

Nederlandse Cystic Fibrosis Registratie

Gegevens van mensen met taaislijmziekte in Nederland
Rapport van het jaar 2020

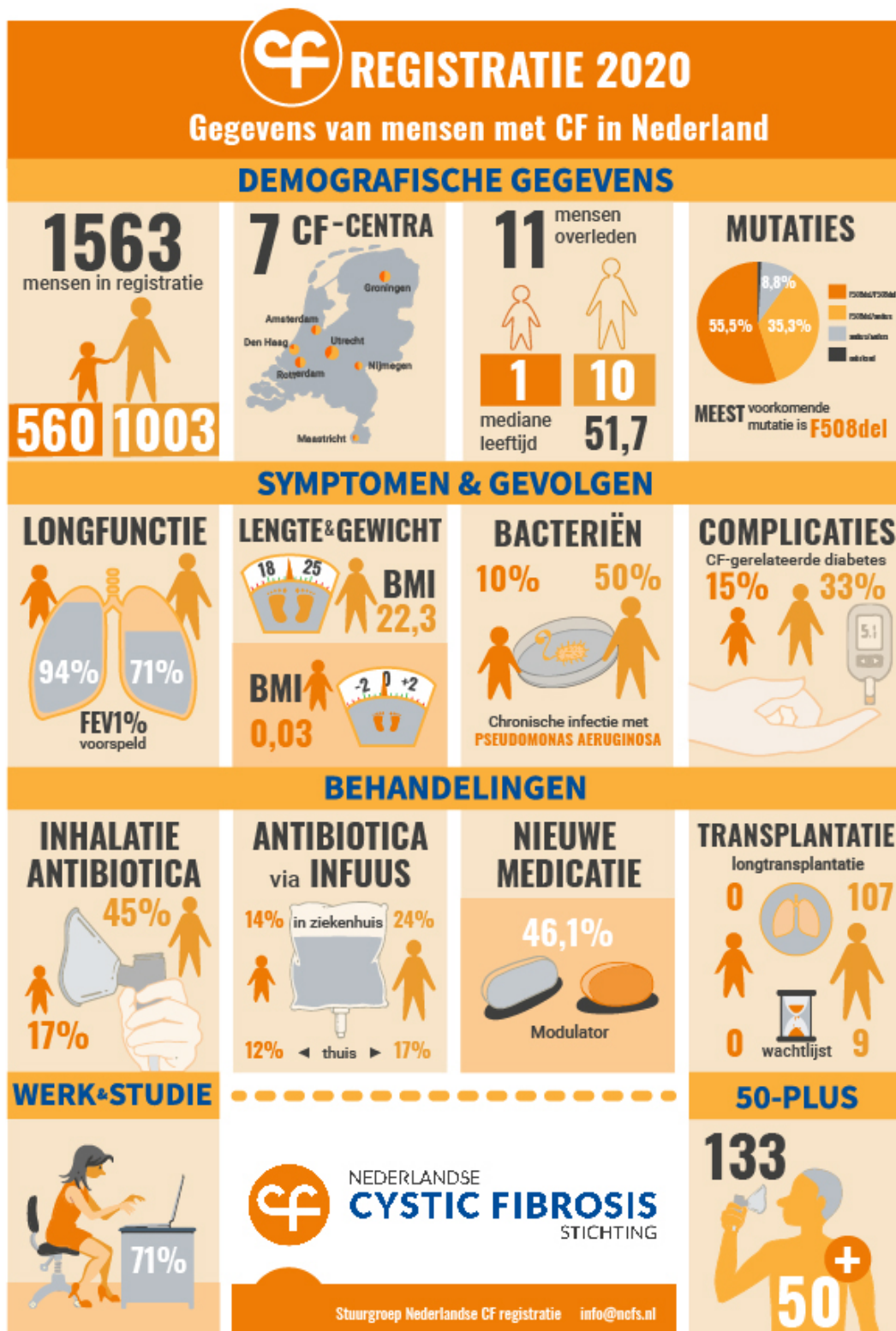
Uitgegeven in 2021



NEDERLANDSE
CYSTIC FIBROSIS
STICHTING



Samenvatting





Voorwoord

Al heel lang is het de gezamenlijke ambitie van de CF centra en de NCFS: betere zorg die leidt tot een beter en langer leven voor mensen met CF.

Dankzij de medewerking van bijna alle mensen met cystic fibrosis (CF) en de inzet van de CF centra en de NCFS, is deze online rapportage van de Nederlandse CF Registratie over 2020 tot stand gekomen.

In dit rapport zijn informatie en trends te vinden over veel aspecten van de diagnostiek en behandeling van CF, complicaties bij CF en enkele aspecten over het leven met CF. Gegevens die hard nodig zijn om te weten hoe het met alle mensen met CF in Nederland gaat en waar verbeteringen mogelijk zijn.

De gegevens worden per 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 uit deze registratie overzichten van hun eigen data, ten opzichte van de landelijke gemiddelden. De NCFS organiseert jaarlijks bijeenkomsten met kinderlongartsen, longartsen, kindermaagdarmleverartsen en kindardiëtisten van de centra. Tijdens die bijeenkomsten worden de behandeling, uitkomsten en verschillen tussen de centra in een open en positieve sfeer besproken en worden actiepunten ter verbetering vastgesteld.

Natuurlijk is COVID-19 een niet weg te denken aspect van het jaar 2020. Zo valt op dat er minder volwassenen een IV behandeling kregen (zowel in het ziekenhuis als in thuiszorg); er waren minder mensen met CF die influenza kregen. Het aantal bezoeken van mensen met CF aan de CF centra liep, ondanks de pandemie, maar weinig terug. Via de registratie hebben we ook gegevens over COVID-19 bij mensen met CF bijgehouden voor internationale publicaties.

Verder is het opvallend dat de meeste kinderen met CF een normale lengte en gewicht hebben. Tegelijkertijd blijkt, dat bijna 20% van de volwassenen overgewicht, of zelfs iets meer dan dat, heeft. Natuurlijk hebben steeds meer mensen met CF de mogelijkheid om een CFTR-modulator te gebruiken. Naar verwachting zullen we de effecten daarvan steeds meer gaan terugzien in onze rapportages.

Voor het eerst zijn van de groep mensen met CF die een longtransplantatie onderging, voldoende gegevens verzameld om aparte analyses te doen. De komende jaren zal blijken wat de ontwikkelingen voor deze groep is op de lange termijn.

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

De samenvatting is weergegeven als infographic. Deze kan goed gebruikt worden bij symposia en congressen.

September 2021

Jacqueline Noordhoek, voorzitter Stuurgroep Nederlandse CF Registratie



Inhoudsopgave

Samenvatting	2
Voorwoord.....	3
Inhoudsopgave	4
1. Demografische gegevens.....	6
a. Aantallen.....	6
b. Leeftijd.....	7
c. Overleden mensen met CF	8
d. CF-zorg in Nederland	9
2. CF diagnose	11
a. Kinderen geboren sinds 2016.....	11
b. Uitslagen van de hieprikscreening vanaf 2016	12
c. Symptomen bij kinderen rondom CF diagnose	13
d. Leeftijd rondom CF diagnose.....	14
3. CF en mutaties.....	15
a. Mutatieverdeling mensen met CF	15
b. Mutaties kinderen met CF-SPID	16
c. Meest voorkomende mutaties	17
4. Behandeling van CF: CFTR-modulatoren	18
a. Mensen met een CFTR-modulator	18
b. Gebruikers per modulator.....	19
c. Effect CFTR-modulator op zweetchloride	22
5. Behandeling van CF: overige medicatie	23
a. Luchtwegklachten en behandeling	23
b. Antibiotica via het infuus	25
c. Maagdarmlieverklachten en behandeling	27
d. Transplantaties	29
6. Longfunctie	30
a. Longfunctie per leeftijdsgroep	30
b. Longfunctie van kinderen	31
c. Longfunctie van volwassenen.....	33
7. Lengte en gewicht van kinderen met CF	34
a. Maten voor lengte en gewicht bij kinderen	34
b. Lengte en gewicht in groepen.....	35
8. Lengte en gewicht van volwassenen	37
a. Leeftijd en BMI van volwassenen.....	37
b. BMI per volwassencentrum.....	37
c. Verschillen tussen mannen en vrouwen.....	38
9. Bacteriën en schimmels.....	39
a. Leeftijd en infecties	39



b.	Veelvoorkomende bacteriën en schimmel.....	40
c.	Zeldzame bacteriën.....	40
d.	Non-tuberculeuze mycobacteriën (NTM)	41
e.	Coronavirus bij mensen met CF.....	41
10.	Extra aandoeningen bij CF.....	42
a.	Meest en veelvoorkomende extra aandoeningen.....	42
b.	Weinig voorkomende en zeldzame extra aandoeningen	43
11.	Werk en gezin	45
a.	Werk/maatschappelijk aandeel	45
b.	Zwangerschappen	45
12.	Mensen met een longtransplantatie	46
a.	Door de jaren heen.....	46
b.	Demografie.....	47
c.	Medicijnen	48
d.	Extra aandoeningen	48
e.	Lengte en gewicht	49
f.	Longfunctie.....	49
g.	Andere transplantaties.....	50
13.	50+ en CF	51
a.	Leeftijd en mutatie, aantal per centrum	51
b.	Longfunctie.....	53
c.	BMI.....	53
d.	Behandeling, extra aandoeningen	54
e.	Werk.....	54
14.	Kwaliteit van zorg	55
Bijlage 1. Methodes.....	61	
Internationale afstemming	61	
Berekeningen	61	
Begrippen.....	61	
Afkortingen.....	61	
Bijlage 2. Stuurgroep registratie	63	
Stuurgroep.....	63	



1. Demografische gegevens

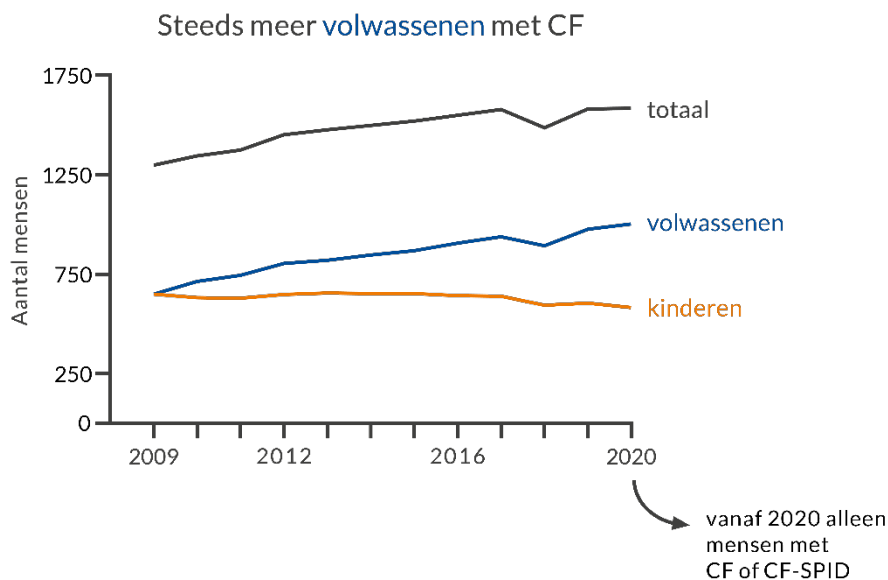
In dit hoofdstuk is te lezen hoeveel kinderen en volwassenen leven met taaislijmziekte (cystic fibrosis, CF) in Nederland. Ook is hier te vinden hoeveel mensen met CF zijn overleden in de afgelopen jaren. Daarnaast is op de kaart van Nederland zichtbaar gemaakt welke ziekenhuizen aan hoeveel mensen gespecialiseerd CF-zorg leveren.

a. Aantallen

Van het jaar 2020 zijn van 1563 mensen met CF gegevens verzameld in de Nederlandse CF registratie. Van nog eens 22 kinderen worden ook gegevens verzameld; zij hebben CF-SPID: de hieprikscreening 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. Het totaal aantal mensen met CF of CF-SPID in de registratie is daarmee 1585.

Er zijn ook mensen onder behandeling bij de CF-centra zonder bevestigde CF diagnose en zonder (positieve) hieprikscreening. Zij hebben CF-gerelateerde klachten en worden daarom behandeld. Omdat zij hoogstwaarschijnlijk geen CF gaan ontwikkelen, heeft de Stuurgroep Registratie besloten om de gegevens van deze mensen niet meer op te nemen in de registratie. Voor de behandeling van deze groep mensen maakt dat uiteraard geen verschil.

Er zijn steeds meer volwassenen met CF in Nederland (Figuur 1). Het aantal kinderen met CF of CF-SPID neemt langzaam af.



Figuur 1. Aantal mensen met CF, CF-SPID* of CF-gerelateerde ziekte in de Nederlandse CF registratie, van 2009-2020. *CF-SPID: positieve hieprikscreening, geen bevestigde CF diagnose.

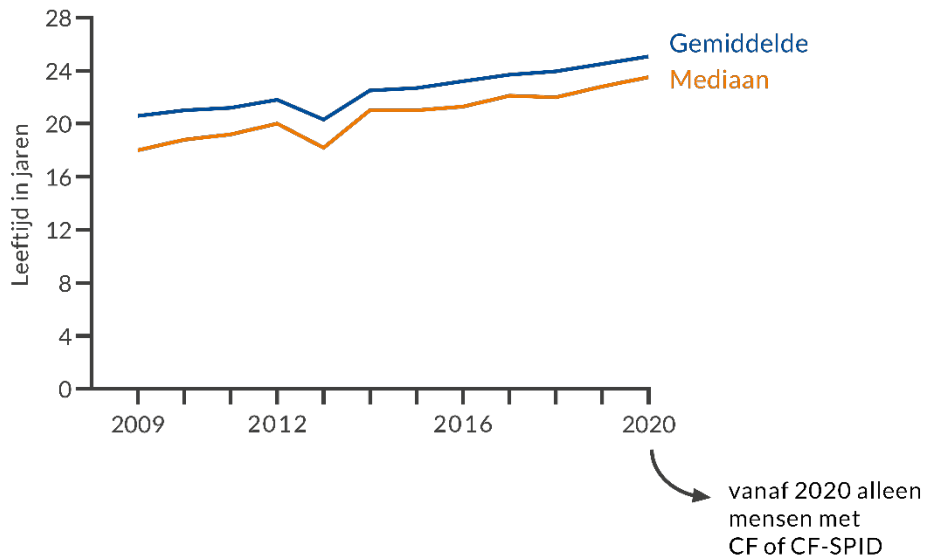
Niet alle mensen met CF of CF-SPID geven toestemming om hun gegevens te laten opnemen in de Nederlandse registratie. We weten dat nog minstens 100 mensen onder behandeling zijn bij de CF-centra. We weten niet of zij CF, CF-SPID of geen CF hebben. De schatting is dat in Nederland, volgens de gegevens van 2020, ongeveer 1650 mensen met CF leven.



b. Leeftijd

De gemiddelde leeftijd van mensen met CF of CF-SPID wordt steeds hoger (Figuur 2). In 2020 was de gemiddelde leeftijd 25,1 jaar. De helft van de mensen was ouder dan 23,5 jaar. Dat noemen we de mediane leeftijd.

Gemiddelde leeftijd van mensen met CF blijft stijgen



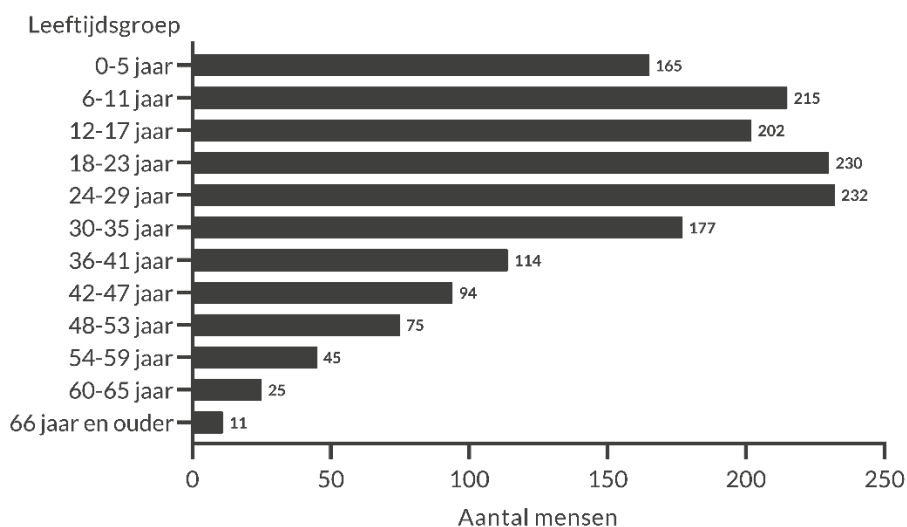
Figuur 2. Gemiddelde en mediane* leeftijd van mensen met CF, CF-SPID en/of CF-gerelateerde ziekte van 2009-2020.

*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 nog de gegevens van mensen met CF en CF-SPID verzameld in de registratie.

In Figuur 3 zijn de leeftijden van mensen met CF of CF-SPID verdeeld per zes jaar. In de grafiek is te zien dat de meeste mensen 18-29 jaar zijn, volgens de gegevens van 2020. Ook valt op dat 36 mensen 60 jaar of ouder zijn.



Vooral veel jonge volwassenen met CF in 2020



Figuur 3. Mediane leeftijd per leeftijdsgroep van steeds zes jaar. Mediane leeftijd is de leeftijd waarbij de helft van de mensen ouder is en de andere helft jonger dan dat getal. De cijfers achter elke balk geven aan hoeveel mensen in die leeftijdsgroep zitten in 2020.

c. Overleden mensen met CF

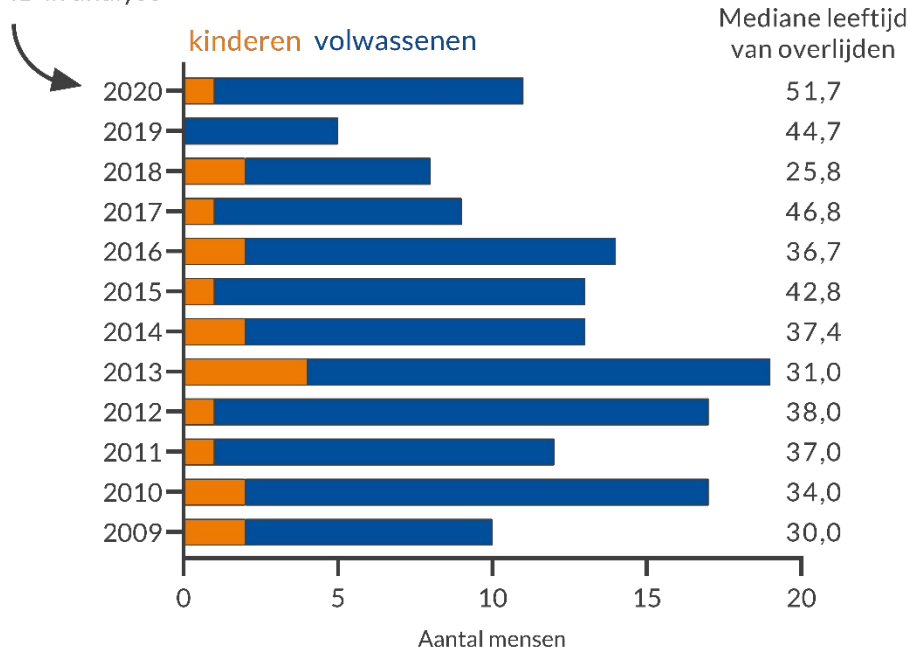
Helaas zijn in 2020 meer mensen met CF overleden dan in de voorgaande drie jaren (Figuur 4). In totaal zijn 11 mensen overleden. Zes van hen hebben in het verleden een longtransplantatie gehad.

Van de helft van de mensen die zijn overleden in 2020 is de leeftijd hoger dan 51,7 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. Het getal is nog nooit zo hoog geweest als in 2020. Dat betekent dat, als we naar de hele groep kijken, mensen met CF op steeds oudere leeftijd overlijden.



Mediane leeftijd van overlijden steeds hoger

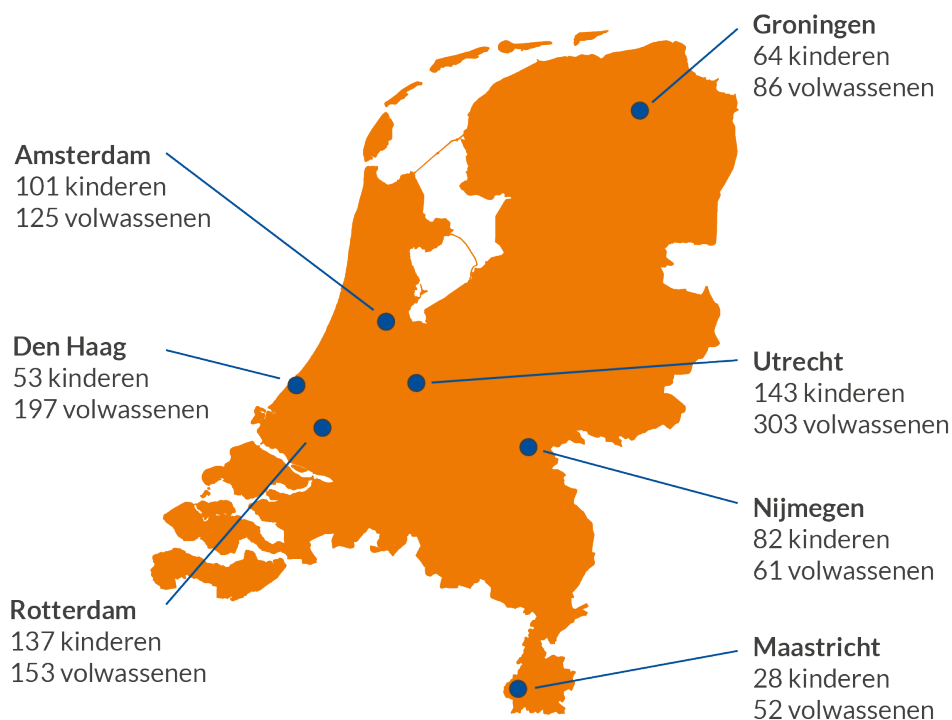
sinds 2020 alleen
mensen met CF en
CF-SPID in analyse



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

Zeven ziekenhuizen in Nederland verlenen gespecialiseerde CF-zorg aan kinderen en volwassenen. 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 onder behandeling zijn, volgens de cijfers van 2020. In Tabel 1 staan de aantallen mensen per centrum van de afgelopen jaren.



Figuur 5. Kaart van Nederland met daarin aangegeven waar de CF-centra zich bevinden. Per CF-centrum staat vermeld hoeveel volwassenen en kinderen met CF of CF-SPID daar onder behandeling zijn, in 2020. CF-SPID: positieve uitslag van de hieprikscreening, geen bevestigde CF diagnose.

