekent een positieve uitslag van de hieprikscreening voor CF, maar geen bevestigde diagnose.

b. Uitslagen van de hieprikscreening vanaf 2017

Van alle 140 kinderen met CF in de registratie, geboren sinds 2017, is de CF-diagnose voor het overgrote deel (121 kinderen, 86,4%) gesteld via een positieve uitslag van de hieprikscreening (Figuur 7). De overige negentien kinderen met CF hadden geen positieve hieprikscreening:

- Zeven kinderen hebben wel CF, maar hadden in eerste instantie een negatieve uitslag van de hieprikscreening. Dat wordt een fout-negatieve uitslag genoemd.
- Bij acht kinderen is geen hieprikscreening (voor CF) gedaan en deze bleken later CF te hebben.
- Soms heeft een baby bij de geboorte verstopte darmen (meconium ileus), wat een aanleiding is om nader onderzoek naar CF te doen. Vervolgens wordt met de hiepriks niet meer getest op CF. Dit is bij drie kinderen zo gegaan.
- Bij één kind is de uitslag onbekend.

86% van de kinderen, geboren sinds 2017, kreeg de CF-diagnose via de **hieprikscreening**



Figuur 7. Uitslag van de hieprikscreening voor CF van kinderen met CF geboren sinds 2017. Kinderen met CF-SPID, dus geen bevestigde CF-diagnose, zijn in deze analyse niet meegenomen.

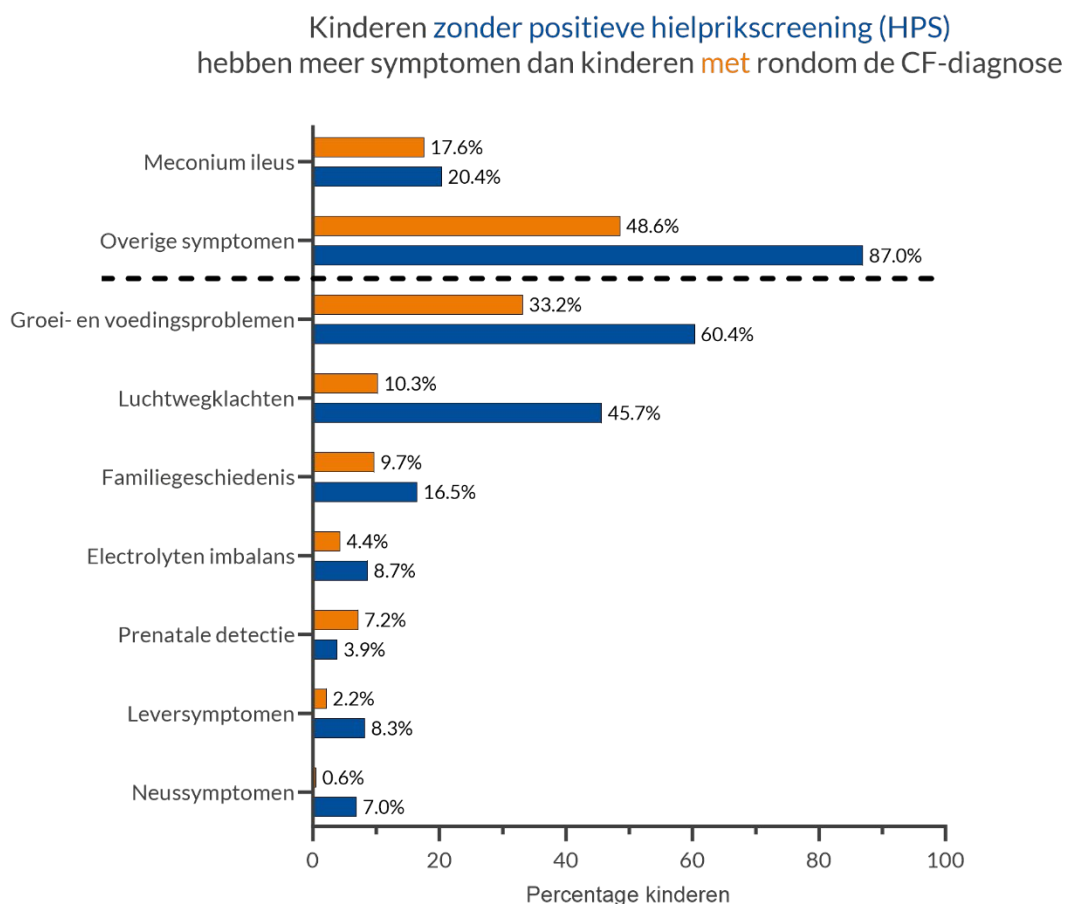
c. Symptomen van kinderen bij CF-diagnose

De kindercentra behandelen in totaal 548 kinderen met CF, volgens de gegevens van 2022. 319 kinderen met CF hebben de diagnose gekregen via een positieve uitslag van de hielprikscreening.

De overige 229 kinderen hebben de CF-diagnose niet via de hielprikscreening gehad. Bij 202 van hen is geen hielprikscreening voor CF gedaan. Dit hoge aantal wordt grotendeels verklaard doordat kinderen die geboren zijn voor 2008, niet op CF zijn getest met de hielprikscreening. CF is sinds 2011 officieel in de hielprikscreening opgenomen. Sindsdien hebben zes kinderen geen screening voor CF gehad omdat ze vooraf meconium ileus bleken te hebben. Verder hebben 26 kinderen een negatieve uitslag gehad, maar blijken ze toch CF te hebben. Van één kind met CF is de uitslag van de hielprikscreening onbekend.

Zonder een gerichte test voor CF, zoals de hielprikscreening die bij pasgeboren baby's wordt uitgevoerd, wordt de diagnose meestal gesteld op basis van klachten of andere kenmerken (symptomen). In Figuur 8 is duidelijk te zien dat kinderen zonder (positieve) hielprikscreening vaker symptomen rondom de CF-diagnose hadden, dan kinderen met een positieve uitslag voor de hielprikscreening. Als de diagnose via de hielprikscreening wordt gesteld, is er dus minder vaak sprake van al zichtbare symptomen.

Ongeveer 20% van de kinderen had verstopte darmen bij de geboorte (meconium ileus, Figuur 8). De meest voorkomende zijn luchtwegklachten en groei- en voedingsproblemen.



Figuur 8. Symptomen van kinderen met CF rondom de diagnose. Eerst meconium ileus en dan overige symptomen. De overige symptomen zijn daaronder gespecificeerd. Percentages zijn uitgesplitst in twee groepen: de groep kinderen die de diagnose CF kreeg via de hielprikscreening en de groep kinderen met CF die niet via een positieve hielprikscreening werden gediagnosticeerd.

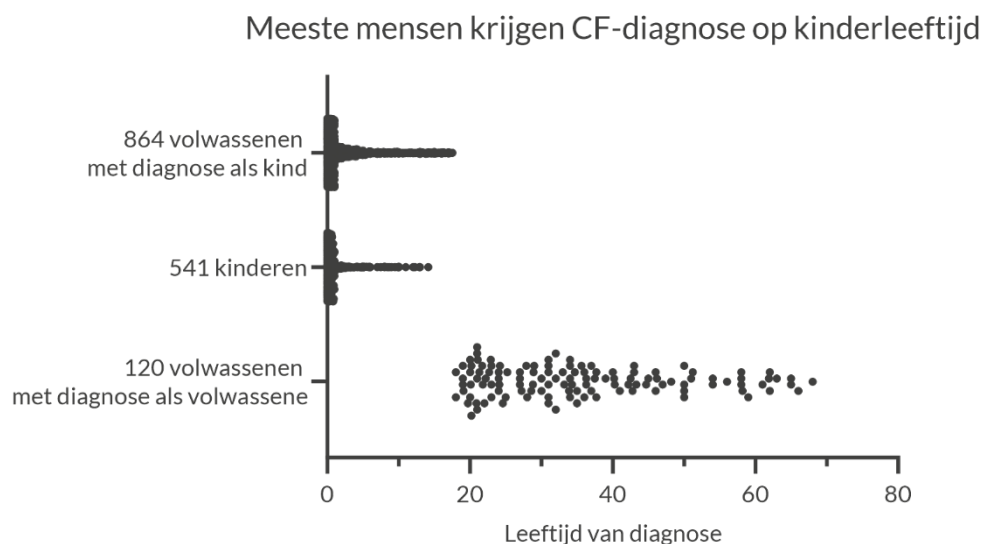
d. Leeftijd rondom CF-diagnose

Van 1525 mensen met CF is bekend op welke leeftijd de CF-diagnose werd gesteld. De gemiddelde leeftijd is 4,6 jaar. De mediane leeftijd ligt veel lager en is 0,4 jaar. Dat betekent dat de helft van de mensen met CF jonger dan 0,4 jaar (5 maanden) was bij het stellen van de diagnose. De andere helft was ouder.

In Figuur 9 is te zien hoe oud de kinderen waren, toen hun ouders te horen kregen dat ze CF hebben. Ook staat aangegeven om welke leeftijden het gaat bij mensen met CF die nu volwassen zijn, maar de CF-diagnose in hun kindertijd kregen. De derde groep die is weergegeven, is de groep volwassenen die op volwassen leeftijd ontdekten dat ze CF hebben.

De gemiddelde leeftijd van CF-diagnose is 0,78 jaar voor de 541 kinderen en 2,7 jaar voor de 864 volwassenen die als kind met CF zijn gediagnosticeerd (Figuur 9). De helft van de kinderen kreeg de CF-diagnose voordat ze anderhalve maand oud waren. Voor de helft van de volwassenen (met diagnose op kinderleeftijd) was dat het geval vóór de leeftijd van 9 maanden.

120 volwassenen met CF (12,2% van de 984 volwassenen) zijn gediagnosticeerd op volwassen leeftijd. De gemiddelde leeftijd van diagnose is 35,6 jaar. De helft van de mensen was ouder dan 33,5 jaar. De andere helft was tussen de 18 en 33,5 jaar oud.



Figuur 9. Leeftijd van CF-diagnose van alle mensen met CF waarvan dit getal bekend is. In 2022 is dat van 1525 mensen met CF bekend.

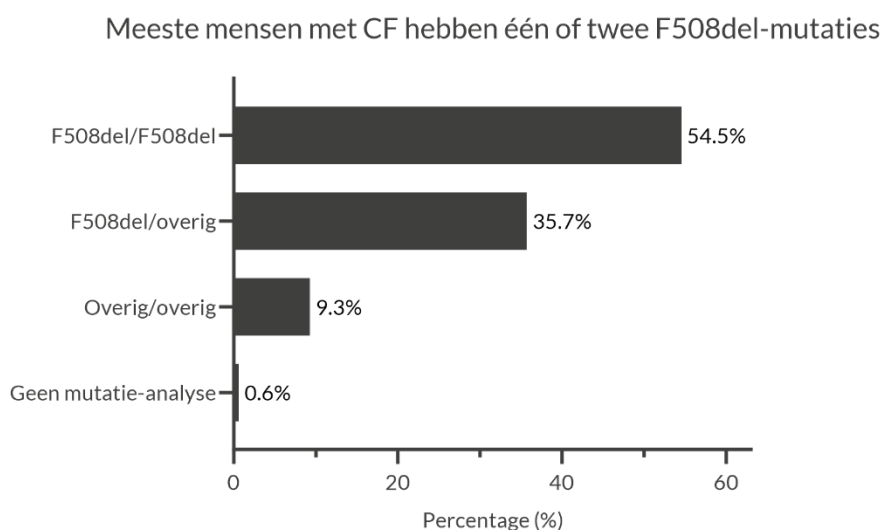
Van 1168 mensen en kinderen met CF is de zweetchloridewaarde rondom diagnose geregistreerd. Het gemiddelde is 93,2 mmol/L. De helft van de mensen had een zweetwaarde hoger dan 95 mmol/L, de andere helft had een zweetwaarde lager dan dat getal.

6. CF en mutaties

Iemand heeft CF als er twee mutaties in het DNA zijn die CF veroorzaken. Deze mutaties krijgt iemand van diens vader en moeder. Bij vrijwel alle mensen met CF in Nederland is onderzocht welke mutaties zij hebben. Dit is ook bekend voor de kinderen met CF-SPID. Dit hoofdstuk laat zien welke mutaties het meest voorkomen. Hier zijn de gegevens gebruikt van alle mensen met CF, met of zonder longtransplantatie, en los de mutatieverdeling bij kinderen met CF-SPID.

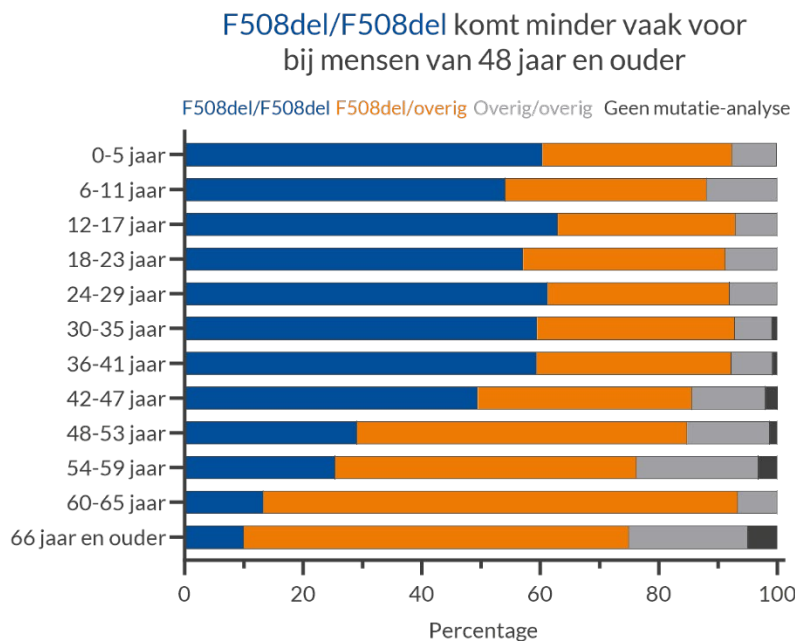
a. Mutatieverdeling mensen met CF

De meeste mensen met CF in Nederland hebben twee keer de F508del-mutatie (Figuur 10). In totaal heeft 90,2% minstens één F508del-mutatie. Bij enkele mensen is geen mutatie-analyse gedaan.



Figuur 10. Combinatie van CF-mutaties verdeeld in vier groepen. Alle 1635 mensen met CF die in 2022 in de registratie stonden, met of zonder longtransplantatie, zijn in deze analyse meegenomen.

In Figuur 11 staat per leeftijdsgroep vermeld hoe vaak elk mutatietype voorkomt. In elke leeftijdsgroep hebben verreweg de meeste mensen met CF minstens één F508del-mutatie. Ook valt op dat de dubbele F508del-mutatie minder vaak voorkomt bij de mensen die in 2022 48 jaar of ouder waren. Meer informatie over mensen van 50 jaar en ouder vind je in hoofdstuk 13 50+ en CF, pagina 52.



Figuur 11. Mutatieverdeling van mensen met CF in 2022, per leeftijdsgroep van zes jaar.

b. Mutaties kinderen met CF-SPID

Van de 28 kinderen met CF-SPID hebben 24 één F508del-mutatie met nog een andere mutatie, de anderen hebben geen F508del-mutatie.

De meeste kinderen met CF-SPID hebben een R117H-mutatie, namelijk 22. Deze mutatie werd oorspronkelijk beoordeeld als CF-veroorzakend. Maar de meeste mensen met deze mutatie hebben een zweetwaarde die niet wijst op het hebben van CF. Na extra onderzoek is gebleken dat maar een paar mensen met deze mutatie CF krijgen. En als dat wel zo is, dan pas op latere leeftijd. Daarom wordt de R117H-mutatie niet meer gezien als CF-veroorzakend. Sinds 2016 is de R117H-mutatie daarom niet meer in het screeningspaneel bij de hielprik opgenomen.

c. Meest voorkomende mutaties

In Tabel 2 staan de vijftien meest voorkomende mutaties van mensen met CF en CF-SPID in Nederland, volgens de gegevens van 2022. Iedereen heeft twee mutaties, het totale aantal mutaties komt daarmee op 3326. De volgorde van en de percentages op de lijst veranderen weinig door de jaren heen.

Tabel 2. *Vijftien meest voorkomende mutaties* van mensen met CF en CF-SPID in Nederland in 2022. 1663 mensen hebben samen een totaal van 3326 mutaties (niet allemaal verschillend).

Mutatie	Aantal	Percentage (%)
<i>F508del</i>	2389	71,8
<i>A455E</i>	134	4,0
<i>G542X</i>	63	1,9
<i>1717-1G->A</i>	44	1,3
<i>3272-26A->G</i>	41	1,2
<i>N1303K</i>	39	1,2
<i>S1251N</i>	38	1,1
<i>R1162X</i>	37	1,1
<i>R117H</i>	28	0,8
<i>R553X</i>	28	0,8
<i>R117H;7T</i>	26	0,8
<i>2789+5G->A</i>	25	0,8
<i>3849+10kbC->T</i>	22	0,7
<i>E60X</i>	19	0,6
<i>711+1G->T</i>	16	0,5
Geen mutatie-analyse	18	0,5
Onbekend	17	0,5
Overig	342	10,3
Totaal	3326	100,0

7. Behandeling van CF: CFTR-modulatoren

Om de lichamelijke klachten van mensen met CF zo effectief mogelijk te behandelen, zijn diverse medicijnen ontwikkeld. Sinds enkele jaren zijn er medicijnen beschikbaar die het basisprobleem van CF aanpakken: een chloridekanaal (CFTR) dat minder aanwezig is en/of waarvan de werking is verstoord, waardoor in verschillende organen het slijm taai wordt. Deze medicijnen, CFTR-modulatoren genoemd, hebben grote impact op levens van de mensen die zo'n middel kunnen gebruiken.

In dit hoofdstuk lees je welke CFTR-modulator hoe vaak wordt voorgeschreven. Hier zijn de gegevens gebruikt van mensen met een bevestigde CF-diagnose zonder longtransplantatie.

a. Mensen met een CFTR-modulator

Doordat vanaf 2022 [ellexacaftor/tezacaftor/ivacaftor \(Kaftrio\)](#) beschikbaar is gekomen voor mensen met CF en één F508del-mutatie, vanaf de leeftijd van zes jaar, gebruikt nu een grote groep mensen met CF in Nederland een CFTR-modulator.

Niet alle mensen met CF komen in aanmerking voor een CFTR-modulator. De medicijnen die nu op de markt zijn, zijn voor specifieke (de meest voorkomende) mutaties ontwikkeld. Mensen die niet de 'juiste' mutaties hebben, kunnen deze medicijnen niet gebruiken, terwijl een aantal er wel baat bij zou kunnen hebben. In sommige andere landen kunnen mensen op proef een CFTR-modulator gebruiken waarna het middel vergoed wordt als het voldoende werkt. We zijn als NCFS hard aan het werk om dit ook in Nederland mogelijk te maken.

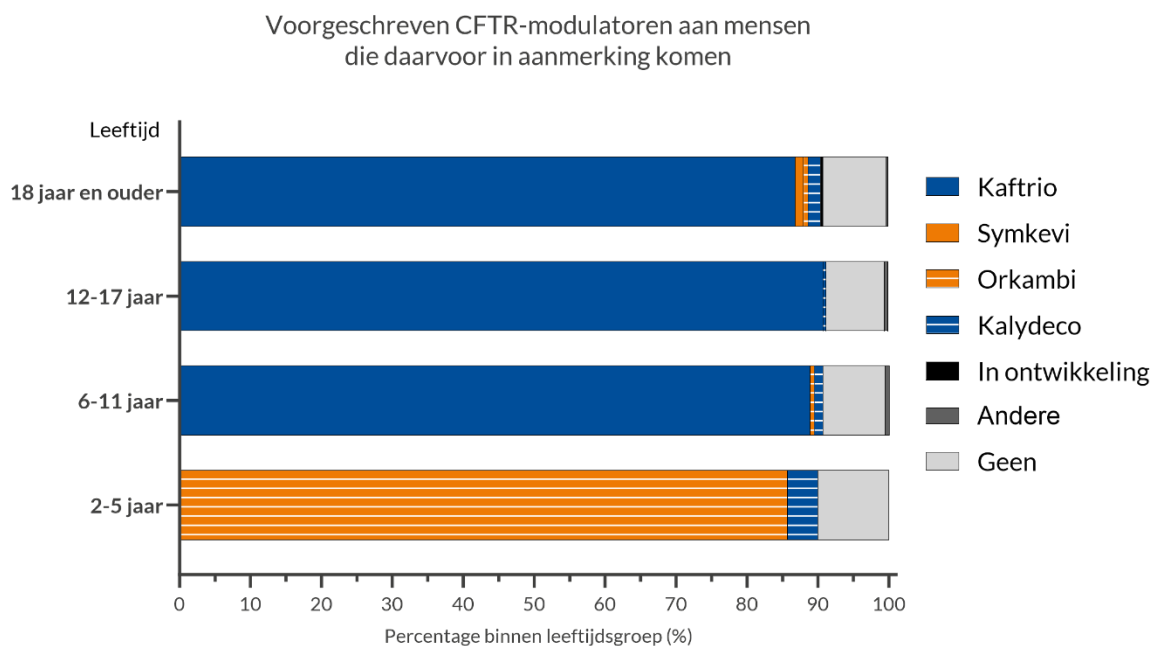
Ook is een aantal CFTR-modulatoren nog niet geschikt voor heel jonge kinderen. De studies en de procedures voor aanvraag van goedkeuring in jongere leeftijdsgroepen zijn nog gaande. Daarnaast kunnen niet alle mensen die getransplanteerd zijn een CFTR-modulator gebruiken. Er wordt o.a. in Nederland onderzocht of mensen met een orgaantransplantatie veilig en met goed effect toch ellexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio) kunnen gebruiken. Meer informatie vind je op [onze website](#).

