

Nederlandse Cystic Fibrosis Registratie

Gegevens van mensen met taaislijmziekte in Nederland
Rapport van het jaar 2021

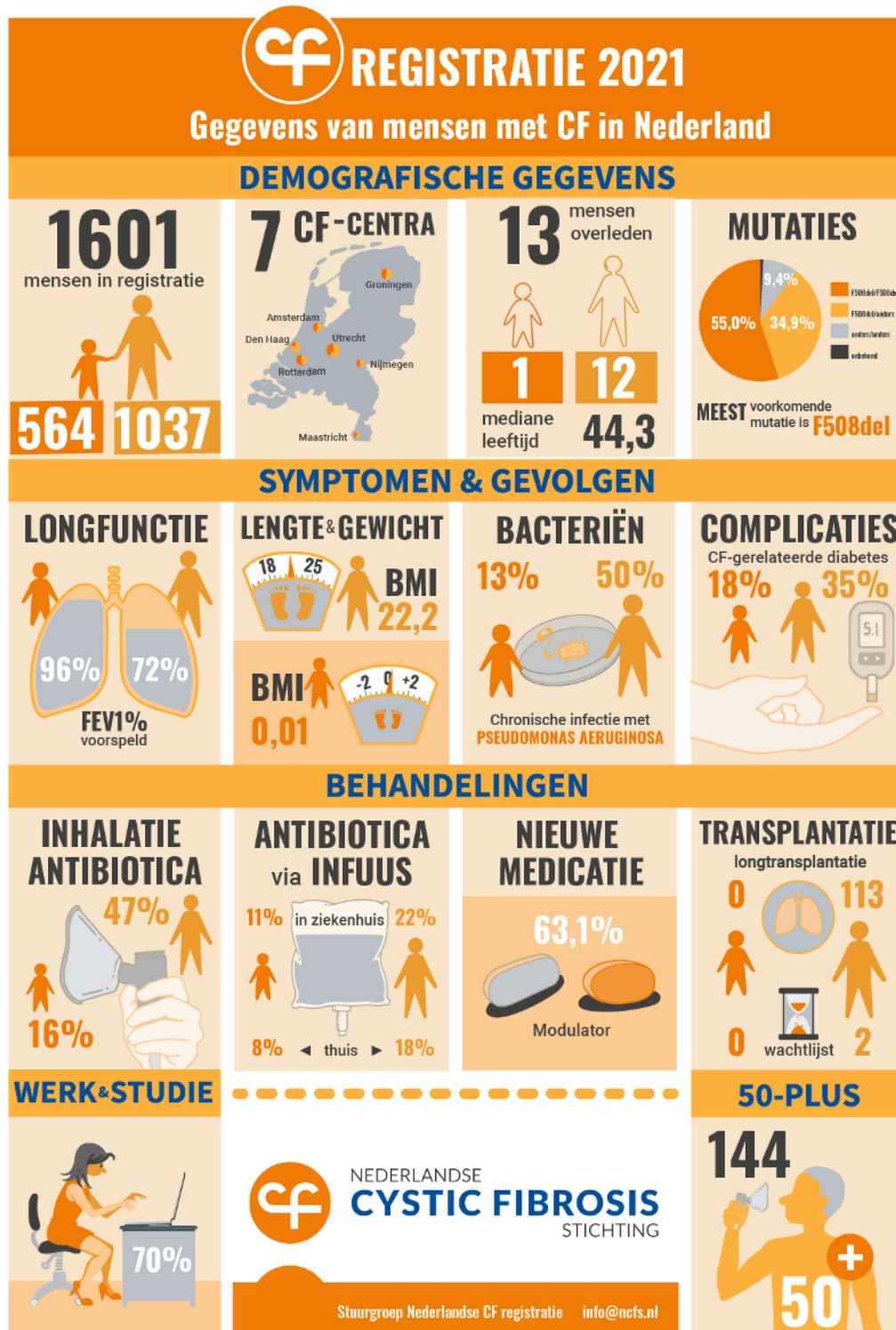
Uitgegeven in 2022



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 2021 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 nodig zijn om te weten hoe het met alle mensen met CF in Nederland gaat en waar verbeteringen wenselijk en 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 kinderdiëtisten 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.

Uit de data van 2021 blijkt dat inmiddels meer dan 40 mensen met CF 60 jaar of ouder zijn. De mediane leeftijd van de gehele populatie neemt opnieuw toe, net als de longfunctie. Medicijnen worden minder vaak voorgeschreven, zoals corticosteroïden, protonpompremmers en luchtwegverwijders. Daarentegen kwam 63,1% van de mensen met CF in aanmerking voor een CFTR-modulator.

De registratie is ook van toenemend belang bij 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 2022

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 2017	11
b. Uitslagen van de hielprikscreening vanaf 2017	12
c. Symptomen bij CF diagnose kinderen	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
5. Behandeling van CF: overig	22
a. Luchtwegklachten en behandeling.....	22
b. Antibiotica via het infuus	24
c. Maagdarmlevertklachten en behandeling.....	26
d. Transplantaties	27
6. Longfunctie	28
a. Longfunctie per leeftijdsgroep	28
b. Longfunctie van kinderen	30
c. Longfunctie van volwassenen	31
7. Lengte en gewicht kinderen met CF	32
a. Maten voor lengte en gewicht bij kinderen.....	32
b. Lengte en gewicht in groepen.....	33
8. Lengte en gewicht van volwassenen	35
a. Leeftijd en BMI van volwassenen.....	35
b. BMI per volwassencentrum.....	35
c. Verschillen tussen mannen en vrouwen	36
9. Bacteriën en schimmels.....	37
a. Chronische en niet-chronische infecties.....	37
b. Schimmelinfecties in de longen	38



c.	Non-tuberculeuze mycobacteriën (NTM).....	39
d.	Coronavirus bij mensen met CF.....	39
10.	Extra aandoeningen bij CF.....	40
a.	Meest voorkomende extra aandoeningen.....	40
b.	Weinig voorkomende extra aandoeningen	41
11.	Werk en gezin.....	43
a.	Werk/maatschappelijk aandeel	43
b.	Zwangerschappen.....	43
12.	Mensen met een longtransplantatie.....	44
a.	Door de jaren heen.....	44
b.	Demografie	45
c.	Medicijnen.....	46
d.	Extra aandoeningen.....	46
e.	Lengte en gewicht	47
f.	Longfunctie	47
g.	Andere transplantaties.....	48
13.	50+ en CF.....	49
a.	Leeftijd en mutatie, aantal per centrum	49
b.	Longfunctie	51
c.	BMI	51
d.	Behandeling, extra aandoeningen	52
e.	Werk.....	52
14.	Kwaliteit van zorg.....	53
Bijlage 1.	Methodes	59
	Internationale afstemming	59
	Berekeningen	59
	Begrippen.....	59
	Afkorting.....	59
Bijlage 2.	Stuurgroep registratie	61
	Stuurgroep	61



1. Demografische gegevens

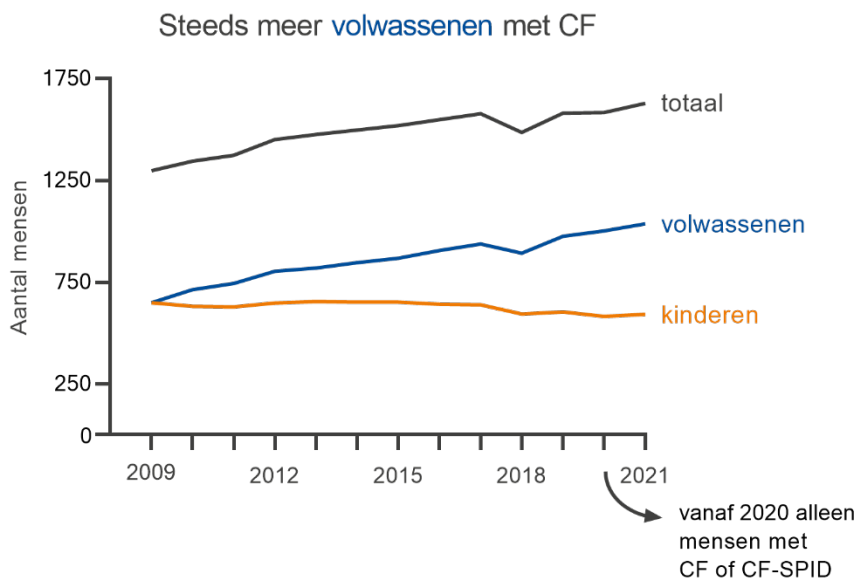
In dit hoofdstuk wordt weergegeven hoeveel kinderen en volwassenen leven met taaislijmziekte (cystic fibrosis, CF) in Nederland. Ook wordt vermeld hoeveel mensen met CF zijn overleden vanaf 2009. Daarnaast is op de kaart van Nederland zichtbaar gemaakt welke ziekenhuizen aan hoeveel mensen gespecialiseerde CF-zorg leveren.

a. Aantallen

In het jaar 2021 zijn van 1601 mensen met CF gegevens verzameld in de Nederlandse CF registratie. Van nog eens 29 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 1630.

Er zijn ook mensen in 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 (18 jaar en ouder, Figuur 1). Het aantal kinderen (jonger dan 18 jaar) 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 2009-2021.

*CF-SPID: positieve hieprikscreening, geen bevestigde CF diagnose.

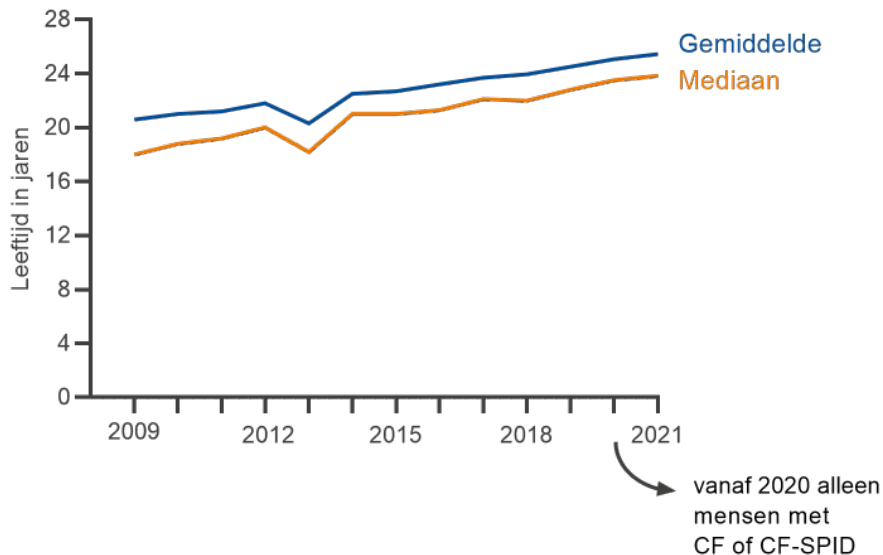
Niet alle mensen met CF of CF-SPID geven toestemming om hun gegevens te laten opnemen in de Nederlandse registratie. We weten dat er nog minstens 80 mensen in behandeling zijn bij de CF-centra. We weten niet of zij CF, CF-SPID of geen CF hebben. De schatting is dat in Nederland, volgens de gegevens van 2021, ongeveer 1650 mensen met CF leven.



b. Leeftijd

De gemiddelde leeftijd van mensen met CF of CF-SPID wordt steeds hoger (Figuur 2). In 2021 was de gemiddelde leeftijd 25,4 jaar. De helft van de mensen was ouder dan 23,8 jaar. Dat noemen we de mediane leeftijd.

Gemiddelde leeftijd van mensen met CF blijft stijgen

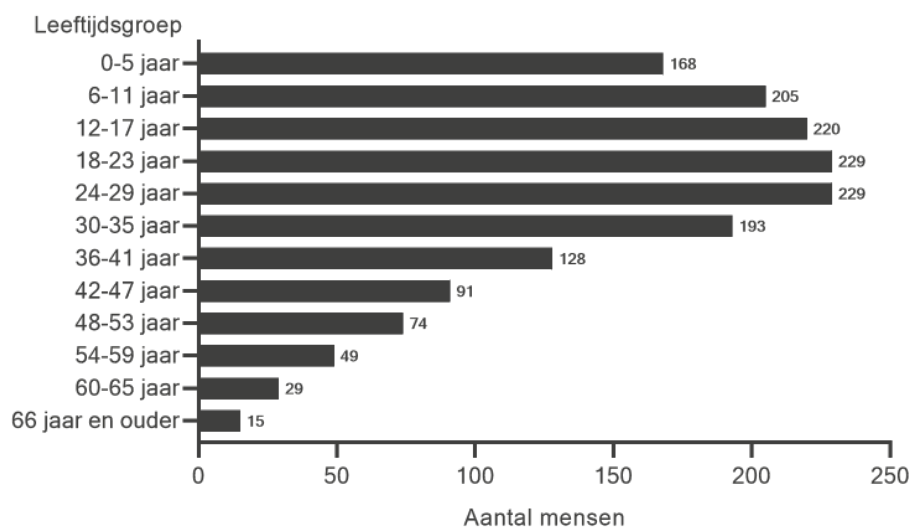


Figuur 2. Gemiddelde en mediane* leeftijd van mensen met CF of CF-SPID en/of CF-gerelateerde ziekte van 2009-2021. *Mediane leeftijd is het getal waarbij de helft van de mensen ouder is dan dat getal, en de andere helft jonger. Sinds 2020 worden alleen nog de gegevens van mensen met CF en CF-SPID verzameld in de registratie.

In Figuur 3 zijn de leeftijden van mensen met CF weergegeven, verdeeld per zes jaar. In de grafiek is te zien dat de meeste mensen 18-29 jaar zijn, volgens de gegevens van 2021. Ook valt op dat 44 mensen 60 jaar of ouder zijn; in 2020 waren dat er 36.



Vooral veel jonge volwassenen met CF in 2021



Figuur 3. Aantal mensen per leeftijdsgroep, verdeeld per zes jaar. De cijfers achter elke balk geven aan hoeveel mensen in die leeftijdsgroep zitten in 2021.

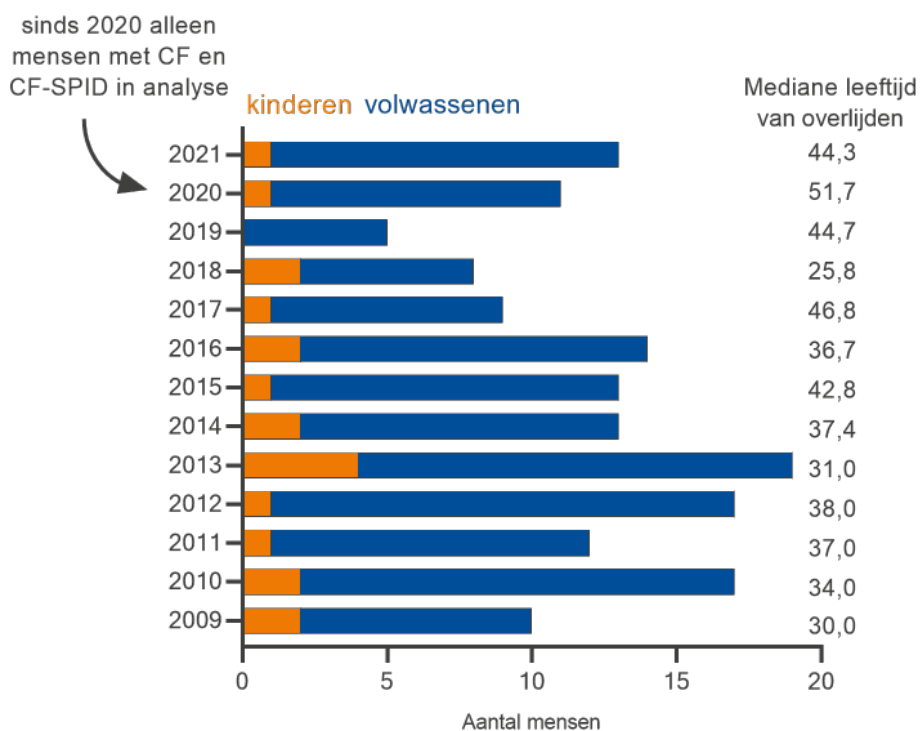
c. Overleden mensen met CF

Helaas zijn in 2021 meer mensen met CF overleden dan in de voorgaande vier jaren (Figuur 4). In totaal zijn 13 mensen overleden. Vijf van hen hebben in het verleden een longtransplantatie gehad.

Van de helft van de mensen die zijn overleden in 2021 is de leeftijd hoger dan 44,3 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.