Tabel 1. Aantal mensen met CF of CF-SPID of CF-gerelateerde ziekte per CF-centrum, vanaf 2014. **Sinds 2020** worden alleen de gegevens van mensen met CF of CF-SPID opgenomen in de registratie. Er missen naar schatting nog zo'n 100 mensen met CF. *In 2018 was er tijdelijk een lager aantal deelnemers aan de CF registratie i.v.m. niet getekende toestemmingsformulieren.

	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020
UMC Utrecht							
Kinderen	206	196	190	191	158	146	143
Volwassenen	231	245	260	281	251	308	303
Erasmus MC Rotterdam							
Kinderen	149	143	140	149	135	141	137
Volwassenen	121	120	139	138	122	134	153
HagaZiekenhuis							
Kinderen	55	63	59	55	55	52	53
Volwassenen	210	210	217	215	200	204	197
Amsterdam UMC							
Kinderen	102	105	104	100	104	102	101
Volwassenen	100	106	109	116	118	121	125
UMC Groningen							
Kinderen	69	73	74	72	65	67	64
Volwassenen	88	84	83	80	83	90	86
Radboud UMC Nijmegen							
Kinderen	47	49	52	58	67	73	82
Volwassenen	50	57	56	56	57	64	61
Maastricht UMC							
Kinderen	34	28	26	27	29	28	28
Volwassenen	37	42	40	40	43	51	52
TOTAAL	1499	1521	1549	1578	1487*	1581	1585



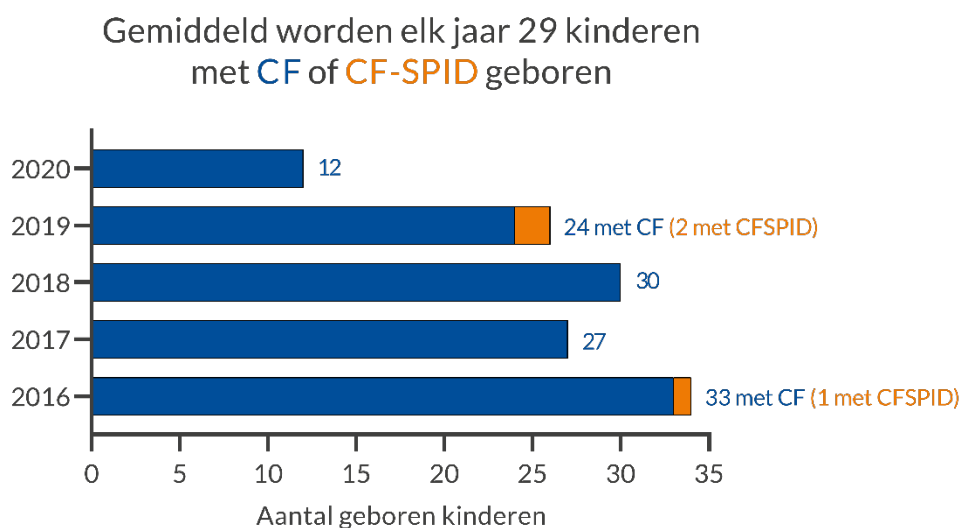
2. CF diagnose

In dit hoofdstuk lees je meer over de leeftijd en kenmerken van CF rondom de CF diagnose. Hierbij zijn ook mensen met een longtransplantatie meegenomen. Ook wordt meer informatie gegeven over CF in de hieprikscreening en hoeveel kinderen de afgelopen jaren zijn geboren.

a. Kinderen geboren sinds 2016

Sinds 2016 zijn er minstens 129 kinderen met CF of CF-SPID geboren (Figuur 6). Dat zijn gemiddeld 29 kinderen per jaar. Bij dit gemiddelde wordt het jaar 2020 buiten beschouwing gelaten, want dat loopt achter. Elk jaar is het meest recente jaar niet volledig. Redenen kunnen zijn dat voor een aantal kinderen het onderzoek naar de diagnose nog niet is afgerond, de ouders nog geen toestemming hebben gegeven voor de registratie of dat het kind pas in de laatste maanden van het jaar is geboren. In het aankomende rapport, van het jaar 2021, zal het getal van 2020 vollediger zijn.

Van de 22 kinderen met CF-SPID (positieve uitslag van de hieprikscreening, maar geen bevestigde CF diagnose) in de registratie, zijn drie van hen geboren in de tijdsperiode 2016-2020 (Figuur 6).



Figuur 6. Kinderen geboren met CF of CF-SPID sinds 2016. CF-SPID betekent wel een positieve uitslag van de hieprikscreening voor CF, maar geen bevestigde diagnose.

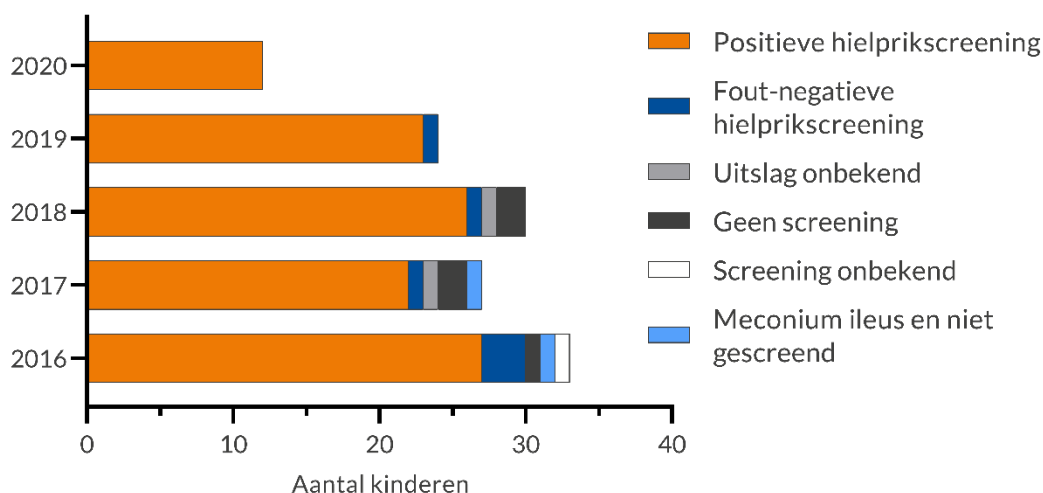


b. Uitslagen van de hielprikscreening vanaf 2016

Van alle 126 kinderen in de registratie met CF, geboren sinds 2016, is de CF diagnose voor het overgrote deel gesteld via een positieve uitslag van de hielprikscreening (Figuur 7). De overige kinderen met CF hadden geen positieve hielprikscreening:

- Vijf kinderen hebben wel CF maar hadden in eerste instantie een negatieve uitslag van de hielprikscreening. Dat wordt een vals-negatieve uitslag genoemd.
- Bij zes kinderen is geen hielprikscreening (voor CF) gedaan en bleken ze later CF te hebben.
- Een andere mogelijkheid is dat een baby bij de geboorte verstopte darmen heeft (meconium ileus), zodat meteen nader onderzoek naar CF wordt gedaan. Vervolgens wordt met de hielprik niet meer getest op CF. Dit is bij twee kinderen zo gegaan.
- Bij drie kinderen is het onbekend of de screening is gedaan of is de uitslag niet bekend.

Bijna 90% van de kinderen, geboren sinds 2016, kreeg de CF diagnose via de **hielprikscreening**



Figuur 7. Uitslag van de hielprikscreening voor CF van kinderen met CF geboren sinds 2016. Kinderen met CF-SPID, dus geen bevestigde CF diagnose, zijn in deze analyse niet meegenomen.



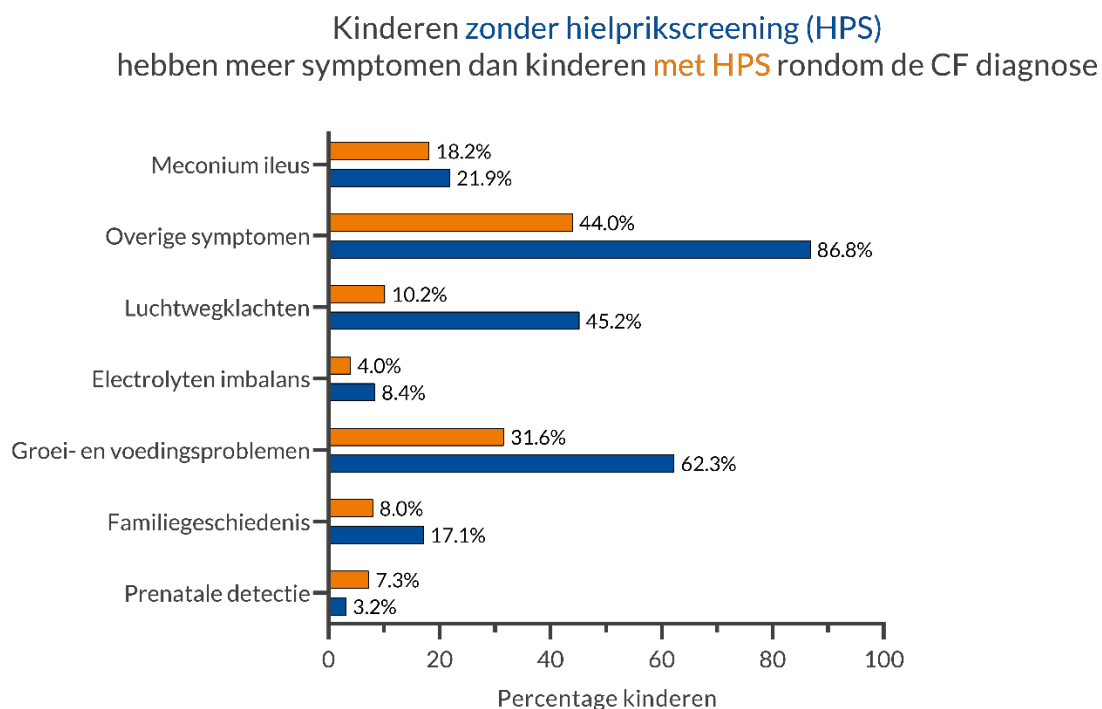
c. Symptomen bij kinderen rondom CF diagnose

De kindercentra behandelen in totaal 586 kinderen met CF, volgens de gegevens van 2020. 276 kinderen met CF hebben de diagnose gekregen via een positieve uitslag van de hieprikscreening. Van één persoon is het niet bekend of de hieprikscreening op CF is gedaan.

De overige 309 kinderen hebben de CF diagnose niet via de hieprikscreening gehad. Bij 282 van hen is geen hieprikscreening voor CF gedaan. Dit hoge aantal komt doordat de kinderen die geboren zijn voor 2008 sowieso niet op CF zijn getest met de hieprikscreening. In 2008 startte daar een onderzoek naar en CF is sinds 2011 officieel in de hieprikscreening opgenomen. Verder hebben 22 kinderen een negatieve uitslag gehad, maar hebben ze toch CF. Van vijf kinderen met CF is de uitslag van de hieprikscreening onbekend.

Zonder een vroege test voor CF, zoals de hieprikscreening 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 de kinderen zonder (positieve) hieprikscreening vaker symptomen rondom de CF diagnose hadden, dan kinderen met een positieve uitslag voor de hieprikscreening.

Ongeveer 20% van de kinderen had verstopte darmen bij de geboorte (meconium ileus, Figuur 8). Bijna 90% van de kinderen zonder (positieve) hieprikscreening voor CF had ook nog andere symptomen. De meest voorkomende zijn luchtwegklachten en groei- en voedingsproblemen.



Figuur 8. Symptomen van kinderen met CF rondom de diagnose. Percentages met een specifiek symptoom zijn uitgesplitst in twee groepen. De groep kinderen die de diagnose CF kreeg via de hieprikscreening en de groep kinderen die niet via de hieprikscreening werden gediagnosticeerd.

Enkele kenmerken komen weinig voor en staan niet in Figuur 8 vermeld. Van de groep kinderen waarbij de CF diagnose gesteld is via de hieprikscreening, had 2,5% leverproblemen, 0,4% neusklachten en 1,1% rectale klachten. In de andere groep kinderen, waarbij CF niet is vastgesteld via de hieprikscreening, had 6,1% leverproblemen, 5,5% neusklachten en 1,9% rectale klachten.



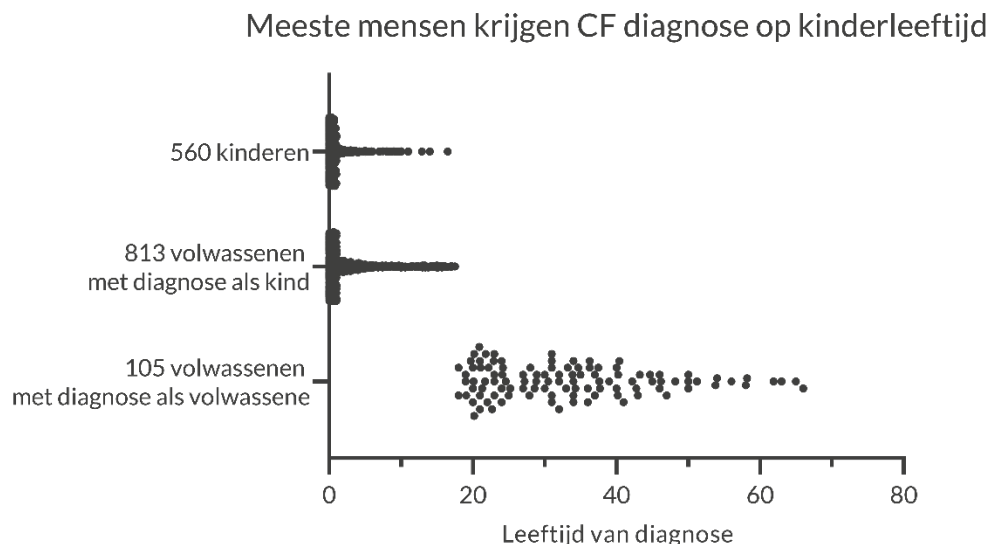
d. Leeftijd rondom CF diagnose

Van 1478 mensen met CF is bekend op welke leeftijd de CF diagnose werd gesteld. De gemiddelde leeftijd is 3,9 jaar. De mediane leeftijd ligt veel lager en is 0,3 jaar. Dat betekent dat de helft van de mensen met CF jonger dan 0,3 jaar was bij het stellen van de diagnose. De andere helft was ouder.

In Figuur 9 is te zien op welke leeftijd kinderen 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 laatste groep is de groep volwassenen die op volwassen leeftijd ontdekten dat ze CF hebben.

De gemiddelde leeftijd van CF diagnose is 0,85 jaar voor de 560 kinderen en 2,7 jaar voor de 813 volwassenen die als kind met CF zijn gediagnosticeerd (Figuur 9). De helft van de kinderen kreeg de CF diagnose voordat ze twee maanden oud waren. Voor de helft van de volwassenen (met diagnose op kinderleeftijd) was dat het geval vóór de leeftijd van 8 maanden.

105 volwassenen met CF (11,4% van de volwassenen) zijn gediagnosticeerd op volwassen leeftijd. De gemiddelde leeftijd van diagnose is 34 jaar. De helft van de mensen was ouder dan 32 jaar. De andere helft was tussen de 18 en 32 jaar oud.



Figuur 9. Leeftijd van CF diagnose van alle mensen met CF waarvan dit getal bekend is. In 2020 is dat van 1478 mensen met CF bekend.

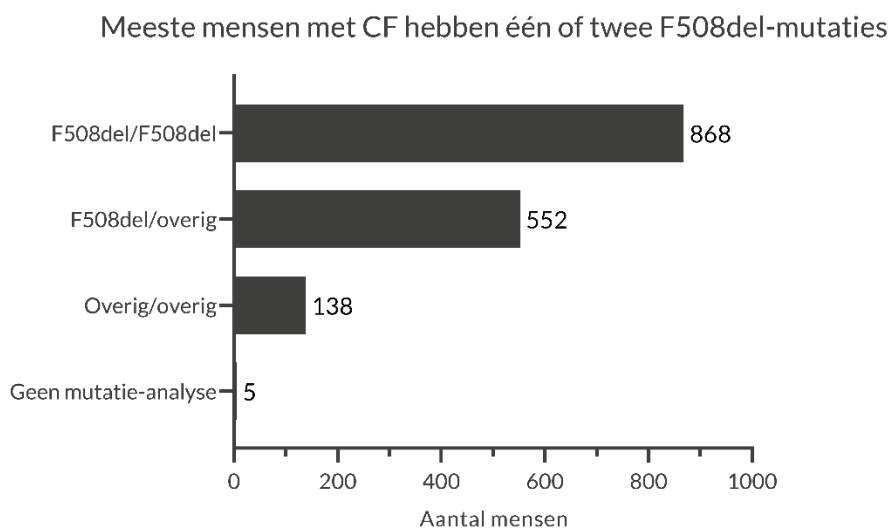


3. CF en mutaties

Iemand heeft CF als er twee mutaties in het DNA zijn die CF veroorzaken. Deze mutaties krijgt iemand van zijn/haar vader en moeder. Bij vrijwel alle mensen met CF in Nederland is onderzocht welke mutaties ze 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 of CF-SPID, met of zonder longtransplantatie. In totaal zijn dat 1585 mensen.

a. Mutatieverdeling mensen met CF

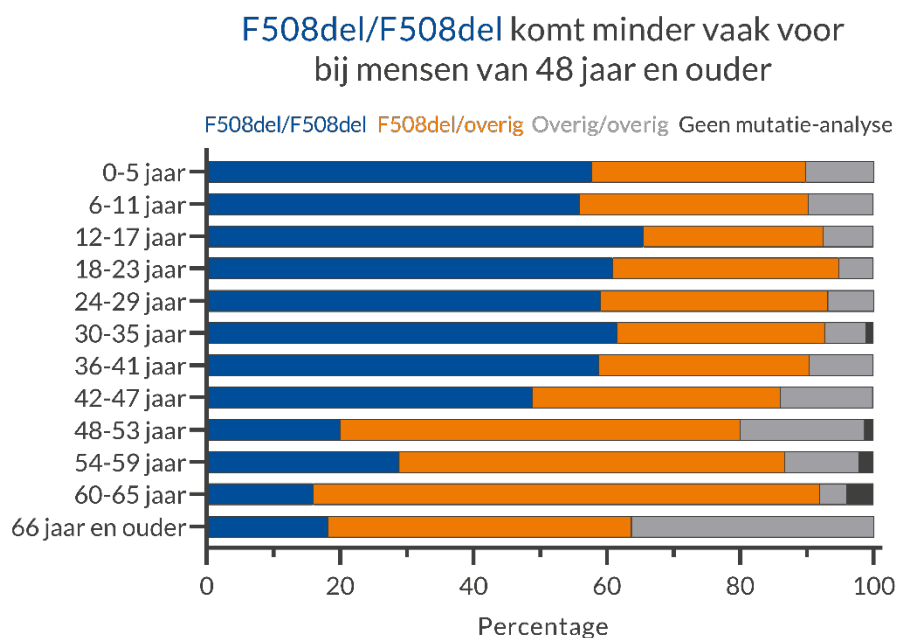
De meeste mensen met CF in Nederland hebben twee keer de F508del-mutatie (Figuur 10). In totaal heeft 90,8% minstens één F508del-mutatie. Bij een handvol mensen is nooit een mutatie-analyse gedaan.



Figuur 10. Combinatie van CF-mutaties verdeeld in 4 groepen. Alle mensen met CF die in 2020 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. Hier is goed te zien dat in elke leeftijdsgroep verreweg de meeste mensen met CF minstens één F508del-mutatie hebben. Ook valt op dat de dubbele F508del-mutatie minder vaak voorkomt bij de mensen die in 2020 48 jaar of ouder waren. Meer informatie over mensen van 50 jaar en ouder vind je in hoofdstuk 13 50+ en CF, pagina 51.



Figuur 11. Mutatieverdeling van mensen met CF in 2020, per leeftijdsgroep van zes jaar.

b. Mutaties kinderen met CF-SPID

Van de 22 kinderen met CF-SPID hebben 18 één F508del-mutatie met nog een andere mutatie, vier van hen hebben geen F508del-mutatie.

De meeste kinderen met CF-SPID hebben een R117H-mutatie. Deze mutatie werd eerst 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 ook echt CF krijgen. En als dat zo is, dan pas op latere leeftijd. Daarom wordt de R117H-mutatie niet meer gezien als CF-veroorzakend. Sinds 2016 is de R117H-mutatie 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 2020. Iedereen heeft twee mutaties, het totale aantal mutaties komt daarmee op 3170. 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 2020. 1585 mensen hebben samen 3170 mutaties.*

Mutatie	Aantal	Percentage (%)
<i>F508del</i>	2306	72,7
<i>A455E</i>	123	3,9
<i>R117H</i>	59	1,9
<i>G542X</i>	57	1,8
<i>1717-1G->A</i>	43	1,4
<i>3272-26A->G</i>	39	1,2
<i>S1251N</i>	38	1,2
<i>N1303K</i>	36	1,1
<i>R553X</i>	31	1,0
<i>R1162X</i>	30	0,9
<i>2789+5G->A</i>	24	0,8
<i>3849+10kbC->T</i>	18	0,6
<i>E60X</i>	18	0,6
<i>711+1G->T</i>	16	0,5
<i>W1282X</i>	13	0,4
<i>Onbekend</i>	23	0,7
<i>Geen mutatie-analyse</i>	10	0,3
<i>Overig</i>	286	9,0
Totaal aantal mutaties	3170	100,0



4. Behandeling van CF: CFTR-modulatoren

Om de lichamelijke klachten van mensen met CF zoveel mogelijk te verhelpen, zijn in de afgelopen jaren diverse medicijnen ontwikkeld. Sinds enkele jaren zijn er medicijnen gemaakt die het basisprobleem van CF aanpakken: het taaie slijm door het hele lijf. Dit wordt veroorzaakt door een afwijkend zoutkanaaltje (CFTR) waardoor in verschillende organen het slijm taai wordt. Deze medicijnen, CFTR-modulatoren genoemd, hebben grote impact op de mensen die het gebruiken.