In 2022 komt 87,8% van alle mensen met CF, ongeacht transplantatie, die nog in leven waren op 31 december 2022 en in 2022 behandeld in een CF-centrum, in aanmerking voor een CFTR-modulator (1416 van de 1613 mensen). Als de getransplanteerden niet worden beschouwd als 'in aanmerking komend' dan is het percentage 82,0%.

Er zijn dus inmiddels meerdere CFTR-modulatoren beschikbaar. Sommige mensen komen voor geen enkele in aanmerking, sommigen juist voor meerdere:

- Ellexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio) wordt vergoed voor mensen met CF vanaf de leeftijd van zes jaar met tenminste één F508del-mutatie
- Tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) kan worden voorgeschreven vanaf de leeftijd van zes jaar voor mensen met een dubbele (homozygote) F508del-mutatie of met één F508del-mutatie plus één van de volgende mutaties: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G, en 3849+10kbC→T.
- Lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) wordt vergoed vanaf de leeftijd van twee jaar bij kinderen en volwassenen die twee keer de F508del-mutatie hebben
- Ivacaftor (Kalydeco) mag worden voorgeschreven vanaf de leeftijd van vier maanden, bij mensen met tenminste één van de volgende mutaties hebben: G551D, S549N, G551S, S1255P, G1244E, G178R, S549R, S1251N, G1349D of R117H

In totaal werden op 31 december 2022 CFTR-modulatoren voorgeschreven aan 1206 van de 1323 mensen met CF zonder orgaantransplantatie die voor één of meerdere middelen in aanmerking komen, dat is 91,1%. In Figuur 12 is te zien wat de verdeling is per leeftijdsgroep. In de groep volwassenen kregen eind 2022 minder dan vijf mensen een andere CFTR-modulator (in studieverband). Daarnaast kwamen vijf mensen in aanmerking voor elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio), maar gebruikten ze een andere modulator.



Figuur 12. Verdeling van welke CFTR-modulator in welke leeftijdsgroep werd voorgeschreven op 31-12-2022 aan mensen die in aanmerking komen voor één van de CFTR-modulatoren die in Nederland worden vergoed.

b. Gebruikers per CFTR-modulator

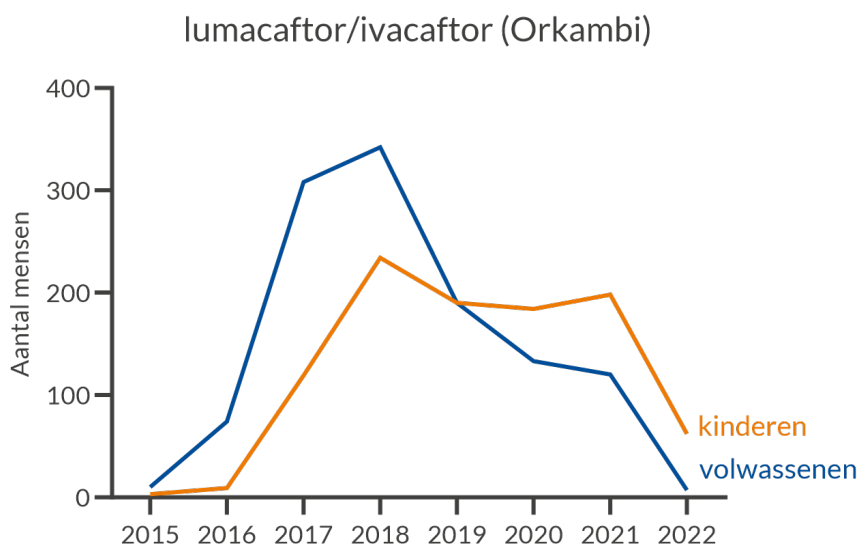
De nieuwste CFTR-modulator bestaat uit een combinatie van drie medicijnen. Het heet Kaftrio en bevat de medicijnen ivacaftor, tezacaftor en elexacaftor. Sinds 2022 wordt dit medicijn in Nederland vergoed voor mensen met CF vanaf 6 jaar met tenminste één F508del-mutatie. Op 31 december 2022 werd elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio) voorgeschreven aan 88,8% van deze groep mensen die hiervoor in aanmerking kwam (zonder orgaantransplantatie).

In totaal kregen in 2022 1153 mensen elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio), onafhankelijk van of zij hiervoor in aanmerking komen. 52 van hen zijn in de loop van het jaar gestopt, dat is 4,5%. Negen hebben in 2022 weer een herstart gemaakt. Minder dan vijf mensen zijn overgestapt naar een andere CFTR-modulator. De 1111 mensen die eind december 2022 het middel nog wel gebruikten, vormen samen 68% van alle mensen met CF in de registratie. In 2021 ging het nog om zo'n 100 mensen.

De mediane zweetchloridewaarde gaat van 86,0 vóór start naar 33,8 na zes maanden. Het overgrote deel van de gebruikers zit dus in niet-CF gebied (onder de 30) of het grijze gebied (30-59) qua zweetwaarde.

Veel mensen gebruikten in eerdere jaren een andere CFTR-modulator. De aantallen daarvan dalen sterk in 2022, zoals is te zien in de volgende grafieken. Dit komt doordat de mensen die in aanmerking komen voor lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) en tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) konden overstappen op elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio).

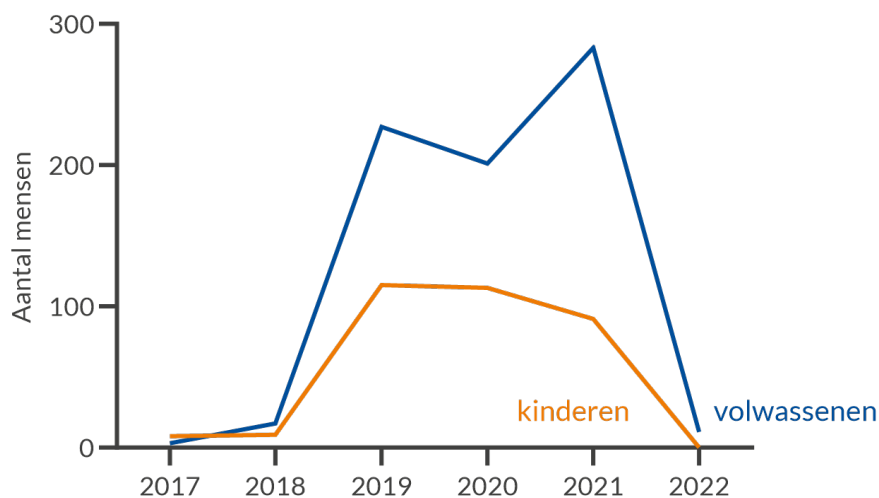
Lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) is een combinatie van twee CFTR-modulatoren. Op 31 december 2022 werd het medicijn voorgeschreven aan 69 mensen met CF, in 2021 ging het nog om 318 mensen (Figuur 13). Alle gestopten behalve één zijn overgegaan op elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio) of een CFTR-modulator in ontwikkeling. Er is geen onderscheid gemaakt of de gebruikers wel of niet in aanmerking komen voor vergoeding van dit medicijn.



Figuur 13. Aantal kinderen en volwassenen met CF die lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) voorgeschreven kregen op 31 december 2022.

Tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) is ook een combinatie van twee CFTR-modulatoren. Deze werd op 31 december 2022 aan 11 volwassenen voorgeschreven en niet meer aan kinderen. In 2021 waren dit nog 374 mensen (Figuur 14). Alle gestopten behalve één zijn overgegaan op elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio) of een CFTR-modulator in ontwikkeling. Er is geen onderscheid gemaakt of de gebruikers wel of niet in aanmerking komen voor vergoeding van dit medicijn.

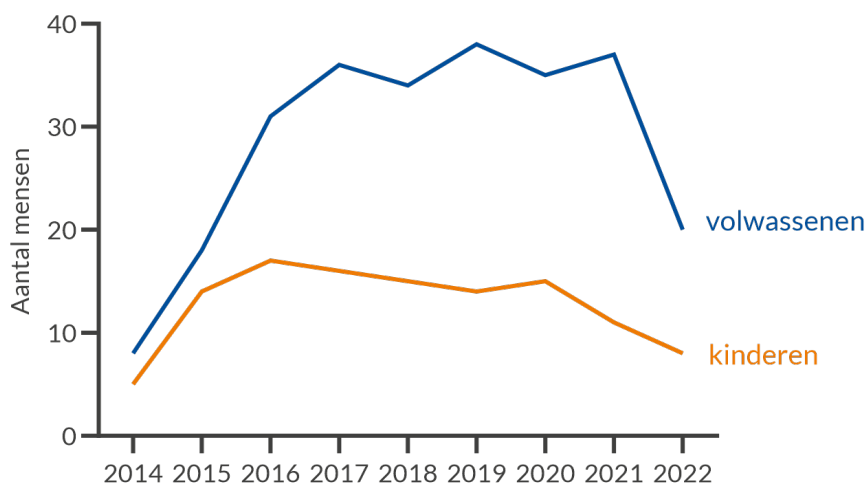
tezacaftor/ivacaftor (Symkevi)



Figuur 14. Aantal kinderen en volwassenen met CF die tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) voorgeschreven kregen op 31 december 2022.

Op 31 december 2022 gebruikten 28 mensen ivacaftor (Kalydeco, Figuur 15), in 2021 waren dat nog 48 mensen. Er is geen onderscheid gemaakt in gebruikers die officieel voor vergoeding van dit medicijn in aanmerking komen, of middels *compassionate use* of studieverband dit middel krijgen.

ivacaftor (Kalydeco)



Figuur 15. Aantal kinderen en volwassenen met CF die ivacaftor (Kalydeco) voorgeschreven kregen op 31 december 2022.

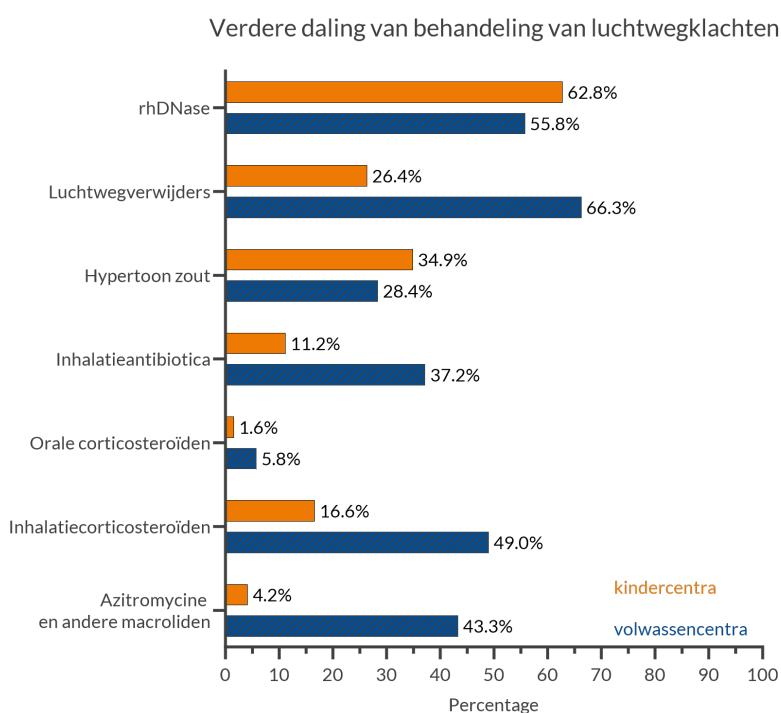
8. Behandeling van CF: overig

Naast de CFTR-modulatoren gebruiken mensen met CF diverse andere medicijnen of behandelingen om klachten tegen te gaan. Deze klachten kunnen in het hele lichaam voorkomen. In dit hoofdstuk is informatie te vinden over de behandeling van luchtwegklachten en maag-, darm- en leverklachten. Ook worden cijfers vermeld over opnames in het ziekenhuis en orgaantransplantaties.

De gegevens die zijn gebruikt, zijn van mensen met een bevestigde CF-diagnose, zonder longtransplantatie. Ook is de voorwaarde dat deze mensen in 2021 gezien zijn door behandelaren in het CF-centrum. In totaal zijn van 1505 mensen (573 in kindercentra en 932 in volwassenencentra) gegevens gebruikt in onderstaande grafieken. Meer informatie over mensen met longtransplantaties staat vermeld in hoofdstuk 15 Mensen met een longtransplantatie.

a. Luchtwegklachten en behandeling

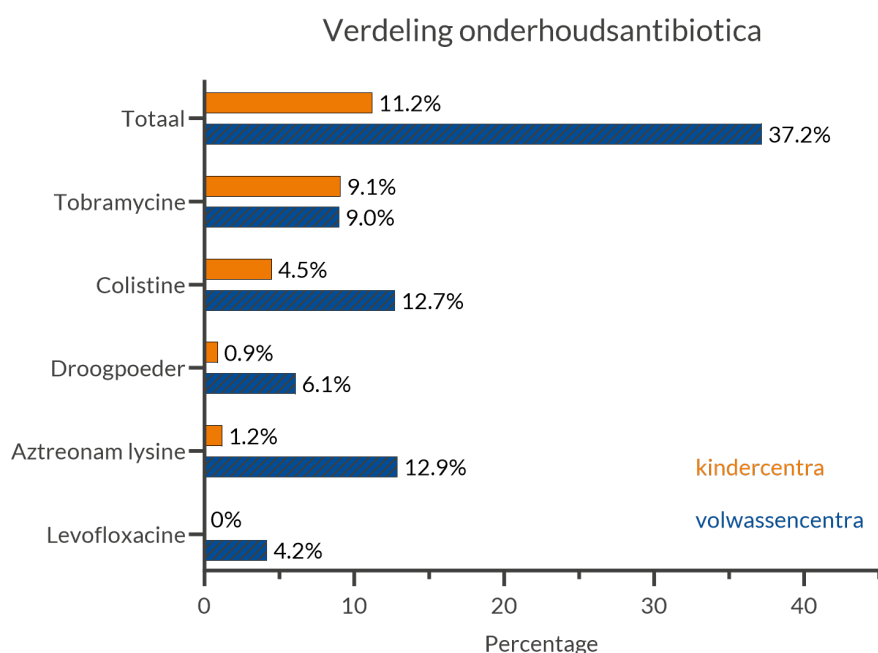
Mensen met CF kunnen klachten hebben aan de luchtwegen (neus, mond, keel en longen). Er zijn verschillende medicijnen beschikbaar om deze klachten te behandelen. In Figuur 16 is te zien hoeveel kinderen en volwassenen een medicijn kregen bij luchtwegklachten. In tegenstelling tot voorgaande jaren worden in 2022 medicijnen als inhalatieantibiotica, orale corticosteroïden en macroliden bij een kleinere groep mensen voorgeschreven.



Figuur 16. Behandeling van de luchtwegen bij mensen met CF zonder longtransplantatie in 2022. Percentages van symptomen zijn uitgesplitst per kindercentra en volwassenencentra. rhDNase is de slijmverdunner dornase alfa.

Bij sommige mensen werken de longen nog maar zo weinig dat ze extra zuurstof toegediend krijgen. In 2022 kregen 21 volwassenen zuurstof via een slangetje of kapje, voor de kinderen was dit niet nodig. Zuurstof via een masker werd gegeven aan nog geen handvol volwassenen met CF in 2022.

In Figuur 16 staan antibiotica vermeld die worden geïnhaleerd als onderhoudsbehandeling (doorlopend). Onderhoud betekent dat de inhalatieantibiotica minstens drie maanden zijn gegeven. In Figuur 17 is dit getal opnieuw weergegeven en daarna uitgesplitst voor de verschillende typen antibiotica. Voor elk afzonderlijk medicijn gaat het om het percentage mensen dat minstens één kuur van het medicijn heeft gehad. In Figuur 17 is goed te zien dat alle inhalatieantibiotica, behalve tobramycine, het meest worden voorgeschreven aan de mensen met CF in de volwassencentra. In 2022 is bij een kleinere groep mensen inhalatieantibiotica voorgeschreven ten opzichte van 2021 (16,1% van de kinderen en 46,5% van de volwassenen). Tobramycine werd in 2021 nog voorgeschreven bij 15% van alle mensen met CF. Ook is er een duidelijke afname wat betreft gebruik van colistine en aztreonam lysine.



Figuur 17. Percentage kinderen en volwassenen met een specifiek type onderhoudsantibiotica (inname als inhalatie) in 2022.

Een longinfectie met de bacterie *Pseudomonas aeruginosa*, wordt meestal met inhalatieantibiotica behandeld. In 2022 hadden 291 mensen een chronische (langdurige) *Pseudomonas*infectie, waaronder slechts 19 kinderen. Deze getallen zijn vergelijkbaar met 2021.

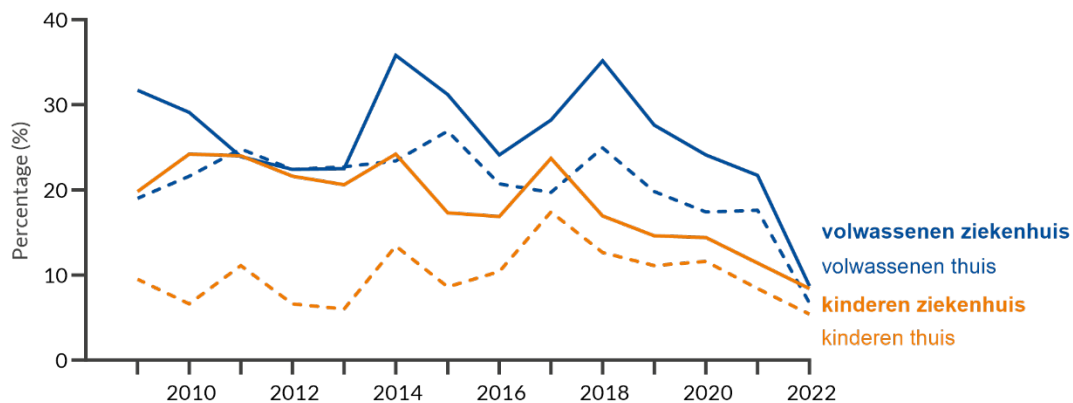
Van de mensen met een chronische *Pseudomonas*infectie kreeg 66,3% minstens één kuur inhalatieantibiotica, dat is een stuk lager dan 2021 (81,2%).

b. Antibiotica via het infuus

Soms zijn antibiotica in pillen of via inhalatie niet voldoende om iemand met CF te behandelen tegen een bacterie of een schimmel. Antibiotica kunnen dan direct in het bloed worden ingebracht met een infuus. Dat wordt intraveneuze antibioticabehandeling genoemd, IV antibiotica in het kort. Zulke behandelingen kunnen plaatsvinden in het ziekenhuis en/of thuis.

In 2022 heeft meer dan 90% van de kinderen en volwassenen met CF geen intraveneuze antibioticabehandeling in het ziekenhuis of thuis gehad. In Figuur 18 is te zien dat deze percentages nog nooit zo laag zijn geweest sinds we dit bijhouden in de CF-Registratie. Slechts 8,4% van de kinderen had een ziekenhuisbehandeling en 5,4% een thuisbehandeling. In de groep volwassenen is dat 8,7% en 6,7%.