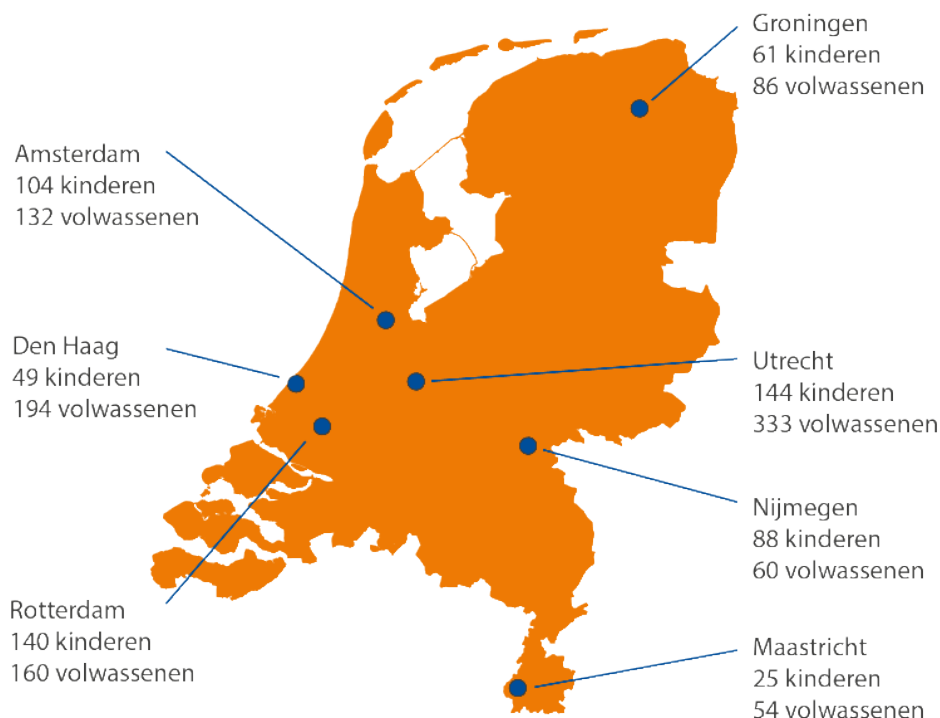
Overleden mensen met CF



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 in behandeling zijn, volgens de cijfers van 2021. 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 2021. 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 2015. Sinds 2020 worden alleen de gegevens van mensen met CF of CF-SPID opgenomen in de registratie. 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.

	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
UMC Utrecht							
Kinderen	196	190	191	158	146	143	144
Volwassenen	245	260	281	251	308	303	333
Erasmus MC Rotterdam							
Kinderen	143	140	149	135	141	137	140
Volwassenen	120	139	138	122	134	153	160
HagaZiekenhuis							
Kinderen	63	59	55	55	52	53	49
Volwassenen	210	217	215	200	204	197	194
Amsterdam UMC							
Kinderen	105	104	100	104	102	101	104
Volwassenen	106	109	116	118	121	125	132
UMC Groningen							
Kinderen	73	74	72	65	67	64	61
Volwassenen	84	83	80	83	90	86	86
Radboud UMC Nijmegen							
Kinderen	49	52	58	67	73	82	88
Volwassenen	57	56	56	57	64	61	60
Maastricht UMC							
Kinderen	28	26	27	29	28	28	25
Volwassenen	42	40	40	43	51	52	54
TOTAAL	1521	1549	1578	1487*	1581	1585	1630



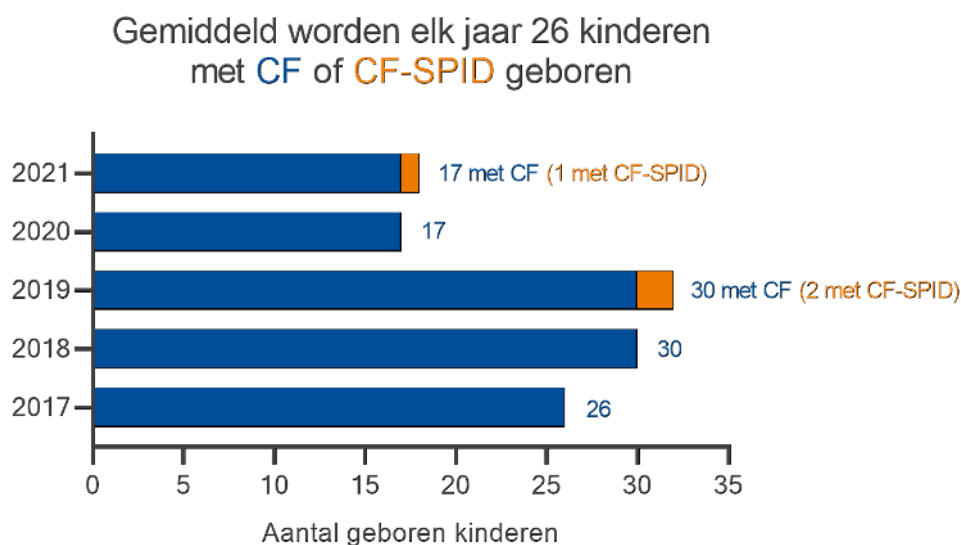
2. CF diagnose

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 2017

Sinds 2017 zijn er minstens 123 kinderen met CF of CF-SPID geboren (Figuur 6). Dat zijn gemiddeld 26 kinderen per jaar. Bij dit gemiddelde wordt het jaar 2021 buiten beschouwing gelaten, omdat het meest recente jaar hierin nooit volledig is. Redenen kunnen zijn dat voor een aantal kinderen het onderzoek naar de diagnose nog niet is afgerond aan het einde van het registratiejaar, de ouders nog geen toestemming hebben gegeven voor de registratie of dat het kind pas in de laatste maanden van het jaar is geboren. Het getal van 2020 is nu bijvoorbeeld vollediger dan vorig jaar, maar ook dat is relatief laag t.o.v. eerdere jaren. Het jaarlijks berekende gemiddelde schommelt tussen 25 en 30 kinderen per jaar.

Van de 29 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 2017-2021 (Figuur 6). Vorig jaar hadden we gegevens van 22 kinderen met CF-SPID in de registratie.



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.

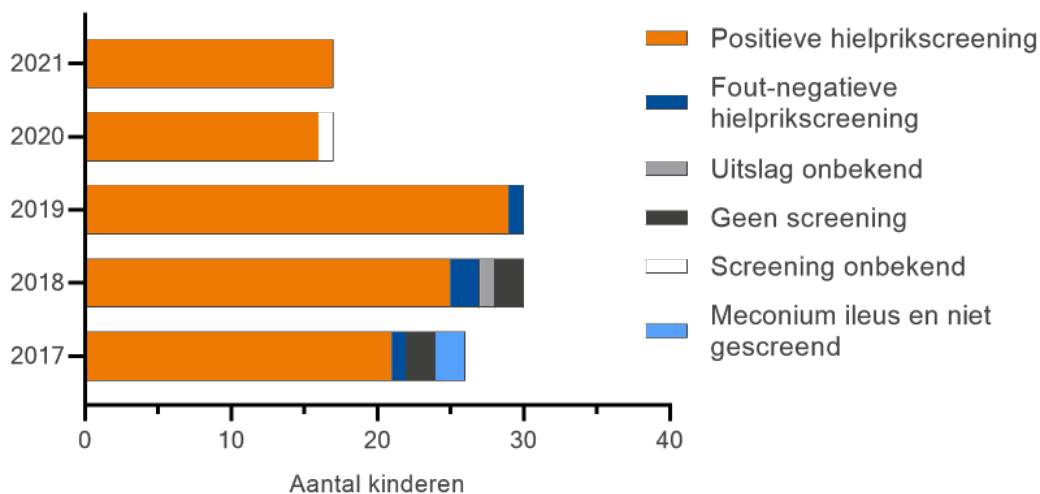


b. Uitslagen van de hielprikscreening vanaf 2017

Van alle 120 kinderen met CF in de registratie, geboren sinds 2017, 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:

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

90% van de kinderen, geboren sinds 2017,
kreeg de CF diagnose via de **hielprikscreening**



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



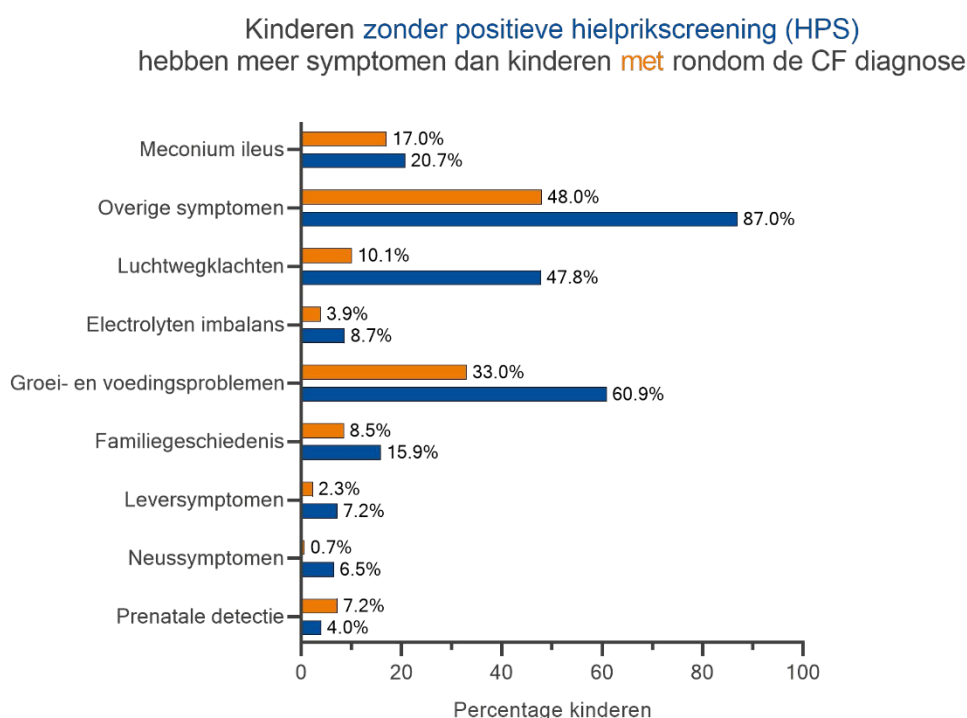
c. Symptomen bij CF diagnose kinderen

De kindercentra behandelen in totaal 582 kinderen (of jongvolwassenen) met CF, volgens de gegevens van 2021. 306 kinderen met CF hebben de diagnose gekregen via een positieve uitslag van de hielprikscreening. Van één persoon is het niet bekend of de hielprikscreening op CF is gedaan.

De overige 276 kinderen hebben de CF diagnose niet via de hielprikscreening gehad. Bij 250 van hen is geen hielprikscreening voor CF gedaan. Dit hoge aantal komt doordat de kinderen die geboren zijn voor 2008 niet op CF zijn getest met de hielprikscreening. In 2008 startte daar een onderzoek naar en CF is sinds 2011 officieel in de hielprikscreening opgenomen. Verder hebben 24 kinderen een negatieve uitslag gehad, maar hebben ze toch CF. Van één kind met CF is de uitslag van de hielprikscreening onbekend.

Zonder een vroege 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.

Ongeveer 20% van de kinderen had verstopte darmen bij de geboorte (meconium ileus, Figuur 8). Bijna 90% van de kinderen zonder (positieve) hielprikscreening 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. 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 die niet via een positieve hielprikscreening werden gediagnosticeerd.



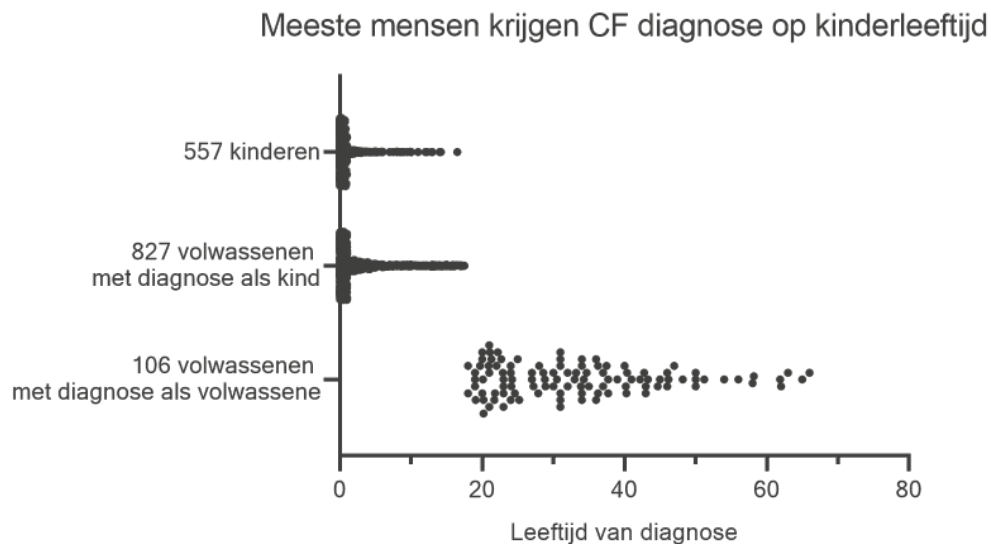
d. Leeftijd rondom CF diagnose

Van 1490 mensen met CF is bekend op welke leeftijd de CF diagnose werd gesteld. De gemiddelde leeftijd is 4,2 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 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 0,87 jaar voor de 557 kinderen en 2,8 jaar voor de 827 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 9 maanden.

106 volwassenen met CF (11,4% van de 933 volwassenen) zijn gediagnosticeerd op volwassen leeftijd. De gemiddelde leeftijd van diagnose is 33,6 jaar. De helft van de mensen was ouder dan 31 jaar. De andere helft was tussen de 18 en 31 jaar oud.



Figuur 9. Leeftijd van CF diagnose van alle mensen met CF waarvan dit getal bekend is. In 2021 is dat van 1490 mensen met CF bekend.

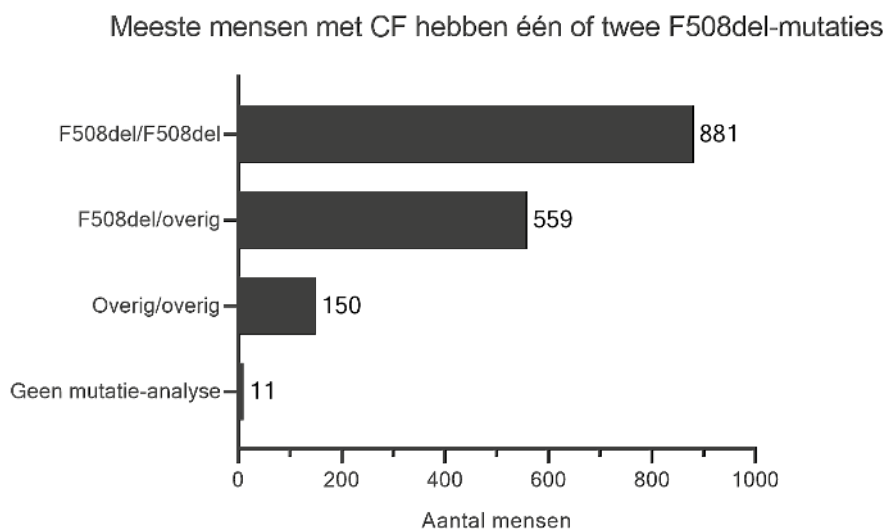


3. CF en mutaties

Iemand heeft CF als er twee mutaties in het DNA zijn die CF veroorzaken. Deze mutaties krijgt iemand van 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 of CF-SPID, met of zonder longtransplantatie. In totaal zijn dat 1630 mensen.

a. Mutatieverdeling mensen met CF

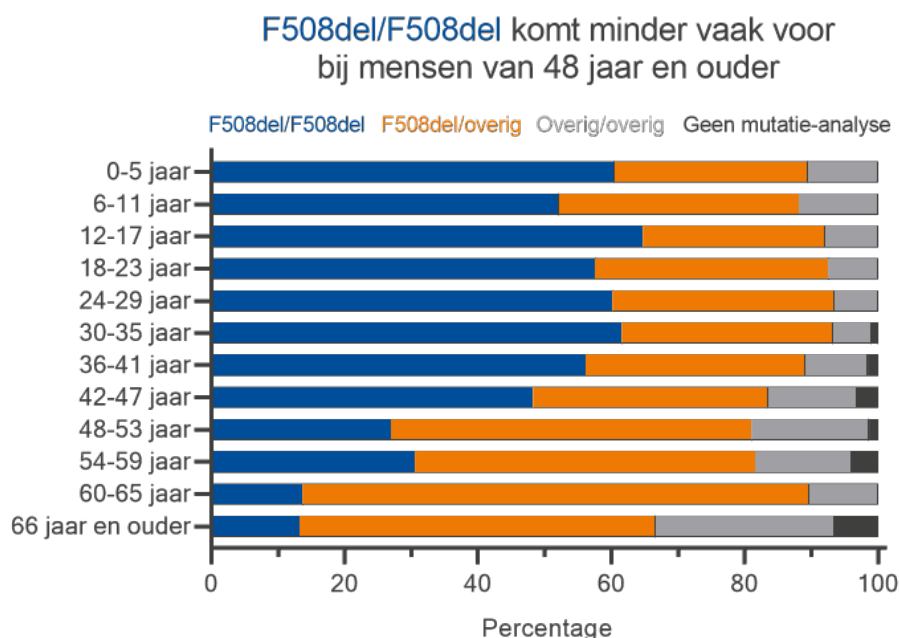
De meeste mensen met CF in Nederland hebben twee keer de F508del-mutatie (Figuur 10). In totaal heeft 89,9% minstens één F508del-mutatie. Bij enkele mensen is geen mutatie-analyse gedaan.



Figuur 10. Combinatie van CF-mutaties verdeeld in 4 groepen. Alle 1601 mensen met CF die in 2021 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 2021 48 jaar of ouder waren. Meer informatie over mensen van 50 jaar en ouder vind je in hoofdstuk 13 50+ en CF, pagina 49.