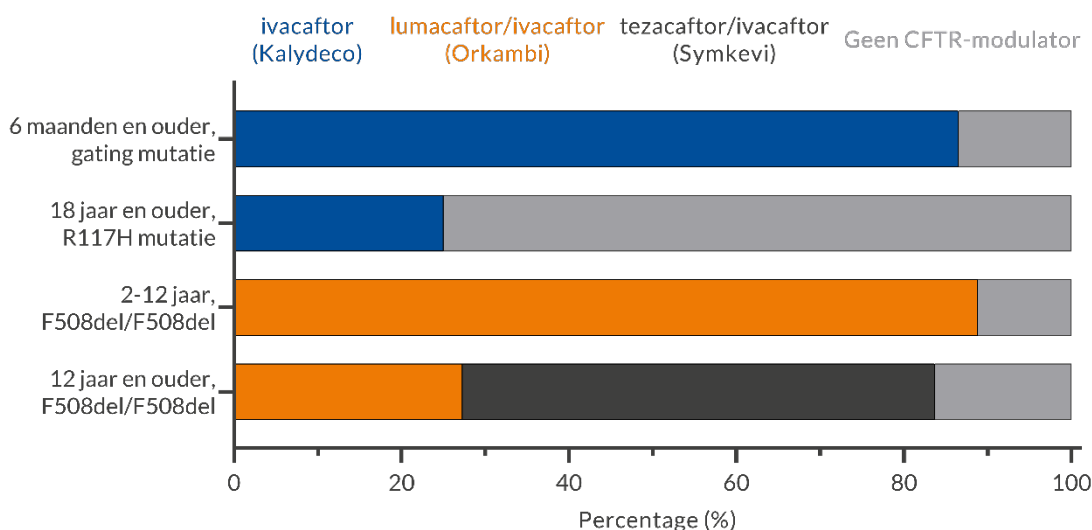
In dit hoofdstuk lees je welke CFTR-modulator hoe vaak wordt voorgeschreven. Hier zijn de gegevens gebruikt van mensen met een bevestigde CF diagnose zonder longtransplantatie. Mensen met een longtransplantatie kunnen vooralsnog geen CFTR-modulator gebruiken. Het is nog niet volledig onderzocht of dit veilig kan.

a. Mensen met een CFTR-modulator

Nog niet alle mensen met CF komen in aanmerking voor een CFTR-modulator. De medicijnen die nu op de markt zijn, zijn voor specifieke mutaties ontwikkeld. Mensen die niet de 'juiste' mutaties hebben, kunnen deze medicijnen niet gebruiken. Er worden wel uitzonderingen gemaakt als iemand in nood is door bijvoorbeeld een hele lage longfunctie. Ook zijn de meeste CFTR-modulatoren nog niet geschikt voor kinderen jonger dan twaalf jaar. De onderzoeken bij jonge kinderen lopen nog. Daarnaast kunnen mensen die getransplanteerd zijn geen CFTR-modulator gebruiken. Dit heeft te maken met de medicijnen die zij al slikken tegen het afstoten van het nieuwe orgaan. Wel wordt onderzocht of er toch een mogelijkheid is. Daarnaast worden nog steeds nieuwe CFTR-modulatoren ontwikkeld die mogelijk een betere werking hebben.

In 2020 komt ongeveer de helft van alle mensen met CF in aanmerking voor een CFTR-modulator. Zij gebruiken niet allemaal één van de beschikbare CFTR-modulatoren. In Figuur 12 is te zien hoeveel procent van de mensen, per CFTR-modulator en/of subgroep, een middel voorgeschreven krijgt in 2020. 86,5% van de mensen met een *gating* mutatie (bijvoorbeeld G551D, G178R en S1251N) en 25% van de mensen met een R117H-mutatie krijgen ivacaftor (Kalydeco). 88,8% van de kinderen met twee F508del-mutaties krijgen lumacaftor/ivacaftor (Orkambi). Van de kinderen ouder dan twaalf jaar en volwassenen met twee F508del-mutaties heeft 27,3% lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) en 56,4% tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) in 2020.

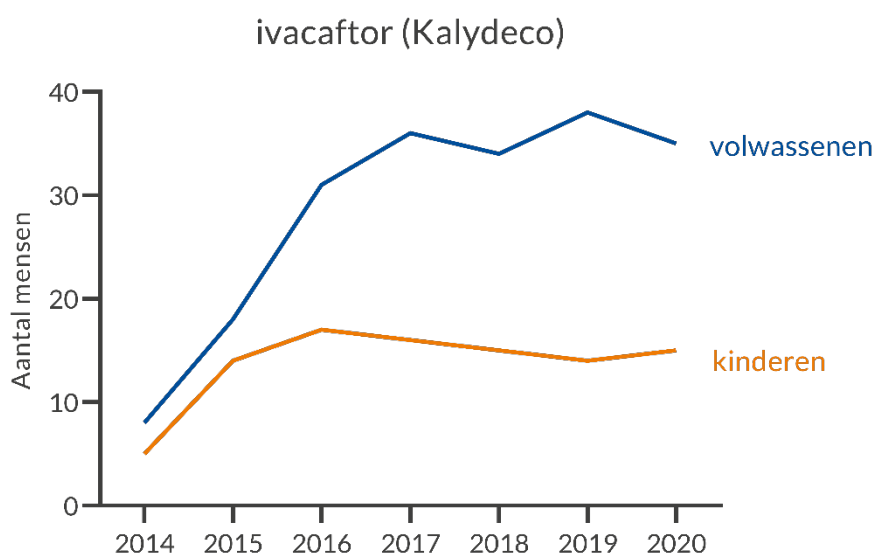
Voorgeschreven CFTR-modulatoren aan mensen die daarvoor in aanmerking komen



Figuur 12. Mensen die in 2020 in aanmerking komen voor één van de CFTR-modulatoren die in Nederland worden vergoed. Percentages zijn uitgesplitst voor het wel of niet voorgeschreven krijgen van een CFTR-modulator.

b. Gebruikers per modulator

In 2020 is ivacaftor (Kalydeco) voorgeschreven aan 53 mensen. Drie van hen zijn in 2020 overgestapt naar een andere CFTR-modulator. In totaal gebruiken 50 mensen ivacaftor (Kalydeco) op 31 december 2020 (Figuur 13). Er is geen onderscheid gemaakt of mensen officieel voor dit medicijn in aanmerking komen of dat ze via *compassionate use* of studieverband dit middel kregen.

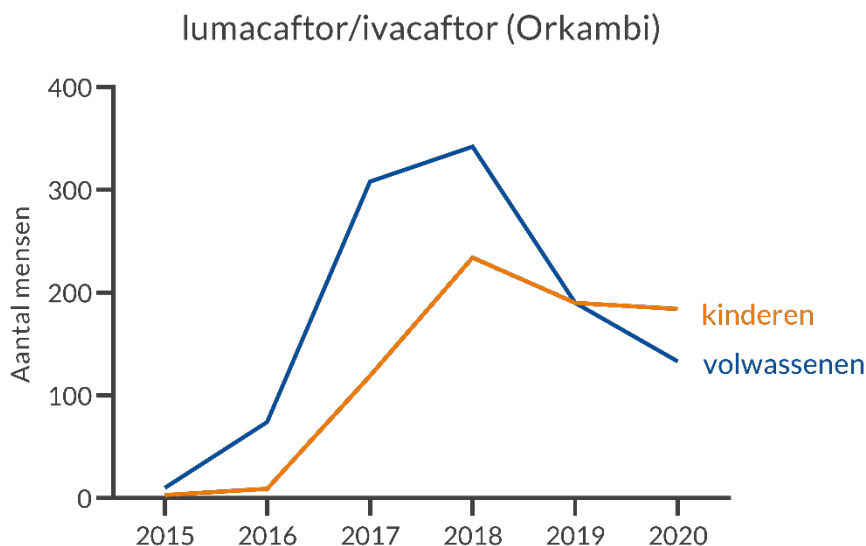


Figuur 13. Aantal kinderen en volwassenen met CF die ivacaftor (Kalydeco) voorgeschreven kregen op 31 december 2020.

Lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) is een combinatie van twee CFTR-modulatoren. In 2020 is het medicijn voorgeschreven aan 317 mensen met CF op 31 december 2020 (Figuur 14). Er is geen onderscheid gemaakt of mensen officieel voor dit medicijn in aanmerking komen.



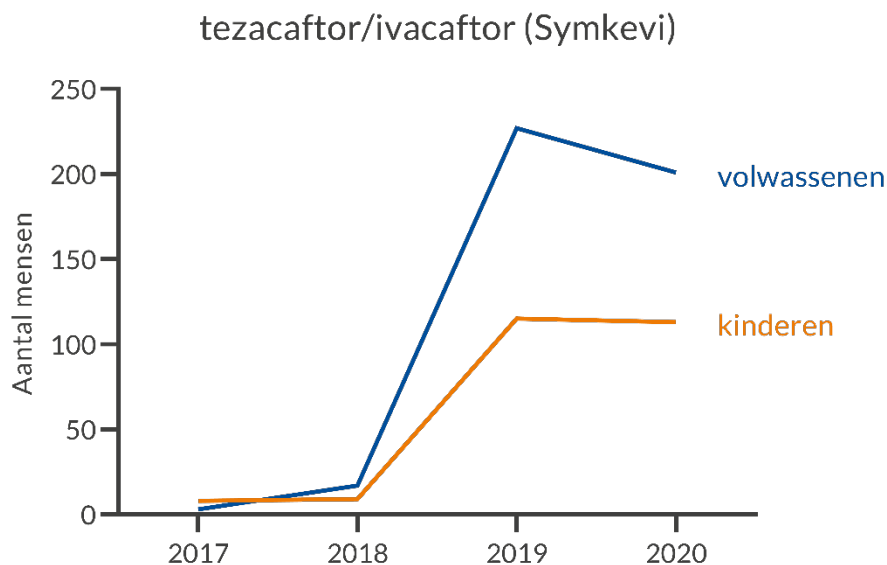
In 2019 is een sterke daling te zien in het aantal gebruikers. In dat jaar kwam een nieuwe CFTR-modulator beschikbaar: tezacaftor/ivacaftor (Symkevi). Veel mensen van twaalf jaar en ouder zijn toen daarop overgestapt. In 2020 werd dat middel ook geschikt geacht voor kinderen vanaf 6 jaar. In totaal zijn 44 kinderen en volwassenen overgestapt op een andere CFTR-modulator. Zes mensen zijn gestopt zonder over te stappen. 26 mensen zijn in 2020 juist overgestapt van tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) naar lumacaftor/ivacaftor (Orkambi). Voor meer informatie over tezacaftor/ivacaftor (Symkevi), zie Figuur 15.



Figuur 14. Aantal kinderen en volwassenen met CF die lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) voorgeschreven kregen op 31 december 2020.



314 mensen met CF krijgen tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) voorgeschreven op 31 december 2020 (Figuur 15). 63 mensen zijn voortijdig gestopt. 48 van hen zijn overgestapt op een andere CFTR-modulator, vijftien zijn gestopt zonder overstap.



Figuur 15. Aantal kinderen en volwassenen met CF die tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) voorgeschreven kregen op 31 december 2020.

De nieuwste CFTR-modulator bestaat uit een combinatie van drie medicijnen. Het heet Kaftrio en bevat de medicijnen ivacaftor, tezacaftor en elexacaftor. In 2020 wordt dit medicijn niet in Nederland vergoed. Toch zijn er 94 kinderen en volwassenen die het medicijn voorgeschreven hebben gekregen. Doordat ze meedoen aan een studie of doordat hun gezondheid zo slecht is dat ze niet nog langer konden wachten.

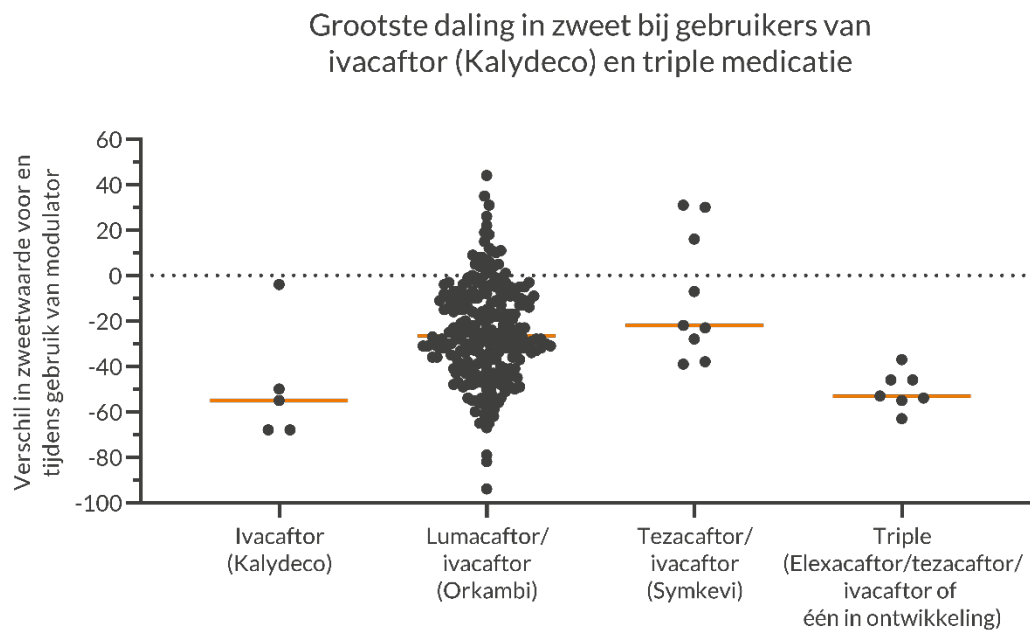
Er is nog een CFTR-modulator combinatie van drie medicijnen in ontwikkeling. We weten dat in 2020 zes volwassenen dit middel voorgeschreven kregen door deelname aan een studie.



c. Effect CFTR-modulator op zweetchloride

Een CFTR-modulator heeft bijna altijd een effect op de zweetchloride concentratie. Bij een aantal mensen met CF is hiervan de waarde gemeten vlak voor start van een CFTR-modulator en tijdens het gebruik ervan. In 2020 zijn hiervan gegevens van 259 mensen die in 2020 een modulator gebruiken.

In Figuur 16 is weergegeven wat de verandering in zweet is voor alle 259 mensen, uitgesplitst per CFTR-modulator. Hierin is te zien dat ivacaftor (Kalydeco) en de drievoudige (triple) combinaties de grootste daling van het zweet geven. Op groepsniveau dalen ook de zweetchloride waarden van mensen die lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) of tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) gebruiken, maar bij sommigen stijgt de zweetchloride waarde juist.



Figuur 16. Verandering in zweetwaarde door CFTR-modulatorgebruik. Gegevens van mensen met CF zonder longtransplantatie die in 2020 een modulator gebruiken. De oranje lijn geeft de mediane waarde aan: de helft van de mensen heeft een grotere daling van zweet, de andere helft een kleinere dan die waarde.



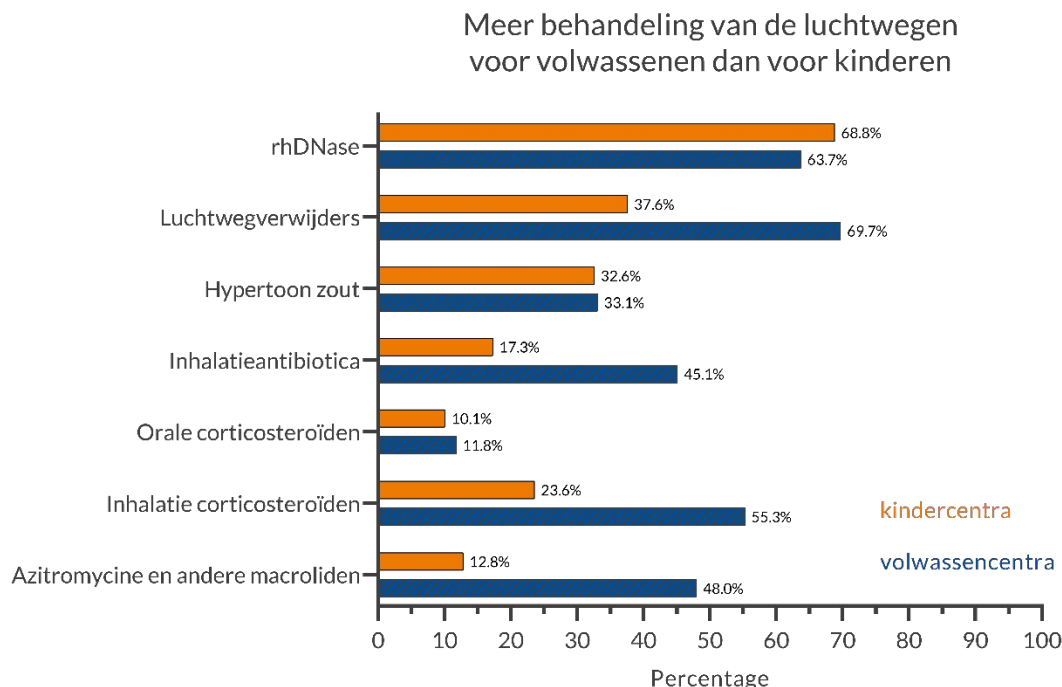
5. Behandeling van CF: overige medicatie

Mensen met CF hebben klachten door hun hele lichaam. Ze hebben dan ook veel medicijnen en therapieën. In dit hoofdstuk is meer informatie te vinden over de behandeling van luchtwegklachten en maag-, darm- en leverklachten. Ook worden cijfers vermeld over opnames in het ziekenhuis en transplantaties.

In dit hoofdstuk zijn, voor de behandelingsinformatie, de gegevens gebruikt van mensen met een bevestigde CF diagnose en zonder longtransplantatie. Ook moeten ze in 2020 gezien of gesproken zijn door het CF-centrum. In totaal zijn van 1439 mensen (577 kinderen en 862 volwassenen) gegevens gebruikt om onderstaande grafieken te maken. De informatie over mensen met longtransplantaties staat apart vermeld.

a. Luchtwegklachten en behandeling

Veel mensen met CF hebben klachten aan de luchtwegen (neus en mond, keel, longen). Er zijn verschillende medicijnen beschikbaar om de klachten te verminderen. In Figuur 17 is te zien hoeveel kinderen en volwassenen een medicijn kregen tegen de luchtwegklachten. Bijna alle medicijnen werden vaker voorgeschreven aan volwassenen dan aan kinderen. Dat is logisch, omdat CF de longen aantast en volwassenen daardoor meestal een lagere longfunctie hebben. Meer informatie over CF en longfunctie vind je in hoofdstuk 6 Longfunctie, pagina 30.

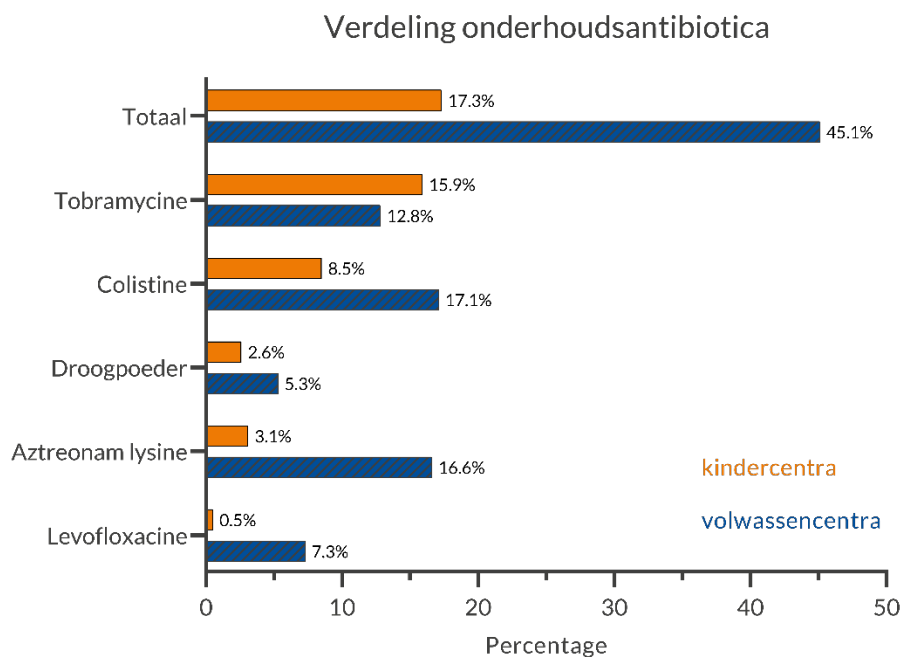


Figuur 17. Behandeling van de luchtwegen bij mensen met CF zonder longtransplantatie in 2020. Percentages van symptomen zijn uitgesplitst per kindercentra en volwassencentra. rhDNase is de slijmverdunner dornase alfa.



Bij sommige mensen werken de longen nog maar zo weinig dat ze extra zuurstof krijgen. In 2020 kreeg 0,3% van de kinderen en 0,6% van de volwassenen zuurstof via een slangetje of kapje. Zuurstof via een masker werd gegeven aan 0,5% van de kinderen en 3,2% van de volwassenen.

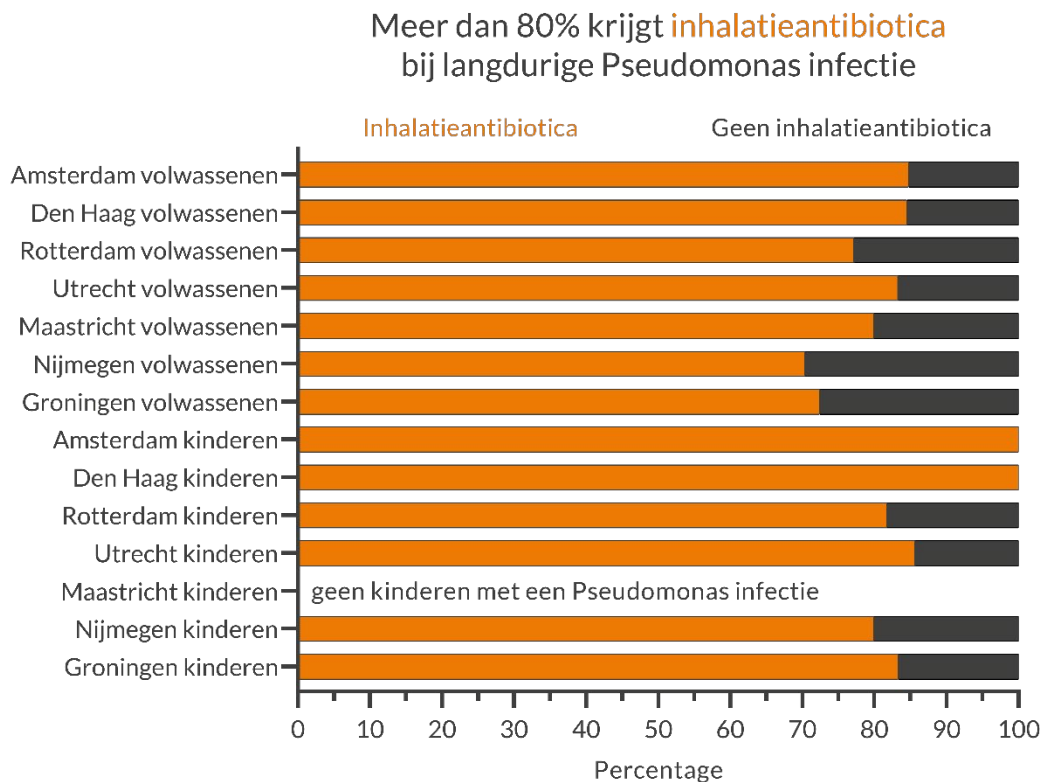
In Figuur 17 worden de antibiotica genoemd die worden geïnhaleerd als onderhoudsbehandeling (doorlopend). Onderhoud betekent dat de inhalatieantibiotica minstens drie maanden zijn gegeven. In Figuur 18 is dit getal opnieuw weergegeven en daarna uitgesplitst voor de types antibiotica. Voor elk los medicijn (zoals tobramycine) gaat het om het percentage mensen dat minstens één kuur van het medicijn heeft gehad. In Figuur 18 is goed te zien dat bijna alle inhalatieantibiotica, behalve tobramycine, het meest worden voorgeschreven aan de mensen met CF in de volwassencentra.