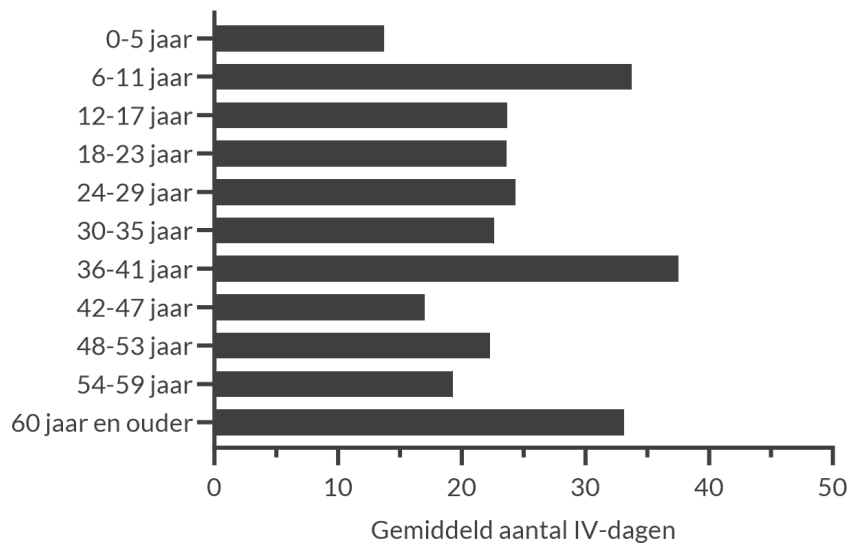
Minder IV antibiotica voor kinderen en volwassenen in 2022



Figuur 18. Kinderen en volwassenen met IV antibioticabehandeling in het aangegeven jaar (2009-2022). Gegevens van mensen met CF zonder longtransplantatie. Percentages zijn uitgesplitst in ziekenhuisbehandeling en thuisbehandeling.

In Figuur 19 staat, per leeftijdsgroep, het gemiddeld aantal dagen IV antibioticabehandeling in 2022 beschreven. In totaal hebben mensen die een behandeling met IV antibiotica kregen, gemiddeld 24 dagen behandeling gehad in 2022. De mediane waarde is 20. Dat betekent dat de helft van de mensen minder dan 20 dagen werd behandeld en de andere helft langer dan 20 dagen. In 2020 en 2021 was de mediane waarde nog 21 dagen.

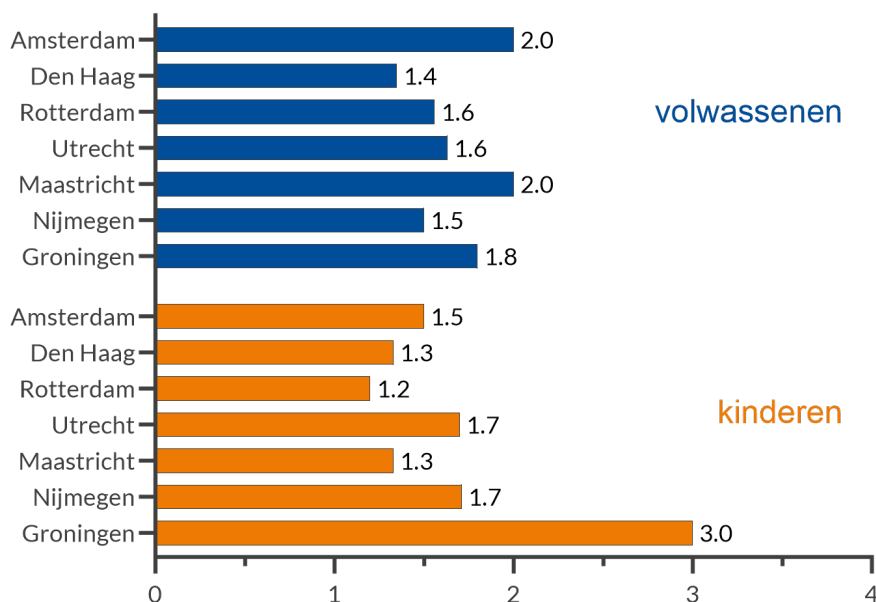
Gemiddeld 30 dagen IV antibioticabehandeling



Figuur 19. Gemiddeld aantal dagen IV antibioticabehandeling per jaar bij mensen die IV behandeld werden in 2022. IV = intraveneus, via een infuus direct het bloed in.

Sinds 2021 worden, naast het aantal IV dagen, ook het aantal IV kuren geregistreerd. In Figuur 20 staan de gemiddeldes van alle CF-centra in Nederland. Het gemiddelde is 1,6 wat betekent dat de meeste mensen, die een IV behandeling nodig hadden, één of twee IV kuren hebben gehad in 2022.

Gemiddeld één tot twee kuren IV antibiotica

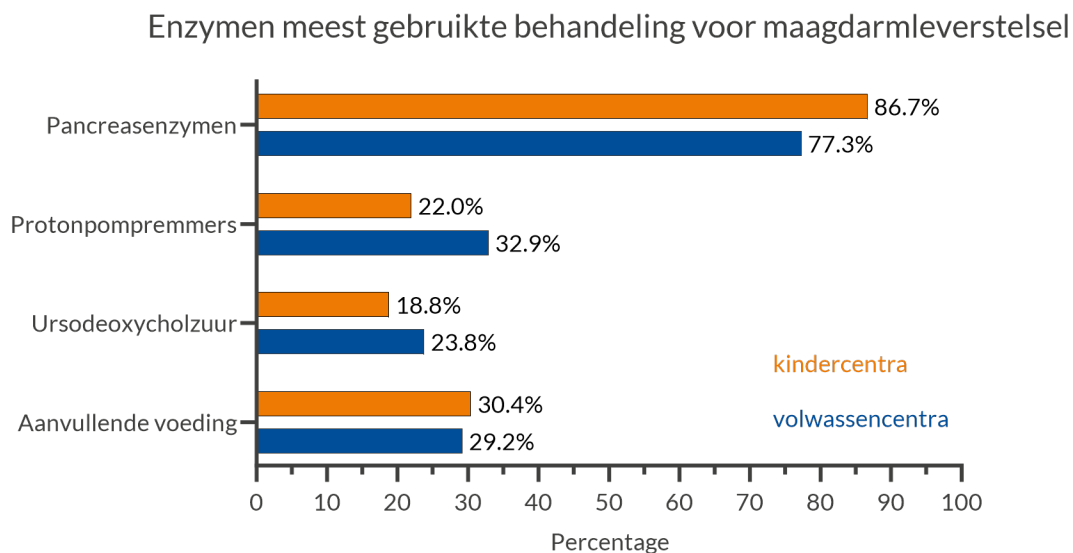


Figuur 20. Gemiddeld aantal IV antibioticakuren per centrum in 2022. Berekend voor alle mensen met CF met minstens één dag IV antibioticabehandeling.

c. Maagdarmleverklachten en behandeling

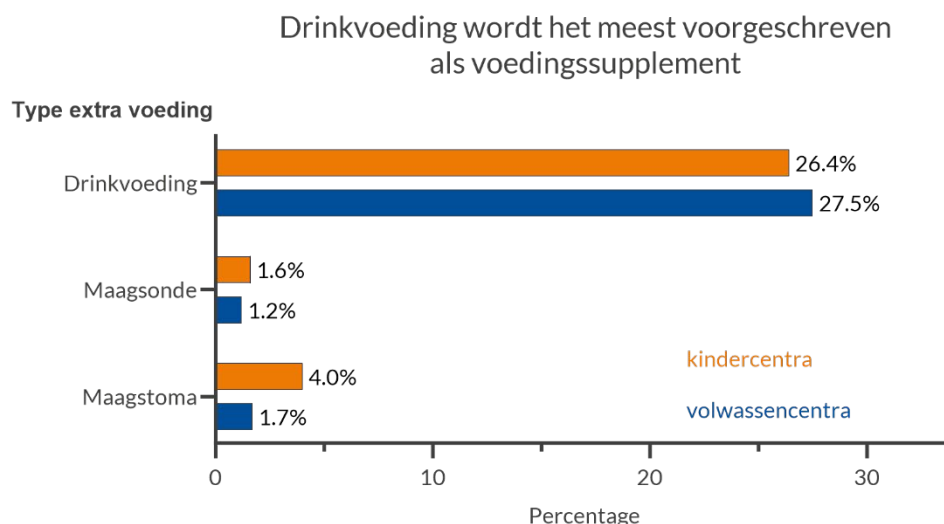
Veel mensen met CF hebben ook last van hun maagdarmleverstelsel: de organen die het eten verteren zodat voeding wordt opgenomen in het lichaam. Ze zijn daarom vaak in behandeling bij de diëtist van het CF-centrum. In 2022 is 87,3% van de kinderen minstens één keer bij de diëtist geweest. Van die groep kwam 58,6% voor een analyse van de verhouding eiwit/vet/calorie, de rest had een consult zonder dergelijke analyse van hun dieet. Bij de volwassenen is 54,2% in 2022 bij de diëtist geweest, bij 83,4% van hen vond ook een eiwit/vet/calorie uitsplitsing plaats.

Er zijn verschillende medicijnen verkrijgbaar om de klachten van het maagdarmleverstelsel te verminderen. In Figuur 21 is te zien hoeveel kinderen en volwassenen een medicijn daarvoor gebruiken, volgens de gegevens van 2022. Pancreasenzymen worden het meest gebruikt, deze middelen verteren het voedsel zodat het beter wordt opgenomen in het lichaam. In 2022 werden iets minder protonpompremmers (tegen brandend maagzuur) en ursodeoxycholzuur (voor betere afvoer van gal) voorgeschreven aan kinderen en volwassenen dan in 2021.



Figuur 21. Behandeling van maagdarmleverklachten bij mensen met CF, zonder longtransplantatie, in 2022. Percentages zijn uitgesplitst voor kinderen en volwassenen.

In Figuur 21 is te zien dat ongeveer 30% van alle mensen met CF gebruikmaken van extra, aanvullende voeding. In Figuur 22 is uitgesplitst hoe vaak elke soort extra voeding is voorgeschreven. De meeste kinderen en volwassenen van die 30% krijgen drinkvoeding. Een klein aantal mensen krijgt extra voeding via een maagsonde of maagstoma, dit aantal wordt steeds kleiner.



Figuur 22. Voorgeschreven extra voeding in 2022. Uitgesplitst voor kinderen en volwassenen met CF en zonder longtransplantatie.

d. Transplantaties

Van alle mensen met CF, hebben 110 mensen donorlongen ontvangen, in 2022 (één iemand) of voorgaande jaren. Meer informatie over deze groep mensen met een longtransplantatie is te vinden in hoofdstuk 12, pagina 47.

Zeven mensen hebben ooit een levertransplantatie gehad. Acht mensen hebben in voorgaande jaren een niertransplantatie gehad, nog eens twee mensen ontvingen donornieren in 2022. Sommige mensen hebben verscheidene donororganen.

Op 31 december 2022 stonden er nog drie mensen op de wachtlijst voor een longtransplantatie, volgens de gegevens van de Transplantatiestichting. Twee mensen wachtten op een nieuwe lever.

9. Longfunctie

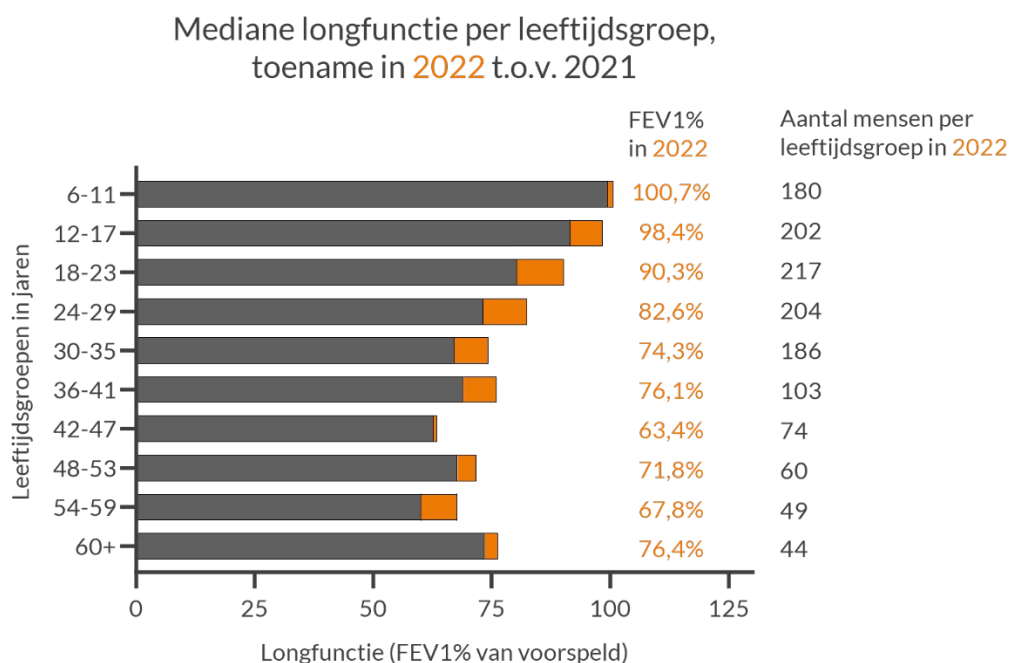
Dit hoofdstuk gaat over de longfunctie van mensen met CF in Nederland. Die wordt gemeten vanaf zes jaar. In 2021 zijn gegevens bekend van 1319 mensen, van zes jaar of ouder, met een bevestigde CF-diagnose, geen longtransplantatie hebben gehad en zijn gezien/gesproken in dat jaar en daarbij minstens één longfunctiemeting hebben gedaan.

Doordat het slijm in de longen taai is bij mensen met CF, ontstaan infecties en ontstekingen. Die zorgen ervoor dat de longen steeds iets minder goed werken. Hoe goed longen werken kan op verschillende manieren gemeten worden, bijvoorbeeld met de methode FEV1. Met de FEV1 wordt gemeten hoeveel lucht iemand in één seconde uitademt. Dat zegt iets over hoe goed de lucht door de luchtwegen kan stromen. De FEV1 wordt gemeten vanaf de leeftijd van zes jaar. De hoeveelheid lucht wordt vergeleken met iemand zonder CF van dezelfde leeftijd, dezelfde lengte en hetzelfde geslacht. Die verhouding wordt berekend als een percentage. Een FEV1% van 90% of hoger wordt beschouwd als een gezonde longfunctie.

a. Longfunctie per leeftijdsgroep

In 2022 heeft de helft van de kinderen een longfunctie boven de 99,8%, de andere helft zit eronder. Dat getal is de mediane longfunctie. Voor volwassenen is de mediane longfunctie 79,2%. Vorig jaar was dat 96,2% voor de kinderen en 71,8% voor de volwassenen.

In Figuur 23 is te zien wat de longfunctie is per leeftijdsgroep. De helft van alle kinderen heeft een gezonde longfunctie. De tieners (12-17 jaar) hebben bijna net zo'n goede mediane longfunctie als de kinderen. Vorig jaar was de mediane longfunctie voor de tieners nog 91,6%. De mediane longfunctie per centrum voor enkele jaren op een rij is te vinden in het hoofdstuk Kwaliteit van zorg, Tabel 3.

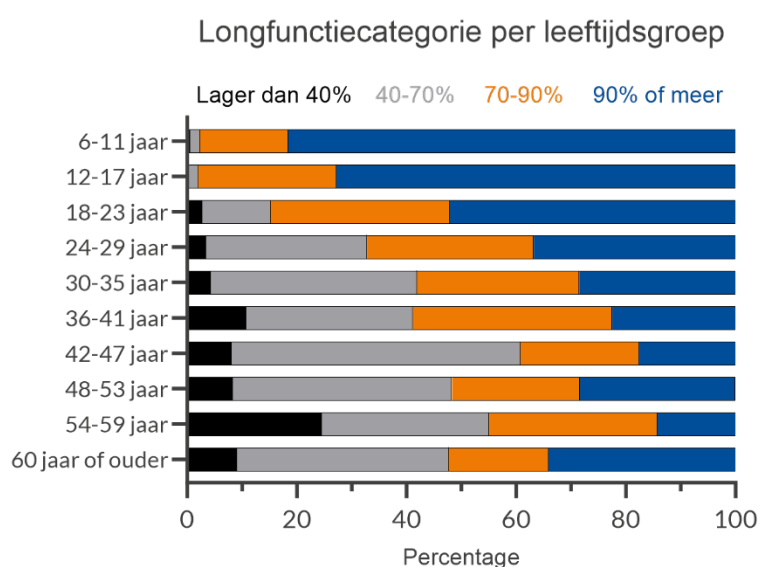


Figuur 23. Mediane longfunctie FEV1% van voorspeld in 2022. Gegevens zijn gebruikt van mensen met CF die zes jaar of ouder zijn en geen longtransplantatie hebben ondergaan.

De FEV1 kan ook worden ingedeeld in groepen. Deze indeling wordt internationaal gebruikt: lager dan 40%, 40-70%, 70-90% of een gezonde longfunctie van 90% en hoger.

In de kindercentra heeft 75,5% van de kinderen een normale longfunctie van 90% of hoger (in 2021 was dit nog 64%). 21,5% heeft een longfunctie van 70-90% en 2,7% heeft een longfunctie tussen de 40 en 70%. In de volwassencentra heeft 32,9% van de volwassenen nog een normale longfunctie (dit was 22,1% in 2021). 29,7% zit tussen de 70 en 90%, 30,8% hebben een longfunctie van 40-70% en 6,5% heeft een longfunctie lager dan 40%. Ten opzichte van vorig jaar zijn er veel meer kinderen en volwassenen met een gezonde longfunctie.

In Figuur 24 zijn alle longfunctiemetingen per leeftijdsgroep ingedeeld in de genoemde groepen. Eén kind had in 2022 een longfunctie onder de 40%. Tot de leeftijdsgroep van 42-47 jaar heeft meer dan de helft een longfunctie van 70% of hoger.

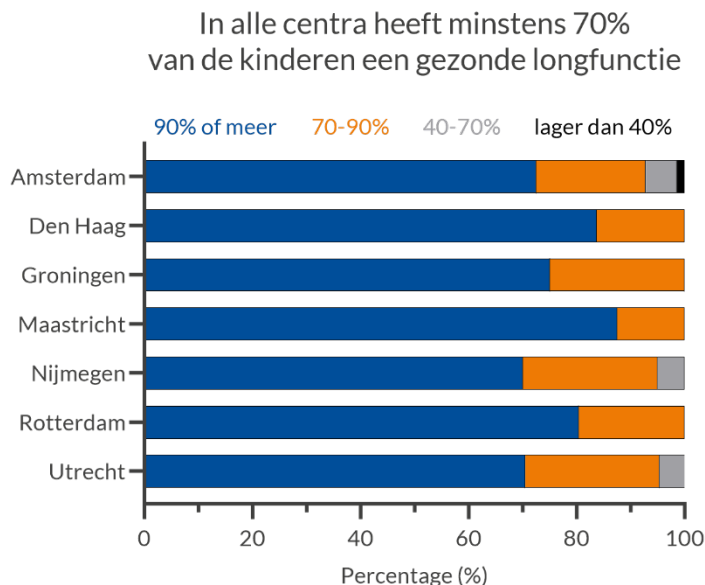


Figuur 24. Longfunctiegroepen in 2022 van alle mensen met CF zonder longtransplantatie, uitgesplitst in leeftijdsgroepen.

b. Longfunctie van kinderen

In Figuur 25 wordt ingezoomd op de longfunctie (FEV1) van de kinderen, per kindercentrum. In totaal zijn de gegevens gebruikt van 413 kinderen die minstens zes jaar oud waren. In alle centra heeft minstens 70% van de kinderen zelfs een gezonde, normale longfunctie van 90% of hoger, in 2021 was dit in bijna alle centra minstens de helft.

In totaal heeft 75,5% van alle kinderen een gezonde, normale longfunctie van 90% of hoger. De mediane FEV1% is 99,8% (z-score -0,01, zie begrippenlijst).



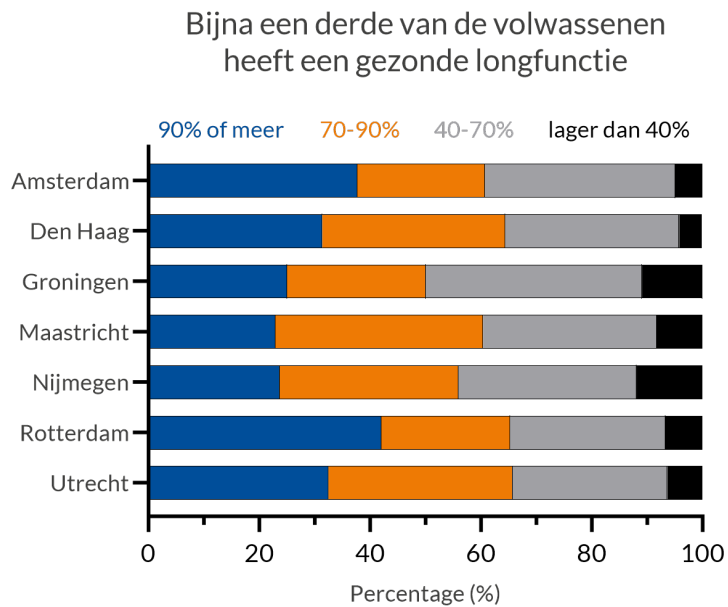
Figuur 25. Per CF-centrum de verdeling van de longfunctie van kinderen met CF.