Figuur 11. Mutatieverdeling van mensen met CF in 2021, per leeftijdsgroep van zes jaar.

b. Mutaties kinderen met CF-SPID

Van de 29 kinderen met CF-SPID hebben 24 één F508del-mutatie met nog een andere mutatie, vijf 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 2021. Iedereen heeft twee mutaties, het totale aantal mutaties komt daarmee op 3260. 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 2021. 1630 mensen hebben samen 3260 mutaties.*

Mutatie	Aantal	Percentage (%)
F508del	2345	71,9
A455E	128	3,9
R117H	68	2,1
G542X	58	1,8
1717-1G->A	45	1,4
3272-26A->G	40	1,2
S1251N	39	1,2
N1303K	38	1,2
R1162X	34	1,0
R553X	29	0,9
2789+5G->A	25	0,8
3849+10kbC->T	20	0,6
E60X	20	0,6
711+1G->T	16	0,5
CFTRdele17a,17b	13	0,4
Geen mutatie-analyse	22	0,7
Onbekend	17	0,5
Overig	303	9,3
Totaal	3260	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: 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 heel lage longfunctie. Ook is een aantal CFTR-modulatoren nog niet geschikt voor kinderen jonger dan twaalf jaar. Daarnaast kunnen mensen die getransplanteerd zijn vooralsnog geen CFTR-modulator gebruiken. Dit heeft te maken met de medicijnen die zij moeten gebruiken tegen het afstoten van het donororgaan. Wel wordt onderzocht of er toch een mogelijkheid is, een transplantatie is geen 'hard' exclusie criterium.

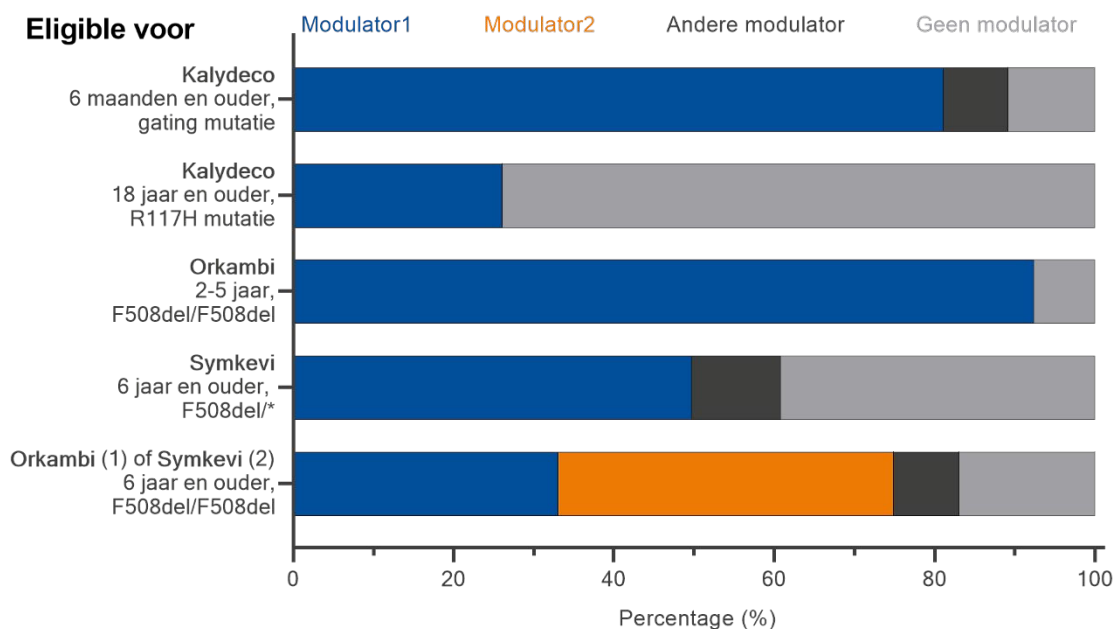
In 2021 komt 70,5% van alle mensen met CF, ongeacht transplantatie, in aanmerking voor een CFTR-modulator. Als de getransplanteerden buiten beschouwing worden gelaten, is het percentage 63,1%.

In Figuur 12 is te zien hoeveel procent van de mensen, per CFTR-modulator en/of subgroep, een middel voorgeschreven kreeg op 31 december 2021. Het gaat in totaal om 1588 mensen (1601 mensen met CF min 13 mensen die overleden zijn in de loop van 2021).

81,1% van de mensen met een *gating* mutatie (bijvoorbeeld G551D, G178R en S1251N) en 26,1% van de mensen met een R117H-mutatie krijgen ivacaftor (Kalydeco). 92,4% van de kinderen met twee F508del-mutaties krijgen lumacaftor/ivacaftor (Orkambi). Van de kinderen ouder dan zes jaar en volwassenen met twee F508del-mutaties heeft 33,1% lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) en 41,8% tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) voorgeschreven gekregen in 2021.



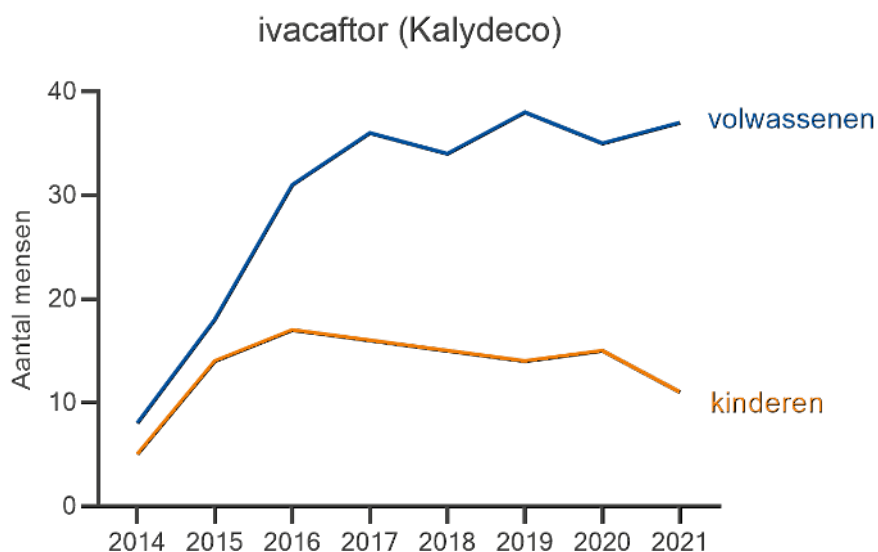
Voorgeschreven CFTR-modulatoren aan mensen die daarvoor in aanmerking komen



Figuur 12. Mensen die in 2021 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. * is 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.

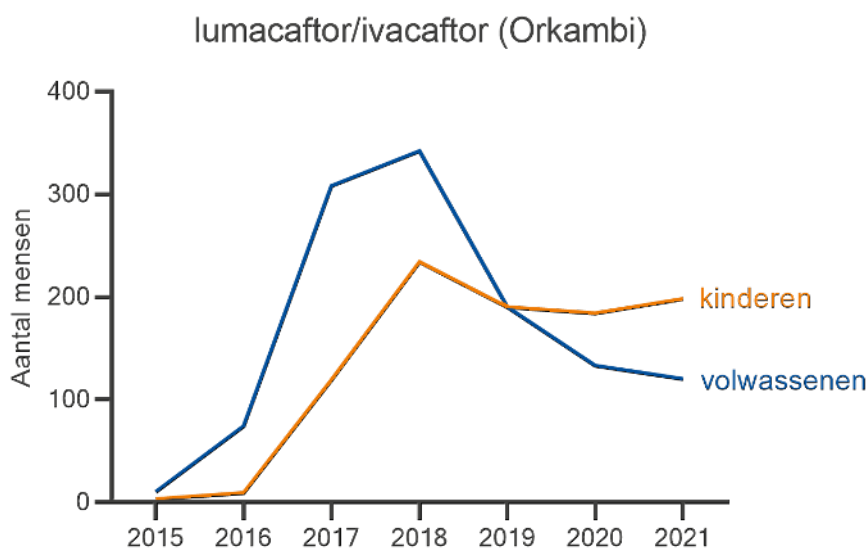
b. Gebruikers per modulator

Op 31 december 2021 gebruiken 48 mensen ivacaftor (Kalydeco, Figuur 13). 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.



Figuur 13. Aantal kinderen en volwassenen met CF die ivacaftor (Kalydeco) voorgeschreven kregen op 31 december 2021.

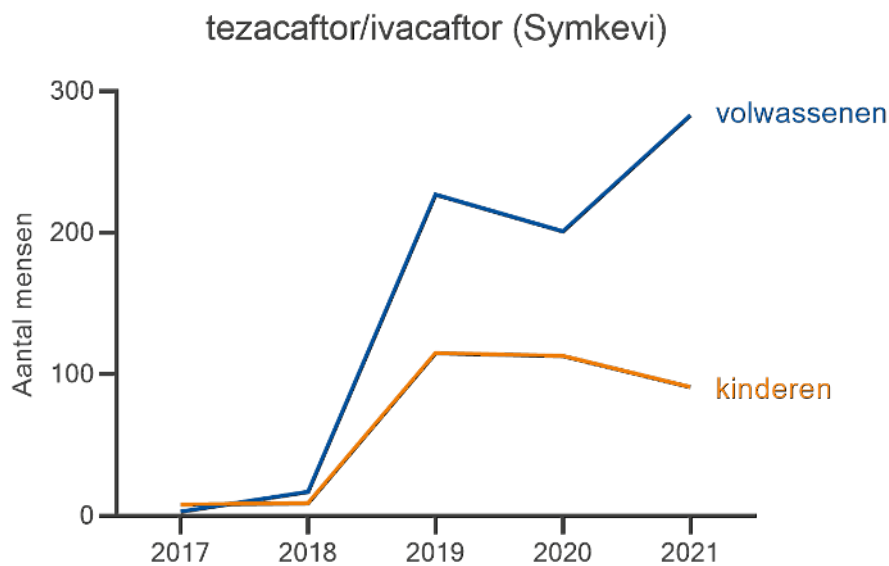
Lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) is een combinatie van twee CFTR-modulatoren. Op 31 december 2021 is het medicijn voorgeschreven aan 318 mensen met CF (Figuur 14). Er is geen onderscheid gemaakt of de gebruikers wel of niet in aanmerking komen voor vergoeding van dit medicijn.



Figuur 14. Aantal kinderen en volwassenen met CF die lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) voorgeschreven kregen op 31 december 2021.



374 mensen met CF krijgen tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) voorgeschreven op 31 december 2021 (Figuur 15).



Figuur 15. Aantal kinderen en volwassenen met CF die tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) voorgeschreven kregen op 31 december 2021.

De nieuwste CFTR-modulator bestaat uit een combinatie van drie medicijnen. Het heet Kaftrio en bevat de medicijnen ivacaftor, tezacaftor en elexacaftor. In 2021 wordt dit medicijn nog net niet in Nederland vergoed. Toch zijn er 127 kinderen en volwassenen die het medicijn voorgeschreven hebben gekregen. Bijvoorbeeld doordat ze meedoen aan een studie of doordat hun gezondheid zo slecht is dat ze niet nog langer konden wachten.



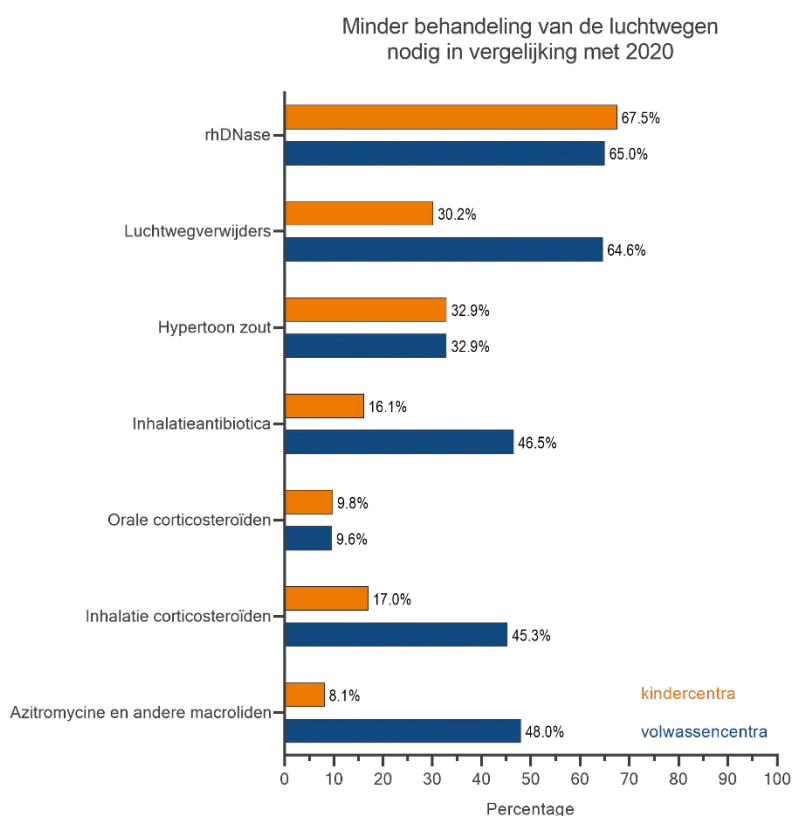
5. Behandeling van CF: overig

Mensen met CF hebben klachten door heel hun lichaam. Ze krijgen dan ook veel medicijnen en andere behandelingen. 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 transplantaties.

In dit hoofdstuk zijn de gegevens gebruikt van mensen met een bevestigde CF diagnose en zonder longtransplantatie. Ook moeten ze in 2021 gezien of gesproken zijn door het CF-centrum. In totaal zijn van 1478 mensen (572 kinderen en 906 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 16 is te zien hoeveel kinderen en volwassenen een medicijn kregen tegen luchtwegklachten. In tegenstelling tot voorgaande jaren worden niet alle medicijnen vaker voorgeschreven aan volwassenen dan aan kinderen. Ook worden medicijnen als corticosteroiden en luchtwegverwijders minder vaak voorgeschreven in 2021 dan in 2020. Meer informatie over CF en longfunctie vind je in hoofdstuk 6 Longfunctie, pagina 28.

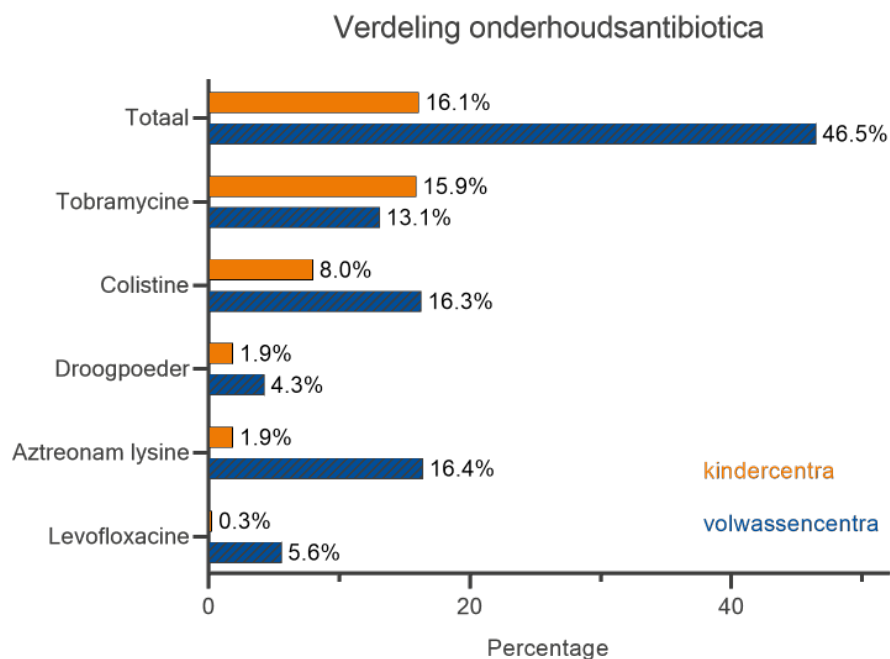


Figuur 16. Behandeling van de luchtwegen bij mensen met CF zonder longtransplantatie in 2021. Percentages van symptomen zijn uitgesplitst per kindercentra en volwassencentra. rhDNase is de slijmverdunner dornase alfa.



Bij sommige mensen werken de longen nog maar zo weinig dat ze extra zuurstof toegediend krijgen. In 2021 kreeg 0,2% van de kinderen en 2,3% van de volwassenen zuurstof via een slangetje of kapje. Zuurstof via een masker werd gegeven aan nog geen handvol mensen met CF in 2021.

In Figuur 16 worden de antibiotica genoemd 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 apart medicijn gaat het om het percentage mensen dat minstens één kuur van het medicijn heeft gehad. In Figuur 17 is goed te zien dat bijna alle inhalatieantibiotica, behalve tobramycine, het meest worden voorgeschreven aan de mensen met CF in de volwassencentra.



Figuur 17. Percentage kinderen en volwassenen met een specifiek type onderhoudsantibiotica (inname als inhalatie) in 2021.

Een longinfectie met de bacterie *Pseudomonas aeruginosa*, wordt meestal met inhalatieantibiotica behandeld. Van de mensen met een chronische *Pseudomonas* infectie kreeg 81,2% minstens één kuur inhalatieantibiotica, dat is vergelijkbaar met 2020. Voor deze berekening zijn de gegevens gebruikt van alle mensen met CF, zonder longtransplantatie. Ook zijn ze in 2021 gezien/gesproken en hebben ze een langdurige infectie van de bacterie *Pseudomonas*.

In totaal gaat het om 223 mensen, dat is de helft van het aantal mensen in 2020 (461). Slechts 15 kinderen hadden een chronische infectie. En de volwassencentra van Groningen, Maastricht en Amsterdam registreerden ook geen chronische infectie voor 2021. Daarom is er geen figuur gemaakt, daarvoor is te weinig data beschikbaar.