Figuur 18. Percentage kinderen en volwassenen met een specifiek type onderhoudsantibiotica (inname als inhalatie) in 2020.



Als iemand een longinfectie met de bacterie *Pseudomonas aeruginosa* heeft dan wordt diegene meestal met inhalatieantibiotica behandeld. In Figuur 19 is te zien hoeveel procent van de mensen met zo'n infectie minstens één keer inhalatieantibiotica kreeg in 2020. In dit figuur zijn de gegevens gebruikt van alle mensen met CF, zonder longtransplantatie. Ook zijn ze in 2020 gezien/gesproken en hebben ze een langdurige infectie van de bacterie *Pseudomonas*. In totaal gaat het om 461 mensen. 379 van hen kreeg minstens één keer inhalatieantibiotica, dat is 82,2%.



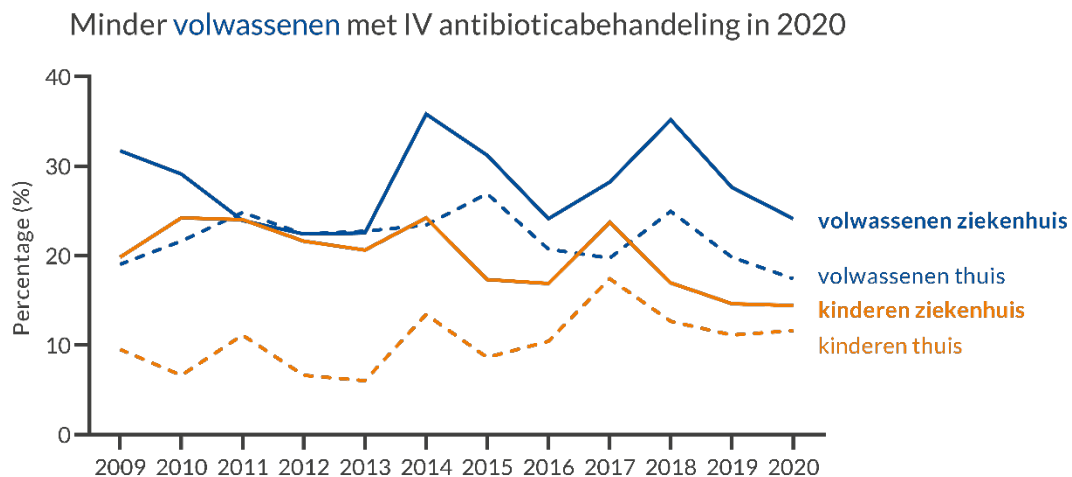
Figuur 19. Percentage mensen dat minstens één keer inhalatieantibiotica kreeg voor een aanhoudende *Pseudomonas aeruginosa* infectie in de longen. Gegevens zijn weergegeven per centrum.

b. Antibiotica via het infuus

Soms zijn antibiotica in pillen of via inademing 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 in het kort. Deze behandeling vindt plaats in het ziekenhuis en/of thuis.

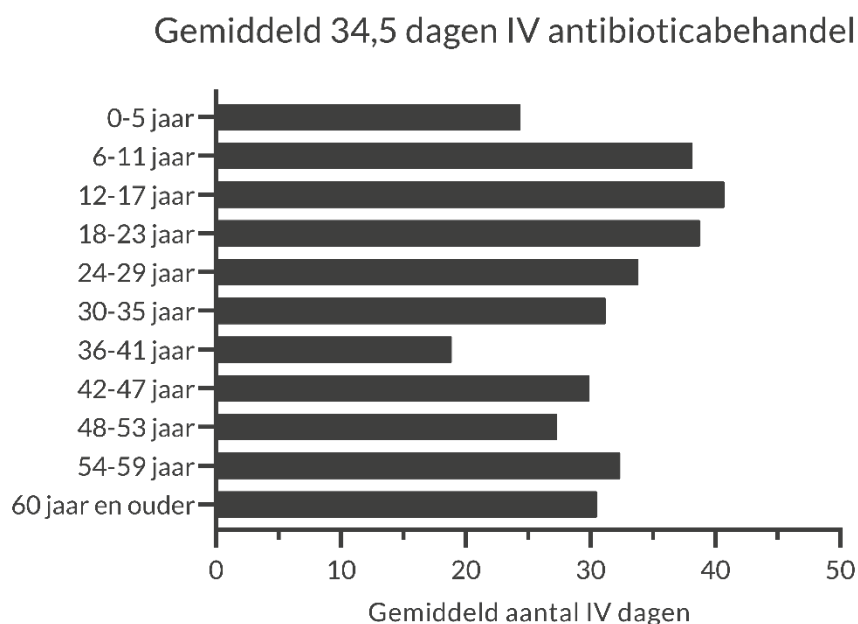
In 2020 heeft 85,6% van de kinderen geen enkele dag een intraveneuze antibioticabehandeling in het ziekenhuis gehad. In de groep volwassenen is dat 75,9%. 88,4% van de kinderen heeft in 2020 geen intraveneuze antibioticabehandeling thuis gehad. Voor de volwassenen gaat het om 82,6%.

In Figuur 20 is te zien hoe deze percentages zijn in 2020 en voorgaande jaren. Het percentage volwassenen dat een IV antibioticabehandeling krijgt, neemt voor het tweede jaar op rij af. Toch krijgen, naar verhouding, meer volwassenen dan kinderen een dergelijke behandeling.



Figuur 20. Kinderen en volwassenen met minstens één dag IV antibioticabehandeling in het aangegeven jaar (2009-2020). Gegevens van mensen met CF zonder longtransplantatie. Percentages zijn uitgesplitst in thuisbehandeling en ziekenhuisbehandeling.

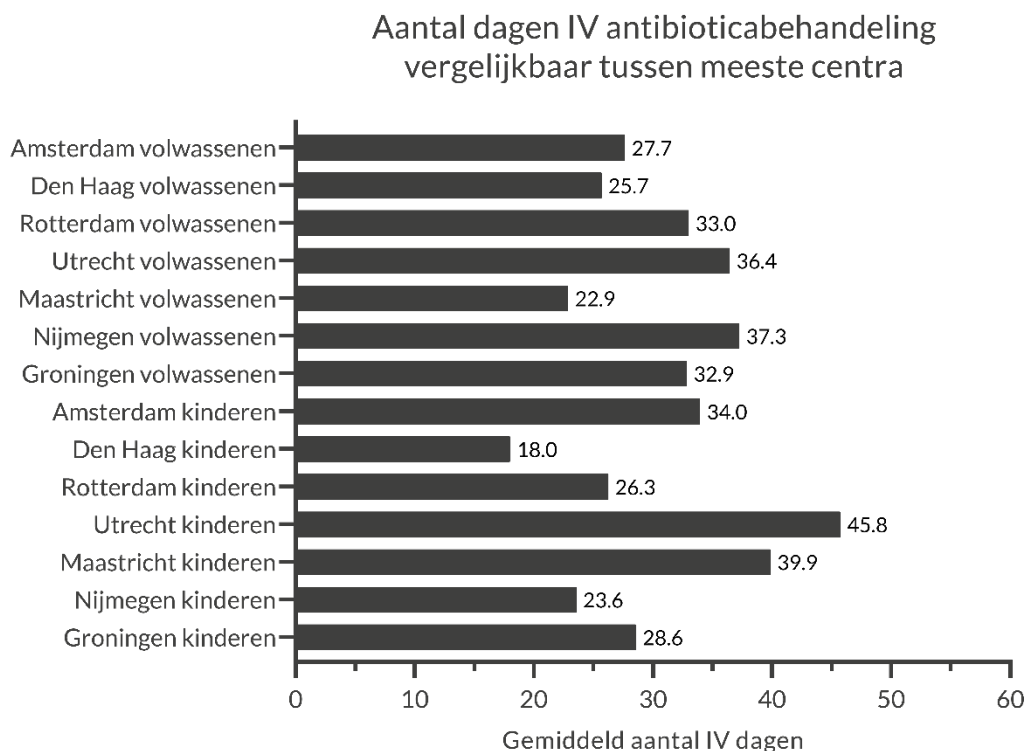
In Figuur 21 staat uitgesplitst per leeftijdsgroep wat het gemiddeld aantal dagen IV antibioticabehandeling is in 2020. In totaal hebben alle mensen met minstens één IV dag gemiddeld 34,5 dagen een IV antibioticabehandeling gehad in één jaar. De mediane waarde is 21, dat betekent dat de helft van de mensen in totaal minder dan 21 dagen werd behandeld en de andere helft langer dan 21 dagen.



Figuur 21. Gemiddeld aantal dagen IV antibioticabehandeling per jaar bij mensen die IV behandeld werden. IV = intraveneus, via een infuus direct het bloed in.



In Figuur 22 staan de gemiddeldes van alle CF-centra in Nederland. De meeste gemiddeldes liggen tussen de 20 en 40 dagen.



Figuur 22. Gemiddeld aantal IV antibioticabehandeling per centrum in 2020. Berekend voor alle mensen met CF met minstens één IV dag.

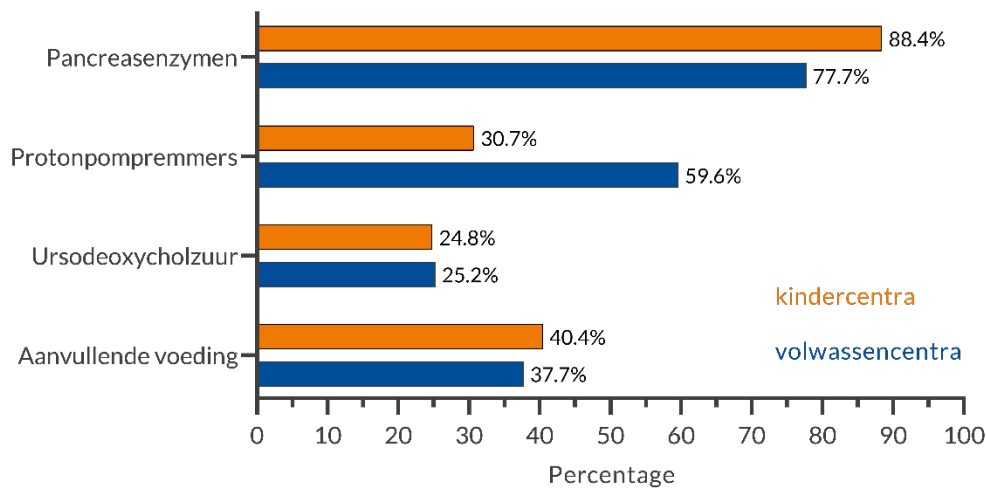
c. Maagdarmleverklachten en behandeling

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. In 2020 is 94,3% van de kinderen minstens één keer bij de diëtist geweest. Bij de volwassenen is dat percentage lager, 62,0%.

Er zijn verschillende medicijnen verkrijgbaar om de klachten van het maagdarmleverstelsel te verminderen. In Figuur 23 is te zien hoeveel kinderen en volwassenen een medicijn daarvoor gebruiken, volgens de gegevens van 2020. Pancreasenzymen worden het meest gebruikt.



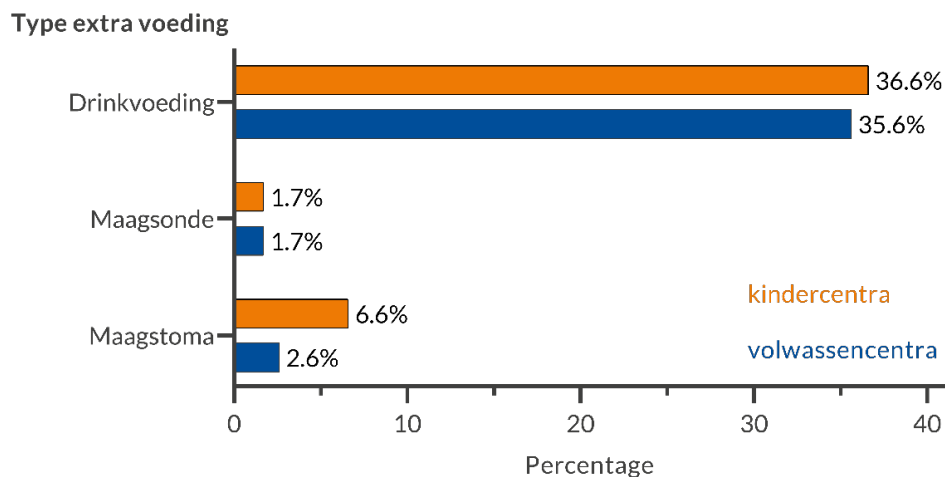
Enzymen meest gebruikte behandeling voor maagdarmleverstelsel.



Figuur 23. Behandeling van maagdarmlevertklachten bij mensen met CF, zonder longtransplantatie, in 2020. Percentages zijn uitgesplitst voor kinderen en volwassenen. Pancreasenzymen verteren het voedsel zodat het beter wordt opgenomen in het lichaam, protonpompremmers helpen tegen brandend maagzuur. Aanvullende voeding helpt om op gewicht te komen/te blijven. Ursodeoxycholzuur verbetert mogelijk de afvoer van de gal.

In Figuur 23 staat dat zo'n 40% van alle mensen met CF gebruikmaken van extra, aanvullende voeding. In Figuur 24 is uitgesplitst hoe vaak elke soort extra voeding is voorgeschreven. De meeste kinderen en volwassenen van die 40% krijgen drinkvoeding. Een klein aantal mensen krijgt extra voeding via een maagsonde of maagstoma.

Drinkvoeding wordt het meest voorgeschreven als voedingssupplement



Figuur 24. Voorgeschreven extra voeding in 2020. Uitgesplitst voor kinderen en volwassenen met CF en zonder longtransplantatie.



d. Transplantaties

Van alle 1563 mensen met CF, volgens de gegevens van 2020, zijn 107 longgetransplanteerd. Vier mensen zijn in 2020 getransplanteerd. Meer informatie over de gehele longtransplantatiegroep is te vinden in hoofdstuk 12 Mensen met een longtransplantatie, pagina 46.

Zeven mensen hebben ooit een levertransplantatie gehad, acht mensen ooit een niertransplantatie. Sommige mensen hebben meerdere donororganen.

Op 31 december 2020 stonden er nog negen mensen op de wachtlijst voor een longtransplantatie. Drie mensen wachten op een nieuwe lever.

6. Longfunctie

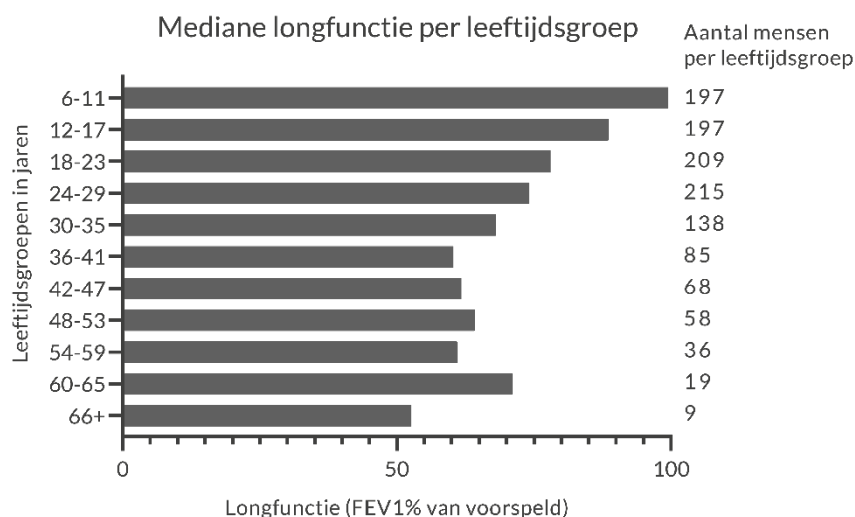
Dit hoofdstuk gaat over de longfunctie van mensen met CF in Nederland. Die wordt gemeten vanaf zes jaar. In 2020 zijn gegevens bekend van 1282 mensen met een bevestigde CF diagnose die zes jaar of ouder zijn en geen longtransplantatie hebben gehad. 1231 mensen hebben minstens één longfunctiemeting gedaan.

Doordat het slijm in de longen taai is bij mensen met CF, krijgen ze vaak infecties en ontstekingen. Die zorgen ervoor dat de longen steeds iets minder goed werken. Hoe goed longen werken kan op verschillende manieren gemeten worden, waaronder met de longfunctie waarbij de methode FEV1 de belangrijkste waarde is. 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. Dit wordt gedaan 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 beoordeeld als een gezonde longfunctie.

a. Longfunctie per leeftijdsgroep

In 2020 heeft de helft van de kinderen een longfunctie boven de 94,3%, de andere helft zit eronder. Dat getal is de mediane longfunctie. Voor volwassenen is de mediane longfunctie 70,5%.

In Figuur 25 is te zien wat de longfunctie is per leeftijdsgroep. De helft van de tieners (12-17 jaar) heeft een longfunctie onder de 90%, niet meer een gezonde, normale longfunctie dus. De mediane longfunctie wordt steeds lager bij de oudere leeftijdsgroepen. Vanaf 36-41 jaar blijft het stabiel. Dit komt doordat de mensen met een hele lage longfunctie overlijden en de mensen met een betere longfunctie in leven blijven.



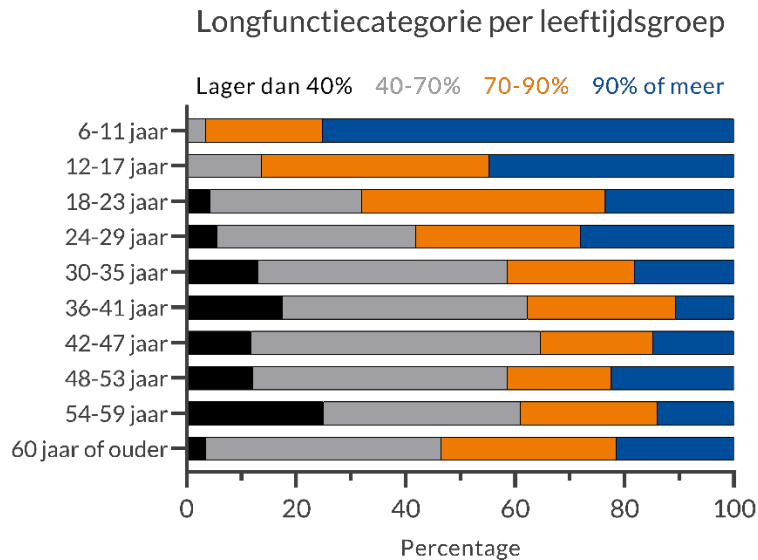
Figuur 25. Mediane longfunctie FEV1% van voorspeld in 2020. Gegevens zijn gebruikt van mensen met CF die zes jaar of ouder zijn en geen longtransplantatie hebben ondergaan.

De FEV1 kan ook worden ingedeeld in groepen. Deze indeling wordt ook internationaal gebruikt: lager dan 40%, 40-70%, 70-90% of een gezonde longfunctie van 90% en hoger. In de kindercentra heeft 58,6% van de kinderen een normale longfunctie van 90% of hoger. 32,2% heeft een longfunctie van 70-90% en 9,2% heeft een longfunctie tussen de 40 en 70%. In de volwassencentra heeft 20,8% van de



volwassenen nog een normale longfunctie. 30,1% zit tussen de 70 en 90%, de meesten (39,3%) hebben een longfunctie van 40-70% en 9,7% heeft een longfunctie lager dan 40%.

In Figuur 26 zijn alle longfunctiemetingen per leeftijdsgroep ingedeeld in de genoemde groepen. Zoals genoemd en in dit figuur goed te zien heeft geen enkel kind in 2020 een longfunctie onder de 40%. Het percentage mensen met een longfunctie van 70% of hoger wordt steeds kleiner tot de leeftijdsgroep van 42 jaar.

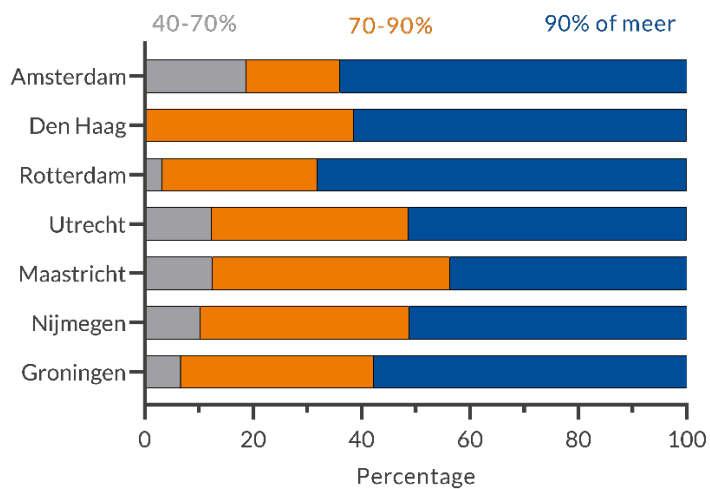


Figuur 26. Longfunctiegroepen verdeeld over alle mensen met CF zonder longtransplantatie, uitgesplitst in leeftijdsgroepen.

b. Longfunctie van kinderen

In Figuur 27 wordt ingezoomd op de longfunctie (FEV1) van de kinderen, per kindercentrum. In totaal zijn de gegevens gebruikt van 415 kinderen die minstens zes jaar oud waren, en het hele jaar in één centrum onder behandeling waren. In dit figuur is ook te zien dat er geen kinderen zijn die een longfunctie onder de 40% hebben in 2020. In bijna alle centra heeft minstens de helft van de kinderen zelfs een gezonde, normale longfunctie van 90% of hoger.

In meeste centra heeft minstens de helft van de kinderen een gezonde longfunctie

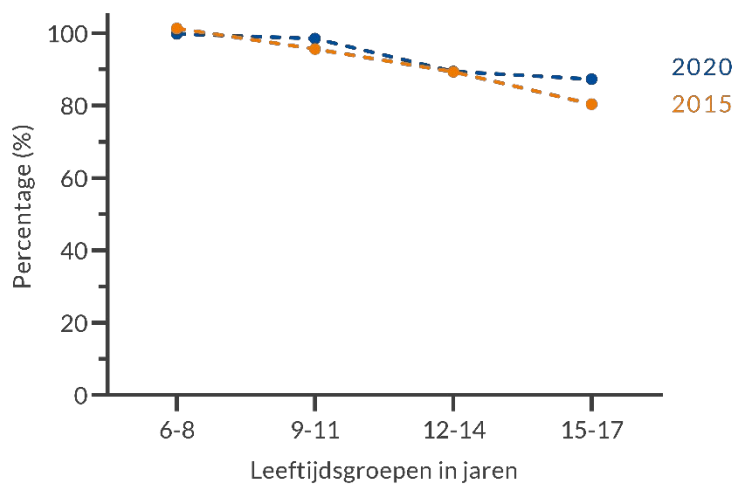


Figuur 27. Per CF-centrum de verdeling van de longfunctie van kinderen met CF.