Een andere maat is de LCI (Lung Clearance Index). Hierbij wordt gemeten hoeveel ademhalingen nodig zijn om de lucht in de longen te verversen. Een lage LCI-waarde betekent dat er weinig ademhalingen nodig waren. Als iemand vaak moet in- en uitademen, dan leidt dat tot een hoge LCI-waarde. Hoe lager de LCI-waarde is, hoe beter. De LCI wordt steeds meer ingezet bij jonge kinderen, omdat met deze methode longschade gemeten zou kunnen worden, nog voordat dit al zichtbaar wordt in een lagere FEV1% van voorspeld.

Sinds 2020 worden in de CF registratie LCI-data verzameld. In Nederland zijn twee CF-centra die deze methode inzetten: Groningen en Rotterdam. In Groningen hebben 40 kinderen een LCI meting gehad, met een mediane waarde van 8,08 (in 2021 was dat nog 10,03). Voor Rotterdam gaat het om 103 kinderen en een mediane waarde van 6,61 (in 2021 was dat nog 7,8). Beiden gebruiken een ander LCI-apparaat, waardoor deze waarden onderling niet te vergelijken zijn. Wat wel vergelijkbaar is, is de duidelijke verbetering in LCI-waarde in 2022 t.o.v. 2021, van 15-20%.

c. Longfunctie van volwassenen

In Figuur 26 is te zien wat de verdeling is in longfunctiegroepen, per volwassencentrum. 32,9% van alle volwassenen in Nederland heeft een gezonde, normale longfunctie van 90% of hoger. In 2021 was dit nog maar 22,1%. De mediane FEV1% is 79,2% (z-score -1,67). In totaal zijn hiervoor gegevens gebruikt van 905 volwassenen.



Figuur 26. Per CF-centrum de verdeling van de longfunctie van volwassenen met CF.

10. Lengte en gewicht kinderen met CF

In dit hoofdstuk zijn de kenmerken van lengte en gewicht beschreven van kinderen. Er zijn gegevens gebruikt van kinderen met een bevestigde CF-diagnose zonder longtransplantatie.

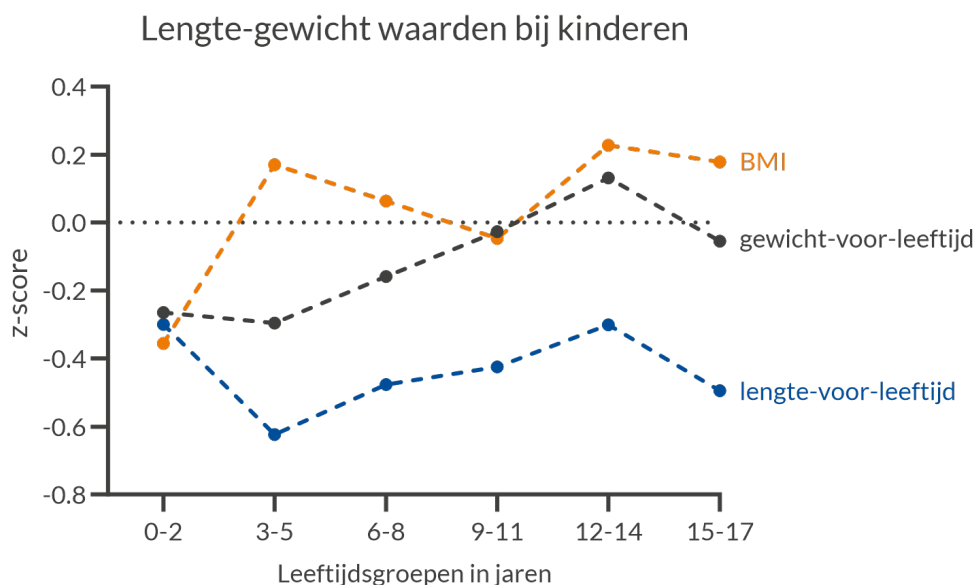
a. Maten voor lengte en gewicht bij kinderen

Body Mass Index (BMI) is één manier om iets te zeggen over de verhouding tussen lengte en gewicht. Maar voor kinderen is deze maat nog niet geschikt. Een kind groeit veel centimeters en wordt ook veel zwaarder tijdens de hele kindertijd. Lengte en gewicht kunnen omgerekend worden naar verschillende z-scores.

De z-score is een gecorrigeerde waarde voor leeftijd, geslacht en etniciteit. Een z-score tussen de -2 en 2 is normaal: 95% van de kinderen in Nederland heeft een z-score in dat gebied en een z-score van 0 is gemiddeld.

In Figuur 27 zijn de z-scores te zien van vier maten voor lengte en gewicht: lengte-voor-leeftijd, gewicht-voor-leeftijd, gewicht-voor-lengte en BMI. Per leeftijdsgroep van drie jaar is te zien hoe hoog de mediane z-score is. Dat betekent dat de helft van de kinderen in die leeftijdsgroep onder de mediane waarde zit en de andere helft erboven.

De BMI en gewicht-voor-leeftijd z-scores schommelen rondom het gemiddelde van 0 (Figuur 27). De waardes van gewicht-voor-leeftijd nemen toe met het stijgen van de leeftijd tot een jaar of 14. Dat geldt niet voor lengte-voor-leeftijd: in alle leeftijdsgroepen is de z-score lager dan 0. De mediane waardes vallen wel ruim in het normale gebied van -2 tot 2. Over het algemeen zijn kinderen met CF iets korter dan gemiddeld.



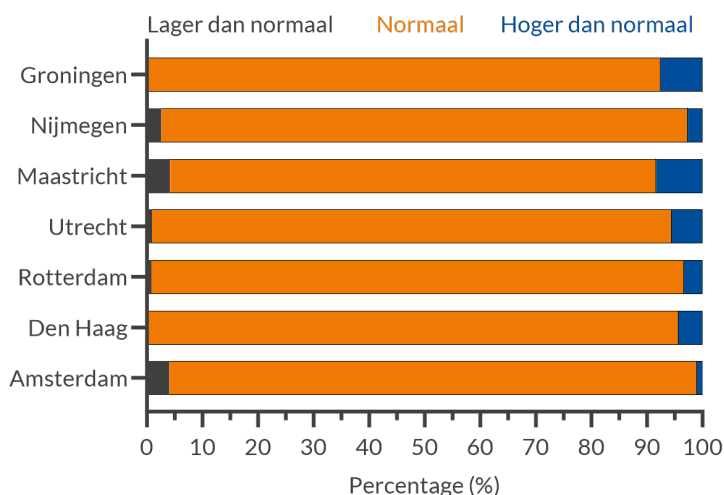
Figuur 27. Verschillende maten voor lengte en gewicht van kinderen met CF in 2022. De z-score is een gecorrigeerde waarde voor leeftijd en geslacht (en etniciteit). Een z-score tussen de -2 en 2 is normaal: 95% van de kinderen in Nederland heeft een z-score in dat gebied en een z-score van 0 is gemiddeld.

b. Lengte en gewicht in groepen

Een andere manier om naar lengte en gewicht te kijken is door de BMI, gewicht-voor-leeftijd en lengte-voor-leeftijd op te delen in groepen. Een z-score lager dan -2 betekent dat een kind een lager gewicht of BMI heeft of kleiner is dan de meeste kinderen. Een z-score hoger dan 2 betekent dat iemand een hoger gewicht of BMI heeft of langer is dan de meeste kinderen.

94,3% van alle kinderen met CF heeft een normale BMI in 2022, vorig jaar was dat 95% (Figuur 28). Er zijn enkele verschillen tussen de CF-kindercentra in de groep kinderen met een relatief lage BMI. De verschillen tussen de centra zijn klein.

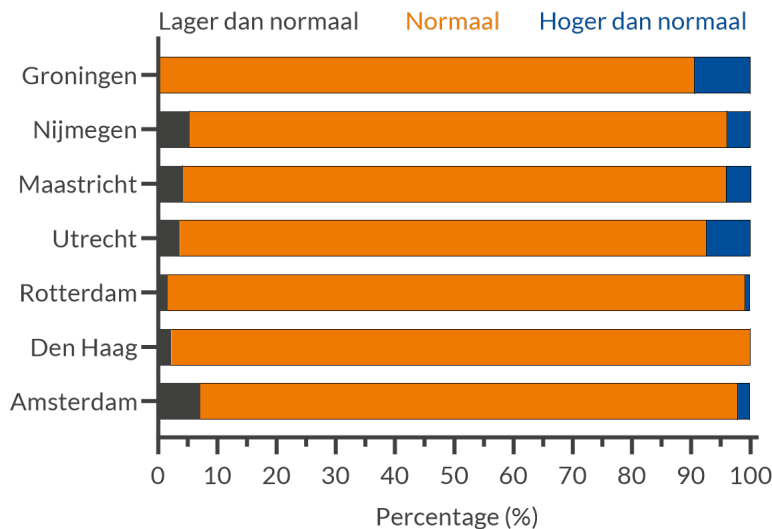
Bijna 95% van alle kinderen heeft een **normale** BMI



Figuur 28. BMI verdeling van alle kinderen met CF in 2022. Een normale BMI z-score ligt tussen -2 en 2. Lager dan normaal is kleiner dan -2, hoger dan normaal is hoger dan 2. De z-score is een gecorrigeerde waarde voor leeftijd en geslacht (en etniciteit).

Het gewicht is passend bij de leeftijd voor 92,6% van alle kinderen met CF in 2022, in 2021 gold dat voor 93,5%.

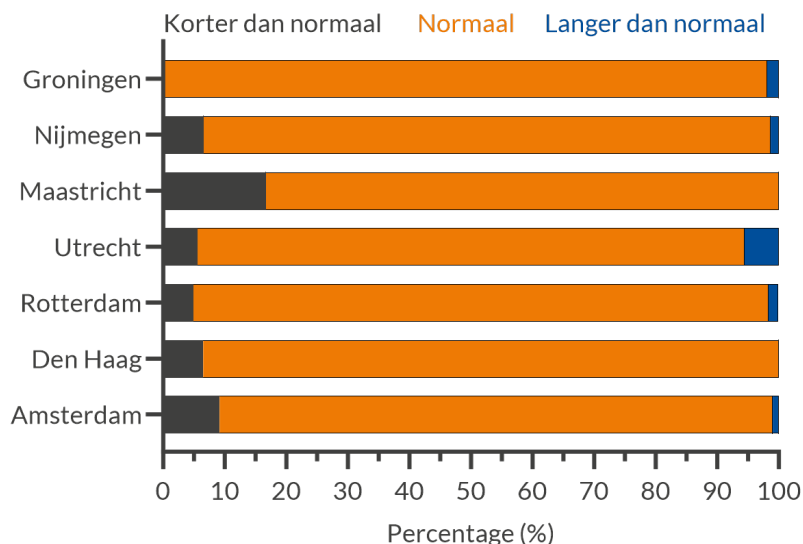
Ruim 90% van alle kinderen heeft een **normaal** gewicht



Figuur 29. Gewicht-voor-leeftijd verdeling van alle kinderen met CF in 2022. Een normale gewicht-voor-leeftijd z-score ligt tussen -2 en 2. Lager dan normaal is kleiner dan -2, hoger dan normaal is hoger dan 2. De z-score is een gecorrigeerde waarde voor leeftijd en geslacht (en etniciteit).

Van de kinderen met CF heeft 91,6% een normale lengte. In 2021 was dat nog 93,7% (Figuur 30). Er zijn enkele verschillen tussen de CF-kindercentra in de groep kinderen met een relatief korte lengte voor de leeftijd.

Ruim 90% van de kinderen heeft een **normale** lengte



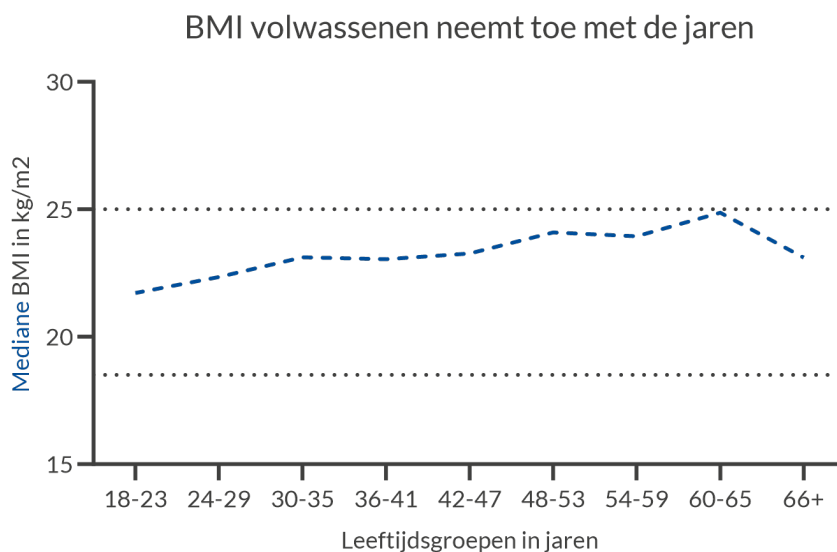
Figuur 30. Lengte-voor-leeftijd verdeling van alle kinderen met CF in 2021. Een normale lengte-voor-leeftijd z-score ligt tussen -2 en 2. Lager dan normaal is kleiner dan -2, hoger dan normaal is hoger dan 2. De z-score is een gecorrigeerde waarde voor leeftijd en geslacht (en etniciteit).

11. Lengte en gewicht van volwassenen

In dit hoofdstuk zijn de kenmerken van lengte en gewicht beschreven van volwassenen. Er zijn gegevens gebruikt van volwassenen met een bevestigde CF-diagnose zonder longtransplantatie.

a. Leeftijd en BMI van volwassenen

De mediane BMI van volwassenen is 22,8. Binnen elke leeftijdsgroep ligt dit getal ook binnen de gezonde waarden van 18,5-25 (Figuur 31). Over het algemeen is de BMI hoger bij de oudere volwassenen dan bij de jonge volwassenen.

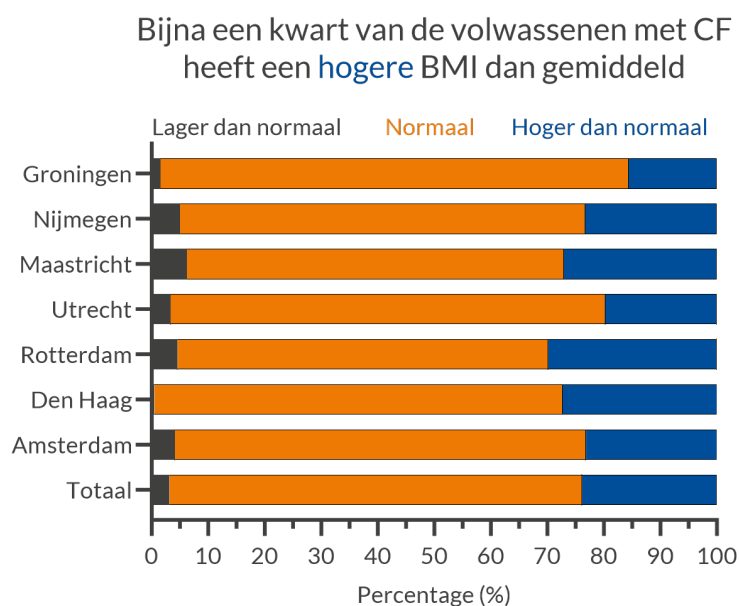


Figuur 31. *Mediane BMI van volwassenen met CF in 2022.*

b. BMI per volwassencentrum

De BMI-waardes kunnen ook gegroepeerd worden. Een BMI lager dan 18,5 wordt beschouwd als lager dan normaal. Een normale BMI valt in het gebied 18,5-25. Een BMI die hoger is dan normaal heeft een waarde van 25 of hoger.

In Figuur 32 zijn alle BMI-waardes van volwassenen met CF ingedeeld in drie groepen. Net als in 2021 heeft in 2022 bijna driekwart van de volwassenen een normale BMI (73,0%). Toch heeft er een verschuiving plaatsgevonden. Want 23,8% van de volwassenen heeft een BMI hoger dan normaal. In 2021 was dat nog 19%. De groep volwassenen met een BMI lager dan normaal is afgenomen van 7,5% in 2021 naar 3,2% in 2022.



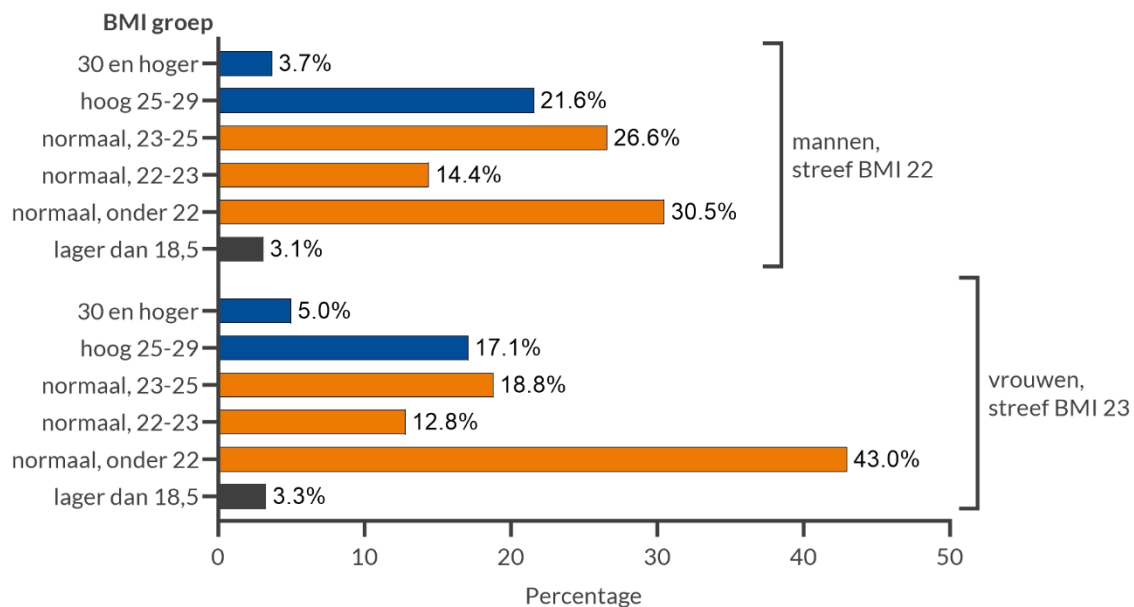
Figuur 32. BMI groepen per volwassencentrum in 2022. Een normale BMI is 18,5 of hoger, maar lager dan 25. Een lagere BMI dan normaal is lager dan 18,5. Een BMI hoger dan normaal is 25 of hoger.

c. Verschillen tussen mannen en vrouwen

In Figuur 33 zijn de BMI-groepen verder uitgesplitst tussen mannen en vrouwen. De BMI-waarde waarnaar gestreefd wordt, is hoger voor vrouwen dan voor mannen met CF. Maar vrouwen zijn over het algemeen lichter dan de mannen. En daarmee worden de verschillen groter. 33,6% van de mannen heeft een BMI onder de (internationale) streefwaarde van 22, in 2021 was dat nog 40,6%. Bij de vrouwen is het percentage vrouwen met een BMI onder de 22 hoger, 46,3%. Alleen is hun streef BMI 23 en het percentage dat daaronder zit is 59,1%. Vorig jaar zaten meer vrouwen onder de 23 (65,7%).

Bijna een kwart van de volwassenen heeft overgewicht: 22,1% van de vrouwen en 25,4% van de mannen heeft een BMI hoger dan 25. Dat is een verhoging t.o.v. 2021, toen was 16,5% van de vrouwen en 21,1% van de mannen zwaarder dan gemiddeld. Er zijn in totaal 39 volwassenen met CF (4,3%) die obesitas hebben (een BMI van 30 of hoger).

Bijna 25% van de mannen en vrouwen heeft **overgewicht**



Figuur 33. BMI groepen van volwassen mannen en vrouwen met CF in 2022.