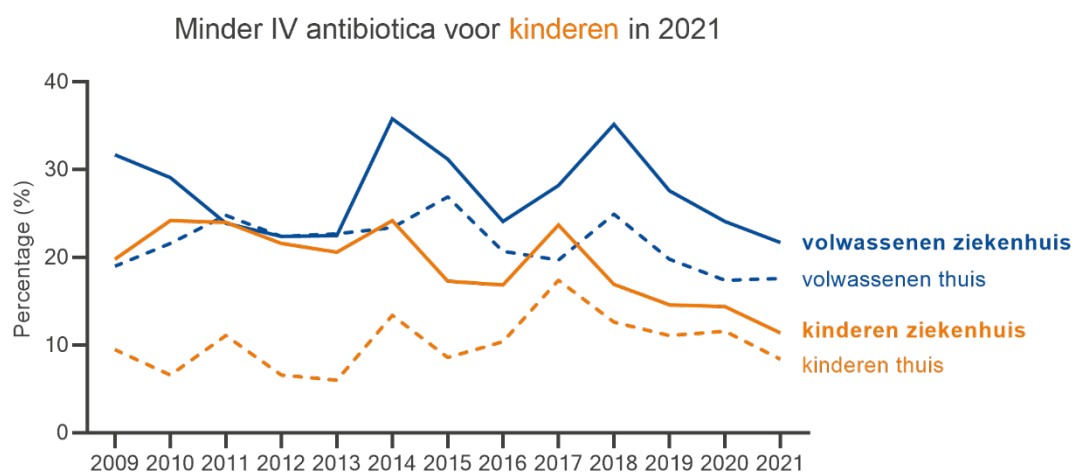


b. Antibiotica via het infuus

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 2021 heeft 88,6% van de kinderen geen enkele dag een intraveneuze antibioticabehandeling in het ziekenhuis gehad. In de groep volwassenen is dat 78,3%. 91,6% van de kinderen heeft in 2021 geen intraveneuze antibioticabehandeling thuis gehad. Voor de volwassenen gaat het om 82,4%.

In Figuur 18 is te zien hoe deze percentages zijn in 2021 en voorgaande jaren. Het percentage kinderen dat een IV antibioticabehandeling krijgt, neemt af. Dit geldt ook voor de ziekenhuisbehandeling bij volwassenen.

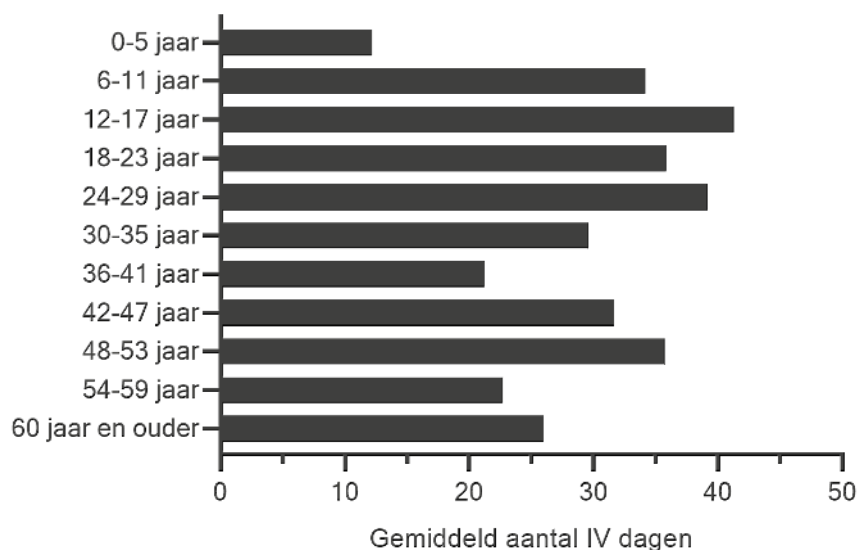


Figuur 18. Kinderen en volwassenen met minstens één dag IV antibioticabehandeling in het aangegeven jaar (2009-2021). Gegevens van mensen met CF zonder longtransplantatie. Percentages zijn uitgesplitst in thuisbehandeling en ziekenhuisbehandeling.

In Figuur 19 staat, per leeftijdsgroep, het gemiddeld aantal dagen IV antibioticabehandeling in 2021 beschreven. In totaal hebben mensen die minstens één IV dag in 2021 hadden, gemiddeld 33,5 dagen IV antibioticabehandeling gehad in 2021. De mediane waarde is 21 (net als in 2020). Dat betekent dat de helft van de mensen in totaal minder dan 21 dagen werd behandeld en de andere helft langer dan 21 dagen.



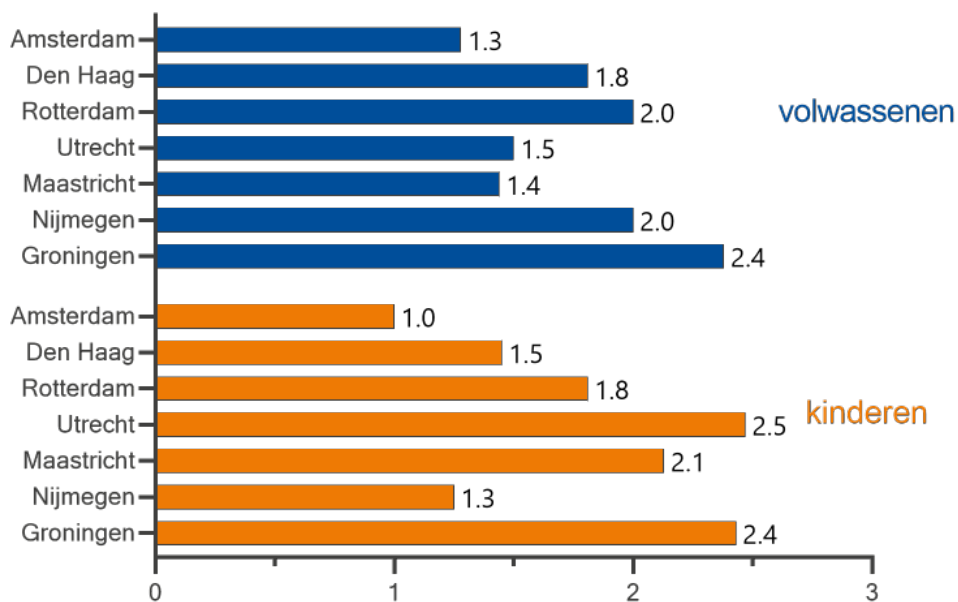
Gemiddeld 33,5 dagen IV antibioticabehandeling



Figuur 19. Gemiddeld aantal dagen IV antibioticabehandeling per jaar bij mensen die IV behandeld werden in 2021. 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 1,8 wat betekent dat de meeste mensen, die een IV behandeling nodig hadden, één of twee IV kuren hebben gehad in 2021.

Gemiddeld één tot twee kuren IV antibiotica



Figuur 20. Gemiddeld aantal IV antibioticakuren per centrum in 2021. Berekend voor alle mensen met CF met minstens één dag IV antibioticabehandeling.

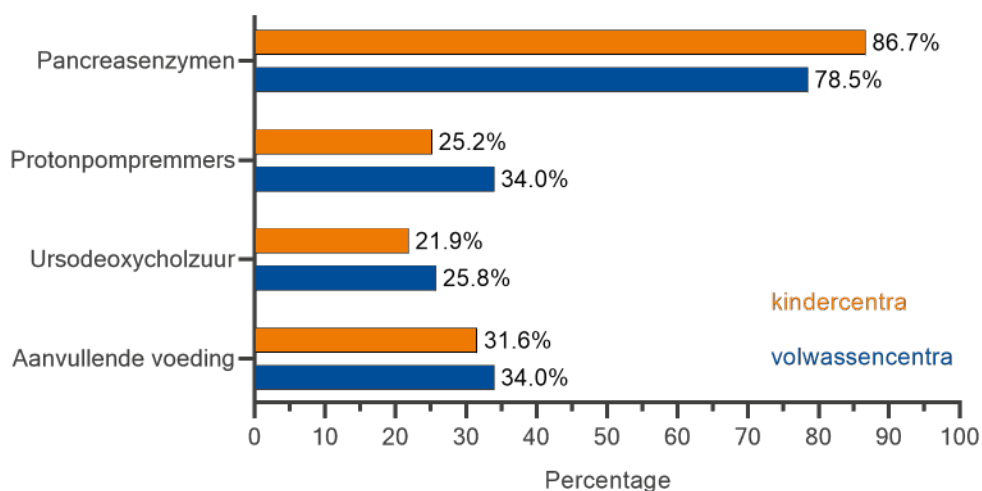


c. Maagdarmleverklachten en behandeling

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. In 2021 is 90,4% van de kinderen minstens één keer bij de diëtist geweest. Van die groep kwam 62,1% voor een analyse van de verhouding eiwit/vet/calorie, de rest had een consult zonder dergelijke analyse van hun dieet. Bij de volwassenen is 58,6% in 2021 bij de diëtist geweest, bij 93,2% van hen vond ook een eiwit/vet/calorie uitsplitsing plaats.

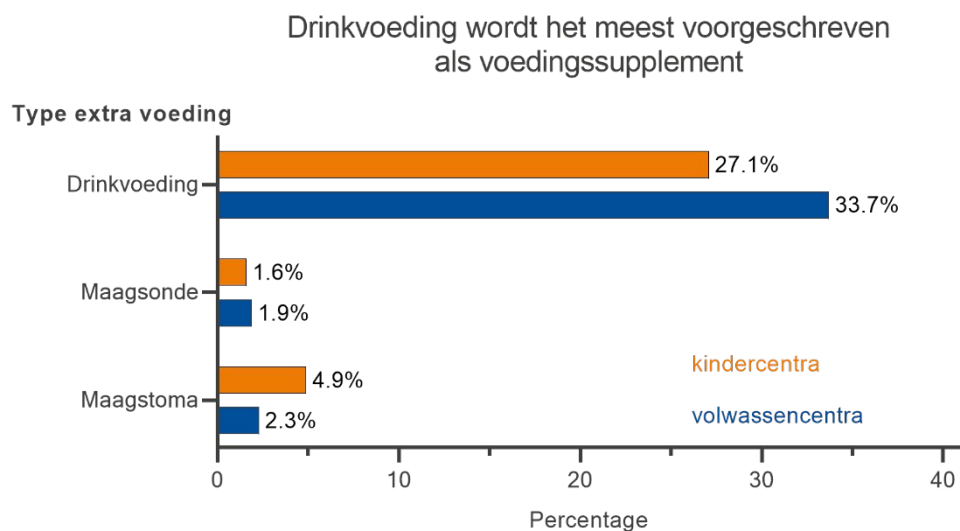
Er zijn verschillende medicijnen verkrijgbaar om de klachten van het maagdarmleverstelsel te verminderen. In Figuur 21 is te zien hoeveel kinderen en volwassenen een medicijn daarvoor gebruiken, volgens de gegevens van 2021. Pancreasenzymen worden het meest gebruikt. In 2021 werden minder protonpompremmers voorgeschreven aan kinderen en volwassenen dan in 2020 (30,7% van de kinderen en 59,6% van de volwassenen).

Enzymen meest gebruikte behandeling voor maagdarmleverstelsel.



Figuur 21. Behandeling van maagdarmleverklachten bij mensen met CF, zonder longtransplantatie, in 2021. 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 21 staat dat ongeveer 33% 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 33% krijgen drinkvoeding. In 2020 kreeg nog bijna 37% van de kinderen drinkvoeding. Een klein aantal mensen krijgt extra voeding via een maagsonde of maagstoma.



Figuur 22. Voorgeschreven extra voeding in 2021. Uitgesplitst voor kinderen en volwassenen met CF en zonder longtransplantatie.

d. Transplantaties

Van alle mensen met CF die zijn gezien in 2021, zijn 112 longgetransplanteerd in voorgaande jaren en één persoon in 2021. Meer informatie over deze groep van 113 mensen met een longtransplantatie is te vinden in hoofdstuk 12, pagina 44.

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

Op 31 december 2021 stonden er nog slechts twee mensen op de wachtlijst voor een longtransplantatie, volgens de gegevens van de Transplantatiestichting. Nog eens twee mensen wachtten op een nieuwe lever.

6. Longfunctie

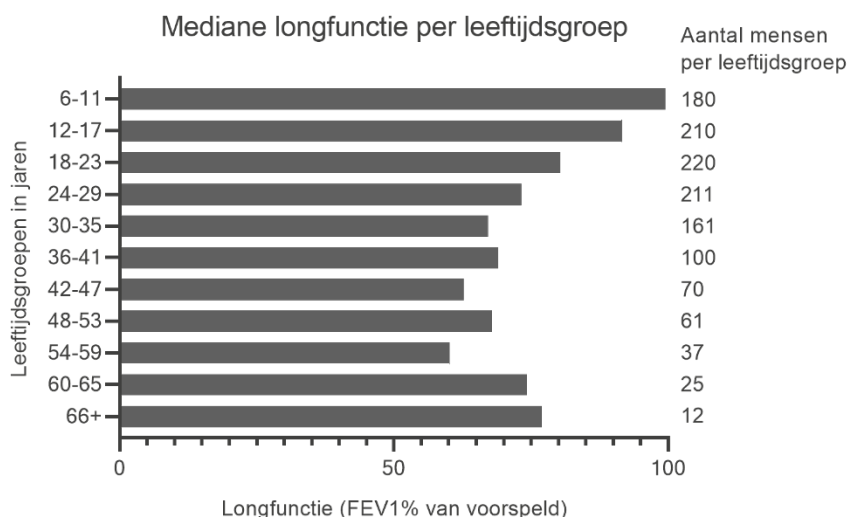
Dit hoofdstuk gaat over de longfunctie van mensen met CF in Nederland. Die wordt gemeten vanaf zes jaar. In 2021 zijn gegevens bekend van 1287 mensen met een bevestigde CF diagnose die zes jaar of ouder zijn, geen longtransplantatie hebben gehad en zijn gezien/gesproken in dat jaar en daarbij minstens 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. 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 2021 heeft de helft van de kinderen een longfunctie boven de 96,2%, de andere helft zit eronder. Dat getal is de mediane longfunctie. Voor volwassenen is de mediane longfunctie 71,8%. Vorig jaar was dat 94,3% voor de kinderen en 70,5% voor de volwassenen.

In Figuur 23 is te zien wat de longfunctie is per leeftijdsgroep. De helft van de tieners (12-17 jaar) heeft een longfunctie boven de 91,6%, iets minder dan de helft heeft dus niet meer een gezonde, normale longfunctie. In 2020 was de groep tieners met een gezonde longfunctie nog kleiner. De mediane longfunctie wordt niet, zoals in voorgaande jaren, duidelijk steeds lager bij de oudere leeftijdsgroepen. Of dit effect aanhoudt of dat er variatie is door de kleine aantallen per leeftijdsgroep moet worden afgewacht. De mediane longfunctie per centrum is te vinden in het hoofdstuk Kwaliteit van zorg, Tabel 3.

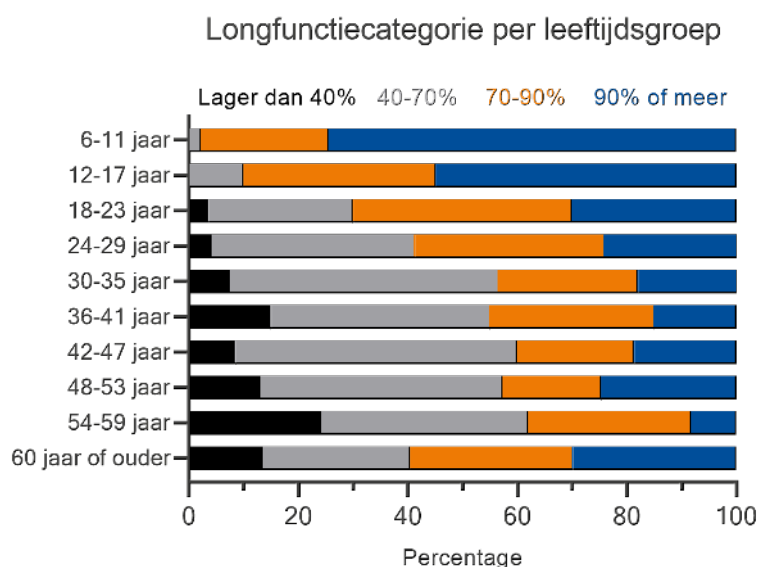


Figuur 23. Mediane longfunctie FEV1% van voorspeld in 2021. Gegevens zijn gebruikt van mensen met CF die zes jaar of ouder zijn en geen longtransplantatie hebben ondergaan.



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 64% van de kinderen een normale longfunctie van 90% of hoger. 29,8% heeft een longfunctie van 70-90% en 6,2% heeft een longfunctie tussen de 40 en 70%. In de volwassencentra heeft 22,1% van de volwassenen nog een normale longfunctie. 31,1% zit tussen de 70 en 90%, de meesten (38,7%) hebben een longfunctie van 40-70% en 8,2% heeft een longfunctie lager dan 40%. Ten opzichte van vorig jaar zijn er meer kinderen en volwassenen met een gezonde longfunctie.