De longfunctie van de kinderen gaat geleidelijk omhoog. In 2015 was de mediane longfunctie van kinderen tot 18 jaar 92,4%. In 2020 is dit 95,0%.

Per leeftijdsgroep gekeken is de longfunctie in 2020 met name hoger in de groep 15-17 jarigen (Figuur 28).

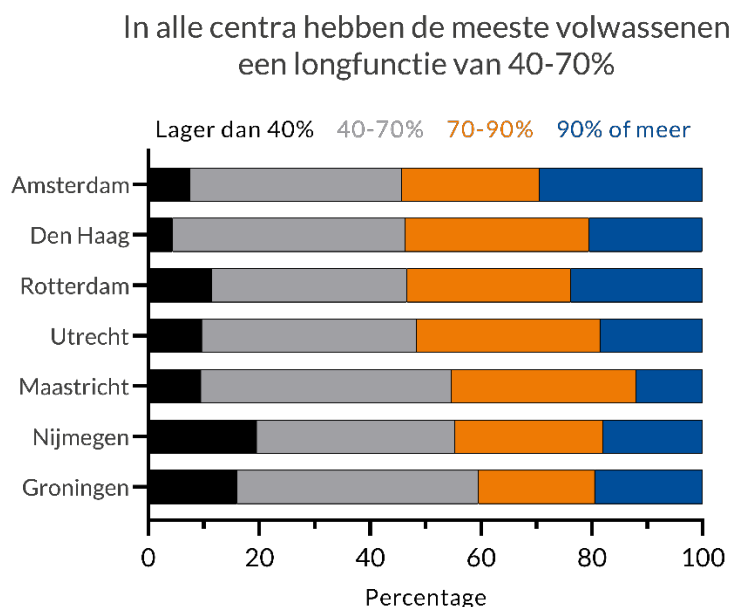
Mediane longfunctie in 2015 en 2020 van kinderen



Figuur 28. Mediane longfunctie per leeftijdsgroep kinderen in 2015 en 2020.

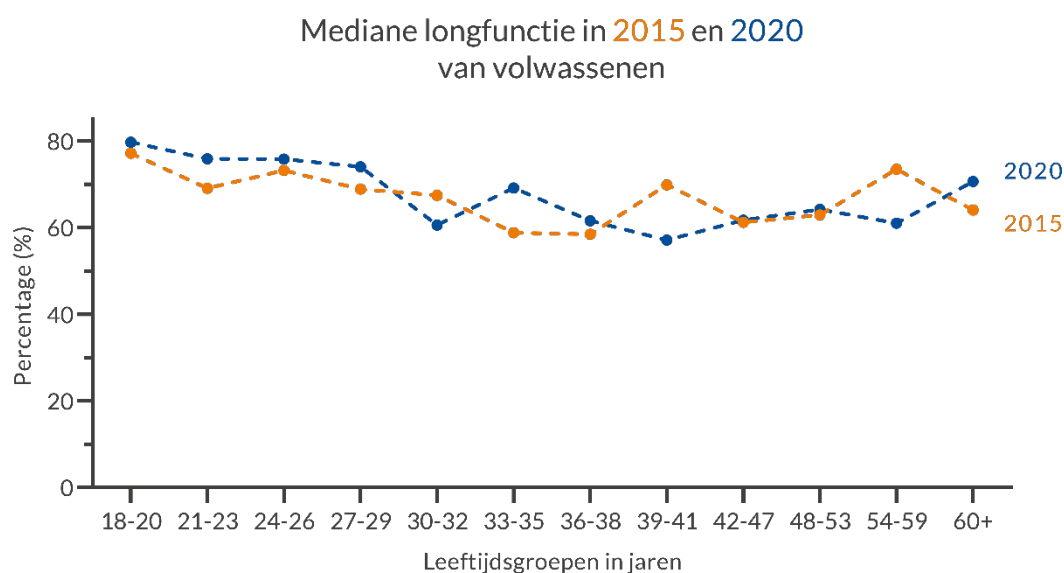
c. Longfunctie van volwassenen

In Figuur 29 is te zien wat de verdeling is in longfunctiegroepen, per centrum. Hieruit blijkt bijvoorbeeld dat Nijmegen en Groningen in 2020 de meeste volwassenen hebben met een longfunctie lager dan 40%. Het ziekenhuis in Amsterdam behandelt de meeste mensen met een gezonde longfunctie van 90% of hoger. In totaal zijn hiervoor gegevens gebruikt van 816 volwassenen.



Figuur 29. Per CF-centrum de verdeling van de longfunctie van volwassenen met CF.

In 2015 is de mediane longfunctie van volwassenen 66,3%. In 2020 is deze waarde gestegen naar 70,5%. In Figuur 30 is te zien dat deze stijging niet optreedt in alle leeftijdsgroepen.



Figuur 30. Mediane longfunctie per leeftijdsgroep volwassenen in 2015 en 2020.

7. Lengte en gewicht van 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

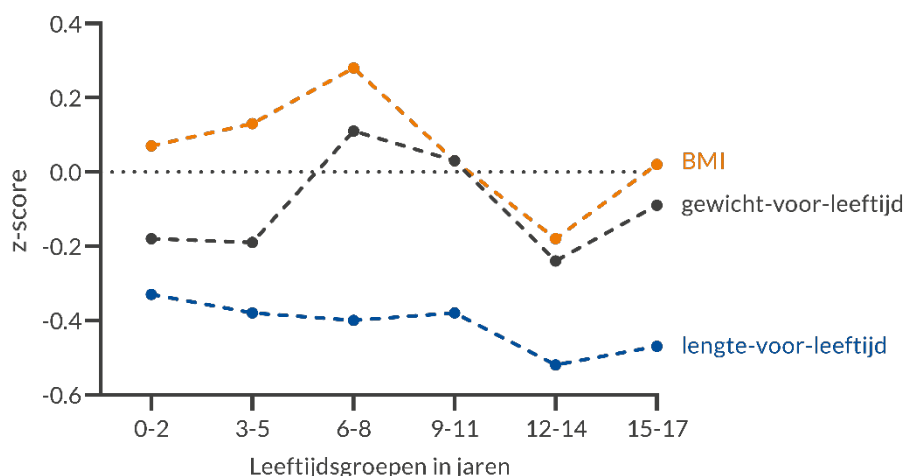
Body Mass Index (BMI) is één manier om iets te zeggen over de verhouding tussen lengte en gewicht. Maar voor kinderen is deze maat nog niet geschikt. Een kind groeit veel centimeters en wordt ook veel zwaarder tijdens de hele kindertijd. Lengte en gewicht kunnen omgerekend worden naar verschillende z-scores.

De z-score is een gecorrigeerde waarde voor leeftijd 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.

In Figuur 31 zijn de z-scores te zien van drie maten voor lengte en gewicht: lengte-voor-leeftijd, gewicht-voor-leeftijd 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 z-scores schommelen rondom het gemiddelde van 0 (Figuur 31). Ook de waardes van gewicht-voor-leeftijd zitten in de buurt van 0. Dat geldt niet voor lengte-voor-leeftijd: in alle leeftijdsgroepen is de z-score vrij laag. De mediane waardes vallen nog wel in het normale gebied van -2 tot 2. Over het algemeen zijn kinderen met CF iets korter dan gemiddeld, maar niet extreem.

Iets kortere **lengte-voor-leeftijd** in alle leeftijdsgroepen

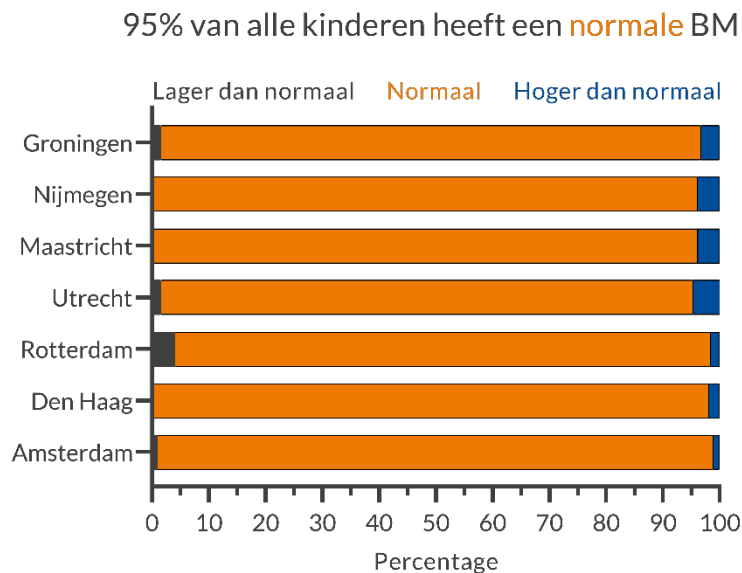


Figuur 31. Verschillende maten voor lengte en gewicht van kinderen met CF in 2020. De z-score is een gecorrigeerde waarde voor leeftijd en geslacht (en etniciteit). Een z-score tussen de -2 en 2 is normaal: 95% van de kinderen in Nederland heeft een z-score in dat gebied en een z-score van 0 is gemiddeld.



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. 95% van alle kinderen met CF heeft een normale BMI in 2020 (Figuur 32). De verschillen tussen de CF kindercentra zijn klein.

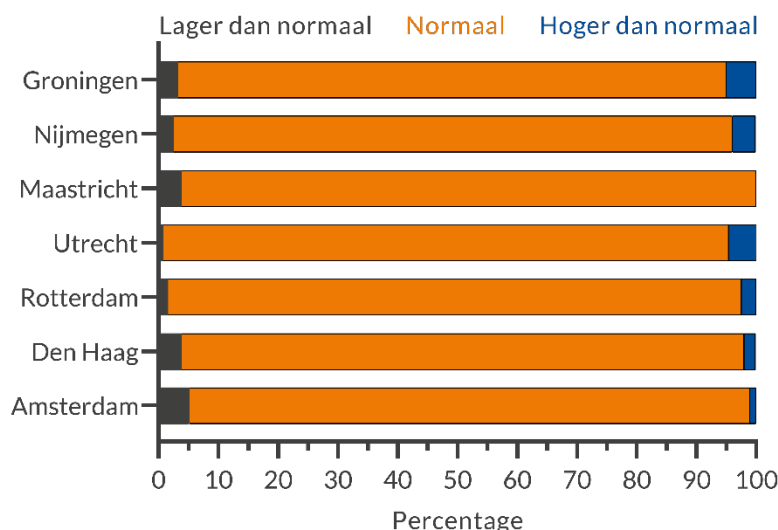


Figuur 32. BMI verdeling van alle kinderen met CF in 2020. Een normale BMI z-score ligt tussen -2 en 2. Lager dan normaal is kleiner dan -2, hoger dan normaal is hoger dan 2. De z-score is een gecorrigeerde waarde voor leeftijd en geslacht (en etniciteit). Een z-score tussen de -2 en 2 is normaal: 95% van de kinderen in Nederland heeft een z-score in dat gebied en een z-score van 0 is gemiddeld.



Het gewicht is passend bij de leeftijd voor 94,3% van alle kinderen met CF in 2020. In Figuur 33 is te zien hoe de verdeling per kindercentrum CF in 2020.

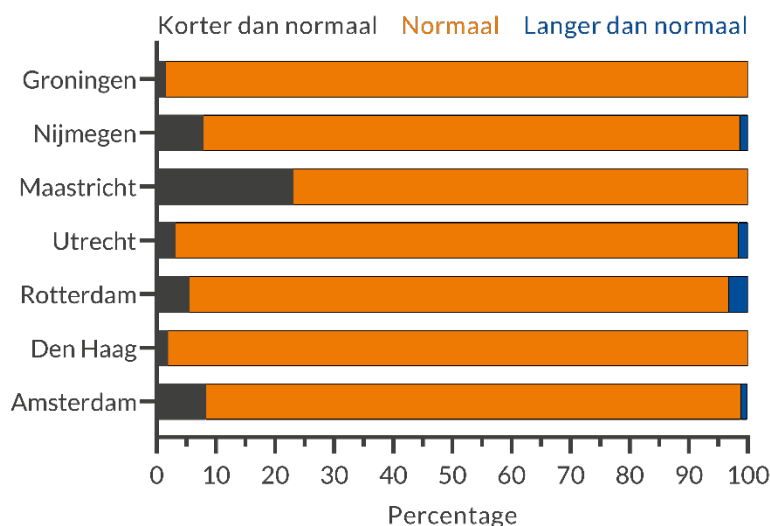
Bijna 95% van alle kinderen heeft een **normaal** gewicht



Figuur 33. Gewicht-voor-leeftijd verdeling van alle kinderen met CF in 2020. 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). 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.

De meeste kinderen met CF zijn iets korter dan gemiddeld. Toch heeft 92,7% een normale lengte (Figuur 34). In Maastricht zijn veel kinderen korter dan normaal. Dat komt niet door een andere behandeling, binnen Nederland zijn namelijk grote regionale verschillen in hoe lang mensen (en kinderen) zijn. De kinderen in Limburg zijn over het algemeen kleiner dan bijv. de kinderen uit Groningen.

Meer dan 90% van de kinderen heeft een **normale** lengte



Figuur 34. Lengte-voor-leeftijd verdeling van alle kinderen met CF in 2020. 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). 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.

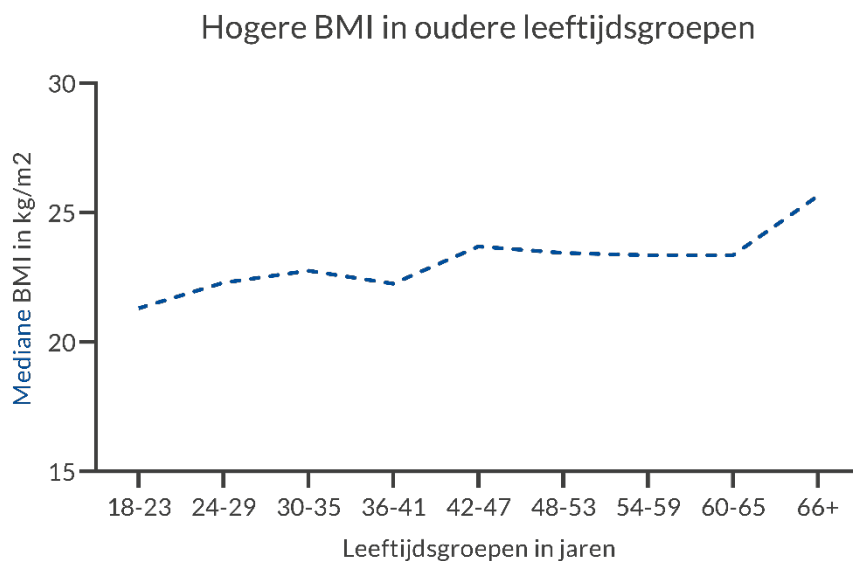


8. Lengte en gewicht van volwassenen

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 ligt binnen de gezonde waarden van 18,5-25, dit geldt voor bijna leeftijdsgroepen (Figuur 35). In de groep mensen van 66 jaar en ouder heeft de helft een BMI hoger dan 25,6. Over het algemeen is de BMI hoger bij de oudere volwassenen dan bij de jonge volwassenen.



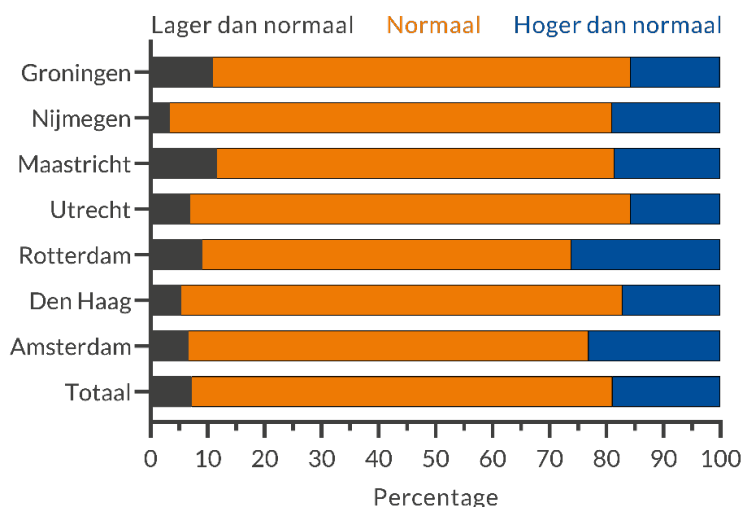
Figuur 35. Mediane BMI van volwassenen met CF in 2020.

b. BMI per volwassencentrum

De BMI waarden 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 36 zijn alle BMI waarden van volwassenen met CF ingedeeld in drie groepen. In totaal heeft 7,2% van de volwassenen een BMI lager dan normaal en 18,9% heeft een BMI hoger dan normaal. Dat betekent dat bijna driekwart van de volwassenen een normale BMI heeft.

Bijna driekwart van de volwassenen met CF heeft een **normale** BMI



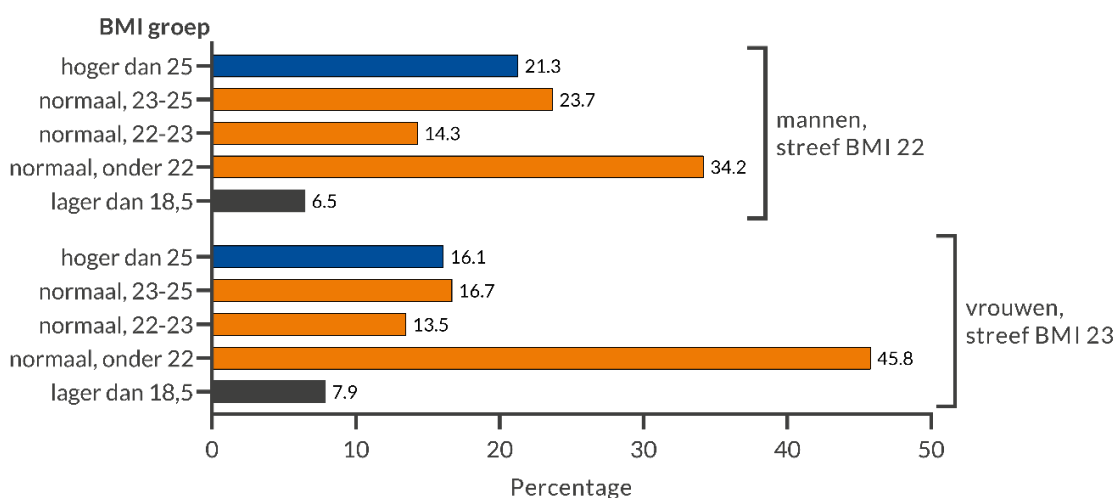
Figuur 36. BMI groepen per CF volwassencentrum in 2020. Een normale BMI is 18,5 of hoger, maar lager dan 25. Een lagere BMI dan normaal is lager dan 18,5. Een BMI hoger dan normaal is 25 of hoger.

c. Verschillen tussen mannen en vrouwen

In Figuur 37 zijn de BMI groepen verder uitgesplitst tussen mannen en vrouwen. Vrouwen zijn over het algemeen lichter dan de mannen. En daarmee worden de verschillen nog groter. Want de BMI-waarde waarnaar gestreefd wordt, is hoger voor vrouwen dan voor mannen met CF. 40,7% van de mannen heeft een BMI onder de (internationale) streefwaarde van 22. Bij de vrouwen is het percentage vrouwen met een BMI onder de 22 hoger, 53,7%. Alleen is hun streef BMI 23 en het percentage dat daaronder zit is 67,2%.

Bij zowel mannen als vrouwen zijn er ook mensen met overgewicht: 16,1% van de vrouwen en 21,3% van de mannen heeft een BMI hoger dan 25.

Bijna 20% van de volwassenen heeft **overgewicht**



Figuur 37. BMI groepen van volwassen mannen en vrouwen met CF in 2020.

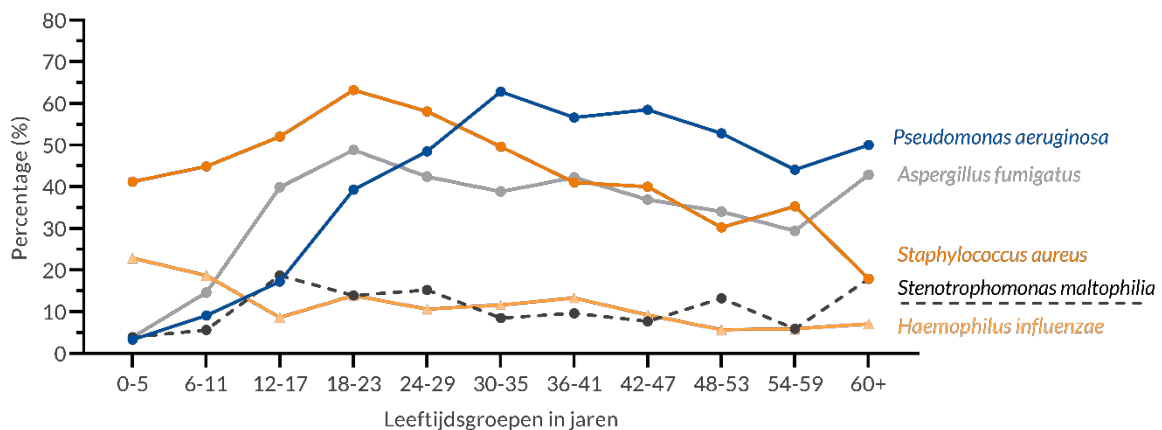
9. Bacteriën en schimmels

In dit hoofdstuk wordt beschreven hoe vaak een longinfectie met een bacterie of een schimmel voorkomt. De gebruikte gegevens zijn van alle mensen met CF, zonder longtransplantatie, van wie minstens één sputumkweek is gedaan.

a. Leeftijd en infecties

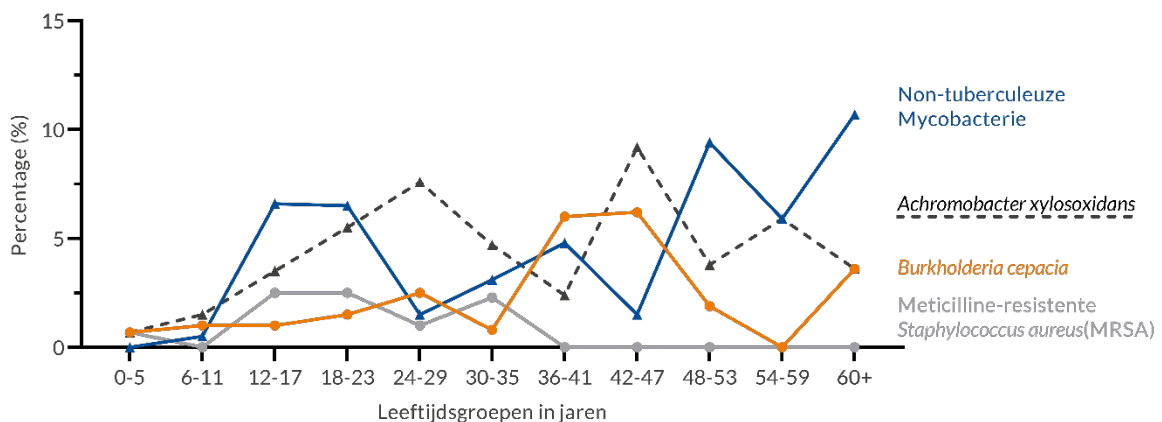
Mensen met CF hebben vaak infecties in de longen. Dit komt doordat bacteriën of schimmels in de longen komen en daar vast blijven zitten in het taaie slijm. Sommige bacteriën komen veel voor (Figuur 38), andere zijn zeldzamer (Figuur 39). Sommige bacteriën zorgen vooral bij jonge kinderen voor een infectie (bijvoorbeeld *Haemophilus influenzae*), anderen komen juist vaker voor bij volwassenen (bijvoorbeeld *Pseudomonas aeruginosa*).