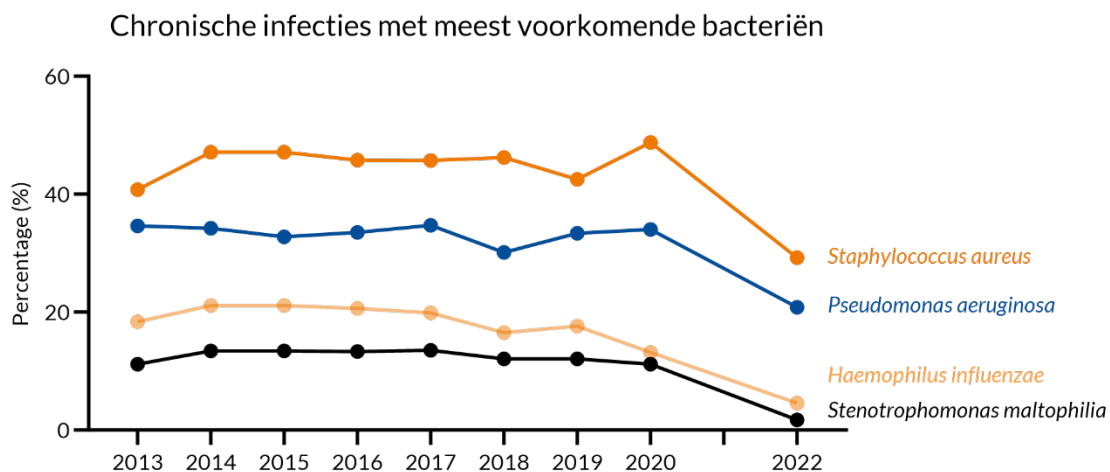
12. Bacteriën en schimmels

Mensen met CF hebben vaak infecties in de longen. Dit komt doordat bacteriën of schimmels in de longen komen en daar vast blijven zitten in het taaie slijm. Sommige bacteriën komen veel voor, andere zijn zeldzamer. In dit hoofdstuk wordt beschreven hoe vaak een longinfectie met een bacterie of een schimmel vóórkomt. De gebruikte gegevens zijn van alle mensen met CF, zonder longtransplantatie, van wie minstens één sputumkweek is gedaan.

a. Chronische en niet-chronische infecties

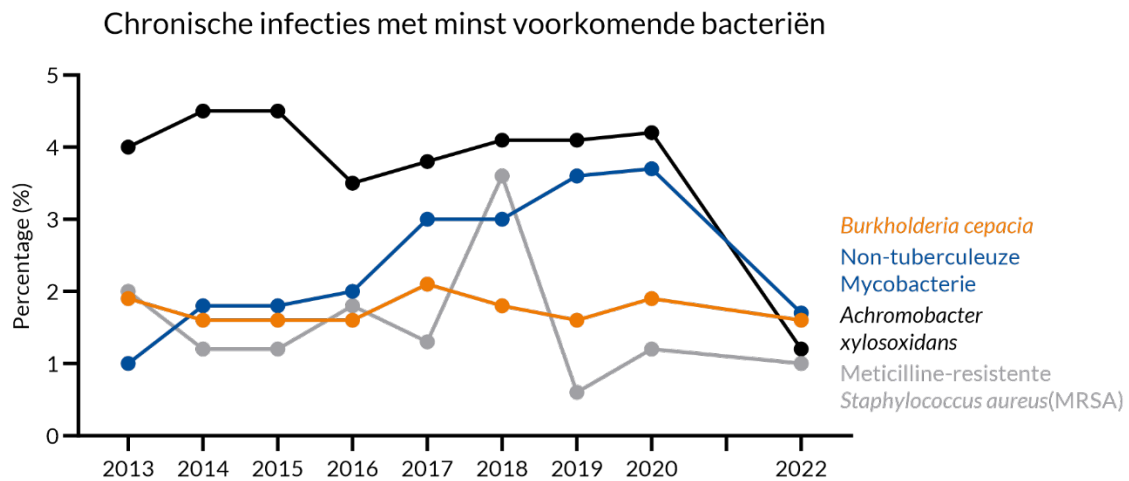
Sinds 2021 wordt in de registratie onderscheid gemaakt tussen chronische en niet-chronische infecties. In dit hoofdstuk laten we alleen de percentages chronische infecties zien, t.o.v. 2020. Het jaar 2021 wordt hier niet weergegeven en ook niet de niet-chronische infectiepercentages. Dit omdat in 2021 de datakwaliteit niet voldoende bleek te zijn.

In Figuur 34 is te zien welke veelvoorkomende bacteriën een infectie veroorzaakten bij mensen met CF in 2022. Hier is te zien dat bij alle weergegeven bacteriën het aantal chronische infecties is afgenomen in 2022. Dit betekent dat ze niet zijn gevonden bij de sputumkweeken. Maar dat wil niet per se zeggen dat deze bacteriën niet meer in de longen aanwezig zijn.



Figuur 34. Infecties van veelvoorkomende bacteriën bij mensen met CF in 2022. Gegevens van 2021 zijn niet meegenomen.

Er zijn ook bacteriën die minder vaak (in 2022 bij gemiddeld 1-2%) een infectie veroorzaken bij mensen met CF (Figuur 35).



Figuur 35. Infecties van weinig voorkomende bacteriën bij mensen met CF in 2022. Gegevens van 2021 zijn niet meegenomen.

b. Schimmelinfecties in de longen

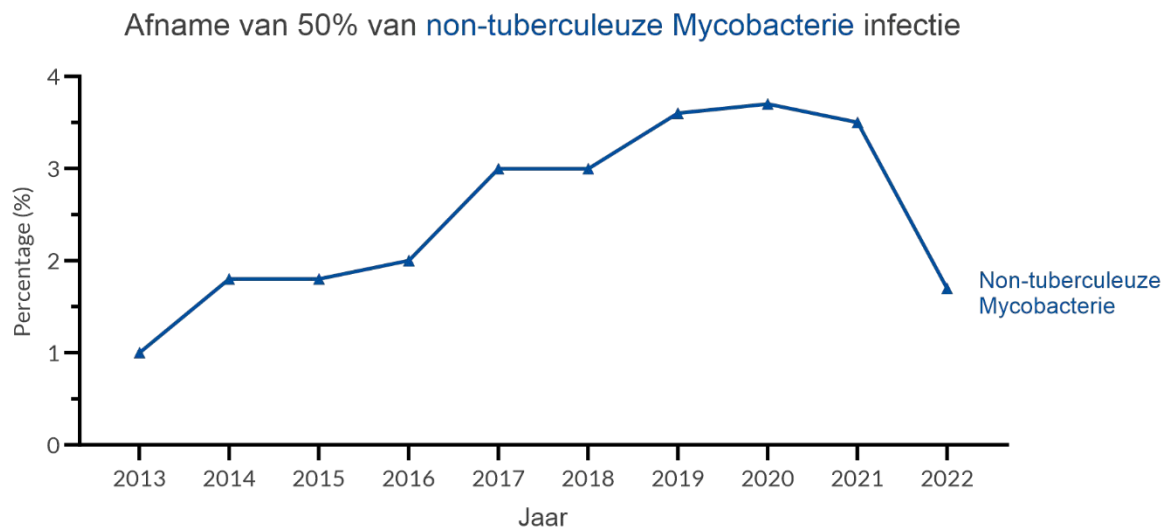
Sinds 2021 wordt meer in detail geregistreerd of mensen met CF zijn getest op schimmelinfecties in de longen. Van alle 1514 mensen met CF zonder longtransplantatie, is in 2022 bij 67,4% enkel negatieve kweken gevonden bij het testen op schimmelinfecties. Bij 6,7% is er niet gescreend of is het onbekend of er is gescreend. Bij 25,9% van de groep is er minstens één positieve kweek gevonden (27,9% van de kinderen en 24,7% van de volwassenen).

Van de 392 mensen met CF waarbij minstens één positieve schimmelkweek is gevonden in 2022, had 65,8% de schimmel *Aspergillus fumigatus* in de longen. Dit kwam vaker voor bij de volwassenen (87,0%) dan bij de geteste kinderen (35,4%). De schimmelsoorten *Scedosporium* zijn gevonden bij 5,4% van de geteste mensen (3,1% van de kinderen en 6,9% van de volwassenen).

c. Non-tuberculeuze mycobacteriën (NTM)

In 2022 heeft 1,7% van de mensen met CF een infectie met een NTM (Figuur 36). De laatste acht jaar was dat percentage hoger. In 2021 ging het nog om 3,5%.

Vanaf 2020 wordt geregistreerd welk type NTM mensen met CF hebben in hun sputumkweek. De bedoeling is om dit de komende jaren specifiek te testen en te blijven volgen. De reden is dat een infectie met een NTM erg lastig te behandelen is en dat de incidentie steeds meer toenam over de jaren. In 2022 hebben 23 mensen een NTM in minstens één sputumkweek. Tien mensen hebben het type NTM abscessus, elf een type uit het NTM avium complex en de overige mensen hebben een andere variant.



Figuur 36. Percentages infectie met de non-tuberculeuze Mycobacterie (NTM) van 2013-2022.

d. Coronavirus bij mensen met CF

Begin 2020 verspreidde het coronavirus Sars-CoV-2 zich over de wereld en kwam het ook in Nederland. In de registratie is gerapporteerd dat 283 mensen met CF positief zijn getest voor het coronavirus in 2022, dat is 18,5% van de hele groep. Dit is waarschijnlijk een onderschatting, want bij 689 mensen zijn hierover geen gegevens bekend. Of iemand corona heeft gehad wordt namelijk niet standaard uitgevraagd.

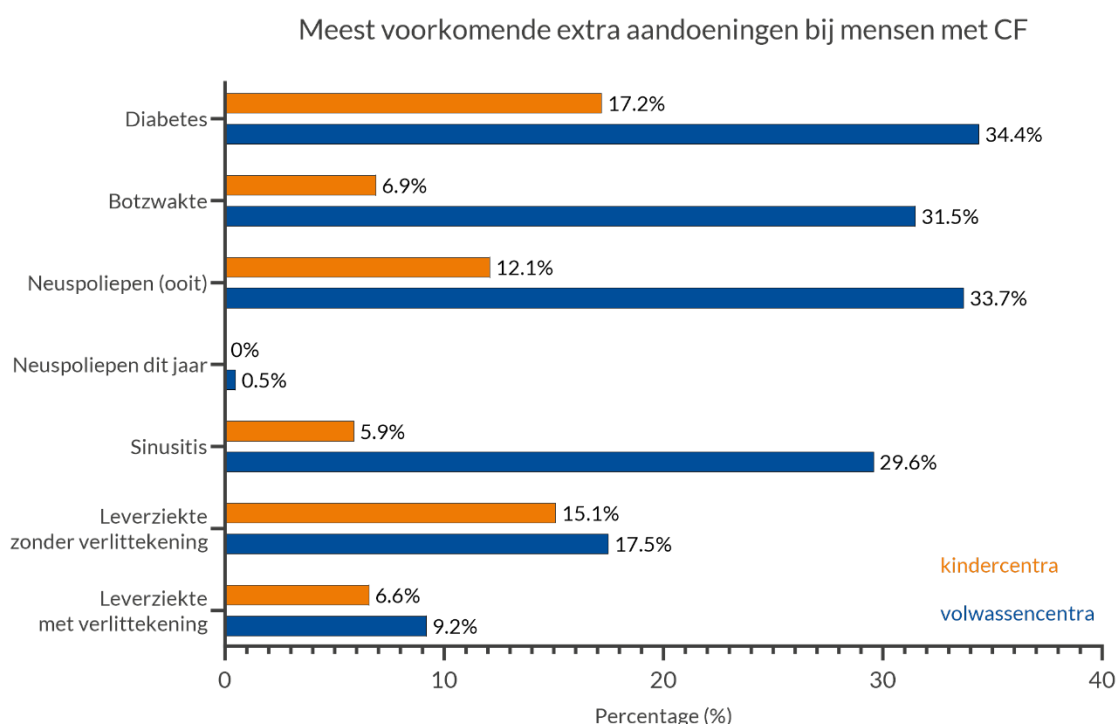
13. Extra aandoeningen bij CF

Mensen met CF hebben vaak extra aandoeningen, comorbiditeiten genoemd. In dit hoofdstuk is te zien hoeveel mensen welke extra aandoening hebben in 2022. Gegevens zijn gebruikt van mensen met CF zonder longtransplantatie die in 2022 gezien/gesproken zijn door een CF-centrum. In totaal zijn er gegevens bekend van 1513 mensen: 577 kinderen en 936 volwassenen.

In de Nederlandse CF registratie worden veel extra aandoeningen bijgehouden. Voor het overzicht in dit rapport zijn ze opgesplitst in vier groepen: meest voorkomend, veel voorkomend, weinig voorkomend en meest zeldzame extra aandoeningen. Vrijwel alle extra aandoeningen komen steeds meer voor met het toenemen van de leeftijd. Volwassenen hebben daarom vaker één of meerdere extra aandoeningen dan kinderen.

a. Meest voorkomende extra aandoeningen

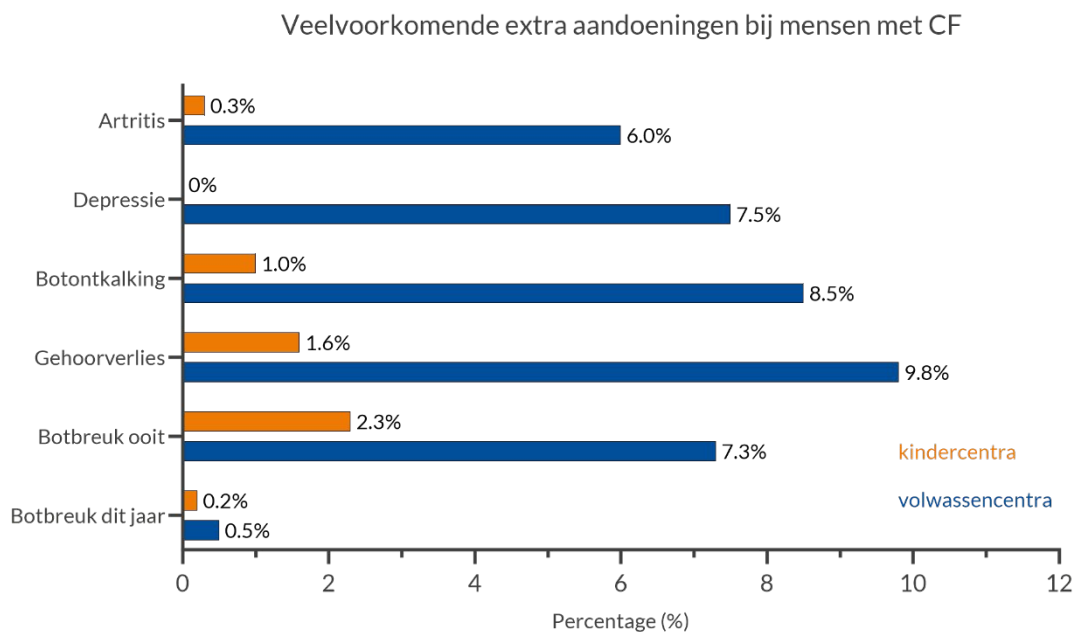
In Figuur 37 zijn de meest voorkomende extra aandoeningen te zien van 2022. De meest voorkomende extra aandoening is CF-gerelateerde diabetes (CFRD). Sinds 2021 wordt ook de type behandeling van CFRD uitgevraagd: de meeste mensen krijgen insuline (77,9% van alle mensen met CFRD), 16,6% kreeg enkel dieetadvies en de overige 5,5% kreeg orale middelen voorgeschreven of de behandeling is niet gespecificeerd.



Figuur 37. Meest voorkomende extra aandoeningen van mensen met CF in 2022.

b. Veel voorkomende extra aandoeningen

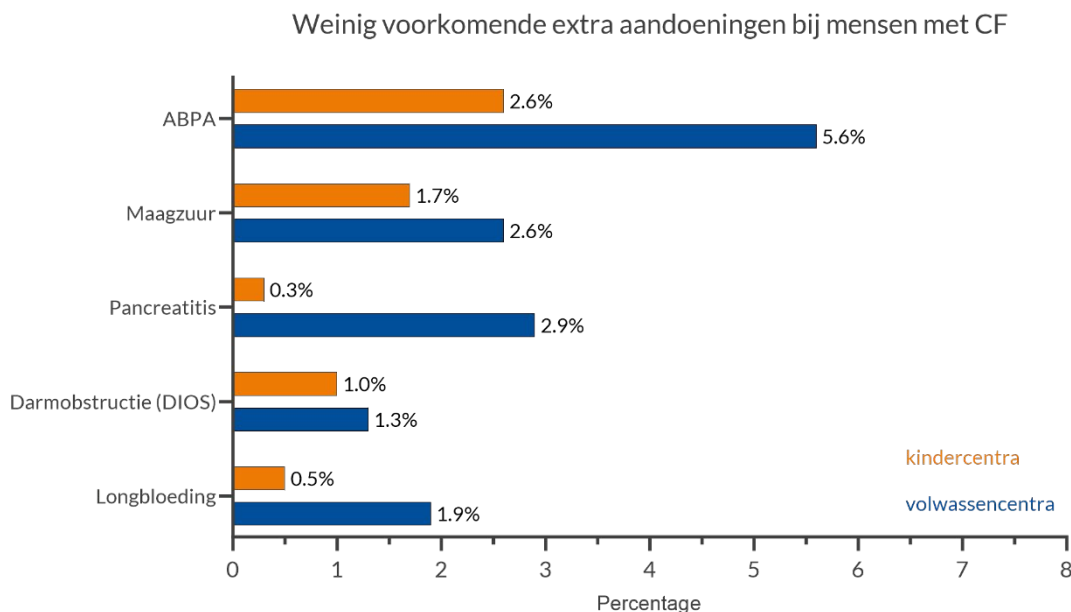
Andere extra aandoeningen komen bij ongeveer 5-10% van de volwassenen voor, maar minder bij kinderen (Figuur 38). De cijfers zijn vergelijkbaar met 2021, behalve dat er in 2022 geen depressie bij kinderen is geregistreerd.



Figuur 38. Veelvoorkomende extra aandoeningen van mensen met CF in 2022.

c. Weinig voorkomende extra aandoeningen

Sommige aandoeningen komen voor bij minder dan 5% van de volwassenen en kinderen (Figuur 39). In vergelijking met 2021 is in 2022 minder vaak melding gemaakt van darmobstructies en maagzuur bij volwassenen. Daarnaast zijn er in 2022 veel minder volwassenen met een longbloeding t.o.v. 2021, toen dat percentage nog rond de 5% lag. Ook blijkt dat een ABPA (een allergische reactie van de luchtwegen op de schimmel *Aspergillus fumigatus*) bij minder mensen voorkomt in 2022. In 2021 was dat nog rond de 5% voor de hele groep.



Figuur 39. Weinig voorkomende extra aandoeningen van mensen met CF in 2022. ABPA is een allergische reactie van de luchtwegen op de schimmel *Aspergillus fumigatus* en staat voor allergische bronchopulmonale aspergillose.

Bij vijf mensen is in 2022 een vorm van kanker ontdekt. Bij 35 mensen is eerder een vorm van kanker ontdekt. Teelbalkanker en dikke darmkanker werden het vaakst ontdekt. Het zijn met name volwassenen die kanker kregen. Om hoeveel volwassenen en kinderen het precies gaat wordt hier niet beschreven, daarvoor zijn de getallen te klein (en daarmee persoonlijk en herleidbaar).

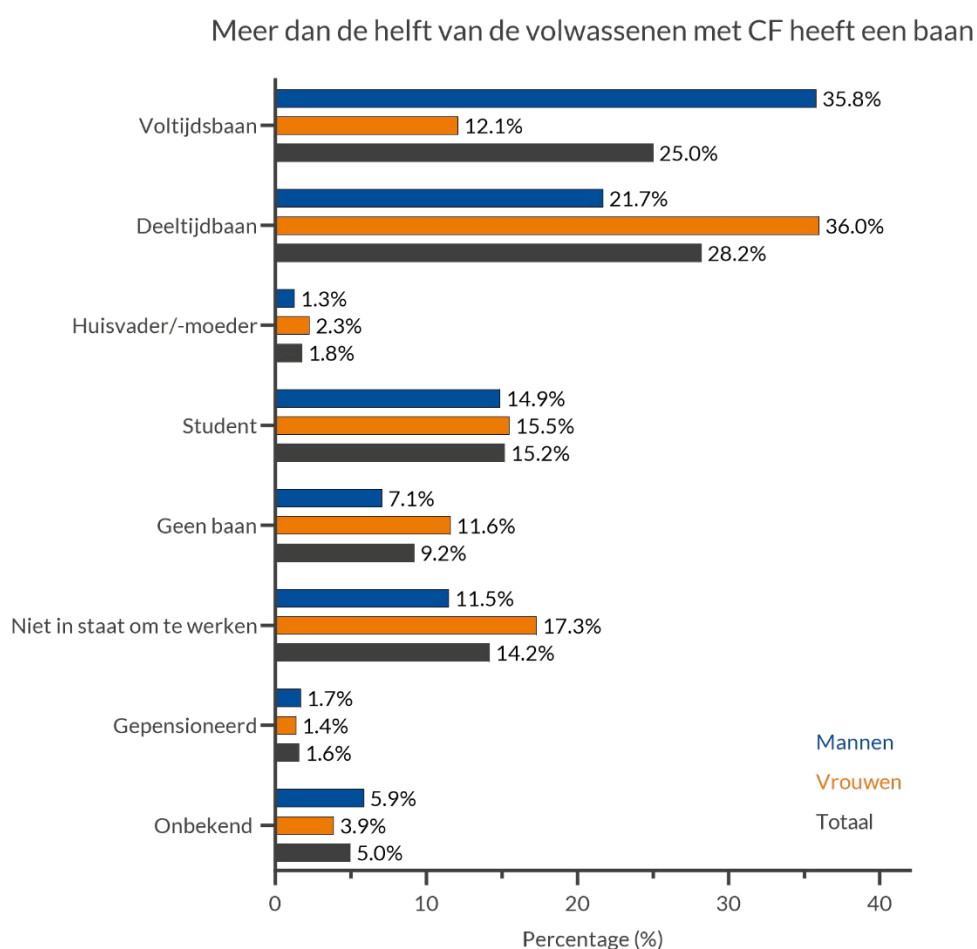
Naast de genoemde extra aandoeningen zijn er nog een aantal die bij een handvol kinderen en/of volwassenen voorkomen: maagbloedingen, nierfalen, rectale prolaps (waarbij een stukje darm naar buiten puilt) en klaplong.