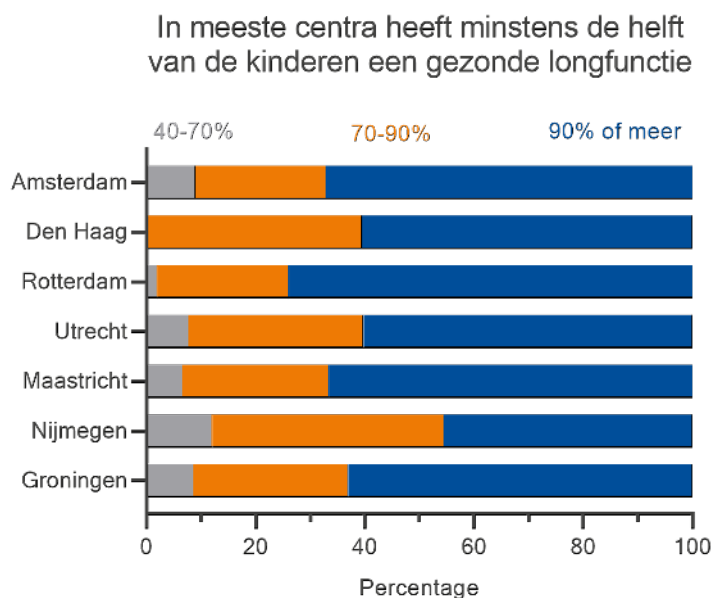
In Figuur 24 zijn alle longfunctiemetingen per leeftijdsgroep ingedeeld in de genoemde groepen. Zoals genoemd en in dit figuur goed te zien heeft geen enkel kind in 2021 een longfunctie onder de 40%. Het percentage mensen met een longfunctie van 70% of hoger wordt steeds lager tot de leeftijdsgroep van 30-35 jaar. Die 'stabilisatie' werd in 2020 gezien vanaf de leeftijdsgroep 42-47 jaar.



Figuur 24. Longfunctiegroepen in 2021 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 408 kinderen die minstens zes jaar oud waren. In dit figuur is opnieuw te zien dat er geen kinderen zijn die een longfunctie onder de 40% hebben in 2021. In bijna alle centra heeft minstens de helft van de kinderen zelfs een gezonde, normale longfunctie van 90% of hoger.



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

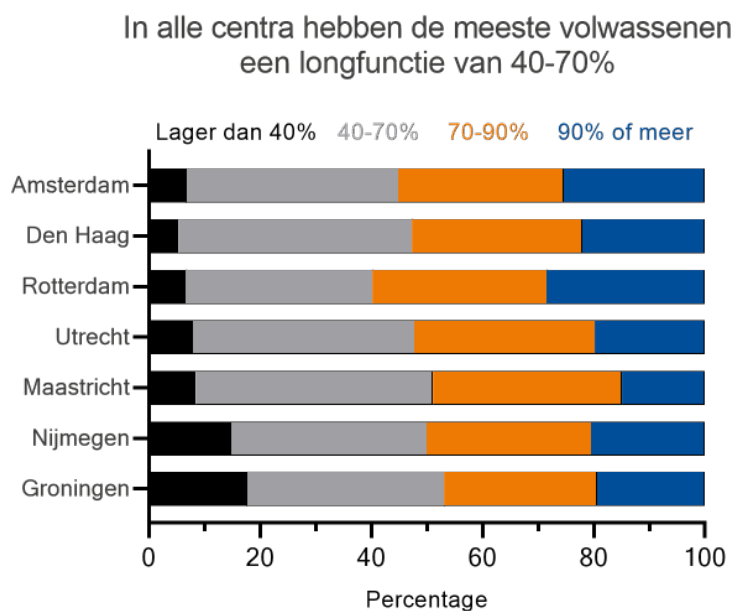
Een andere maat is de LCI (Lung Clearance Index). Hierbij wordt gemeten hoeveel ademhalingen nodig zijn om de lucht in de longen te ververset. Een lage LCI-waarde betekent dat er weinig ademhalingen nodig waren. Als iemand vaak moet in- en uitademen, dan leidt dat tot een hoge LCI-waarde. Hoe lager de 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 centra die deze methode inzetten: Groningen kinderen en Rotterdam kinderen. In Groningen hebben 32 kinderen een LCI meting gehad, met een mediane waarde van 10,03. Voor Rotterdam gaat het om 84 kinderen en een mediane waarde van 7,8. Beiden gebruiken een ander LCI apparaat, waardoor deze waarden onderling niet te vergelijken zijn.



c. Longfunctie van volwassenen

In Figuur 26 is te zien wat de verdeling is in longfunctiegroepen, per centrum. Hieruit blijkt bijvoorbeeld dat Nijmegen en Groningen in 2021 de meeste volwassenen hebben met een longfunctie lager dan 40%. Het ErasmusMC Rotterdam behandelt de meeste mensen met een gezonde longfunctie van 90% of hoger. In totaal zijn hiervoor gegevens gebruikt van 879 volwassenen.



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



7. 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

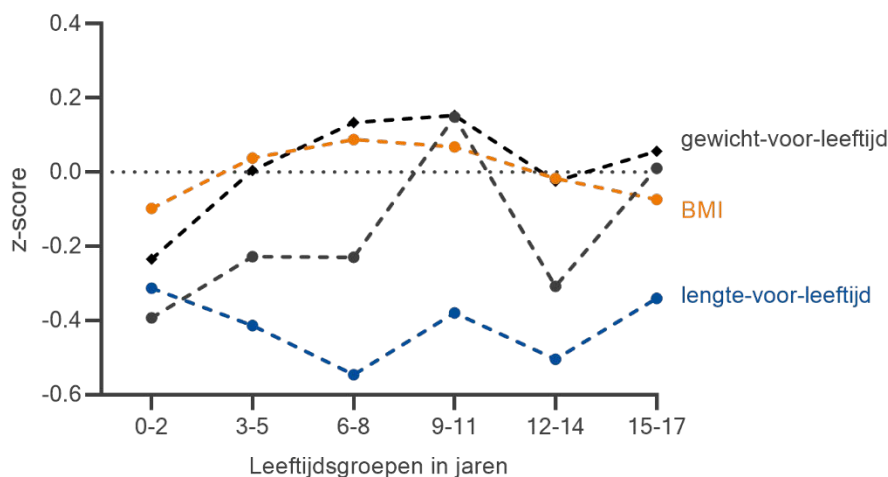
Body Mass Index (BMI) is één manier om iets te zeggen over de verhouding tussen lengte en gewicht. Maar voor kinderen is deze maat nog niet geschikt. Een kind groeit veel centimeters en wordt ook veel zwaarder tijdens de hele kindertijd. Lengte en gewicht kunnen omgerekend worden naar verschillende z-scores.

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 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 27). De waarden van gewicht-voor-leeftijd schommelen onder en rondom 0. Dat geldt niet voor lengte-voor-leeftijd: in alle leeftijdsgroepen is de z-score lager dan 0. De mediane waarden vallen nog wel in het normale gebied van -2 tot 2. Over het algemeen zijn kinderen met CF iets korter dan gemiddeld.

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



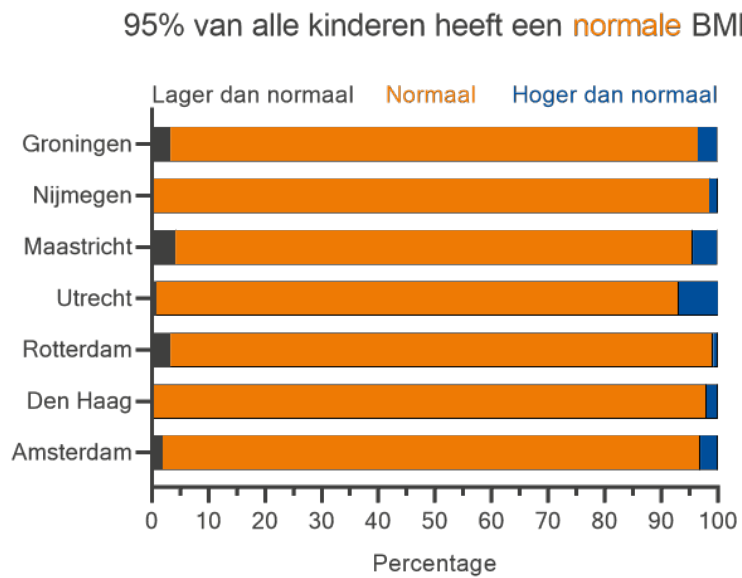
Figuur 27. Verschillende maten voor lengte en gewicht van kinderen met CF in 2021. De z-score is een gecorrigeerde waarde voor leeftijd en geslacht (en etniciteit). Een z-score tussen de -2 en 2 is normaal: 95% van de kinderen in Nederland heeft een z-score in dat gebied en een z-score van 0 is gemiddeld.



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 2021, net als in 2020 (Figuur 28). De verschillen tussen de CF kindercentra zijn klein.

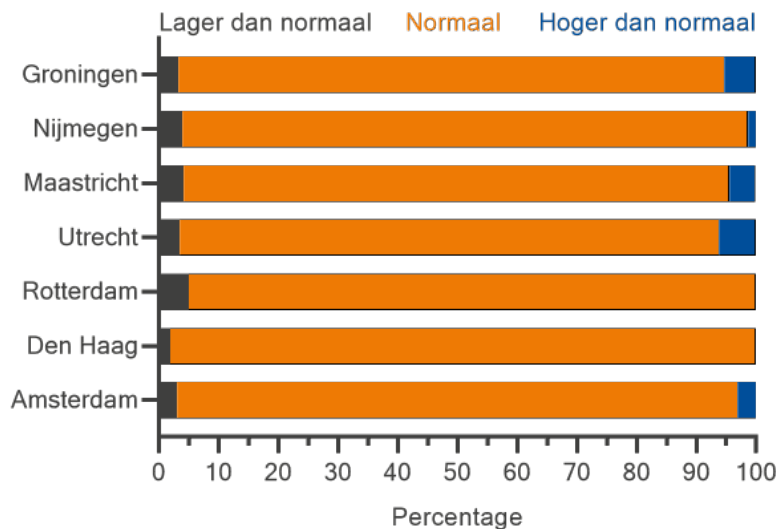


Figuur 28. BMI verdeling van alle kinderen met CF in 2021. Een normale BMI z-score ligt tussen -2 en 2. Lager dan normaal is kleiner dan -2, hoger dan normaal is hoger dan 2. De z-score is een gecorrigeerde waarde voor leeftijd en geslacht (en etniciteit).



Het gewicht is passend bij de leeftijd voor 93,5% van alle kinderen met CF in 2021, in 2020 gold dat voor 94,3%. In Figuur 29 is te zien dat de verschillen tussen de kindercentra klein zijn.

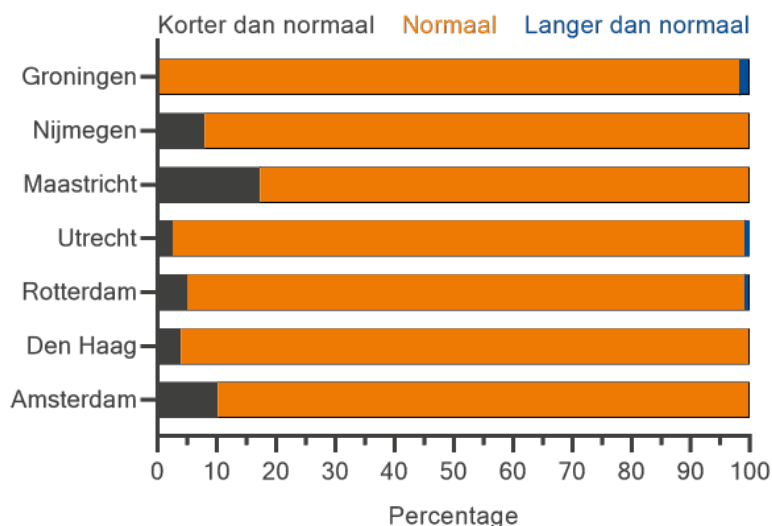
Bijna 95% van alle kinderen heeft een **normaal** gewicht



Figuur 29. Gewicht-voor-leeftijd verdeling van alle kinderen met CF in 2021. 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).

De meeste kinderen met CF zijn iets korter dan gemiddeld. Toch heeft 93,7% een normale lengte (Figuur 30). In Maastricht zijn veel kinderen korter dan 97,5% van gezonde kinderen in Nederland. Dat komt niet door een andere behandeling; in Nederland zijn 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 93% 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).

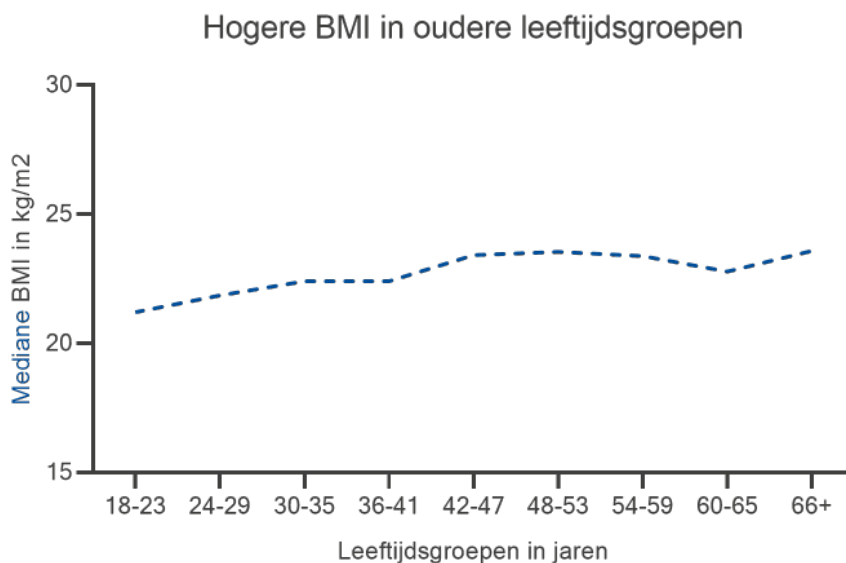


8. Lengte en gewicht van volwassenen

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 alle leeftijdsgroepen (Figuur 31). Over het algemeen is de BMI hoger bij de oudere volwassenen dan bij de jonge volwassenen.



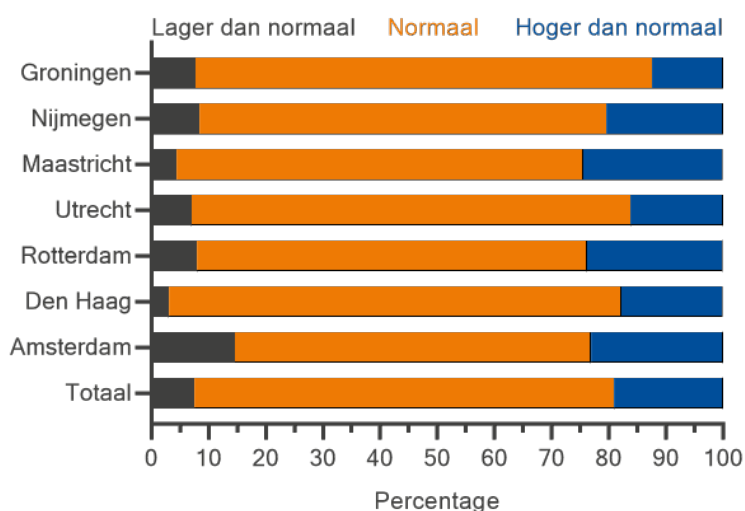
Figuur 31. *Mediane BMI van volwassenen met CF in 2021.*

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 32 zijn alle BMI waarden van volwassenen met CF ingedeeld in drie groepen. In totaal heeft 7,5% van de volwassenen een BMI lager dan normaal en 19% 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



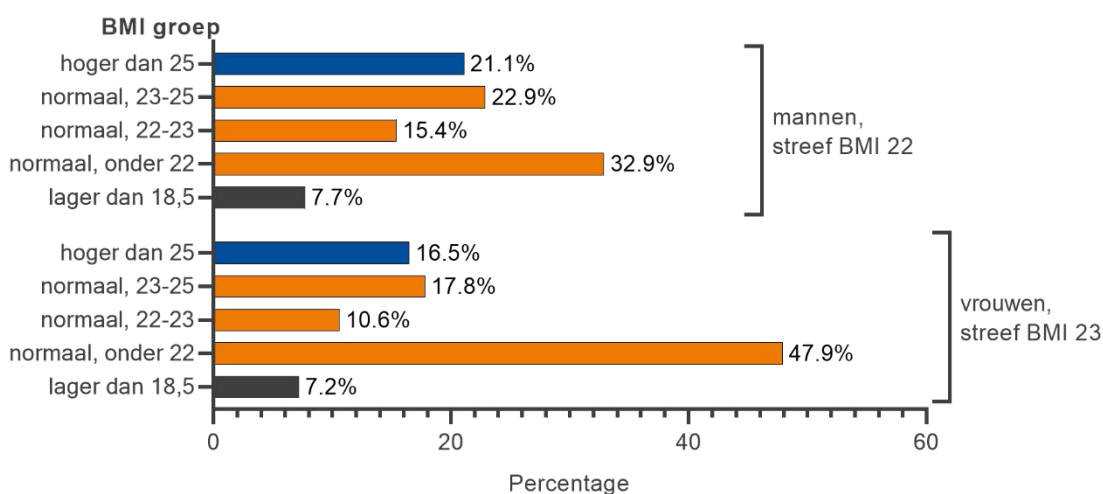
Figuur 32. BMI groepen per CF volwassencentrum in 2021. Een normale BMI is 18,5 of hoger, maar lager dan 25. Een lagere BMI dan normaal is lager dan 18,5. Een BMI hoger dan normaal is 25 of hoger.

c. Verschillen tussen mannen en vrouwen

In Figuur 33 zijn de BMI groepen verder uitgesplitst tussen mannen en vrouwen. 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. 40,6% 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, 55,1%. Alleen is hun streef BMI 23 en het percentage dat daaronder zit is 65,7%. Vorig jaar zaten meer vrouwen onder de 23 (67,2%).