Meest voorkomende bacterie- en schimmelinfecties per leeftijdsgroep



Figuur 38. Infecties van meest voorkomende bacteriën en een schimmel bij mensen met CF in 2020. Uitgesplitst per leeftijdsgroep.

Zeldzame bacterie-infecties per leeftijdsgroep



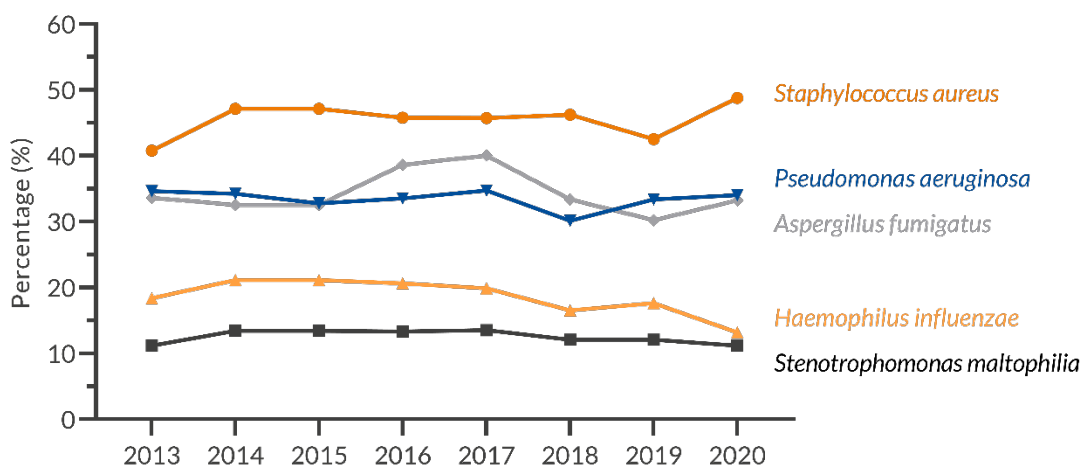
Figuur 39. Infecties van minst voorkomende bacteriën bij mensen met CF in 2020. Uitgesplitst per leeftijdsgroep.



b. Veelvoorkomende bacteriën en schimmel

Vier bacteriën en één schimmel zorgen voor de meeste infecties in de longen van mensen met CF (Figuur 40). In 2020 hebben duidelijk meer mensen een infectie met de bacterie *Staphylococcus aureus*. De grootste afname is van infecties door de bacterie *Haemophilus influenzae*.

Infecties met meest voorkomende bacteriën en schimmel

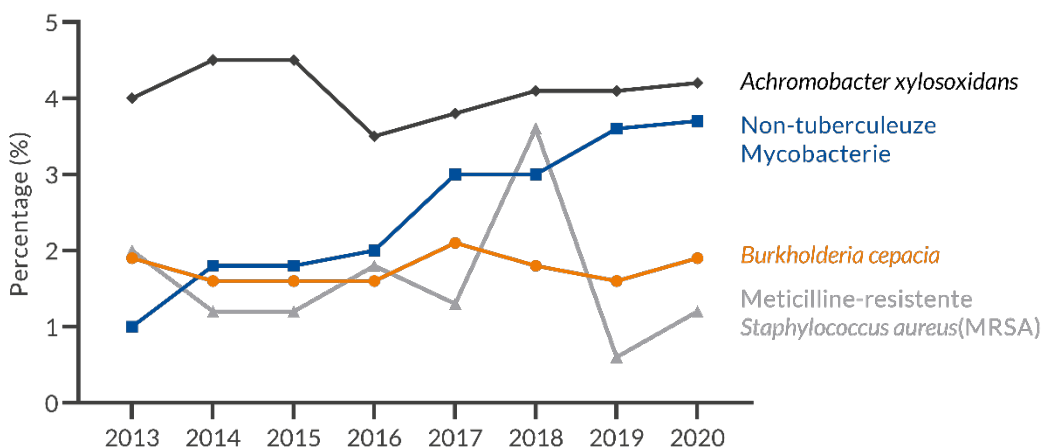


Figuur 40. Percentage mensen met CF met een infectie van de meest voorkomende bacteriën en schimmel (*aspergillus fumigatus*) van 2013-2020.

c. Zeldzame bacteriën

Andere bacteriën veroorzaken ook infecties in de longen van mensen met CF, maar komen veel minder vaak voor (Figuur 41). In 2020 is er een lichte toename van infecties bij alle zeldzame bacteriën.

Lichte toename van infecties door de zeldzame bacteriën



Figuur 41. Percentage mensen met CF met een infectie van de minst voorkomende bacteriën van 2013-2020.



d. Non-tuberculeuze mycobacteriën (NTM)

In 2020 heeft 3,7% van de mensen met CF een infectie met een NTM. Dat lijkt weinig, maar het percentage stijgt elk jaar én het zijn moeilijk behandelbare bacteriën.

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. In 2020 hebben 49 mensen een NTM in de sputumkweek. 42,9% heeft het type NTM abscessus, 46,9% één van de drie types uit het NTM avium complex en de overige mensen hebben een andere of onbekende variant.

e. 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 51 mensen met CF positief zijn getest voor het coronavirus in 2020. Dit is waarschijnlijk een onderschatting.

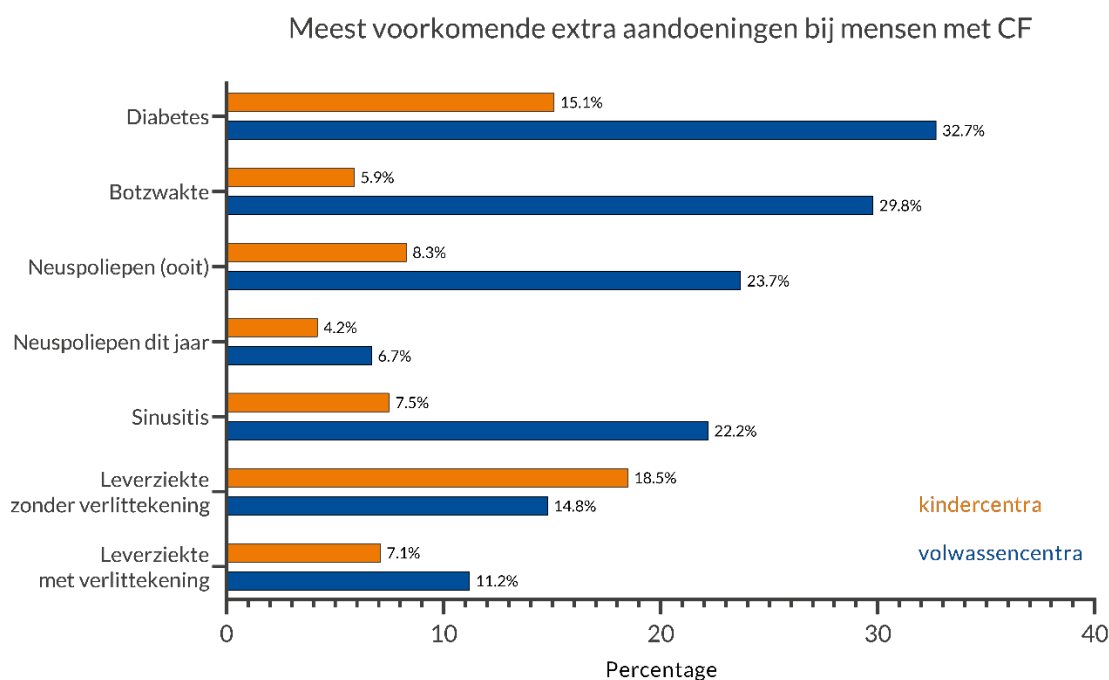
10. Extra aandoeningen bij CF

Mensen met CF hebben vaak extra aandoeningen, comorbiditeiten genoemd. In dit hoofdstuk is te zien hoeveel mensen welke extra aandoening hebben in 2020. Gegevens zijn gebruikt van mensen met CF zonder longtransplantatie die in 2020 gezien/gesproken zijn door een CF-centrum. In totaal zijn er gegevens bekend van 1439 mensen: 577 kinderen en 862 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. Sommigen zijn in tweeën gesplitst, zoals botbreuk in 2020 en botbreuk ooit. 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 en veelvoorkomende extra aandoeningen

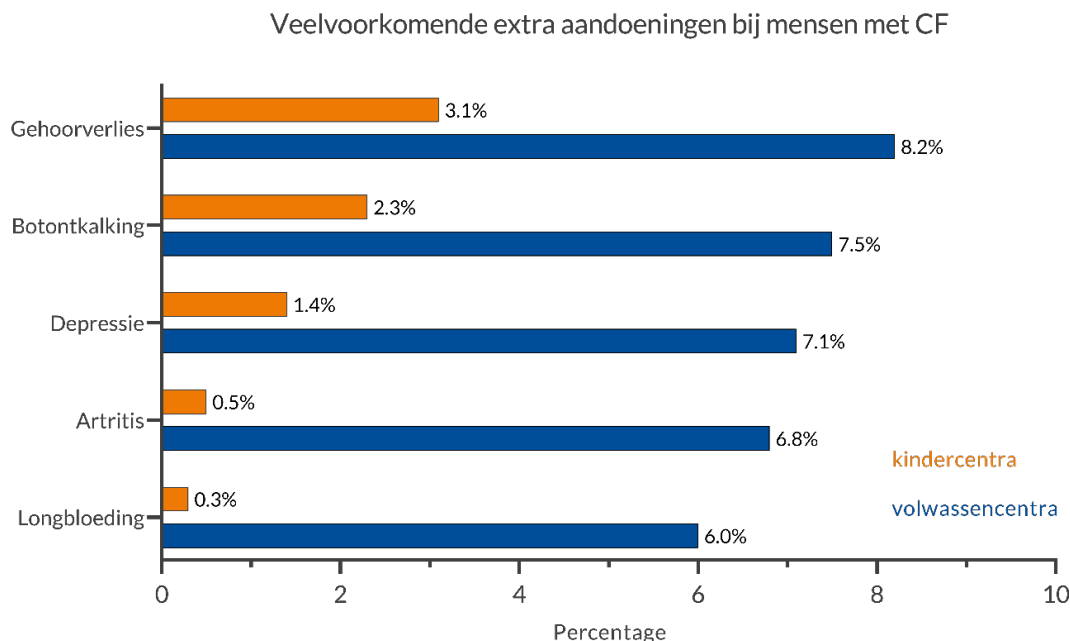
In Figuur 42 zijn de meest voorkomende extra aandoeningen te zien van 2020. Een derde van de volwassenen heeft diabetes en ook een derde heeft last van botzwakte (stadium vóór botontkalking). Bij de kinderen komt leverziekte juist vaker voor, bij bijna 20% van de kinderen is er sprake van leverziekte zonder verlittekening van de lever.



Figuur 42. Meest voorkomende extra aandoeningen van mensen met CF in 2020.



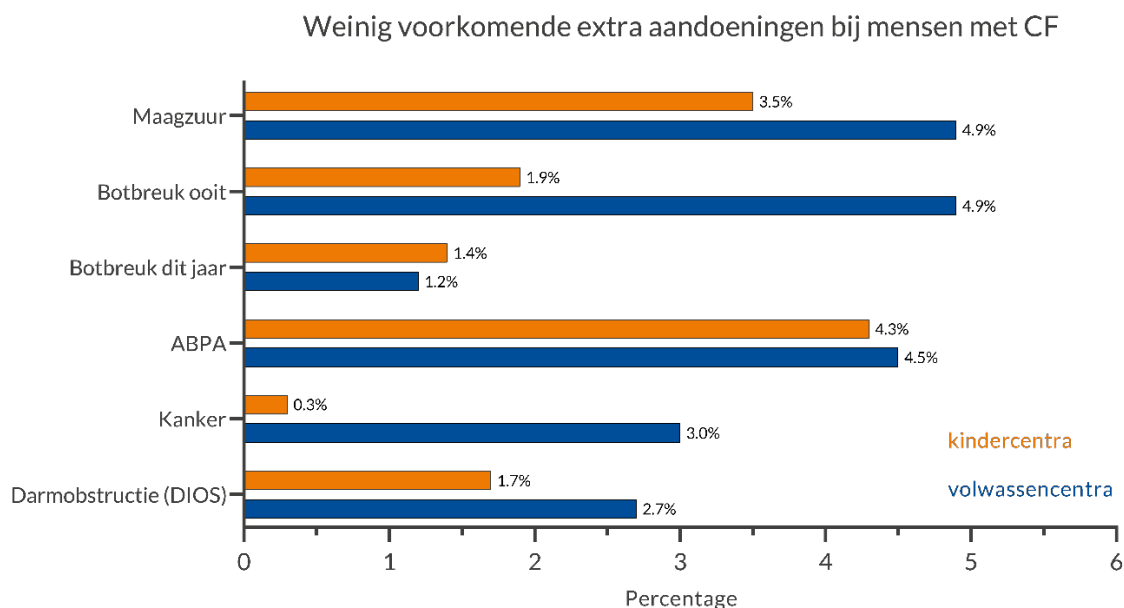
Andere extra aandoeningen komen bij 6-10% van de volwassenen voor, maar bijna niet bij kinderen (Figuur 43).



Figuur 43. Veelvoorkomende extra aandoeningen van mensen met CF in 2020.

b. Weinig voorkomende en zeldzame extra aandoeningen

Sommige aandoeningen komen voor bij minder dan 5% van de volwassenen en kinderen (Figuur 44 en Figuur 45). Uit Figuur 44 blijkt dat een ABPA bij een even groot percentage volwassenen als kinderen voorkomt in 2020. ABPA is een allergische reactie van de luchtwegen op de schimmel *Aspergillus fumigatus* en staat voor allergische bronchopulmonale aspergillose.

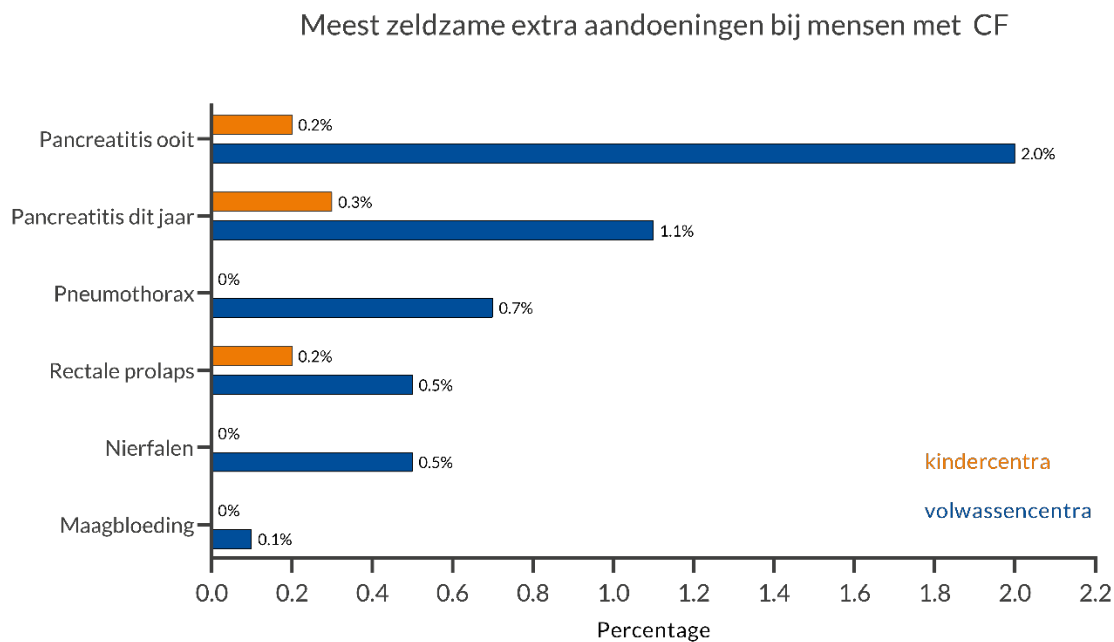


Figuur 44. Weinig voorkomende extra aandoeningen van mensen met CF in 2020. ABPA is een allergische reactie van de luchtwegen op de schimmel *Aspergillus fumigatus* en staat voor allergische bronchopulmonale aspergillose.



Bij vier mensen is in 2020 een vorm van kanker ontdekt. Bij 26 mensen is eerder een vorm van kanker ontdekt, bijv. darmkanker, teelbalkanker of borstkanker. Er is niet één vorm van kanker die veel vaker voorkwam dan de andere. 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 te persoonlijk).

In Figuur 45 staan de meest zeldzame extra aandoeningen. Ze komen voor bij minder dan 20 volwassenen of kinderen.



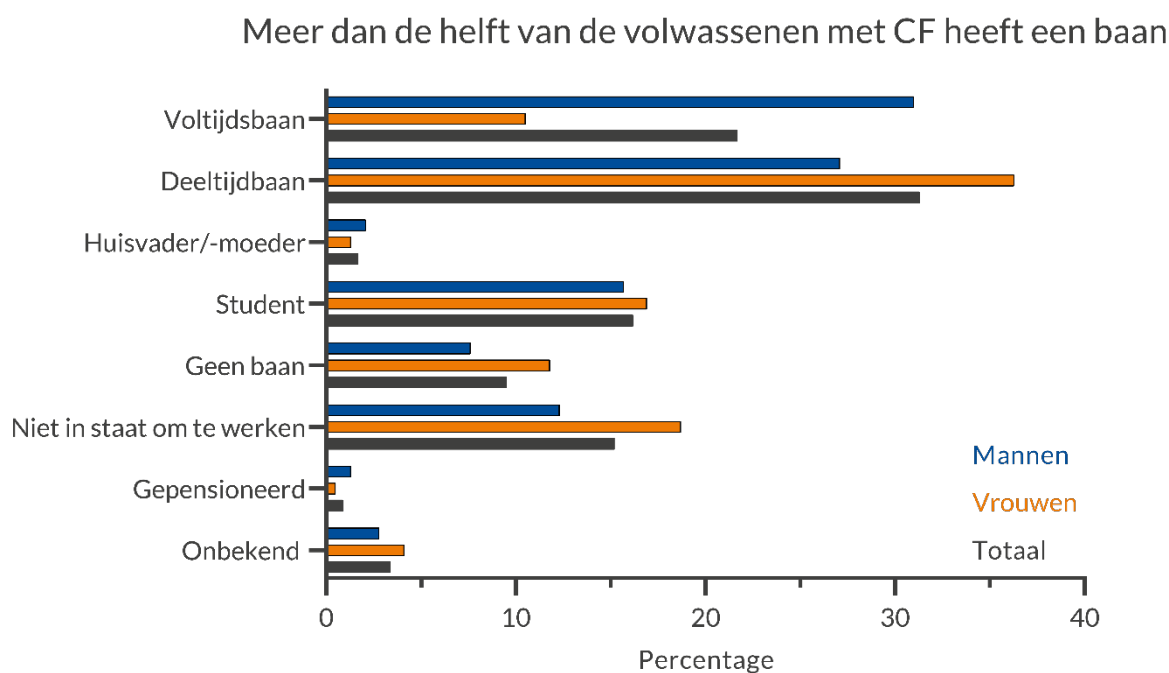
Figuur 45. Minst voorkomende extra aandoeningen van mensen met CF in 2020. Pancreatitis is een ontsteking van de alvleesklier. Pneumothorax is een klaplong. Rectale prolapse betekent dat een stukje darm via de anus naar buiten puilt.

11. Werk en gezin

Voor 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 (fysiek of telefonisch) in 2020.

a. Werk/maatschappelijk aandeel

In totaal zijn 862 volwassenen met CF, zonder longtransplantatie, in 2020 gezien of gesproken door één van de ziekenhuizen. Meer dan de helft van de mensen met CF heeft een baan, thuis of elders. Dat is meer dan in 2019 (Figuur 46). Meer dan 15% van de groep volwassenen is student. Vijftien procent van de volwassenen met CF is niet in staat om te werken. Verder is te zien dat meer mannen dan vrouwen een baan hebben. 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 46. Rollen van mensen met CF in de maatschappij in 2020.

b. Zwangerschappen

In 2020 waren 18 vrouwen zwanger, van de 391 volwassen vrouwen met CF (zonder longtransplantatie). In totaal, sinds het bijhouden van de registratie, zijn 99 zwangerschappen genoteerd. 85 keer werd een levende en levensvatbare baby geboren, in de andere gevallen was er sprake van een miskraam of abortus.



12. Mensen met een longtransplantatie

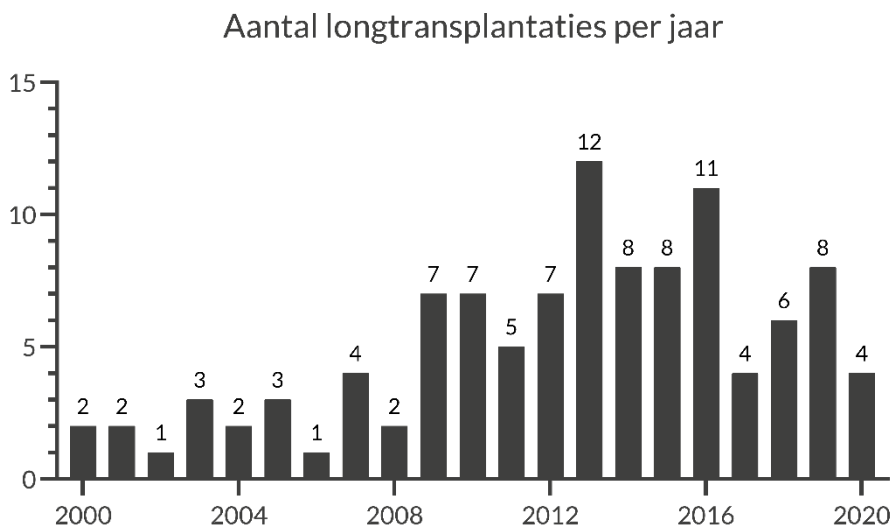
Voor het eerst is er een hoofdstuk met gegevens over mensen met CF én een longtransplantatie. In eerdere jaren missen van veel mensen gegevens, zodat de gegevens van deze mensen niet als groep konden worden geanalyseerd.