14. Werk en gezin

Voor veel mensen met CF is het niet vanzelfsprekend om te studeren en/of te werken. In dit hoofdstuk is te zien hoeveel mensen met CF een baan hebben of juist niet in staat zijn om te werken. Ook is hier informatie te vinden over het aantal zwangerschappen bij vrouwen met CF. Er zijn alleen gegevens gebruikt van mensen met CF die in volwassencentra worden behandeld en niet eerder een longtransplantatie hebben ondergaan. Een extra voorwaarde is dat ze met het CF-centrum contact hebben gehad in 2022.

a. Werk/maatschappelijk aandeel

In totaal zijn 964 volwassenen met CF, zonder longtransplantatie, in 2022 gezien of gesproken door één van de ziekenhuizen. Meer dan de helft van de mensen met CF heeft een baan, thuis of elders, net als in 2021 (Figuur 40). Verder is te zien dat meer mannen dan vrouwen een baan hebben. Van beide groepen zijn meer mensen voltijds aan het werk (22,7% in 2021). Het is belangrijk om te vermelden dat vrijwilligerswerk niet wordt opgenomen in de registratie. Het gaat hier dus om een beperkte weergave van het aandeel van mensen met CF in de maatschappij.



Figuur 40. Rollen van mensen met CF in de maatschappij in 2022.

b. Zwangerschappen

In 2022 waren 25 vrouwen zwanger, van de 445 volwassen vrouwen met CF (zonder longtransplantatie). Van deze groep kregen 21 vrouwen elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor voorgeschreven aan het einde van 2022, de anderen niet. Het aantal zwangerschappen was niet eerder zo hoog. In 2021 waren er 17 vrouwen met CF in verwachting, in de jaren daarvoor fluctueerde dit getal tussen de 5 en 18.

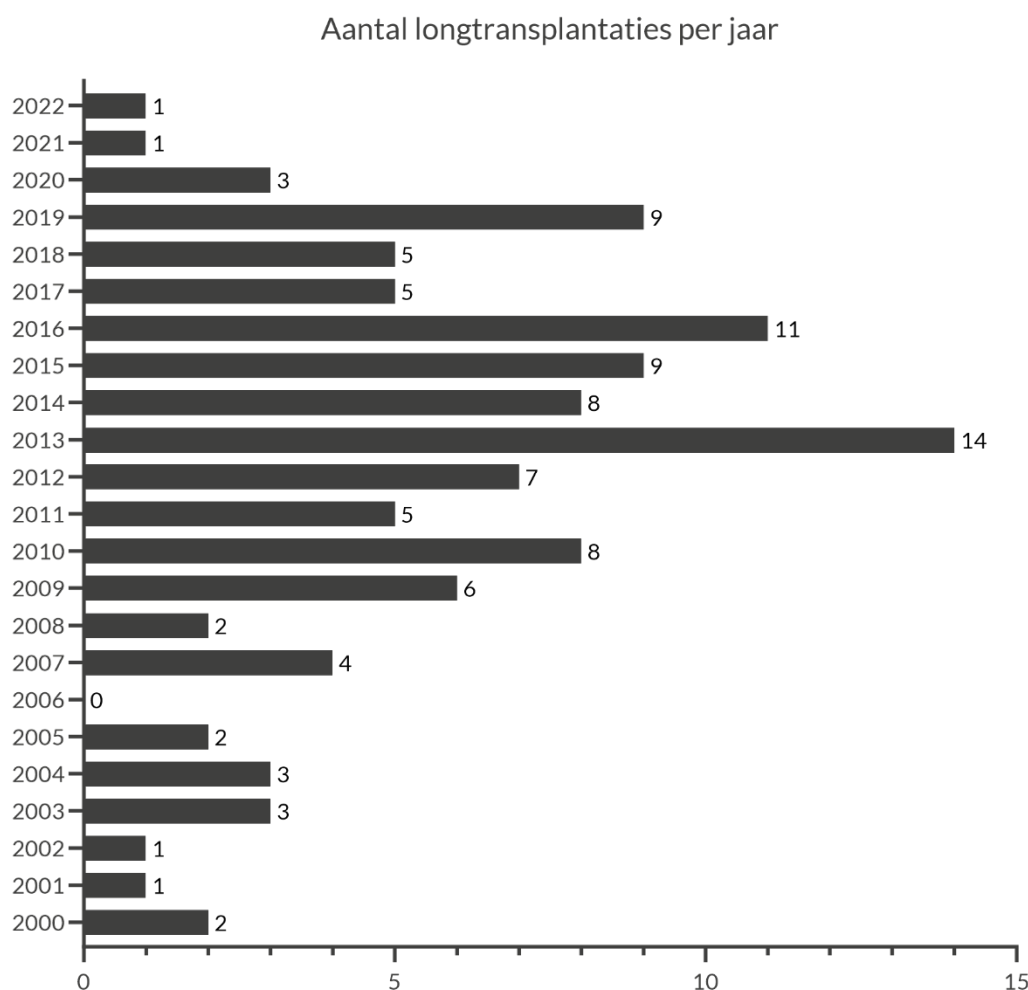
In totaal, sinds het bijhouden van de registratie in 2007, zijn 116 zwangerschappen genoteerd. 110 keer werd een levende en levensvatbare baby geboren, in de andere gevallen was er sprake van een miskraam of abortus.

15. Mensen met een longtransplantatie

In dit hoofdstuk zijn gegevens opgenomen van mensen met CF én een longtransplantatie. Ook zijn ze tenminste één keer gezien/gesproken dit jaar. Van 110 volwassenen staan gegevens in de registratie.

a. Door de jaren heen

In Figuur 41 is per jaar te zien hoeveel mensen met CF donorlongen hebben ontvangen. Sinds 2020 zijn transplantaties van de longen zeldzaam. Van de mensen die nogmaals een longtransplantatie hebben ondergaan, is alleen het meest recente transplantatiejaar gebruikt.



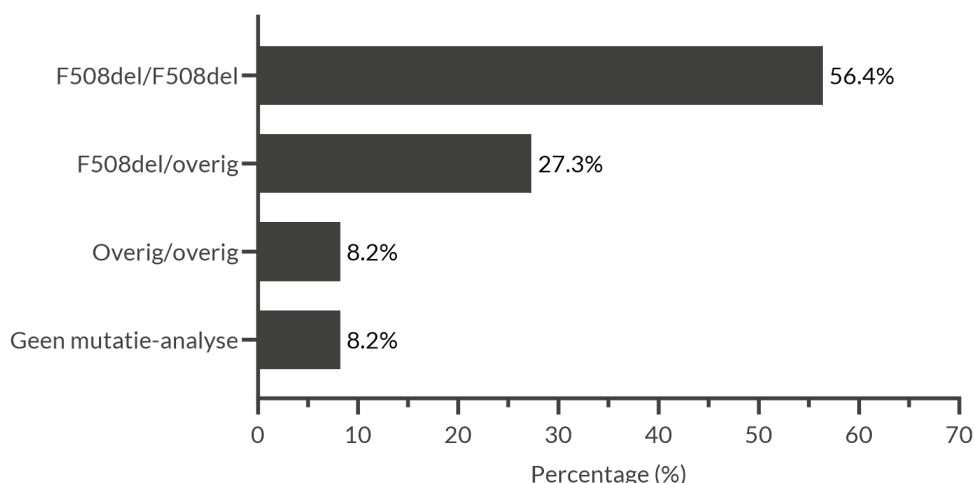
Figuur 41. Longtransplantaties bij mensen met CF, weergegeven per jaar. Sommige mensen hebben nogmaals een longtransplantatie ondergaan, in die gevallen is het meest recente jaar van transplantatie aangehouden.

b. Demografie

Van de 110 mensen met CF en een longtransplantatie is 55,5% man. Eén persoon heeft in 2022 donorlongen ontvangen. Acht mensen zijn in 2022 overleden.

In Figuur 42 is te zien dat de meeste mensen (83,7%) tenminste één F508del-mutatie hebben.

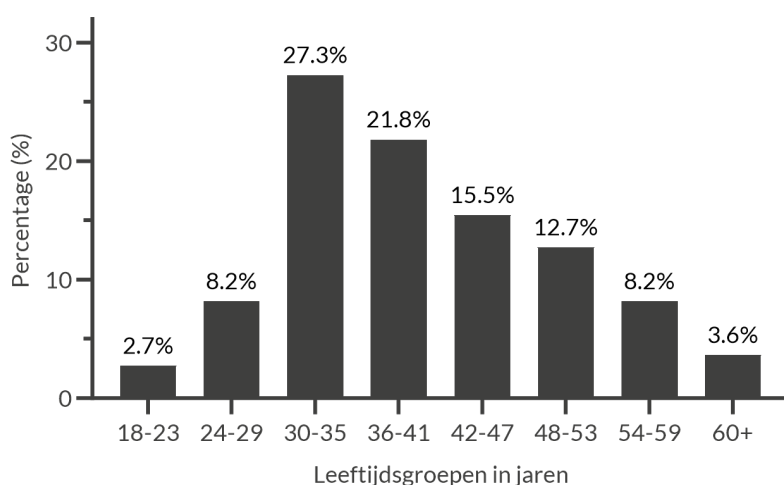
Meeste longgetransplanteerde mensen hebben minstens één F508del-mutatie



Figuur 42. Mutatieverdeling van mensen met CF en een longtransplantatie.

Van alle longgetransplanteerde mensen met CF is 49,1% tussen de 30 en 41 jaar oud (Figuur 43). Bijna een kwart is 48 jaar of ouder. Tussen mannen en vrouwen is er een verschil in leeftijd: de helft van de mannen is in 2022 ouder dan 41,8 jaar (dat was 40,8 jaar in 2021). Bij de vrouwen is die mediane waarde lager: 35,5 jaar (in 2021 was dat 35,2 jaar). De helft van de mensen met donorlongen is ouder dan 39,7 jaar, de andere helft is jonger (dit is de mediane waarde).

Bijna de helft van de longgetransplanteerden is 30-41 jaar oud

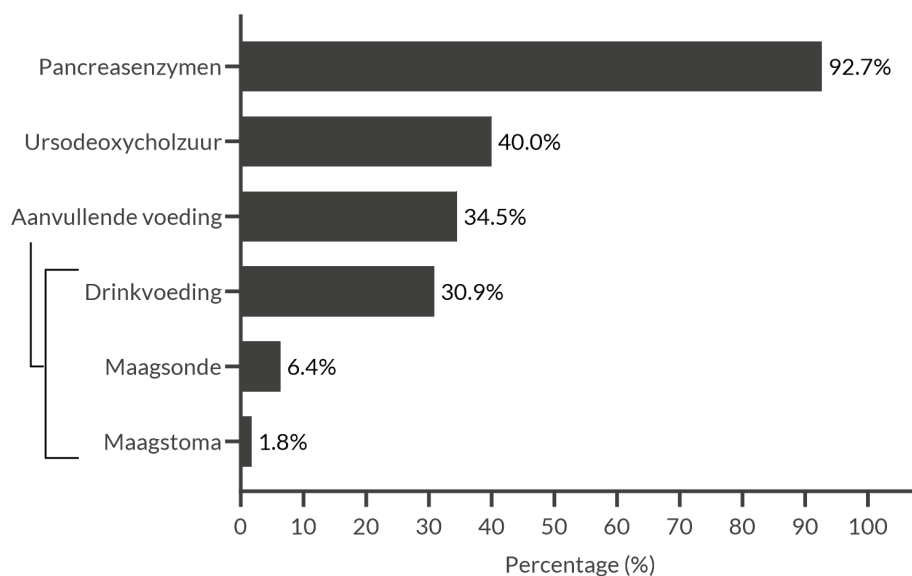


Figuur 43. Leeftijdverdeling van mensen met CF en een longtransplantatie in 2022. Leeftijd is verdeeld per 6 jaar.

c. Medicijnen

Bijna alle mensen die een longtransplantatie ondergingen, gebruiken pancreasenzymen, volgens de gegevens van 2022 (Figuur 44). Meer dan 30% heeft aanvullende voeding nodig, voornamelijk in de vorm van drinkvoeding, vorig jaar was dit percentage nog net iets lager dan 30%.

Bijna alle longgetransplanteerden gebruiken pancreasenzymen

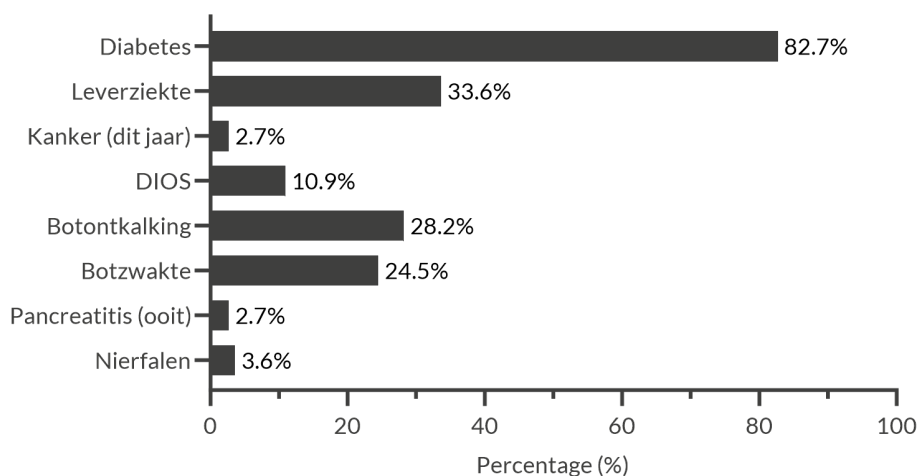


Figuur 44. Behandeling van maagdarmklachten van mensen met CF en een longtransplantatie in 2022.

d. Extra aandoeningen

Mensen met CF en een longtransplantatie hebben vaak nog andere, extra aandoeningen (net zoals mensen met CF zonder longtransplantatie). Meer dan 80% van alle longgetransplanteerden heeft diabetes (Figuur 45). Ten opzichte van vorig jaar zijn bij meer mensen botzwakte, leverziekte en DIOS (darmverstopping) gemeld.

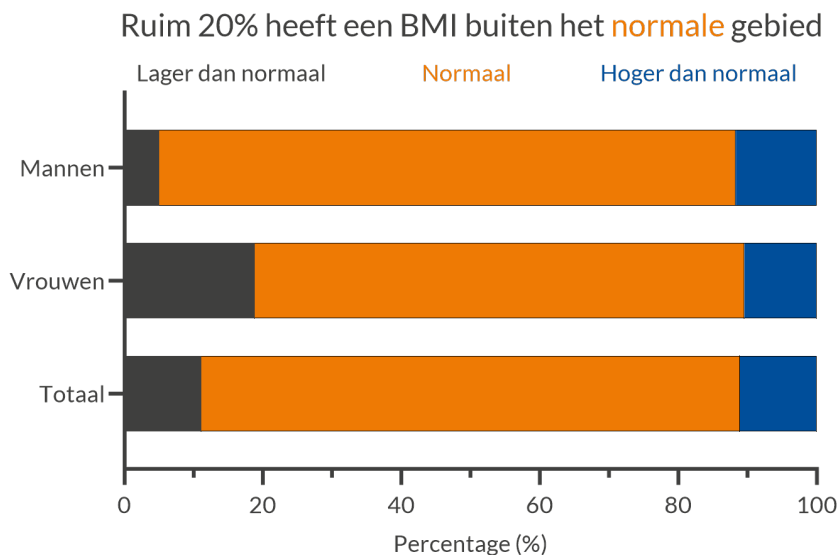
Diabetes meest voorkomende extra aandoening bij longgetransplanteerden



Figuur 45. Extra aandoeningen bij mensen met CF en een longtransplantatie, volgens de gegevens van 2022. DIOS is een ernstige darmverstopping.

e. Lengte en gewicht

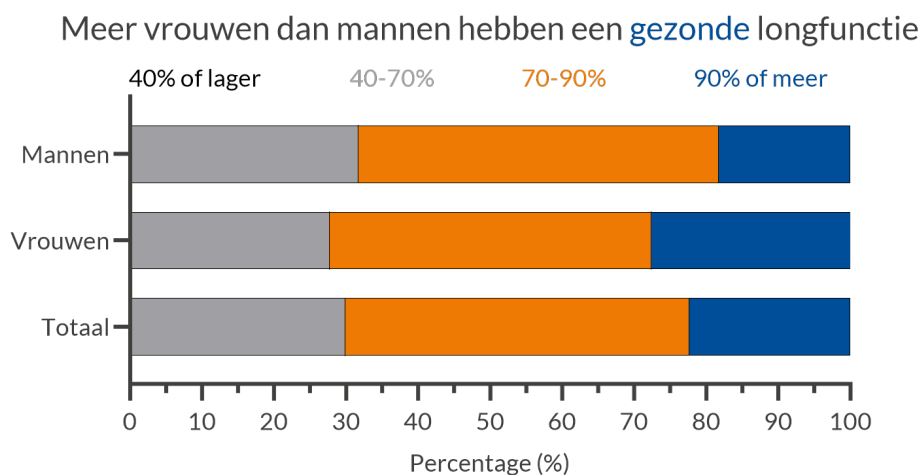
De meeste mensen met een longtransplantatie hebben een normale BMI (Figuur 46). Ruim 20% heeft een BMI die hoger of lager is dan normaal, net als in 2021. De helft van de vrouwen heeft een BMI hoger dan 20,7. Bij de mannen is die mediane waarde 21,7.



Figuur 46. BMI van mannen en vrouwen met CF en een longtransplantatie in 2022, verdeeld in drie groepen. Een normale BMI is 18,5 of hoger, maar lager dan 25.

f. Longfunctie

Van 107 (van de in totaal 110) mensen is geregistreerd wat de beste longfunctie (FEV1% van voorspeld) is in 2022. De helft van de vrouwen heeft een longfunctie hoger dan 80,1%. Bij de mannen is deze mediane waarde 77,1%. Voor de hele groep is dat 77,8%. Meer vrouwen dan mannen hebben een normale longfunctie van 90% of hoger (Figuur 47).



Figuur 47. Longfunctie van mannen en vrouwen met CF met een longtransplantatie in 2022.

g. Andere transplantaties

Sommige mensen met een longtransplantatie hebben ook andere orgaantransplantaties ondergaan. In de totale groep zijn ook drie levertransplantaties gedaan, vijf niertransplantaties (waarvan twee in 2022) en twee andere transplantaties.

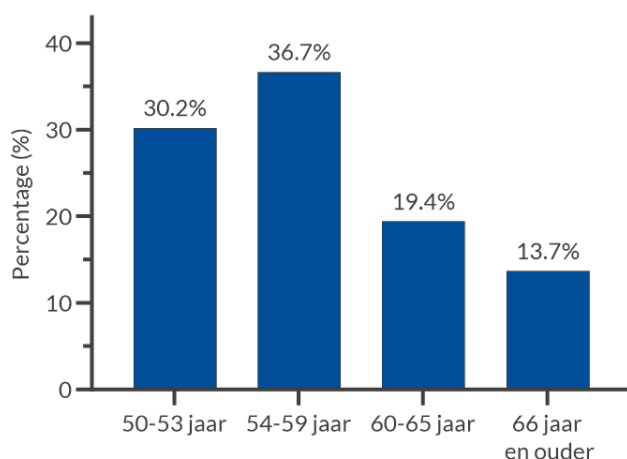
16. 50+ en CF

Steeds meer mensen met CF worden ouder dan 50 jaar. In de registratie zijn gegevens opgenomen van 159 50-plussers met CF die gezien/gesproken zijn door het behandelend ziekenhuis volgens de gegevens van 2022. Van de 159 mensen hebben 20 mensen een longtransplantatie ondergaan. Zij worden in dit hoofdstuk niet meegenomen omdat variabelen zoals longfunctie anders uitvallen en omdat geneesmiddelbehandeling ook anders is voor longgetransplanteerden.

a. Leeftijd en mutatie, aantal per centrum

Er zijn 139 mensen met CF, zonder longtransplantatie, met een leeftijd van 50 jaar of hoger. De meeste mensen zijn 54-59 jaar (36,7% t.o.v. 32,0% in 2021, Figuur 48). Meer dan 30% is 60 jaar of ouder, en een handvol is ouder dan 70 jaar in 2022.