Bij zowel mannen als vrouwen zijn er ook mensen met overgewicht: 16,5% van de vrouwen en 21,1% van de mannen heeft een BMI hoger dan 25.

Meer mannen dan vrouwen hebben **overgewicht**



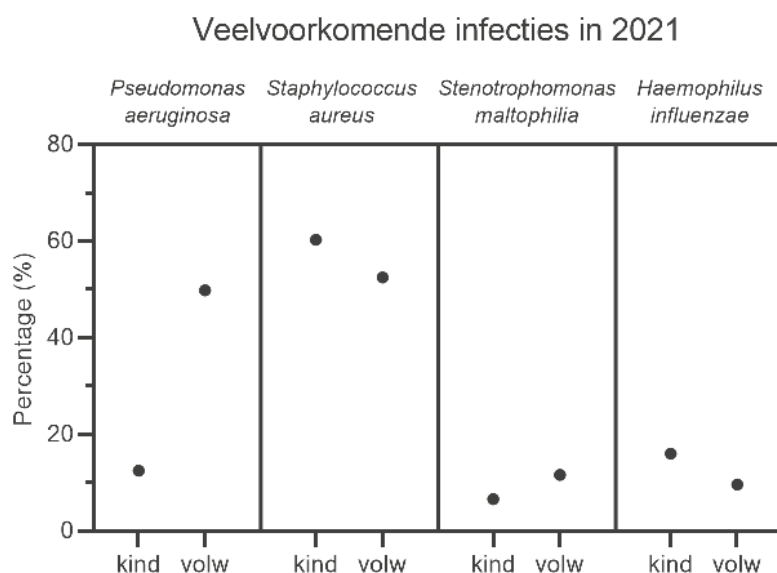
Figuur 33. BMI groepen van volwassen mannen en vrouwen met CF in 2021.

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. 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.

a. Chronische en niet-chronische infecties

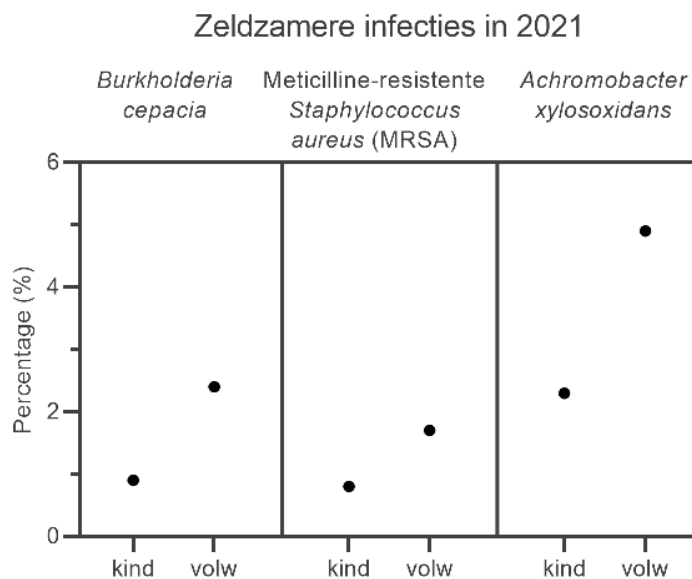
Sinds 2021 wordt in de registratie onderscheid gemaakt tussen chronische en niet-chronische infecties. Sommige centra vermeldde alleen chronische infecties, sommige juist alleen niet-chronische infecties. Daarom maken we in dit rapport geen onderscheid tussen chronisch en niet-chronisch. De gegevens kunnen ook minder goed gecombineerd met de gegevens van voorgaande jaren. In Figuur 34 is te zien welke veelvoorkomende bacteriën een infectie veroorzaakten bij mensen met CF in 2021. Hier is bijvoorbeeld te zien dat een infectie met *Pseudomonas aeruginosa* vaker voorkomt bij volwassenen en met *Staphylococcus aureus* vaker bij kinderen.



Figuur 34. Infecties van veelvoorkomende bacteriën bij mensen met CF in 2021. Uitgesplitst naar kinderen en volwassenen.



Er zijn ook bacteriën die veel minder vaak (gemiddeld minder dan 4%) een infectie veroorzaken bij mensen met CF (Figuur 35). Chronische infecties met deze bacteriën komen bij kinderen minder vaak voor dan bij volwassenen.



Figuur 35. Infecties van minst voorkomende bacteriën bij mensen met CF in 2021. Uitgesplitst per kinderen en volwassenen.

b. Schimmelinfecties in de longen

Sinds 2021 wordt meer in detail geregistreerd of mensen met CF zijn getest op schimmelinfecties in de longen. Bij 911 mensen (61,2%) is minstens één kweek onderzocht op schimmels in 2021, 46,5% van de kinderen en 70,2% van de volwassenen.

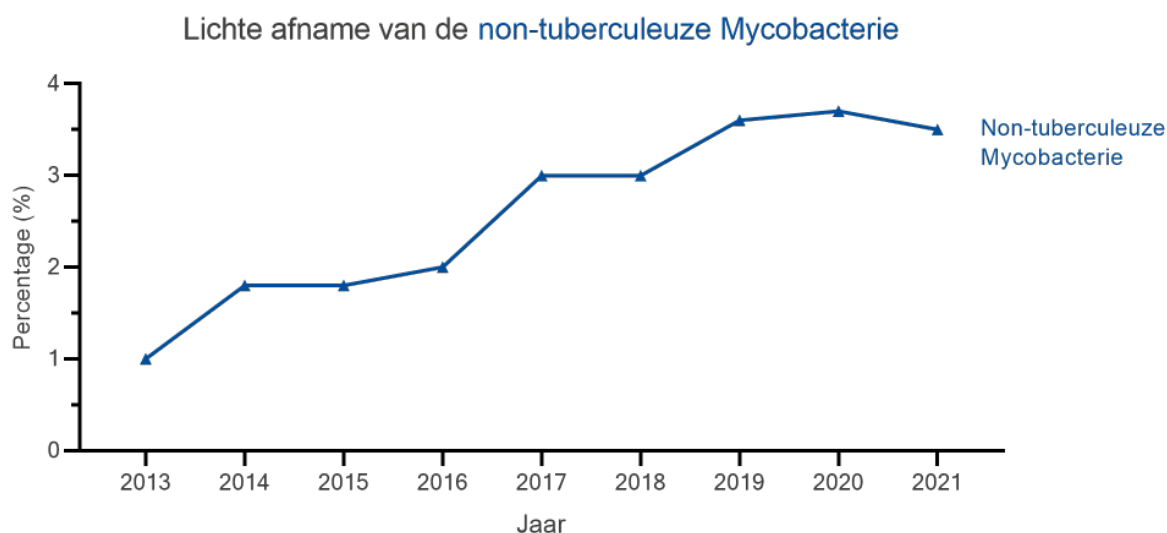
Van de 911 is ongeveer de helft (50,9%) getest op de schimmel *Aspergillus fumigatus* (39,3% van de kinderen en 55,6% van de volwassenen). *Scedosporium* soorten zijn gezocht bij slechts 3,1% van de 911 mensen met CF. Dit is waarschijnlijk een onderschatting, want voor 39,3% van de 911 mensen zijn deze gegevens niet aangeleverd. Een mogelijke reden is dat deze variabele pas sinds 2021 in de registratie wordt verzameld.



c. Non-tuberculeuze mycobacteriën (NTM)

In 2021 heeft 3,5% van de mensen met CF een infectie met een NTM. Voor het eerst in jaren daalt het cijfer heel licht.

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 2021 hebben 48 mensen een NTM in de sputumkweek. 39,6% heeft het type NTM abscessus, 31,3% één van de drie types uit het NTM avium complex en de overige mensen hebben een andere of onbekende variant.



Figuur 36. Percentages infectie met de non-tuberculeuze Mycobacterie (NTM) van 2013-2021.

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 109 mensen met CF positief zijn getest voor het coronavirus in 2021, dat is 7,4% van de hele groep. Dit is waarschijnlijk een onderschatting, want bij 482 mensen zijn hierover geen gegevens bekend. Of iemand corona heeft gehad wordt namelijk niet standaard uitgevraagd.

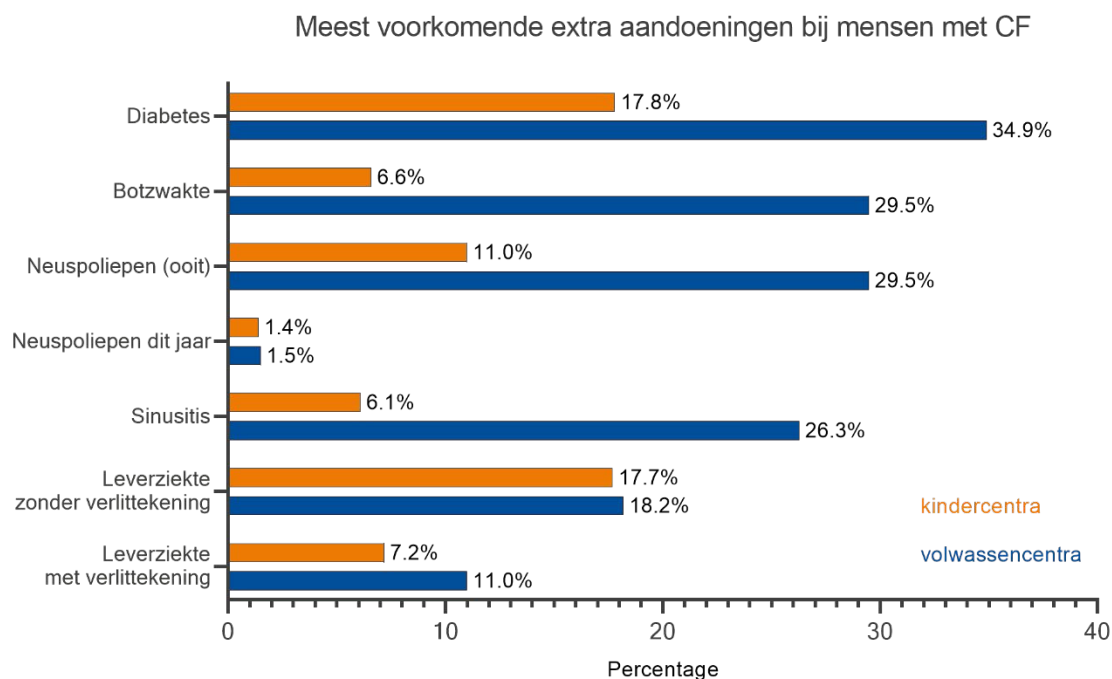
10. Extra aandoeningen bij CF

Mensen met CF hebben vaak extra aandoeningen, comorbiditeiten genoemd. In dit hoofdstuk is te zien hoeveel mensen welke extra aandoening hebben in 2021. Gegevens zijn gebruikt van mensen met CF zonder longtransplantatie die in 2021 gezien/gesproken zijn door een CF-centrum. In totaal zijn er gegevens bekend van 1478 mensen: 572 kinderen en 906 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 2021 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 voorkomende extra aandoeningen

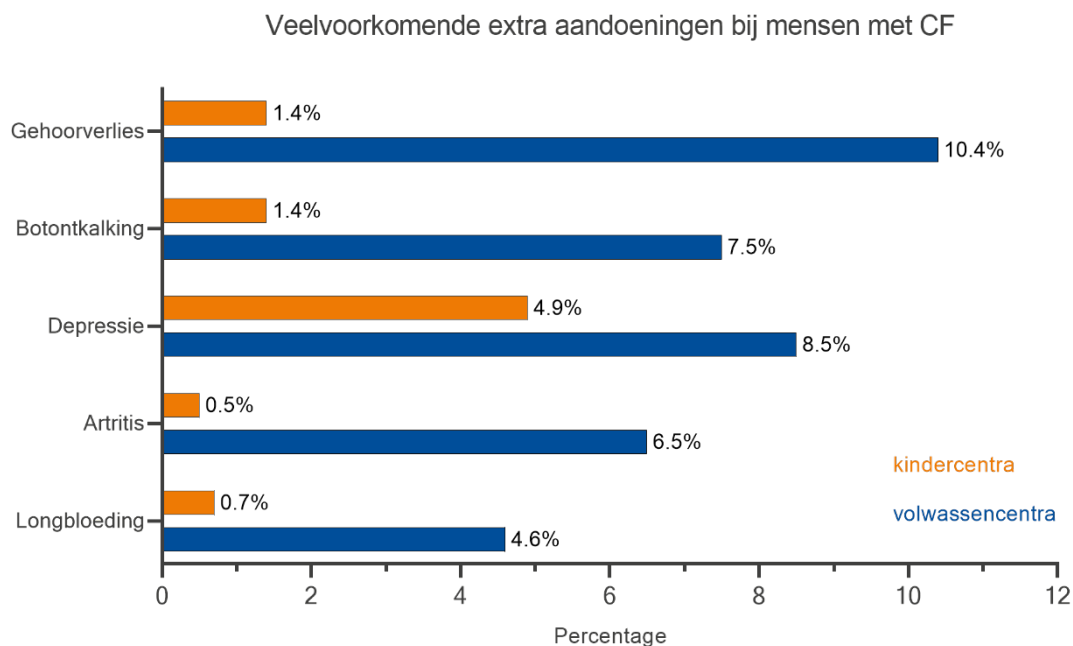
In Figuur 37 zijn de meest voorkomende extra aandoeningen te zien van 2021. Ten opzichte van 2020 zijn er minder neuspoliepen gemeld (toen 4,2% en 6,7% voor de kinder- en volwassencentra, respectievelijk). Sinds 2021 wordt ook de behandeling van CFRD verzameld: de meeste mensen krijgen insuline (82,3% van alle mensen met CFRD), 16,5% kreeg enkel dieetadvies en een handvol mensen kreeg orale middelen voorgeschreven.



Figuur 37. Meest voorkomende extra aandoeningen van mensen met CF in 2021.



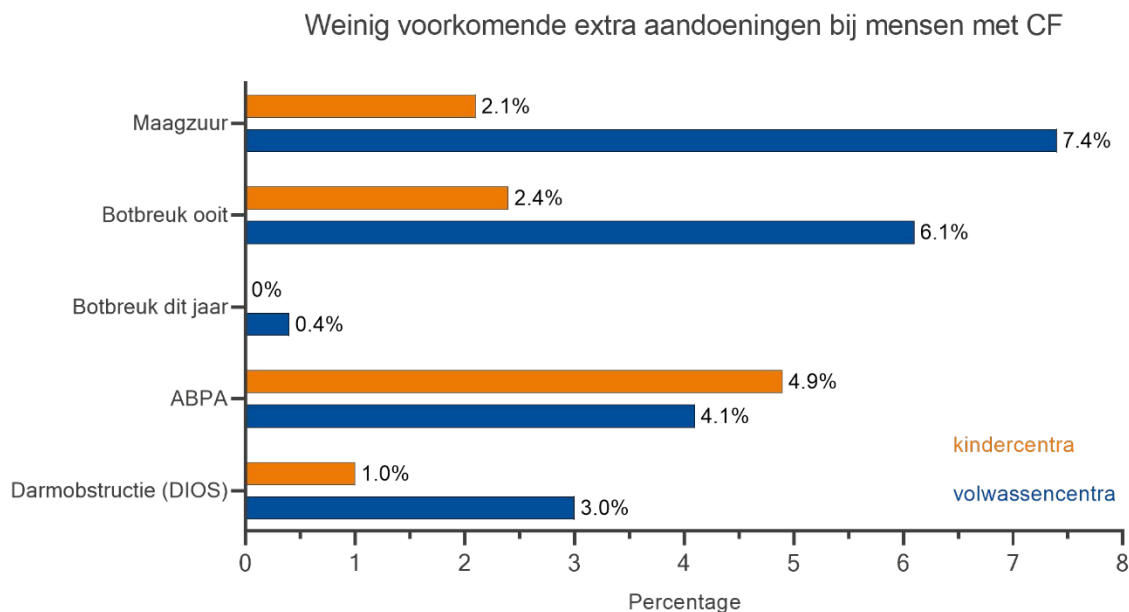
Andere extra aandoeningen komen bij ongeveer 5-10% van de volwassenen voor, maar minder bij kinderen (Figuur 38). Er is meer depressie bij kinderen geregistreerd dan in 2020 (toen was dat nog 1,4%). Er is juist minder botontkalking en gehoorverlies gemeld door de kindercentra.



Figuur 38. Veelvoorkomende extra aandoeningen van mensen met CF in 2021.

b. Weinig voorkomende extra aandoeningen

Sommige aandoeningen komen voor bij minder dan 5% van de volwassenen en kinderen (Figuur 39). Uit Figuur 39 blijkt dat een ABPA bij een ongeveer even groot percentage volwassenen als kinderen voorkomt in 2021, net als in 2020. ABPA is een allergische reactie van de luchtwegen op de schimmel *Aspergillus fumigatus* en staat voor allergische bronchopulmonale aspergillose. In vergelijking met 2020 is bij de volwassenen vaker melding gemaakt van botbreuken en maagzuur.