In dit hoofdstuk zijn gegevens opgenomen van mensen met CF én een longtransplantatie. Ook zijn ze sowieso één keer gezien/gesproken dit jaar. Van 107 volwassenen staan er gegevens in de registratie. Er zijn nog minstens 20 mensen waarvan geen gegevens beschikbaar zijn.

a. Door de jaren heen

In Figuur 47 is te zien hoeveel mensen met CF nieuwe longen hebben ontvangen in elk jaar. Sinds 2009 worden per jaar bij vier of meer mensen met CF transplantaties van de longen uitgevoerd. Van de mensen die meerdere longtransplantaties hebben ondergaan (een handvol mensen krijgt vaker dan één keer donorlongen), is alleen het meest recente transplantatiejaar gebruikt.

De helft van de mensen was ouder dan 32, de andere helft jonger. De jongste was 8 jaar, de oudste 60 jaar.



Figuur 47. Longtransplantaties bij mensen met CF, weergegeven per jaar. Sommige mensen hebben vaker dan één keer nieuwe longen ontvangen, het meest recente jaar is aangehouden.

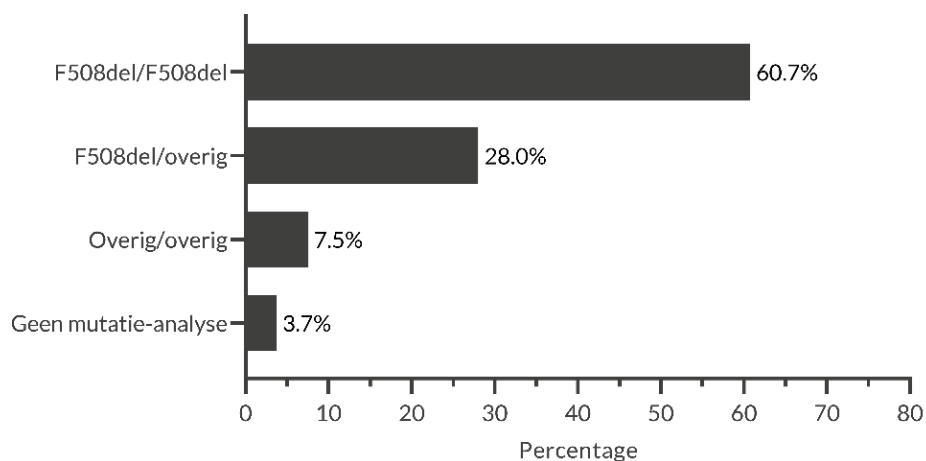


b. Demografie

Van de 107 mensen met CF en een longtransplantatie is 58,9% man. Vier mensen hebben in 2020 nieuwe longen gekregen. Zes mensen zijn in 2020 overleden.

In Figuur 48 is te zien dat de meeste mensen minstens één F508del-mutatie hebben: 88,7%.

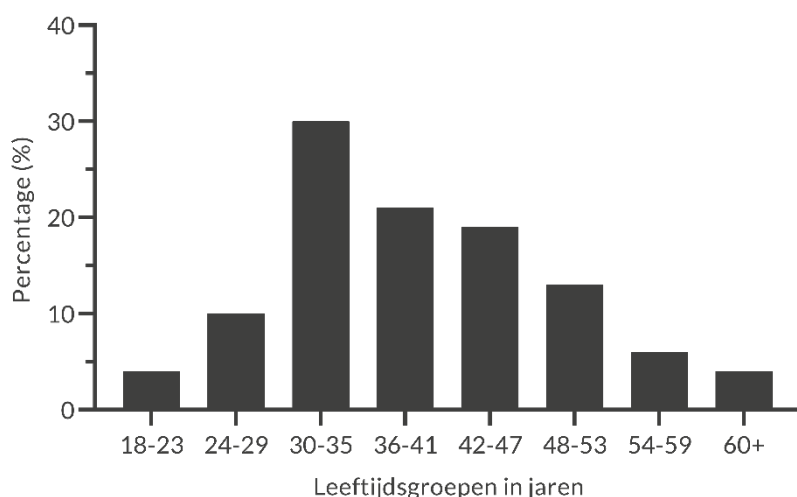
Meeste longgetransplanteerde mensen hebben minstens één F508del-mutatie



Figuur 48. Mutatieverdeling van mensen met CF en een longtransplantatie.

Van alle longgetransplanteerde mensen met CF is de helft tussen de 30 en 41 jaar oud (Figuur 49). 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 2020 ouder dan 39,7 jaar. Bij de vrouwen is die mediane waarde een stuk lager: 34,2 jaar.

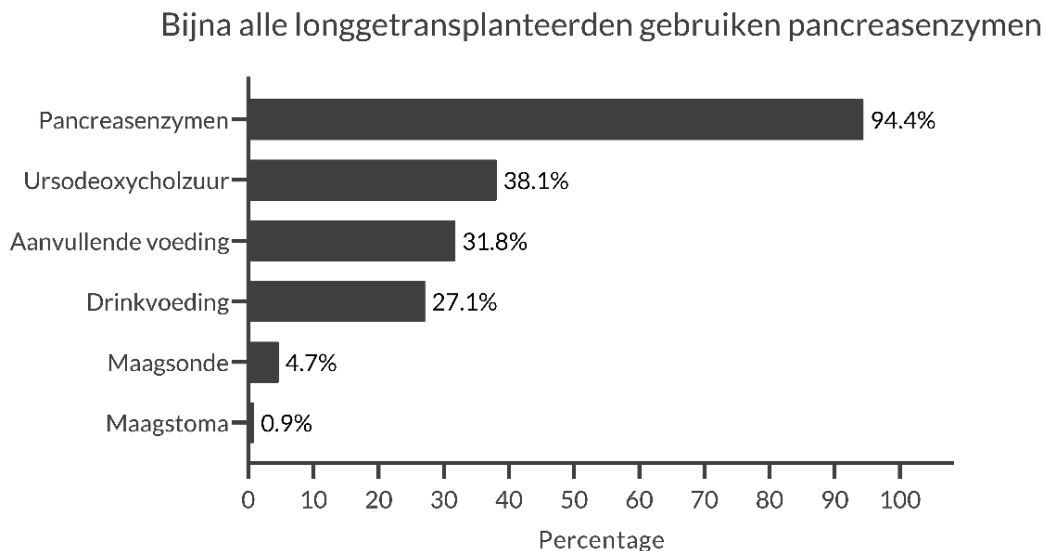
De helft van de longgetransplanteerden is 30-41 jaar oud



Figuur 49. Leeftijdverdeling van mensen met CF en een longtransplantatie in 2020. Leeftijd is verdeeld per 6 jaar.

c. Medicijnen

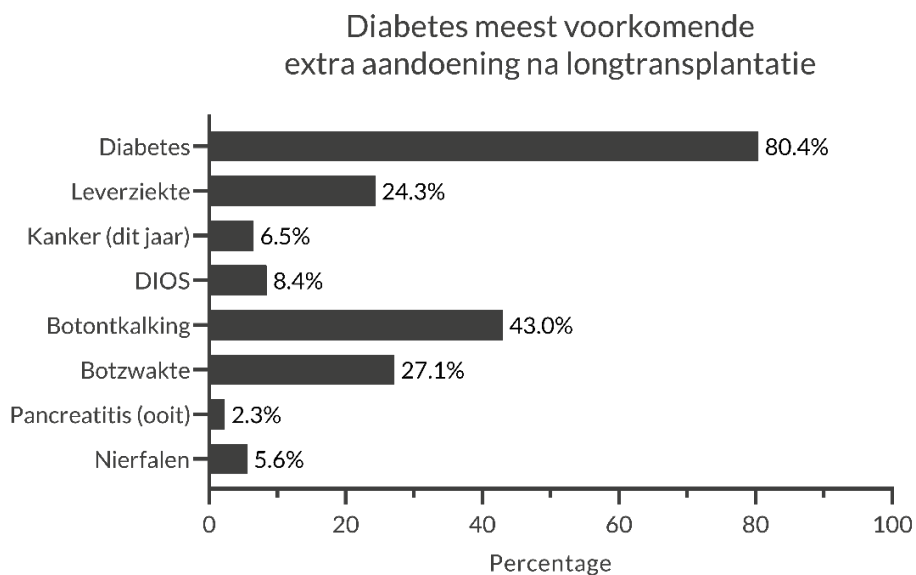
Bijna alle longgetransplanteerden gebruiken pancreasenzymen, volgens de gegevens van 2020 (Figuur 50). Meer dan 30% heeft aanvullende voeding nodig, bij de groep mensen met CF zonder longtransplantatie is dat ongeveer 40%. Ook in de groep longgetransplanteerden is dat voornamelijk drinkvoeding.



Figuur 50. Behandeling van maagdarmklachten van mensen met CF en een longtransplantatie in 2020.

d. Extra aandoeningen

Mensen met CF en een longtransplantatie hebben vaak nog extra aandoeningen (net zoals mensen met CF zonder longtransplantatie). Bijna 80% van alle longgetransplanteerden heeft diabetes (Figuur 51). Botontkalking komt ook veel voor, net als botzwakte en leverziekte.



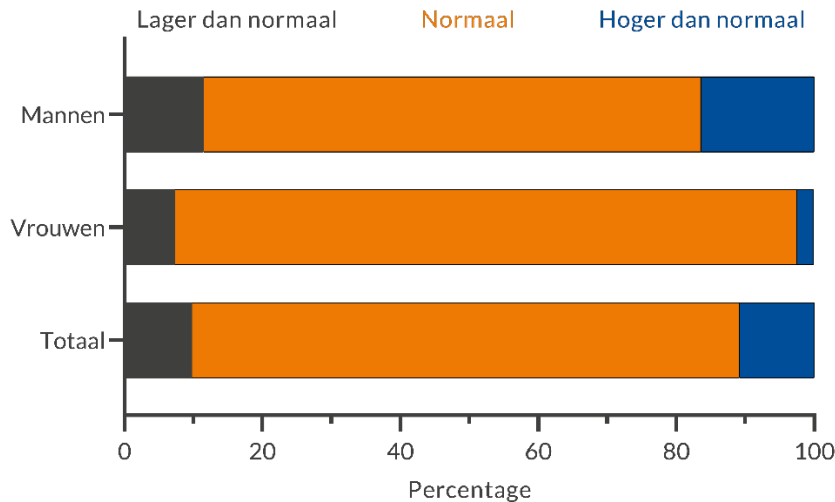
Figuur 51. Extra aandoeningen bij mensen met CF en een longtransplantatie, volgens de gegevens van 2020. DIOS is een ernstige darmverstopping.



e. Lengte en gewicht

De meeste vrouwen met een longtransplantatie hebben een normale BMI (Figuur 52). Minder dan 10% van de vrouwen heeft een lagere of hogere BMI dan normaal. Bij de mannen heeft meer dan een kwart een BMI die niet in het normale gebied valt. De helft van de vrouwen heeft een BMI hoger dan 20,9. Bij de mannen is die mediane waarde 22,2.

Meer mannen dan vrouwen hebben een BMI buiten het **normale** gebied



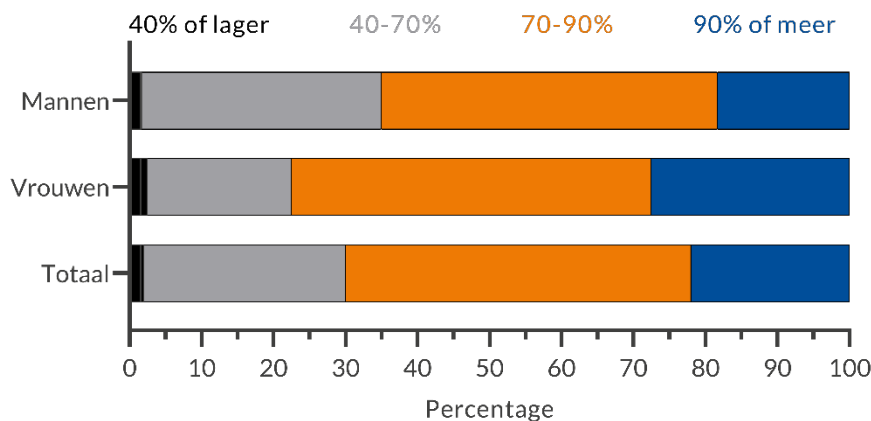
Figuur 52. BMI van mannen en vrouwen met CF en een longtransplantatie, verdeeld in drie groepen. Een normale BMI is 18,5 of hoger, maar lager dan 25.

f. Longfunctie

Van 94 mensen is geregistreerd wat de beste longfunctie (FEV1% van voorspeld) is in 2020. De vrouwen hebben, op groepsniveau, een betere longfunctie dan de mannen. De helft van de vrouwen heeft een longfunctie hoger dan 80,9%. Bij de mannen is deze mediane waarde 78,2%.

Enkele mensen hebben een longfunctie onder de 40% (FEV1% van voorspeld, Figuur 53). Meer vrouwen dan mannen hebben een normale longfunctie van 90% of hoger.

Meer vrouwen dan mannen hebben een **gezonde** longfunctie



Figuur 53. Longfunctie van mannen en vrouwen met CF met een longtransplantatie in 2020. Uitgesplitst in drie groepen.



g. Andere transplantaties

Sommige mensen met een longtransplantatie hebben ook andere orgaantransplantaties ondergaan. In de totale groep zijn ook drie levertransplantaties gedaan, drie niertransplantatie en één transplantatie waarvan niet bekend is welk orgaan is vervangen.

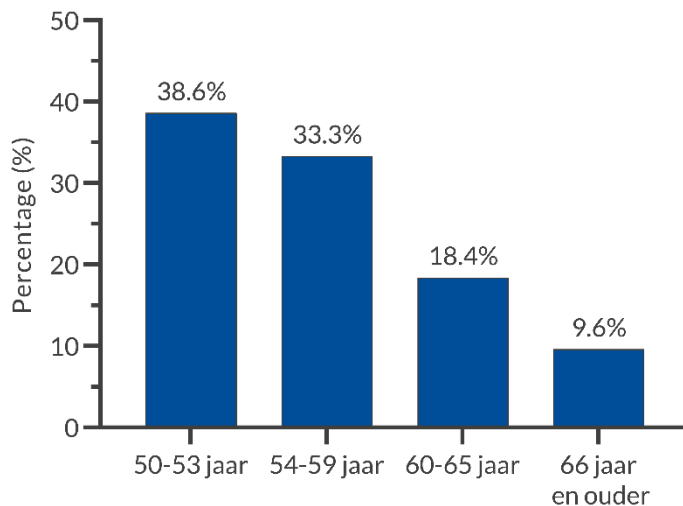
13. 50+ en CF

Steeds meer mensen met CF worden ouder dan 50 jaar. Er zijn 133 50-plussers met CF die gezien/gesproken zijn door het behandelend ziekenhuis volgens de gegevens van 2020. Van de 133 mensen hebben 19 mensen een longtransplantatie ondergaan. Zij worden in dit hoofdstuk niet meegenomen.

a. Leeftijd en mutatie, aantal per centrum

Er zijn 114 mensen met CF, zonder longtransplantatie, met een leeftijd van 50 jaar of hoger. De meeste mensen zijn 50-59 jaar, een derde is 60 jaar of ouder (Figuur 54).

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

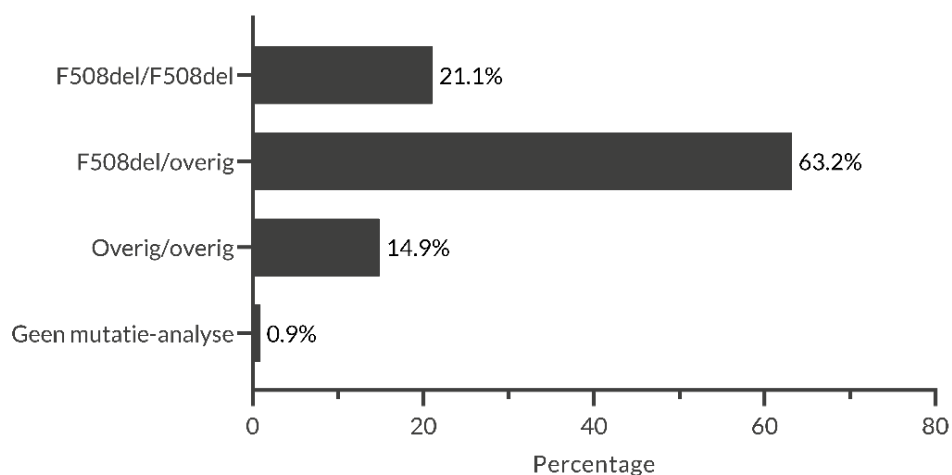


Figuur 54. Leeftijdsverdeling van mensen met CF, zonder longtransplantatie en met een leeftijd van 50 jaar of ouder (in 2020).



De mutatiecombinatie F508del/F508del komt bij 50-plussers minder vaak voor (ongeveer 20%, Figuur 55) dan in de hele groep mensen met CF in Nederland (meer dan 50%, hoofdstuk 3 CF en mutaties, pagina 15). Toch heeft 84,3% van de 50-plussers minstens één F508del-mutatie.

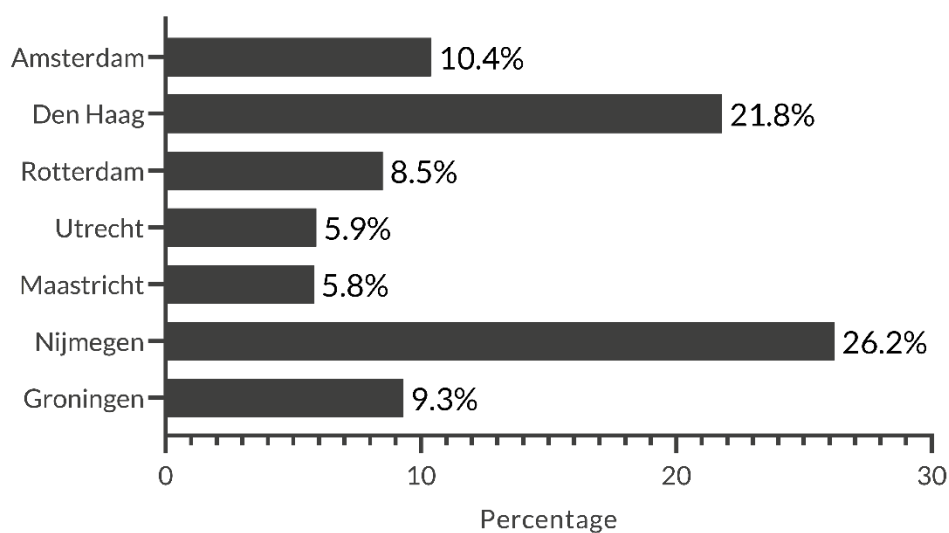
De meeste 50-plussers hebben minstens één F508del-mutatie



Figuur 55. Mutatieverdeling van 50-plussers met CF in 2020.

De CF-centra in Den Haag en Nijmegen hebben de meeste 50-plussers met CF, zonder longtransplantaties, onder behandeling (Figuur 56).

Meeste 50-plussers onder behandeling in Nijmegen en Den Haag

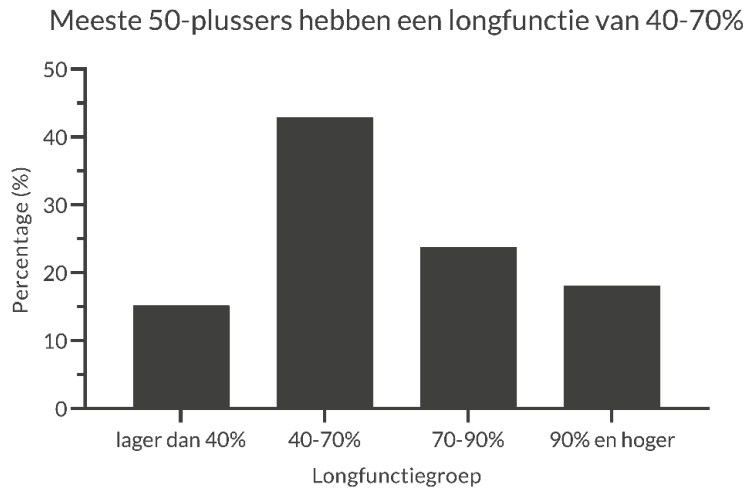


Figuur 56. Percentage 50-plussers per CF-centrum in 2020.

b. Longfunctie

De helft van de 50-plussers heeft een longfunctie van meer dan 65,4%. De verschillen tussen mannen en vrouwen zijn minimaal.

De grootste groep 50-plussers heeft een longfunctie die valt in de categorie 40-70% (Figuur 57). 18.1% heeft een gezonde longfunctie van 90% of hoger.

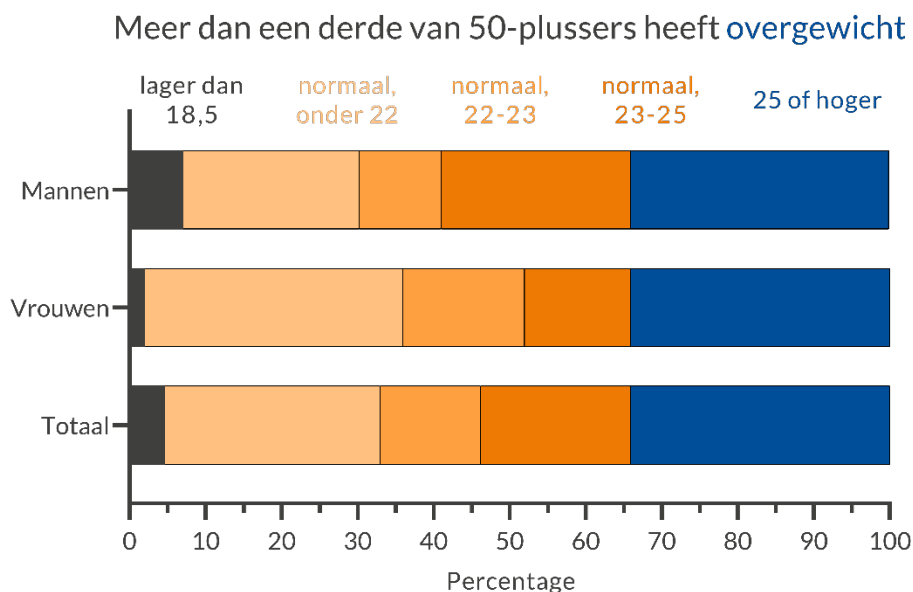


Figuur 57. Longfunctie van 50-plussers met CF, zonder longtransplantatie, in 2020. Uitgesplitst in longfunctiegroepen.

c. BMI

De BMI van 50-plussers is relatief hoog. De mediane waarde is 23,3, wat betekent dat de helft van de mensen een BMI heeft dat hoger is dan dit getal. De andere helft heeft een lagere BMI.