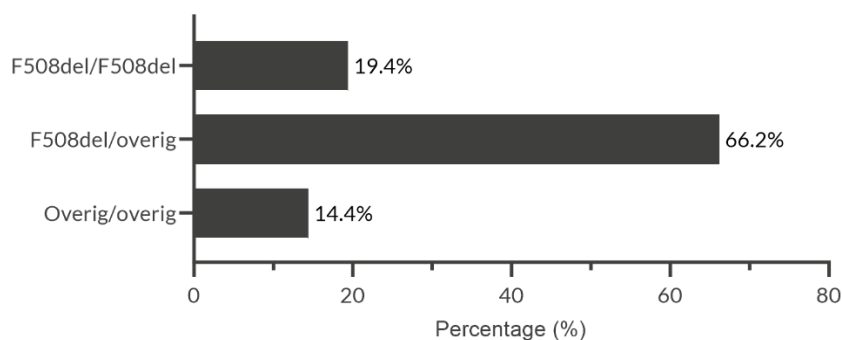
Meer dan 30% van de 50-plussers is 60 jaar of ouder



Figuur 48. Leeftijdsverdeling van mensen met CF, zonder longtransplantatie en met een leeftijd van 50 jaar of ouder in 2022.

De mutatiecombinatie F508del/F508del komt bij 50-plussers minder vaak voor (minder dan 20%, Figuur 49) dan in de hele groep mensen met CF in Nederland (54,5%, pagina 16). Toch heeft 85,6% van de 50-plussers minstens één F508del-mutatie.

Ruim 85% van de 50-plussers heeft minstens één F508del-mutatie



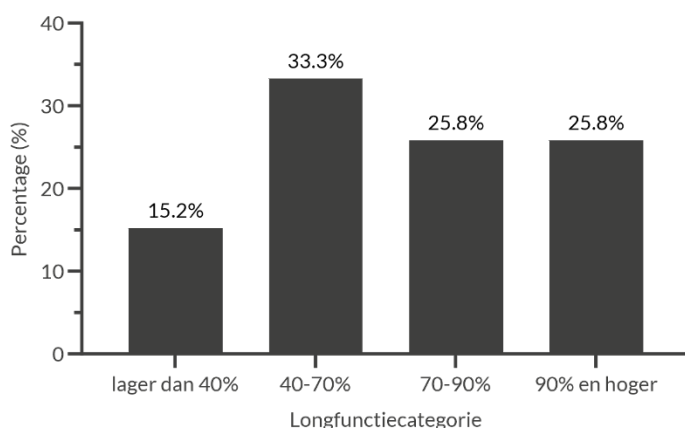
Figuur 49. Mutatieverdeling van 50-plussers met CF in 2022.

b. Longfunctie

De helft van de 50-plussers heeft een longfunctie van 71,6%, in 2021 was dit nog 67,8%. De vrouwen hebben, op groepsniveau, een hogere mediane FEV1% dan de mannen (72,6% vs. 68,0%).

De meeste 50-plussers hebben een longfunctie die valt in de categorie 40-70% (Figuur 50). 25,8% heeft een gezonde longfunctie van 90% of hoger, in 2021 was dat nog 22,2%.

Eén derde van 50-plussers heeft een longfunctie van 40-70%

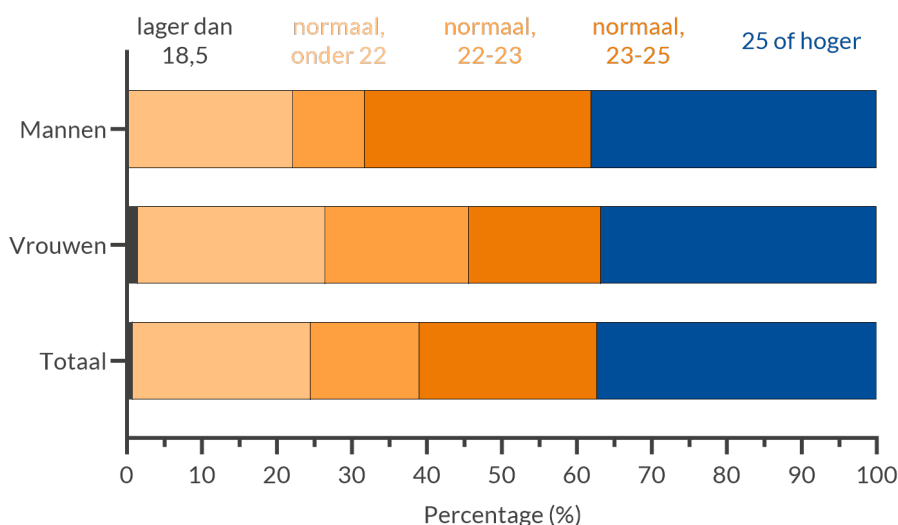


Figuur 50. Longfunctie van 50-plussers met CF, zonder longtransplantatie, in 2022. Uitgesplitst in longfunctiegroepen.

c. BMI

In Figuur 51 is te zien dat ruim een derde van de 50-plussers overgewicht heeft: 37,4% heeft een BMI van 25 of hoger. Hiervan heeft 22,4% obesitas (ernstig overgewicht met een BMI van 30 of meer). Ondergewicht (BMI lager dan 18,5) komt amper voor, terwijl dat vorig jaar nog wel zo was.

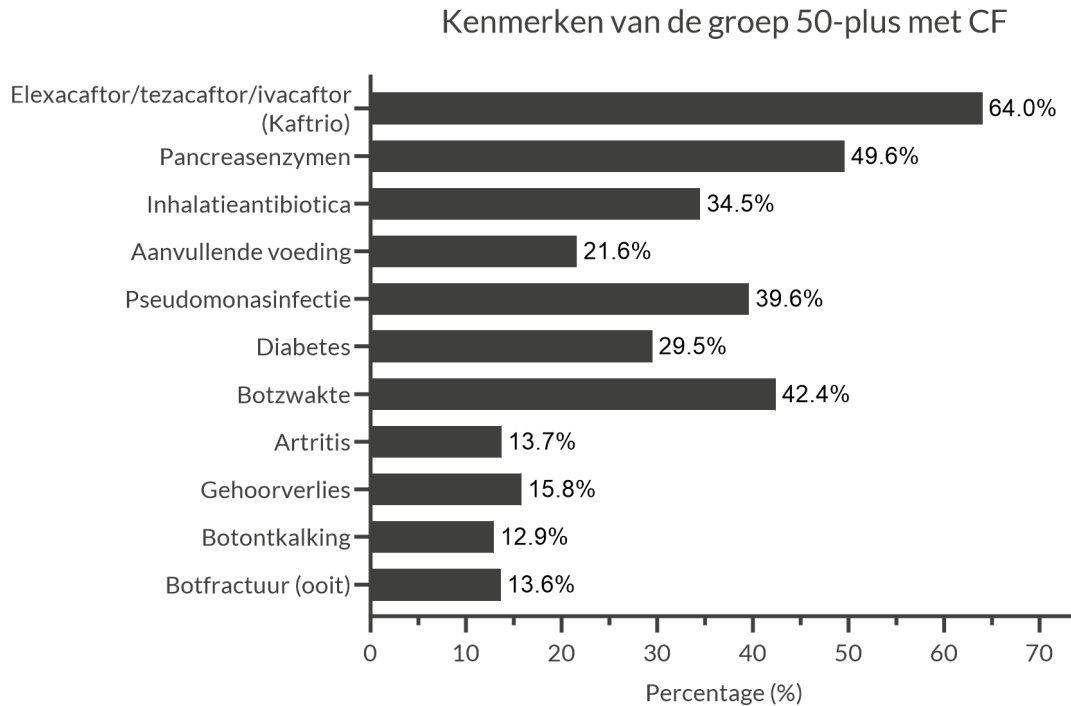
Ruim één derde van 50-plussers heeft **overgewicht**



Figuur 51. BMI groepen van 50-plussers met CF in 2022.

d. Behandeling, extra aandoeningen

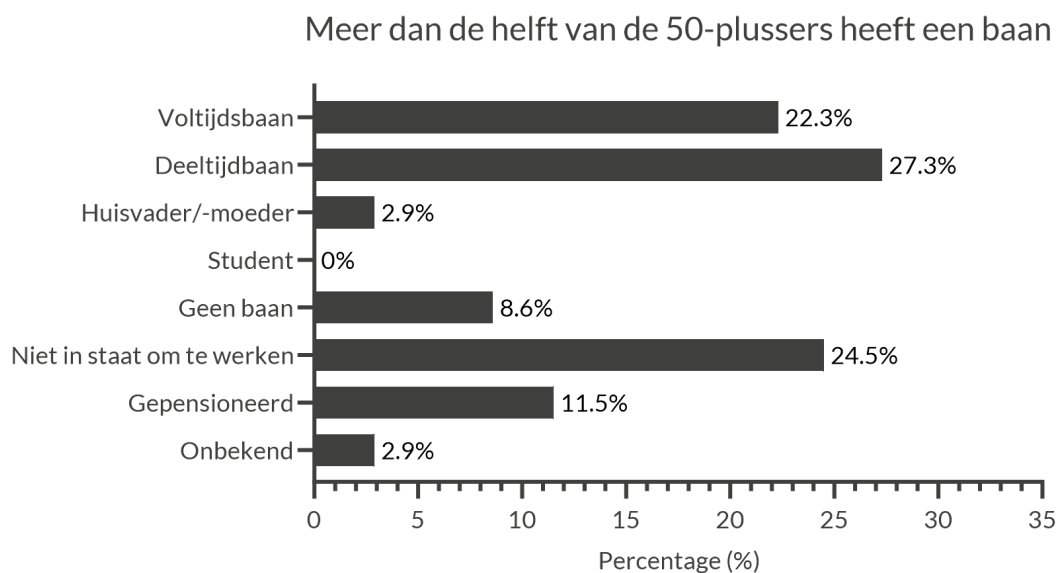
Ongeveer de helft van de 50-plussers gebruikt pancreasenzymen (Figuur 52). Dat is minder dan in de hele groep mensen met CF in Nederland (zo'n 80%, Figuur 21). Andere kenmerken van deze groep staan ook in Figuur 52 vermeld, zoals dat bijna twee derde van de mensen elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio) voorgeschreven kreeg. In vergelijking met 2021 is er minder aanvullende voeding en inhalatieantibiotica geregistreerd, maar juist meer botzwakte en botontkalking.



Figuur 52. Diverse kenmerken van 50-plussers met CF, zonder longtransplantatie, in 2022. Behandeling, infectie en extra aandoeningen zijn weergegeven in percentages. Pseudomonasinfectie is chronisch en niet-chronisch samen. Diabetes is een combinatie van alle type behandelingen.

e. Werk

Veel 50-plussers zetten zich maatschappelijk in (Figuur 53). Ongeveer de helft heeft een deeltijd- of voltijdsbaan. Toch is ook 24% niet in staat om te werken. Meer dan 11% is inmiddels gepensioneerd, in 2021 was dat nog minder dan 10%. Niet alle maatschappelijke inzet wordt hier weergegeven. Vrijwilligerswerk wordt bijvoorbeeld niet geregistreerd.



Figuur 53. Rollen van 50-plussers met CF in de maatschappij in 2022.

17. Kwaliteit van zorg

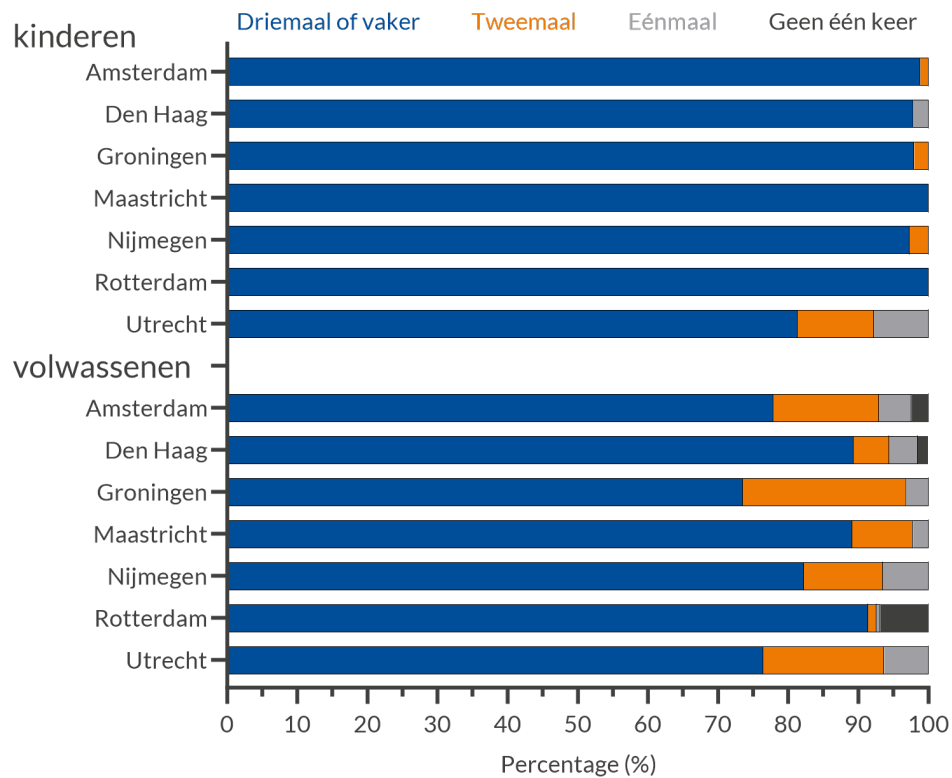
De NCFS verzamelt al vijftien jaar gegevens in de Nederlandse CF registratie om iets te kunnen zeggen over de kwaliteit van de zorg die de CF-centra leveren. De kwaliteit van de zorg is een belangrijk onderwerp.

In dit hoofdstuk is de set van gegevens te vinden zoals die al jaren wordt geanalyseerd. Per 2021 heeft de stuurgroep van de registratie besloten om meer kenmerken weer te geven, om meer informatie te bieden over de kwaliteit van zorg. Daarnaast is het ook belangrijk om na te denken over de manier waarop de zorg het beste ingericht kan worden. De gezondheid van mensen met CF is verbeterd, zeker van de jongere generatie. Het lijkt bijvoorbeeld niet meer voor iedereen nodig om vier keer per jaar naar het CF-centrum te komen (dit is één van de kenmerken uit de 'oude set'). Daarnaast is sinds de coronapandemie (2020-2022) duidelijk geworden dat veel zorg op afstand geleverd kan worden.

In dit hoofdstuk zijn diverse kenmerken uitgesplitst per CF-centrum. Gegevens zijn gebruikt van alle mensen met een bevestigde CF-diagnose, zonder longtransplantatie. Ook moeten ze het hele jaar gezien zijn (wat betekent dat ze niet zijn overgegaan naar een ander CF-centrum of later in het jaar zijn binnengekomen na het stellen van de diagnose). In totaal gaat het om 1466 mensen. Voor longfunctiemetingen en de glucosetolerantietest gelden nog extra voorwaarden.

Eén van de kenmerken in de set is hoe vaak mensen met CF een poliklinische afspraak hebben. De meeste mensen (87,1%) zijn in 2022 minstens drie keer op polibezoek geweest (Figuur 54). Van de kinderen is 94,6% drie keer of meer geweest, van de volwassenen 82,7%.

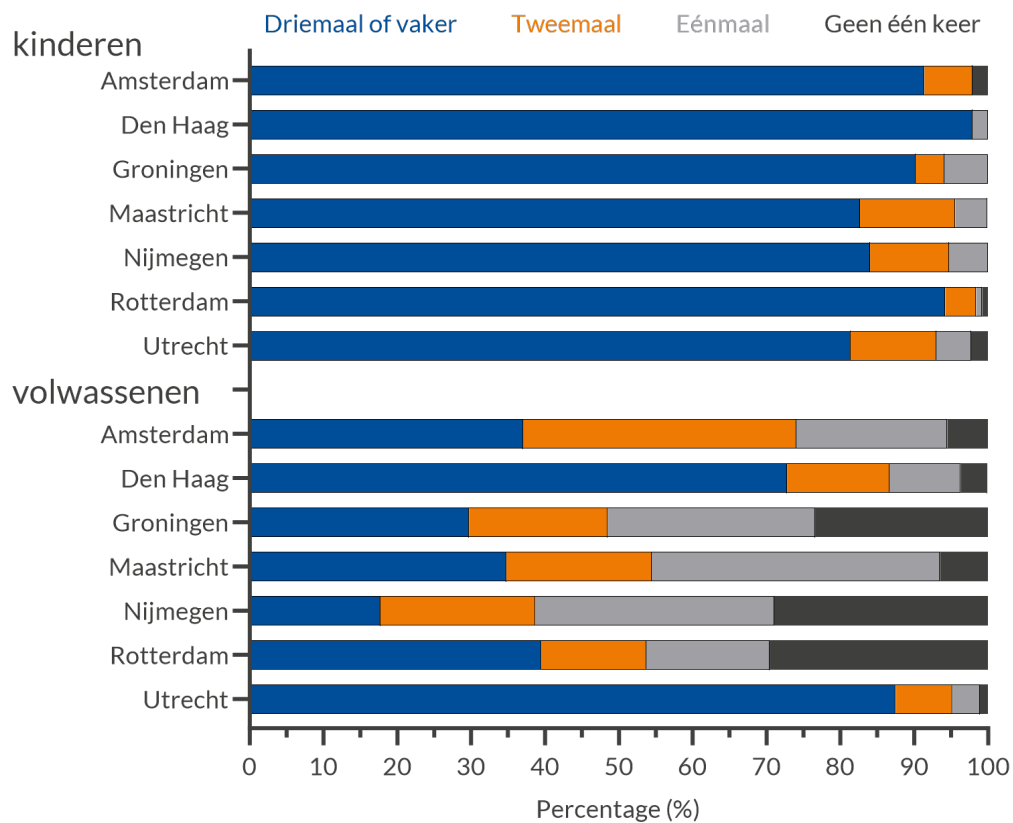
Vrijwel iedereen (98,8%) had minstens één polikliniekbezoek



Figuur 54. Aantal polikliniekbezoeken in 2022 van mensen met CF, zonder longtransplantatie. Uitgesplitst per kinder- en volwassencentrum.

Tijdens een polibezoek wordt vaak sputum afgenomen. Daarmee wordt gekeken of en zo ja, welke bacteriën en schimmels groeien in de longen van iemand met CF. In Figuur 55 is te zien hoe vaak dit is gedaan per CF-centrum. In totaal heeft 69,2% minstens drie sputumkweken gehad in 2022, dat is iets minder dan in 2021 (71,9%). Het verschil tussen kinderen en volwassenen is groot, net als voorgaande jaren: 88,7% van de kinderen heeft drie of meer sputumafnames gedaan. Bij de volwassenen is dit 57,8%. De verschillen tussen de volwassencentra zijn ook groot.

Vaker sputumkweken bij kinderen dan volwassenen

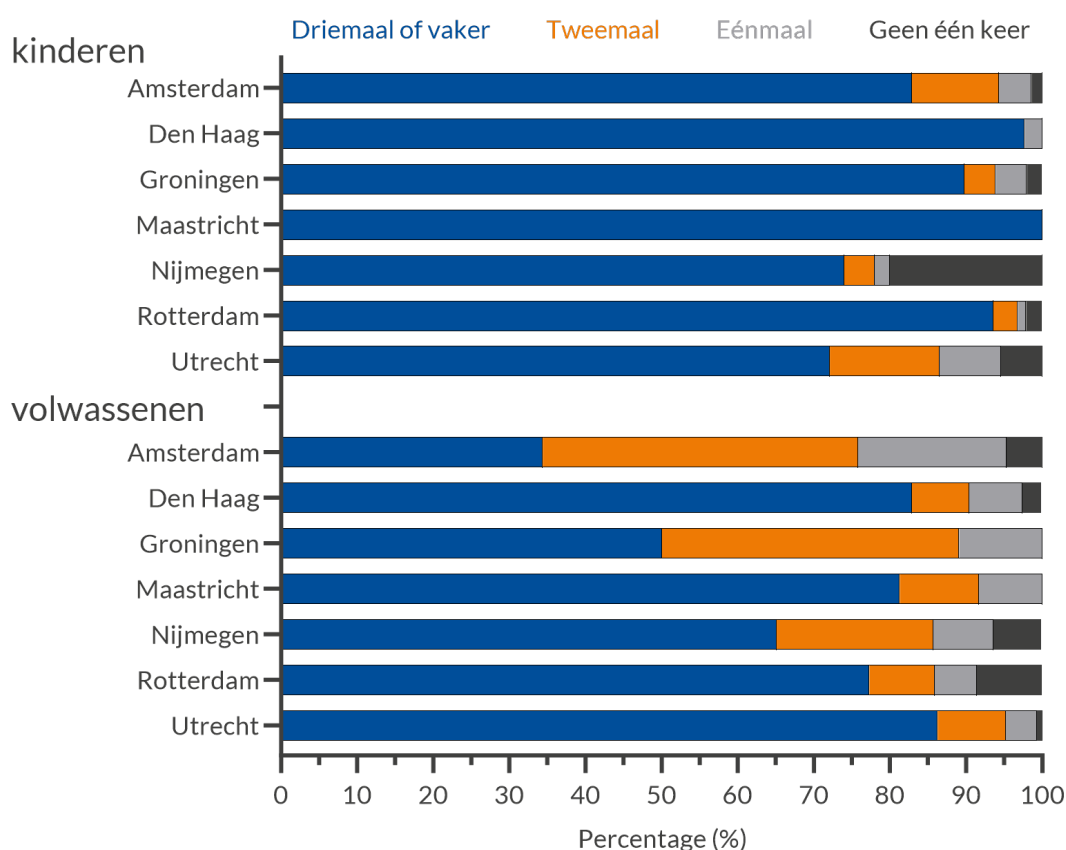


Figuur 55. Aantal sputumkweken in de CF-centra in 2022 bij mensen met CF, zonder longtransplantatie. Uitgesplitst per kinder- en volwassencentrum.