Figuur 39. Weinig voorkomende extra aandoeningen van mensen met CF in 2021. ABPA is een allergische reactie van de luchtwegen op de schimmel *Aspergillus fumigatus* en staat voor allergische bronchopulmonale aspergillose.

Bij twee mensen is in 2021 een vorm van kanker ontdekt. Bij 31 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 persoonlijk en herleidbaar).

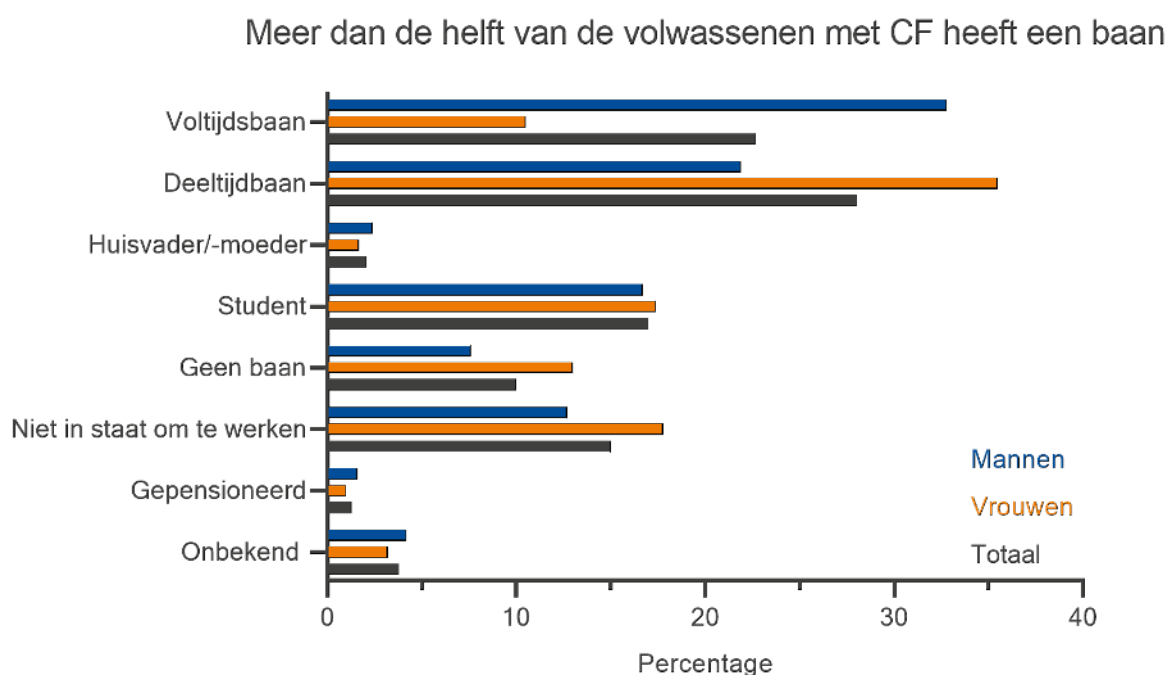
Naast de genoemde extra aandoeningen is er nog een aantal die bij een handvol kinderen en/of volwassenen voorkomen: maagbloedingen, nierfalen, rectale prolaps (waarbij een stukje darm naar buiten puilt), klaplong en ontsteking van de alvleesklier (pancreatitis).

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 in 2021.

a. Werk/maatschappelijk aandeel

In totaal zijn 906 volwassenen met CF, zonder longtransplantatie, in 2021 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 2020 (Figuur 40). 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 40. Rollen van mensen met CF in de maatschappij in 2021.

b. Zwangerschappen

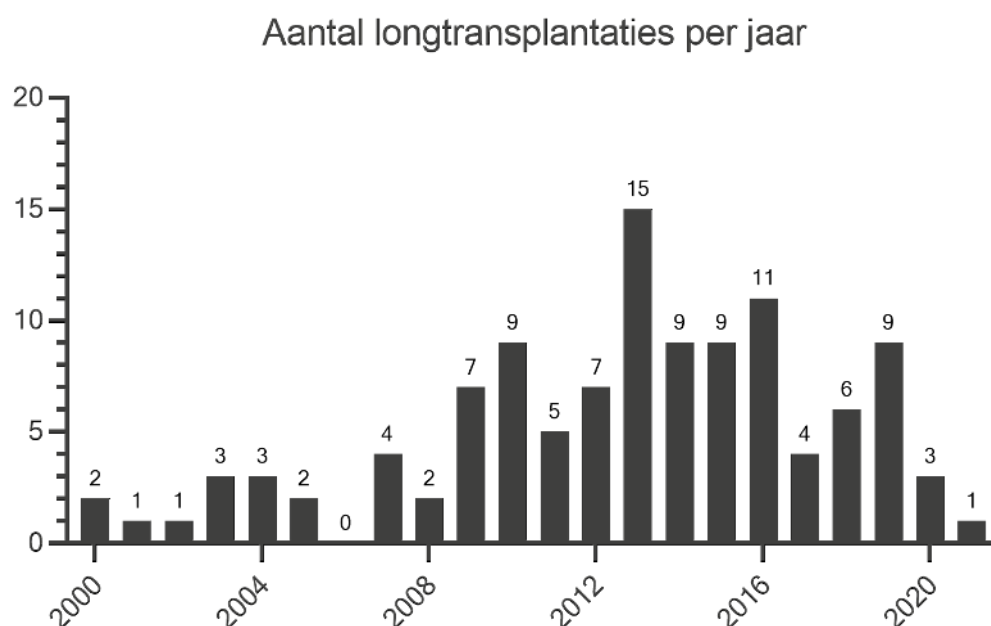
In 2021 waren 17 vrouwen zwanger, van de 409 volwassen vrouwen met CF (zonder longtransplantatie). In totaal, sinds het bijhouden van de registratie in 2007, zijn 102 zwangerschappen genoteerd. 90 keer werd een levende en levensvatbare baby geboren, in de andere gevallen was er sprake van een miskraam of abortus.

12. Mensen met een longtransplantatie

In dit hoofdstuk zijn gegevens opgenomen van mensen met CF én een longtransplantatie. Ook zijn ze tenminste één keer gezien/gesproken dit jaar. Van 113 volwassenen staan gegevens in de registratie.

a. Door de jaren heen

In Figuur 41 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 meer dan eens longtransplantaties hebben ondergaan (een handvol mensen krijgt vaker dan één keer donorlongen), is alleen het meest recente transplantatiejaar gebruikt.



Figuur 41. Longtransplantaties bij mensen met CF, weergegeven per jaar. Sommige mensen hebben vaker dan één keer nieuwe longen ontvangen, het meest recente jaar is aangehouden.

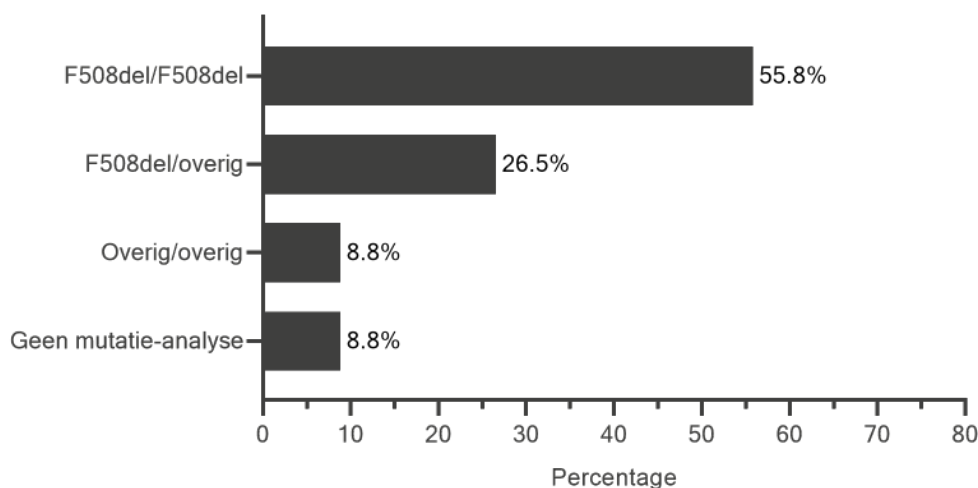


b. Demografie

Van de 113 mensen met CF en een longtransplantatie is 55,8% man. Eén iemand heeft in 2021 nieuwe longen gekregen. Vijf mensen zijn in 2021 overleden.

In Figuur 42 is te zien dat de meeste mensen minstens één F508del-mutatie hebben: 82,3%.

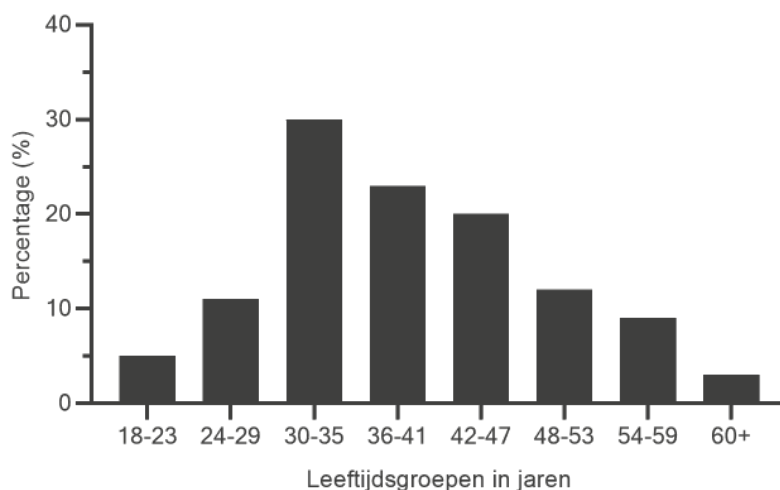
Meeste longgetransplanteerde mensen hebben minstens één F508del-mutatie



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

Van alle longgetransplanteerde mensen met CF is 53% 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 2021 ouder dan 40,8 jaar. Bij de vrouwen is die mediane waarde lager: 35,2 jaar.

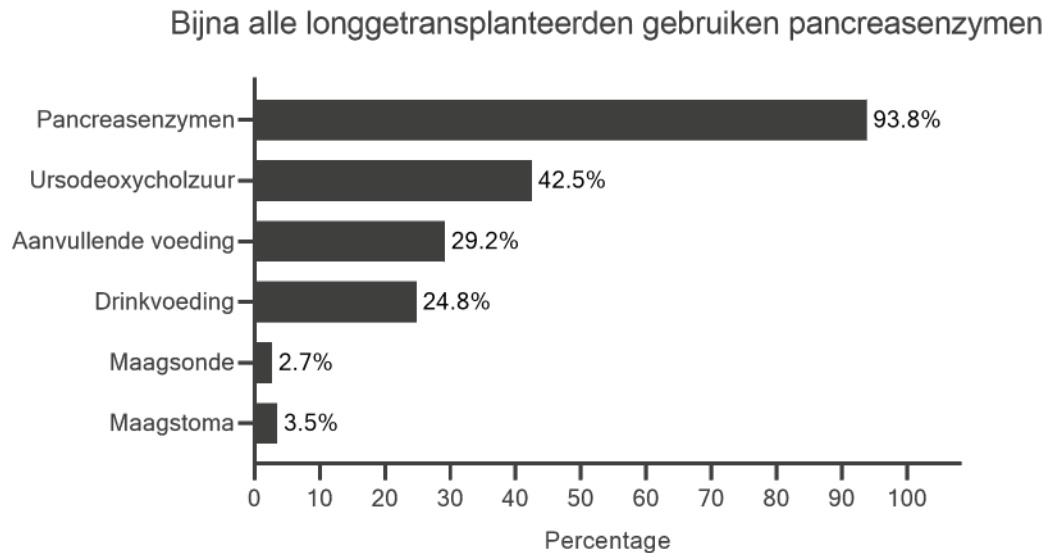
Iets meer dan de helft van de longgetransplanteerden is 30-41 jaar oud



Figuur 43. Leeftijdverdeling van mensen met CF en een longtransplantatie in 2021. Leeftijd is verdeeld per 6 jaar.

c. Medicijnen

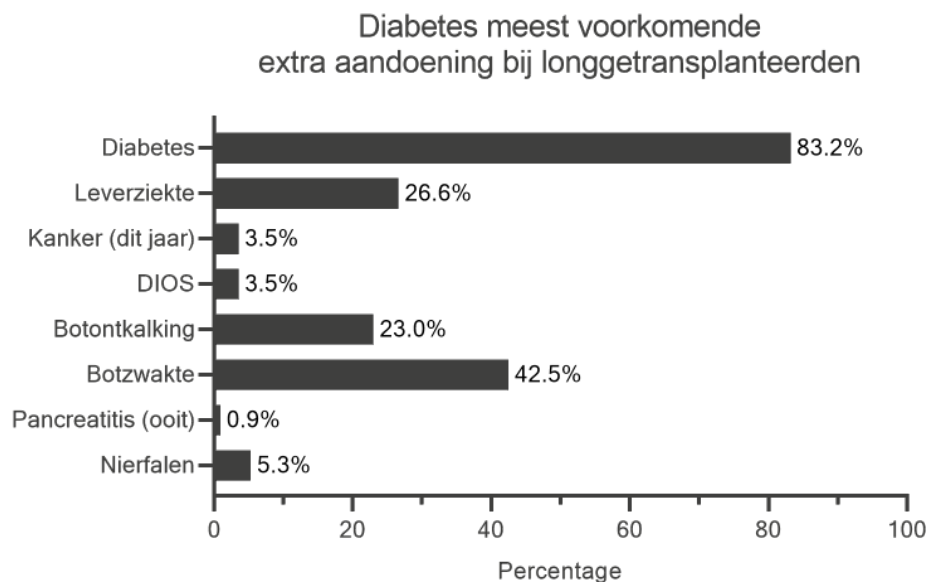
Bijna alle longgetransplanteerden gebruiken pancreasenzymen, volgens de gegevens van 2021 (Figuur 44). Bijna 30% heeft aanvullende voeding nodig, voornamelijk in de vorm van drinkvoeding.



Figuur 44. Behandeling van maagdarmklachten van mensen met CF en een longtransplantatie in 2021.

d. Extra aandoeningen

Mensen met CF en een longtransplantatie hebben vaak nog extra aandoeningen (net zoals mensen met CF zonder longtransplantatie). Meer dan 80% van alle longgetransplanteerden heeft diabetes (Figuur 45). Botontkalking komt ook veel voor, net als botzwakte en leverziekte.



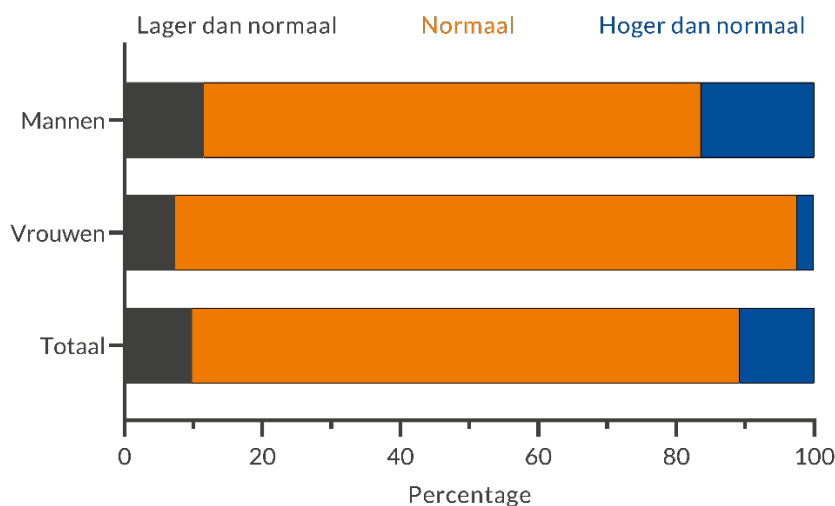
Figuur 45. Extra aandoeningen bij mensen met CF en een longtransplantatie, volgens de gegevens van 2021. DIOS is een ernstige darmverstopping.



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. Vorig jaar was dat nog minder dan 10% bij de vrouwen. De helft van de vrouwen heeft een BMI hoger dan 20,4. Bij de mannen is die mediane waarde 21,7.

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

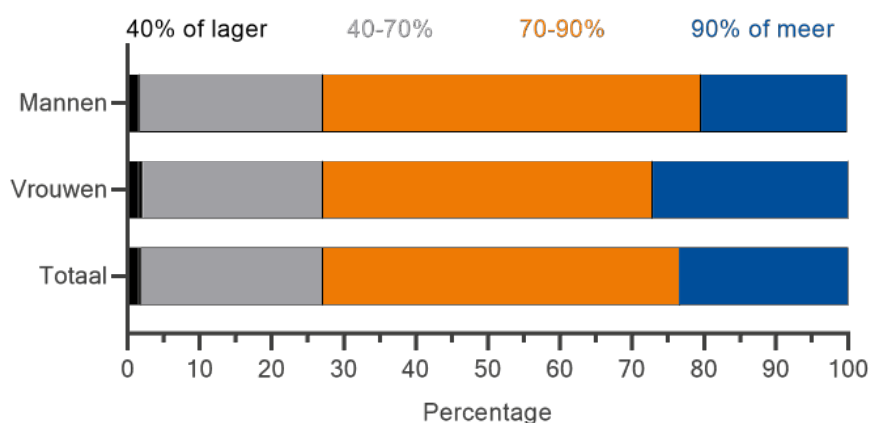


Figuur 46. BMI van mannen en vrouwen met CF en een longtransplantatie in 2021, verdeeld in drie groepen. Een normale BMI is 18,5 of hoger, maar lager dan 25.

f. Longfunctie

Van 107 mensen is geregistreerd wat de beste longfunctie (FEV1% van voorspeld) is in 2021. De helft van de vrouwen heeft een longfunctie hoger dan 81%. Bij de mannen is deze mediane waarde 79%. Meer vrouwen dan mannen hebben een normale longfunctie van 90% of hoger (Figuur 47).