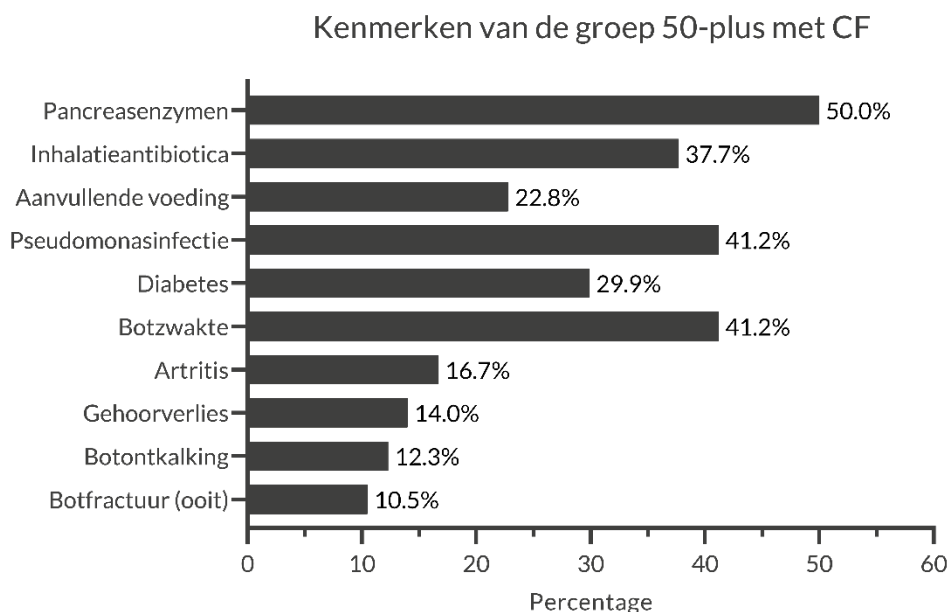
In Figuur 58 is te zien dat meer dan een derde van de 50-plussers overgewicht heeft: een BMI hoger dan de maximale normale waarde van 25.



Figuur 58. BMI groepen van 50-plussers met CF in 2020.

d. Behandeling, extra aandoeningen

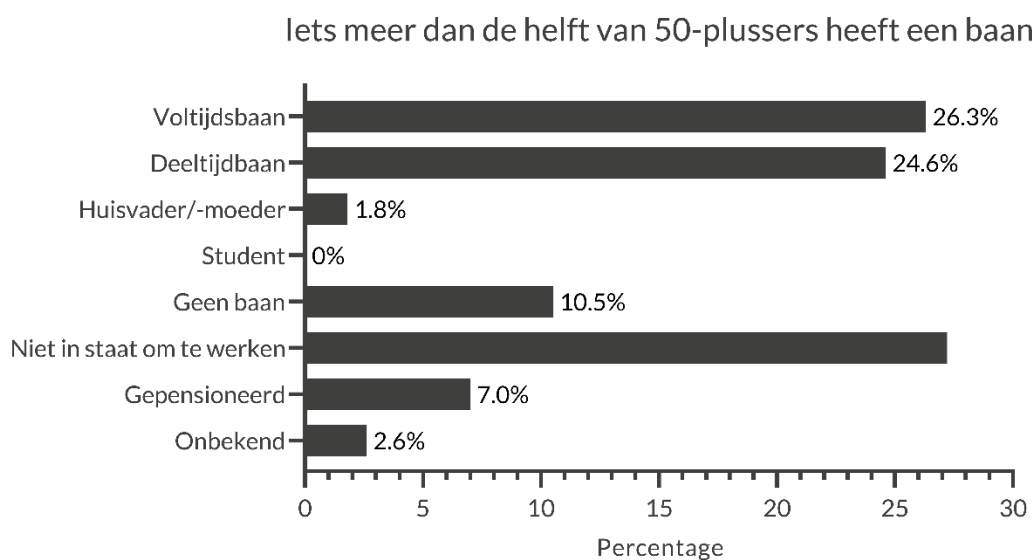
De helft van de 50-plussers gebruikt pancreasenzymen (Figuur 59). Dat is minder dan in de hele groep mensen met CF in Nederland (zo'n 80%, Figuur 23). Andere kenmerken van deze groep staan ook in Figuur 59 vermeld.



Figuur 59. Diverse kenmerken van 50-plussers met CF, zonder longtransplantatie, in 2020. Behandeling, infectie en extra aandoeningen zijn weergegeven in percentages.

e. Werk

Veel 50-plussers zetten zich maatschappelijk in (Figuur 60). Een kwart heeft een voltijdsbaan en nog een kwart heeft een deeltijdsbaan. Toch is ook een kwart niet in staat om te werken. 7% is inmiddels gepensioneerd. Enkele mensen zijn huisvader of huismoeder.



Figuur 60. Rollen van 50-plussers met CF in de maatschappij in 2020.



14. Kwaliteit van zorg

De kwaliteit van de zorg is een belangrijk onderwerp. Al jarenlang worden gegevens verzameld in de Nederlandse CF registratie om iets te kunnen zeggen over de kwaliteit van de zorg die de CF-centra leveren.

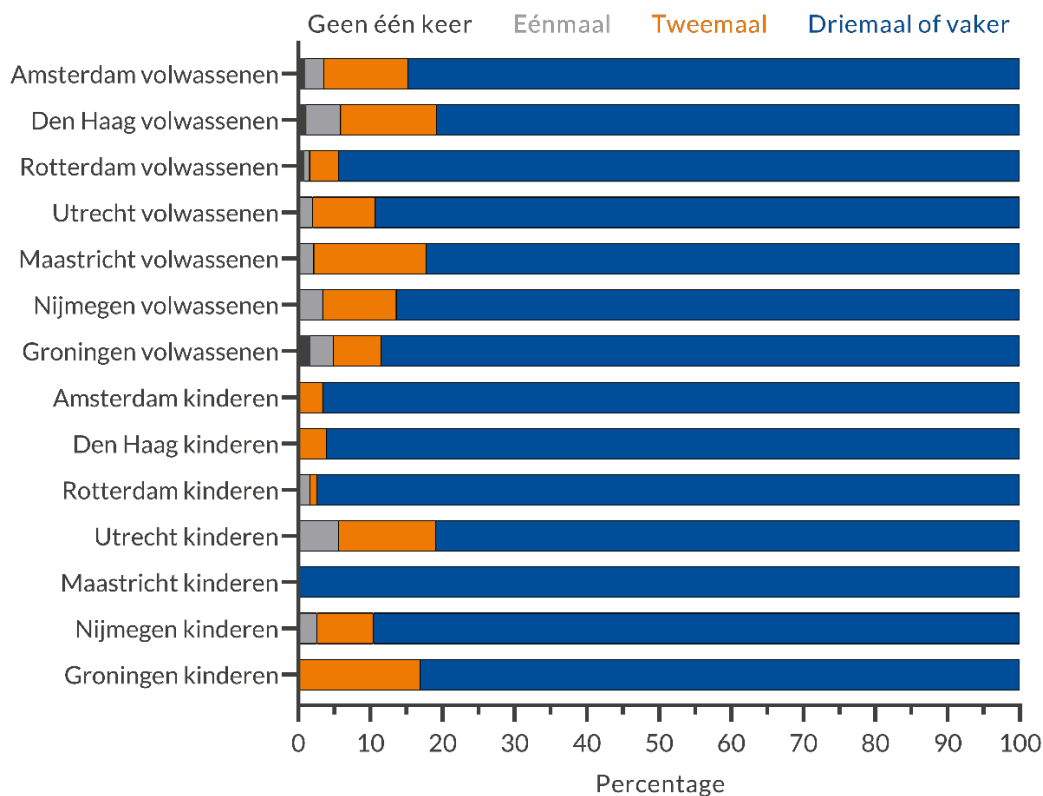
In dit hoofdstuk is de set van gegevens te vinden zoals dat al jaren wordt geanalyseerd. Dit jaar is de stuurgroep van de registratie tot een uitbreiding van de set van kenmerken gekomen om informatie te bieden over de kwaliteit van zorg. De redenen hiervoor zijn dat de gezondheid van mensen met CF is verbeterd, zeker voor de jongere generatie. Het lijkt niet 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 in 2020 duidelijk geworden dat veel zorg ook goed 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 zijn binnengekomen na het stellen van de diagnose). In totaal gaat het om 1383 mensen. Voor longfunctiemetingen en de glucosetolerantietest gelden nog extra voorwaarden.



Eén van de kenmerken in de set is hoe vaak mensen met CF naar de polikliniek komen. De meeste mensen (88,4%) zijn minstens drie keer op polibezoek geweest in 2020 (Figuur 61). Van de kinderen is 90,7% drie keer of meer geweest, van de volwassenen 87%.

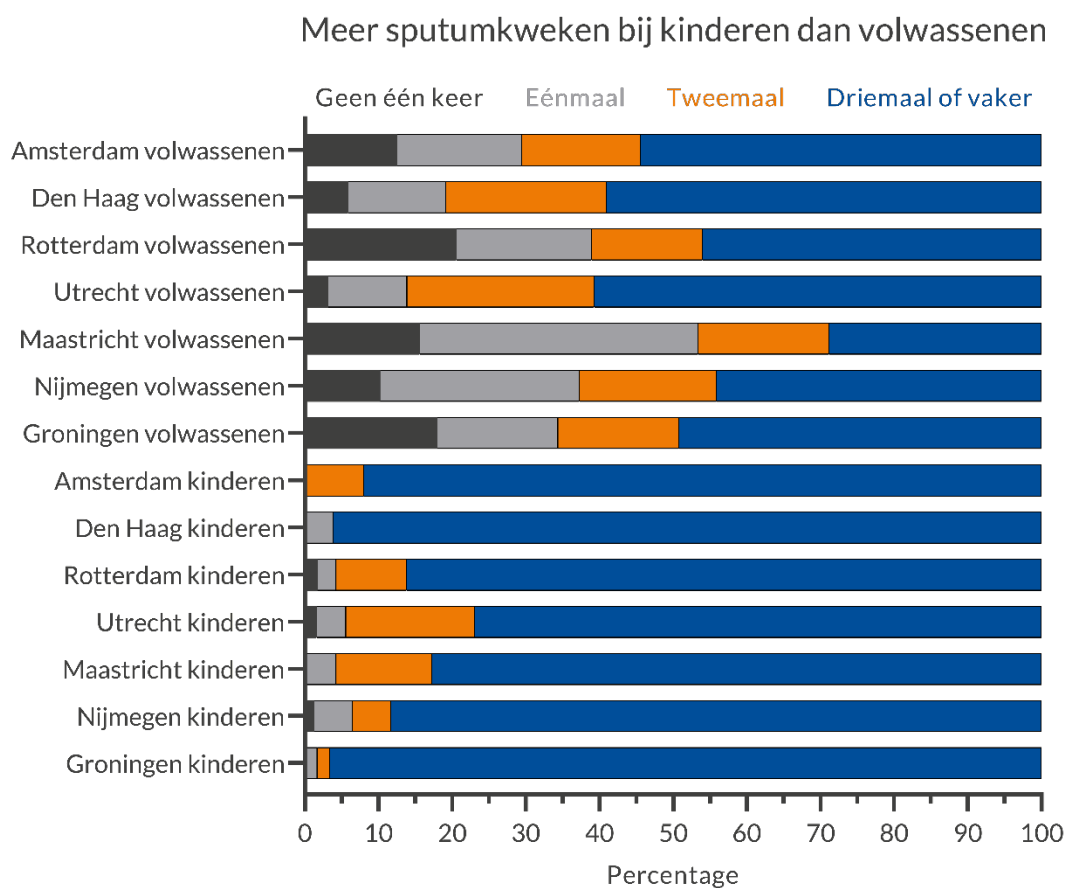
Bijna 90% is minstens drie keer op de polikliniek geweest in 2020



Figuur 61. Aantal polikliniekbezoeken in 2020 van mensen met CF, zonder longtransplantatie. Uitgesplitst per kinder- en volwassencentrum.



Bij/rondom een polibezzoek hoort vaak ook een sputumafname. Daarmee wordt gekeken welke bacteriën en schimmels groeien in de longen van iemand met CF. In Figuur 62 is te zien hoe vaak dit is gedaan per CF-centrum. In totaal heeft 66,7% minstens drie sputumkweken gehad in 2020. Het verschil tussen kinderen en volwassenen is groot. 87,2% van de kinderen heeft drie of meer sputumafnames gedaan. Bij de volwassenen is dit 53,6%.



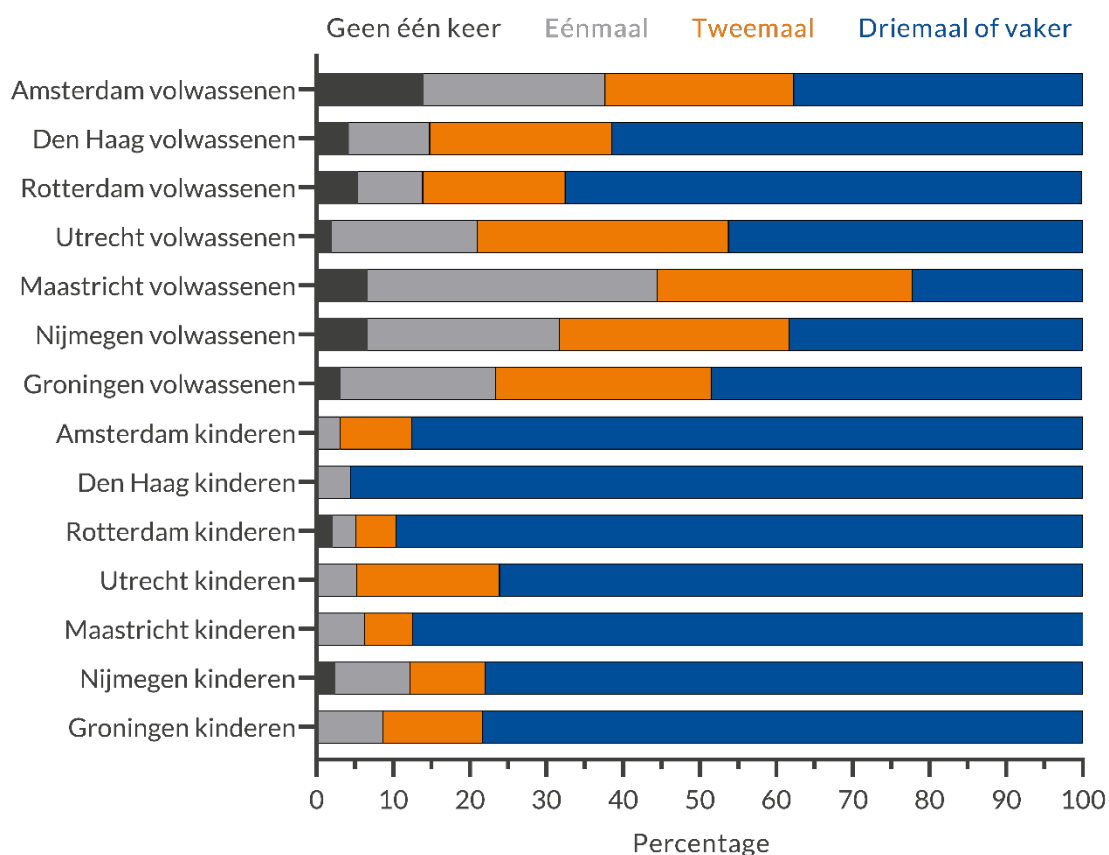
Figuur 62. Aantal sputumkweken in de CF-centra in 2020 bij mensen met CF, zonder longtransplantatie. Uitgesplitst per kinder- en volwassencentrum.



Een andere maat voor kwaliteit van zorg is hoe vaak er een longfunctiemeting is gedaan (FEV1 meting). In 2020 hebben bijna alle mensen met CF, van zes jaar en ouder, een thuismeter gehad. Die gegevens zijn niet geregistreerd. In Figuur 63 gaat het om de longfunctiemetingen die in de CF-centra zijn gedaan. Gegevens zijn bekend van 1282 mensen.

Bijna iedereen heeft in 2020 minstens één keer een longfunctiemeting geblazen in het CF-centrum (96,2%). De overige mensen hebben geen enkele meting in het ziekenhuis gedaan. 61,0% van de mensen heeft drie keer of vaker een longfunctiemeting gedaan. Het verschil tussen kinderen en volwassenen is groot. 83,8% van de kinderen heeft drie keer of meer een longfunctie geblazen in het ziekenhuis. Van de volwassenen is dat minder dan de helft: 49,9%.

Kinderen hebben het vaakst een longfunctiemeting gedaan

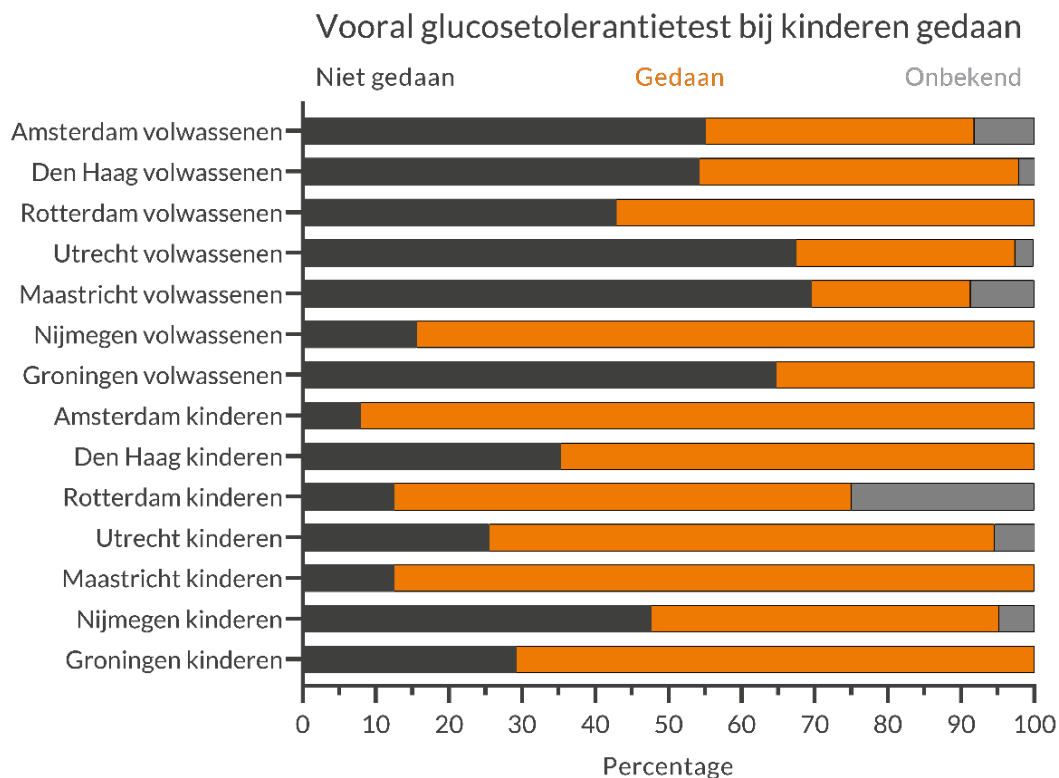


Figuur 63. Aantal longfunctiemetingen in de CF-centra in 2020 bij mensen met CF, zonder longtransplantatie. Uitgesplitst per kinder- en volwassencentrum.



De glucosetolerantietest wordt, volgens afspraak, 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 2020 kwamen 558 mensen met CF in aanmerking voor de glucosetolerantietest. In Figuur 64 is te zien hoeveel procent van de mensen per CF-centrum zo'n test heeft gedaan. Bijna de helft van de mensen (49,1%) heeft de test gedaan in 2020. Meer kinderen dan volwassenen hebben de test gedaan: 69,9% en 40,3%.



Figuur 64. Glucosetolerantietest in 2020 bij mensen met CF, zonder longtransplantatie. Uitgesplitst per kinder- en volwassencentrum.



Het verloop van de mediane FEV1% van voorspeld van de afgelopen drie jaar staat in Tabel 3 weergegeven per centrum. Het verloop is verschillend per centrum qua afname of verbetering en qua mate van verandering. In meeste gevallen gaat het om kleine verschillen.

Tabel 3. Mediane FEV1% van voorspeld per centrum van 2018-2020.

Centrum	2018	2019	2020
Amsterdam volwassenen	72,4	74,4	74
Den Haag volwassenen	71,0	72,0	72,2
Rotterdam volwassenen	72,9	72,7	71,3
Utrecht volwassenen	71,9	72,7	71,2
Maastricht volwassenen	66,1	68,4	64,5
Nijmegen volwassenen	70,8	69,7	68,4
Groningen volwassenen	65,0	66,4	64,1
Amsterdam kinderen	95,1	95,7	95,7
Den Haag kinderen	99,6	95,0	94,1
Rotterdam kinderen	91,8	98,9	97,6
Utrecht kinderen	92,7	90,3	90,8
Maastricht kinderen	95,1	89,4	88,1
Nijmegen kinderen	92,4	93,1	90,8
Groningen kinderen	93,6	95,2	94,6

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 ten opzichte van leeftijdsgenoten zonder CF, van hetzelfde geslacht en vergelijkbare etniciteit. In Tabel 4 is te zien dat steeds meer centra een mediane waarde hebben rondom 0 (voor kinderen) en rondom 22 (voor volwassenen).

Tabel 4. Verdeling sdsBMI per kindercentrum en BMI per volwassencentrum van 2018-2020. 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. De waardes boven 0 (voor kinderen) of 22 (voor volwassenen) zijn geel, hoe donkerder hoe hoger de waarde. De waardes rondom 0 of 22 zijn wit. De waardes lager dan 0 of 22 zijn rood, en hoe donkerder rood hoe lager de waarde is.

	kindercentra (sdsBMI)			volwassencentra (BMI)		
	2018	2019	2020	2018	2019	2020
Amsterdam	0,10	0,05	0,15	22,8	22,6	22,2
Den Haag	0,11	0,07	0,09	21,8	22,1	22,2
Groningen	0,01	0,25	0,13	22,9	22,6	23,0
Maastricht	-0,10	0,02	-0,08	21,6	21,7	22,1
Nijmegen	0,14	0,11	0,04	21,6	22,1	22,4
Rotterdam	-0,11	-0,10	-0,04	22,0	21,8	21,9
Utrecht	-0,01	0,07	0,07	21,8	21,9	21,9



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. Deze gegevens worden al 10 jaar verzameld.

Internationale afstemming

Elk jaar worden 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 39 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 hetzelfde 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.

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 2020 de hoogste waarde 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 25 en GraphPad Prism versie 9.

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.

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
- 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%.



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

NCFS

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

Dr. V.A.M. Gulmans, Hoofd Onderzoek en Kwaliteit van Zorg NCFS, secretaris Stuurgroep

Dr. D.D. Zomer-van Ommen, coördinator Nederlandse CF Registratie

CF-centra

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

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

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

Drs. R. Hoek, longarts/transplantatiearts, Erasmus MC Rotterdam

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

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

Dr. J. Altenbrug, longarts, Amsterdam UMC

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

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

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

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

Dr. J.J.E. Hendriks, kinderlongarts, Maastricht UMC (tot februari 2021)

Drs. L.H. Conemans, longarts, Maastricht UMC (vanaf februari 2021)

Drs. M.A.G.E. Bannier, kinderlongarts, Maastricht UMC (vanaf februari 2021)



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

Copyright NCFS © 2021 De gegevens uit deze rapportage mogen worden gebruikt voor publicaties en presentaties, echter uitsluitend met vermelding van de bron: Nederlandse CF Registratie 2020 www.ncfs.nl