Sinds 2020 hebben bijna alle mensen met CF, van zes jaar en ouder, een thuismeter voor het meten van de longfunctie (FEV1). Die gegevens zijn niet geregistreerd. In Figuur 56 staan hoeveel longfunctiemetingen in de CF-centra zijn gedaan. In 2022 is van 1369 mensen bekend hoeveel longfunctietesten zij hebben gedaan.

Bijna iedereen heeft in 2022 minstens één keer een longfunctiemeting geblazen in het CF-centrum (96,3%). De overige mensen hebben geen enkele meting in het ziekenhuis gedaan. 76,4% van de mensen heeft drie keer of vaker een longfunctiemeting gedaan, dat is vergelijkbaar met 2021. Het verschil tussen kinderen en volwassenen is minder groot dan voorgaande jaren: 84,3% van de kinderen heeft drie keer of meer een longfunctie geblazen in het ziekenhuis. Van de volwassenen is dat 72,8%, meer dan in 2021 (60,8%).

Bijna iedereen deed minstens één longfunctiemeting (96,1%)

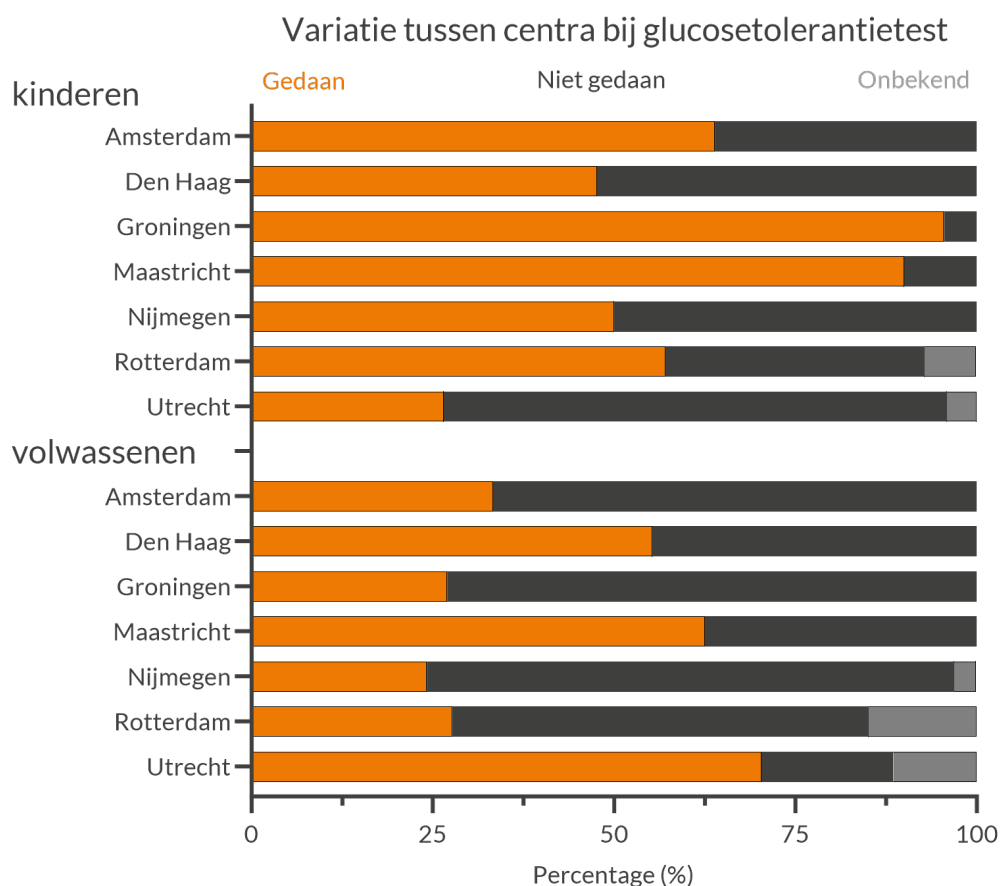


Figuur 56. Aantal longfunctiemetingen in de CF-centra in 2022 bij mensen met CF, zonder longtransplantatie. Uitgesplitst per kinder- en volwassencentrum.

De glucosetolerantietest wordt, volgens de Kwaliteitsstandaard CF, jaarlijks uitgevoerd. Deze test controleert of iemand diabetes ontwikkelt. De test wordt niet bij alle mensen met CF gedaan, maar bij een deel van de groep: iedereen die pancreasenzymen gebruikt, minstens tien jaar oud is en geen CF-gerelateerde diabetes heeft.

In 2021 kwamen 583 mensen met CF in aanmerking voor de glucosetolerantietest. Iets meer dan de helft van de mensen (51,8%) heeft de test gedaan in 2022. De overgrote meerderheid (86,8%) onderging een orale glucosetolerantietest waarbij je nuchter moet zijn. Dat is een stuk meer dan in 2021 (77,5%). Daarnaast deed 5,0% een test waarbij je niet nuchter hoeft te zijn, 3,3% gebruikte een continue glucosemeter (CGM) en 5,0% kreeg weer een andere, niet nader toegelichte, test.

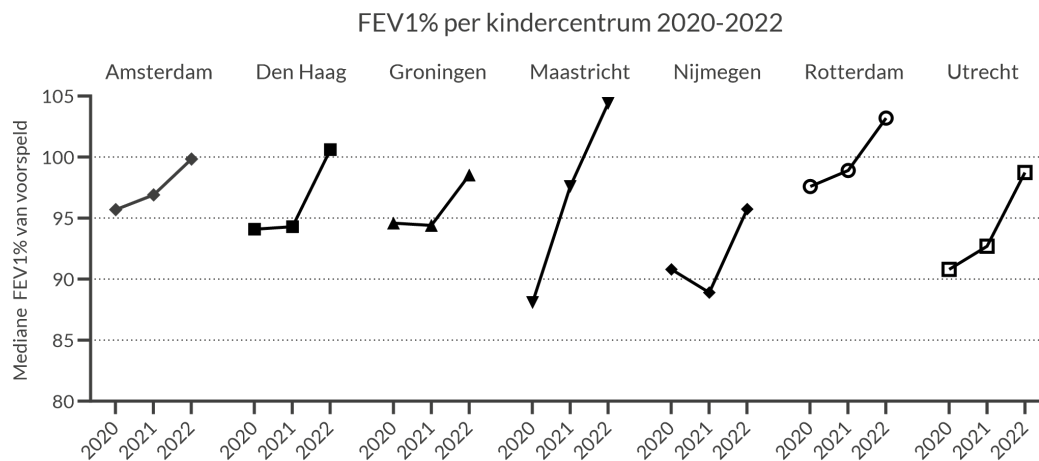
In Figuur 57 is te zien hoeveel procent van de mensen per CF-centrum een GTT heeft gedaan. In totaal gaat het om 54,5% van de kinderen en 50,6% van de volwassenen. In 2021 lagen de cijfers meer uit elkaar (78,5% en 40,6% voor kinderen en volwassenen, respectievelijk).



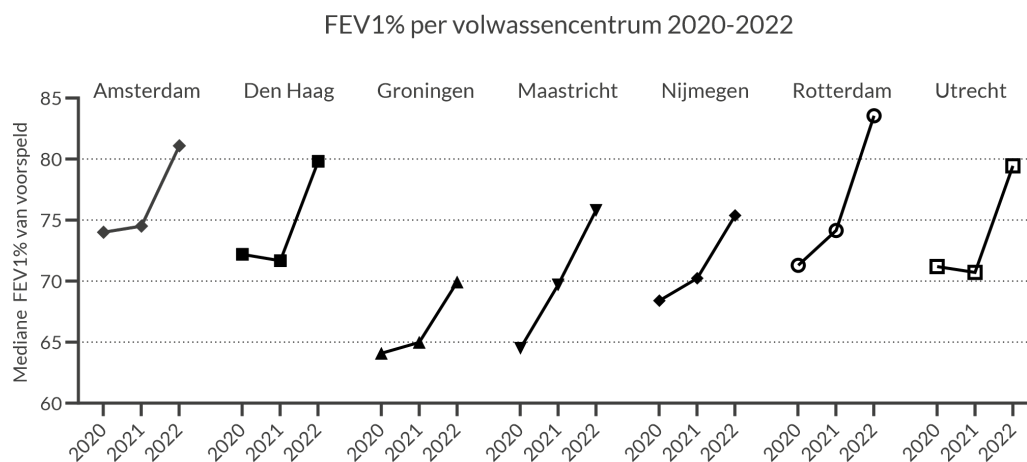
Figuur 57. Glucosetolerantietest in 2022 bij mensen met CF, zonder longtransplantatie. Uitgesplitst per kinder- en volwassencentrum.

De resultaten van de glucosetolerantietest worden sinds enkele jaren bijgehouden in de registratie. Van de 302 mensen met CF die een dergelijke test deden, had ruim driekwart (78,8%) een normale tolerantie. De anderen kregen de uitslag van of een verstoorde tolerantie (een voorstadium van diabetes, 19,1%) of diabetes (1,7%).

Het verloop van de mediane FEV1% van voorspeld van de afgelopen drie jaar staat in Figuur 58 (kindercentra), Figuur 59 (volwassencentra) en Tabel 3 weergegeven. Het verloop is verschillend per centrum qua afname of verbetering en qua mate van verandering. Wel gaat bij alle centra de mediane longfunctie fors omhoog in 2022 t.o.v. eerdere jaren.



Figuur 58. Mediane FEV1% van voorspeld van kinderen met CF zonder longtransplantatie, per centrum van 2020-2022.



Figuur 59. Mediane FEV1% van voorspeld van volwassenen met CF zonder longtransplantatie, per centrum van 2020-2022.

Tabel 3. Mediane FEV1% van voorspeld per centrum van 2020-2022.

Centrum	2021	2020	2022
Amsterdam kinderen	95,7	96,9	99,8
Den Haag kinderen	94,1	94,3	100,6
Groningen kinderen	94,6	94,4	98,5
Maastricht kinderen	88,1	97,6	104,4
Nijmegen kinderen	90,8	88,9	95,7
Rotterdam kinderen	97,6	98,9	103,2
Utrecht kinderen	90,8	92,7	98,7
Amsterdam volwassenen	74,0	74,5	81,1
Den Haag volwassenen	72,2	71,7	79,8
Groningen volwassenen	64,1	65,0	69,9
Maastricht volwassenen	64,5	69,7	75,8
Nijmegen volwassenen	68,4	70,2	75,4
Rotterdam volwassenen	71,3	74,2	83,6
Utrecht volwassenen	71,2	70,7	79,5

Een andere manier om informatie te verzamelen over de kwaliteit van zorg is de verhouding van lengte en gewicht van mensen met CF in een centrum. Daarvoor wordt de BMI berekend. Voor de kinderen wordt de BMI-waarde vervolgens omgerekend naar een z-score ten opzichte van leeftijdsgenoten zonder CF, van hetzelfde geslacht en vergelijkbare etniciteit. In Tabel 4 is te zien wat de mediane (sds)BMI was per centrum van 2020-2022.

Tabel 4. Verdeling sdsBMI per kindercentrum en BMI per volwassencentrum van 2020-2022. De sdsBMI van een kind wordt berekend in verhouding tot leeftijdsgenoten van hetzelfde geslacht en dezelfde etniciteit zonder CF. Normale waardes vallen tussen -2 en 2. De mediaan is de (sds)BMI waarbij de helft van de kinderen of volwassenen een hogere waarde heeft en de andere helft een lagere waarde.

Centrum	kindercentra (sdsBMI)			volwassencentra (BMI)		
	2020	2021	2022	2020	2021	2022
Amsterdam	0,15	0,08	0,08	22,2	22,1	22,8
Den Haag	0,09	0,25	0,39	22,2	22,2	22,7
Groningen	0,13	-0,04	0,19	23	23,2	22,4
Maastricht	-0,08	0,05	-0,01	22,1	22	22,7
Nijmegen	0,04	0,29	-0,14	22,4	22,6	22,4
Rotterdam	-0,04	-0,22	0,08	21,9	21,9	23,2
Utrecht	0,07	0,13	0,03	21,9	22,1	22,6

18. Bijlage 1. Methodes

Voor dit rapport hebben zeven CF-centra de medische gegevens verzameld van bijna alle mensen met CF in Nederland. Zij sturen deze gegevens naar de NCFS die de Registratie beheert, de berekeningen doet en de rapportage opstelt. De data worden versleuteld en zijn door de NCFS niet herkenbaar of herleidbaar tot personen. In totaal gaat het om ongeveer 160 verschillende gegevens of variabelen per persoon met CF in Nederland. Deze gegevens worden al 15 jaar verzameld.

a. Internationale afstemming

Elk jaar wordt een aantal gegevens van de Nederlandse Registratie doorgestuurd naar de European CF Society Patient Registry (ECFSPR). In de Europese database zijn inmiddels gegevens opgenomen van meer dan 50.000 mensen uit 40 landen.

In Amerika en Canada en op andere continenten worden ook al jaren gegevens van mensen met CF verzameld. Om de data goed te vergelijken, stemmen alle landen de gegevens zoveel mogelijk af zodat men dezelfde data verzamelt. Een voorbeeld is dat de hoogste longfunctiewaarde van elk jaar wordt verzameld (en niet van het laatste bezoek) en de lengte en het gewicht van diezelfde dag. Of dat een infectie met de bacterie *Pseudomonas* als chronisch wordt aangegeven als drie van de vier sputumkweken positief zijn.

b. Berekeningen

Voor de gegevens in dit rapport zijn twee berekeningen uitgevoerd die hier worden toegelicht:

1. De longfunctie: de centra hebben per persoon van alle metingen in 2022 de hoogste waarde van FEV1% ingevoerd. Daarna is gekeken hoe deze data zich verhouden tot de referentiegroep met internationale referentiewaardes (Global Lung Initiative 2012).
2. De lengte en het gewicht bij kinderen zijn omgezet naar z-scores om de verschillende leeftijden (en jongens en meisjes) te kunnen samenvoegen. Deze z-scores zijn berekend met behulp van het programma Growth Analyser van de Stichting Kind en Groei te Rotterdam. De referentiewaarden die zijn gebruikt, zijn van de Nederlandse, Turkse en Marokkaanse populatie uit de laatste landelijke studie in 2010.

De analyses zijn gedaan met behulp van IBM SPSS Statistics version 29 en GraphPad Prism versie 10.

c. Begrippen

In dit rapport worden verschillende begrippen gebruikt en uitgelegd:

- De mediane waarde is de middelste waarde van alle waardes samen. De ene helft van de mensen heeft een hogere waarde en de andere helft een lagere dan de mediane waarde. Het gemiddelde wordt anders berekend: de som van alle waardes gedeeld door het aantal waardes.
- Z-score: soms zijn longfunctie en lengte-gewicht waardes omgerekend naar z-scores om te corrigeren voor leeftijd en geslacht. Een z-score van 0 betekent een gemiddelde waarde en 95% van gezonde kinderen in Nederland heeft een z-score tussen de -2 en 2. Een z-score lager dan -2 of hoger dan 2 wordt beschouwd als sterk afwijkend van gezond.

d. Afkortingen

De afkortingen die in dit rapport zijn gebruikt, staan hier nogmaals uitgeschreven.

- ABPA is een allergische reactie van de luchtwegen op de schimmel *Aspergillus fumigatus* en staat voor allergische bronchopulmonale aspergillose
- BMI staat voor de Engelse term Body Mass Index en zegt iets over de verhouding van gewicht en lengte: het gewicht (in kilogram) gedeeld door het kwadraat van de lichaamslengte (in meter).
- CF is cystic fibrosis, ook wel taaislijmziekte genoemd
- CFRD is de afkorting voor CF-gerelateerde diabetes
- CF-SPID is een alternatieve diagnose: de hielprikscreening voor CF gaf een positieve uitslag, maar de diagnose is niet bevestigd met twee CF-veroorzakende mutaties en/of een zweetwaarde van 60 mmol/l of meer.
- CFTR-modulatoren: medicijnen die het basisprobleem van CF aanpakken: een chloridekanaal (CFTR) dat minder aanwezig is en/of waarvan de werking is verstoord, waardoor in verschillende organen het slijm taai wordt.
- DIOS is een ernstige darmverstopping en staat voor distaal intestinaal obstructie syndroom (verstopping van het laatste deel van de dunne darm)
- FEV1% van voorspeld is een maat voor de longfunctie. De FEV1 is de hoeveelheid lucht die iemand in één seconde kan uitblazen (Forced Expiratory Volume in the first (1st) second). Deze waarde wordt weergegeven in liters. Om de waardes van mensen met CF te kunnen vergelijken met leeftijdsgenoten, van dezelfde lichaamslengte en hetzelfde geslacht zonder longziekte, worden de volumes omgezet in percentages. Die percentages worden FEV1% van voorspeld genoemd, vaak afgekort met FEV1%.
- IV staat voor intraveneus, IV antibiotica gaan via een infuus direct het bloed in
- LCI staat voor het Engelse 'Lung Clearance Index'. Hierbij wordt gemeten hoeveel ademhalingen nodig zijn om de lucht in de longen te verversen. Hoe lager de LCI-waarde is, hoe beter.
- NTM: Non-tuberculeuze mycobacteriën

19. Bijlage 2. Stuurgroep Registratie

Vertegenwoordigers van alle zeven CF-centra en de NCFS vormen samen de Stuurgroep van de Nederlandse CF Registratie. De Stuurgroep bepaalt het beleid van de registratie en bepaalt welke gegevens worden opgenomen in de registratie, in samenspraak met de Europese CF Registratie. Ieder jaar worden de uitkomsten besproken om de CF-zorg in Nederland te verbeteren.

Stuurgroep Registratie

Dr. J.J. Noordhoek-van der Staay, directeur NCFS, voorzitter Stuurgroep

Dr. D.D. Zomer-van Ommen, manager Onderzoek en Kwaliteit van Zorg NCFS, secretaris Stuurgroep

Dr. R. Okhuijsen-Kos, medewerker Onderzoek en Kwaliteit van Zorg NCFS

Dr. J. Altenburg, longarts, Amsterdam UMC

Drs. M.A.G.E. Bannier, kinderlongarts, Maastricht UMC

Dr. M. Bakker, longarts, Erasmus MC Rotterdam

Drs. L.H. Conemans, longarts, Maastricht UMC

Prof. Dr. H.G.M. Heijerman, longarts, UMC Utrecht

Dr. H.M. Janssens, kinderlongarts, Erasmus MC Rotterdam

Prof. Dr. G.H. Koppelman, kinderlongarts, UMC Groningen

Drs. R. van der Meer, longarts, HagaZiekenhuis, Den Haag

Dr. P.J.F.M. Merkus, kinderlongarts, Radboud UMC Nijmegen

Dr. M. Nuijsink, kinderlongarts, HagaZiekenhuis, Den Haag

Dr. S.W.J. Terheggen-Lagro, kinderlongarts, Amsterdam UMC

Dr. H. van der Vaart, longarts, UMC Groningen

Dr. K.M. de Winter-de Groot, kinderlongarts, UMC Utrecht



NEDERLANDSE
CYSTIC FIBROSIS
STICHTING

Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting

Dr. Albert Schweitzerweg 3a | 3744 MG Baarn

Telefoon: 035-647 92 57 | info@ncfs.nl | www.ncfs.nl

IBAN NL41 ABNA 0472 4598 56

De gegevens uit deze rapportage mogen worden gebruikt voor publicaties en presentaties, echter uitsluitend met vermelding: Nederlandse CF Registratie Jaarrapport 2022, Baarn, Nederland, Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting © 2023