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



Figuur 47. Longfunctie van mannen en vrouwen met CF met een longtransplantatie in 2021. 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 twee andere transplantaties.

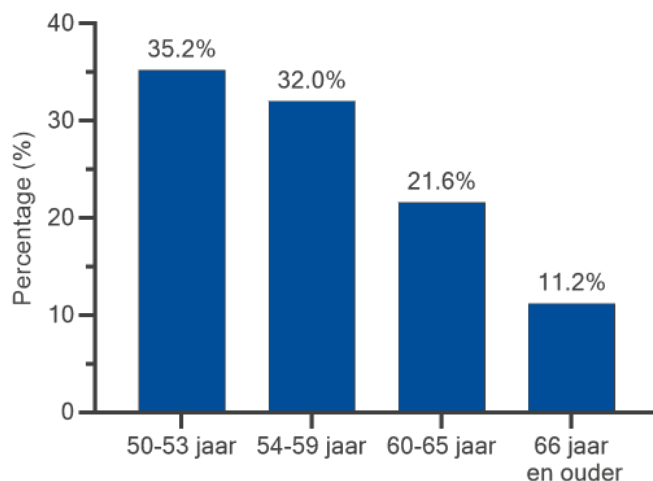
13. 50+ en CF

Steeds meer mensen met CF worden ouder dan 50 jaar. Er zijn 144 50-plussers met CF die gezien/gesproken zijn door het behandelend ziekenhuis volgens de gegevens van 2021. Van de 144 mensen hebben 19 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 125 mensen met CF, zonder longtransplantatie, met een leeftijd van 50 jaar of hoger. De meeste mensen zijn 50-59 jaar, meer dan 30% is 60 jaar of ouder, in 2020 was dat nog minder dan 30% (Figuur 48).

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

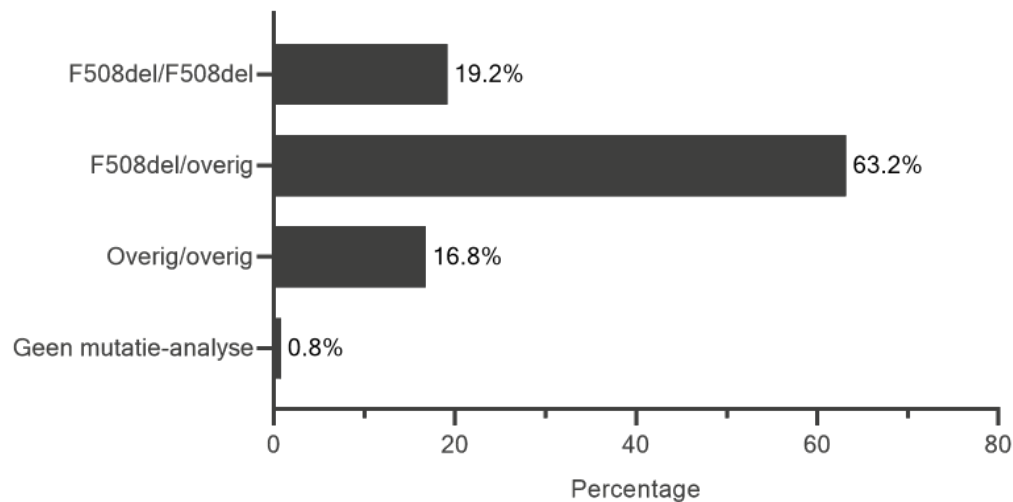


Figuur 48. Leeftijdsverdeling van mensen met CF, zonder longtransplantatie en met een leeftijd van 50 jaar of ouder (in 2021).



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 (55%, hoofdstuk 3 CF en mutaties, pagina 15). Toch heeft 82,4% van de 50-plussers minstens één F508del-mutatie.

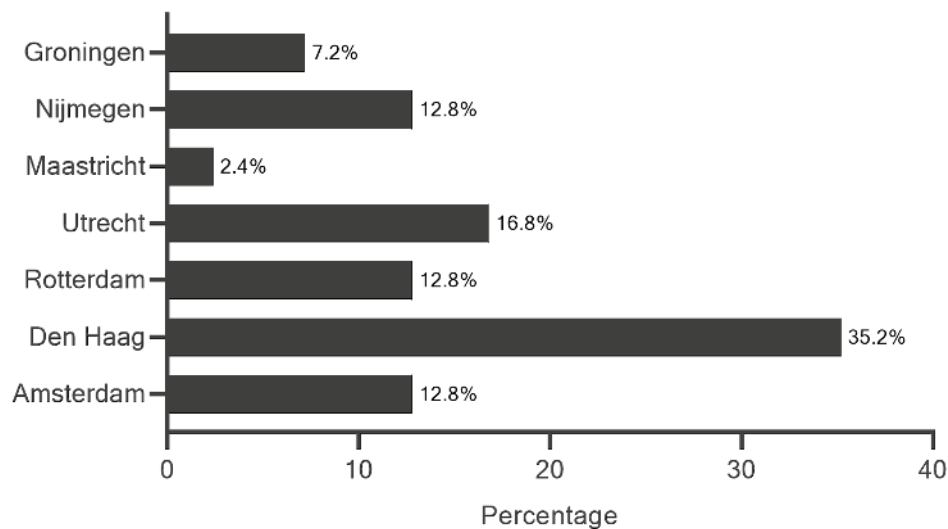
De meeste 50-plussers hebben minstens één F508del-mutatie



Figuur 49. Mutatieverdeling van 50-plussers met CF in 2021.

Het CF-centrum in Den Haag heeft, net als vorig jaar, de meeste 50-plussers met CF en zonder longtransplantaties onder behandeling (Figuur 50).

Den Haag heeft de meeste 50-plussers onder behandeling



Figuur 50. Percentage 50-plussers per CF-centrum in 2021.

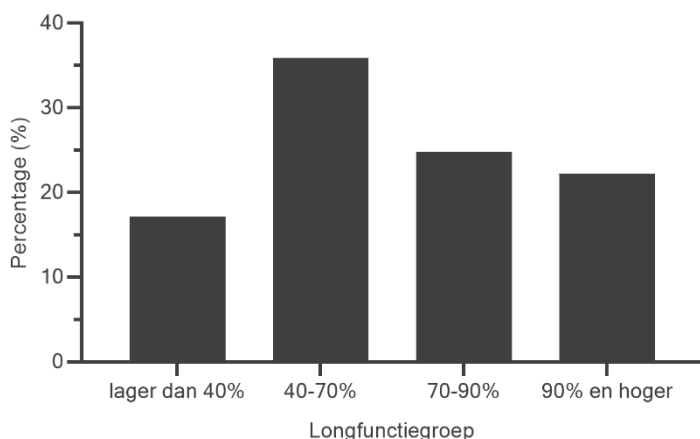


b. Longfunctie

De helft van de 50-plussers heeft een longfunctie van meer dan 67,8%. De vrouwen hebben, op groepsniveau, een hogere FEV1% dan de mannen (69,0% vs. 62,7%).

De grootste groep 50-plussers heeft een longfunctie die valt in de categorie 40-70% (Figuur 51), maar in 2020 was dat percentage nog hoger met ruim 40%. 22,2% heeft een gezonde longfunctie van 90% of hoger, in 2020 was dat nog 18,1%.

Meeste 50-plussers hebben een longfunctie van 40-70%

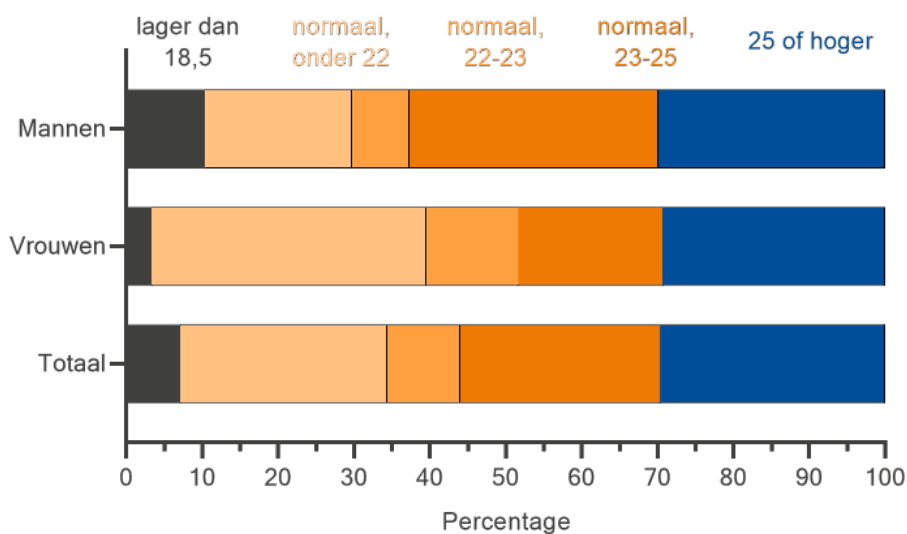


Figuur 51. Longfunctie van 50-plussers met CF, zonder longtransplantatie, in 2021. Uitgesplitst in longfunctiegroepen.

c. BMI

In Figuur 52 is te zien dat bijna een derde van de 50-plussers overgewicht heeft: een BMI hoger dan de maximale normale waarde van 25. In 2020 was dit nog meer dan een derde.

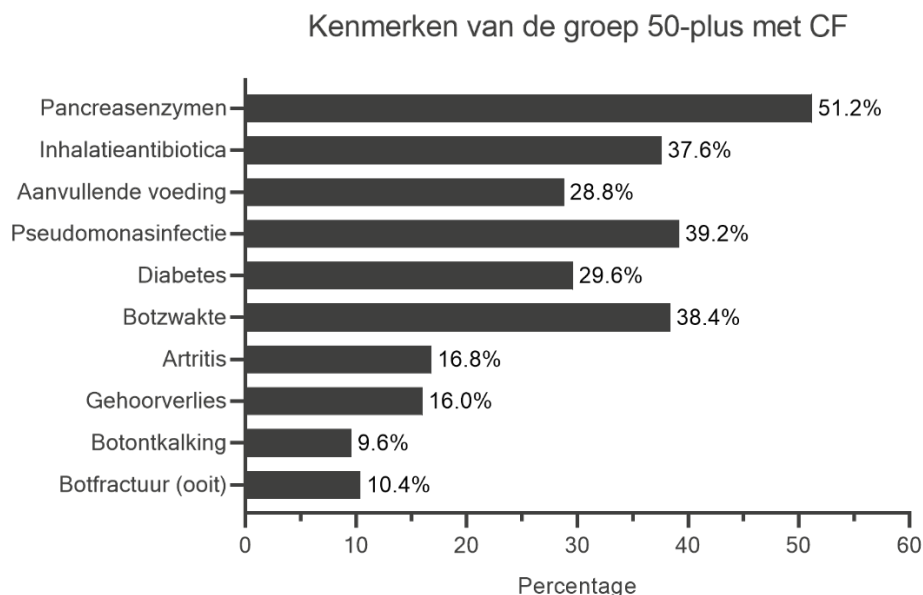
Minder dan een derde van 50-plussers heeft **overgewicht**



Figuur 52. BMI groepen van 50-plussers met CF in 2021.

d. Behandeling, extra aandoeningen

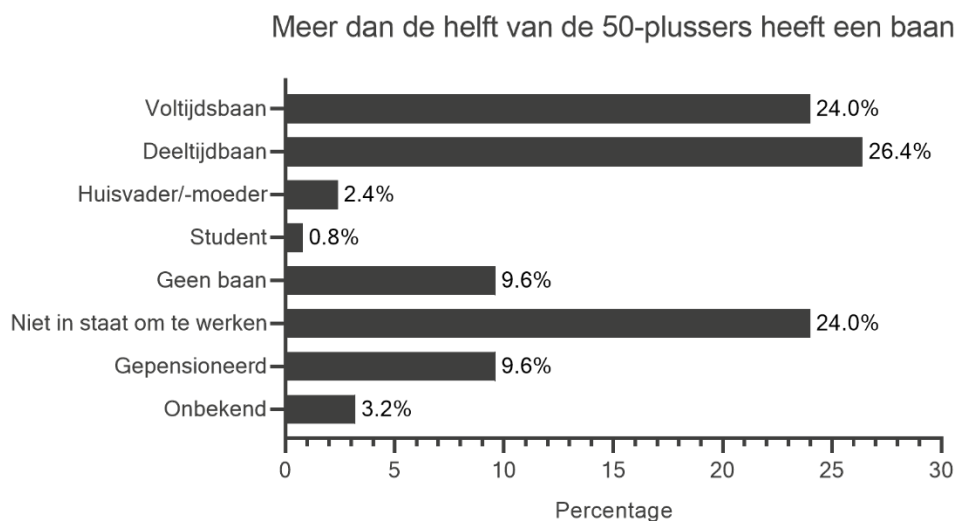
Iets meer dan de helft van de 50-plussers gebruikt pancreasenzymen (Figuur 53). Dat is minder dan in de hele groep mensen met CF in Nederland (zo'n 80%, Figuur 21). Andere kenmerken van deze groep staan ook in Figuur 53 vermeld. In vergelijking met vorig jaar is er minder botzwakte en botontkalking gemeld.



Figuur 53. Diverse kenmerken van 50-plussers met CF, zonder longtransplantatie, in 2021. Behandeling, infectie en extra aandoeningen zijn weergegeven in percentages. Pseudomonasinfectie is chronisch en niet-chronisch samen. Diabetes is meegeteld ongeacht de behandeling.

e. Werk

Veel 50-plussers zetten zich maatschappelijk in (Figuur 54). Ongeveer een kwart heeft een voltijdsbaan en nog een kwart heeft een deeltijdsbaan. Toch is ook 24% niet in staat om te werken. Bijna 10% is inmiddels gepensioneerd, in 2020 was dat nog 7%.



Figuur 54. Rollen van 50-plussers met CF in de maatschappij in 2021.



14. Kwaliteit van zorg

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

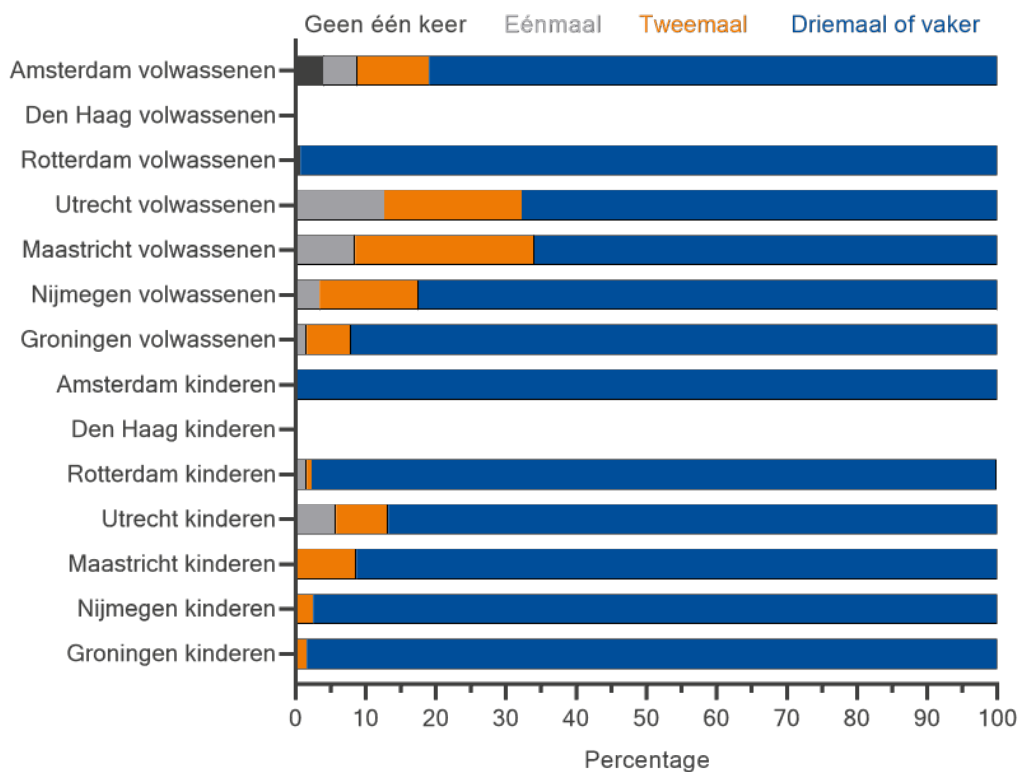
In dit hoofdstuk is de set van gegevens te vinden zoals al jaren wordt geanalyseerd. Dit jaar is de stuurgroep van de registratie tot een uitbreiding van de set van kenmerken gekomen om informatie te bieden over de kwaliteit van zorg. De reden hiervoor is dat de gezondheid van mensen met CF is verbeterd, 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 1412 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 (86%) zijn minstens drie keer op polibezoek geweest in 2021 (Figuur 55). Van de kinderen is 95,6% drie keer of meer geweest, van de volwassenen 79,6%. De data van Den Haag is op een andere manier verzameld en wordt buiten beschouwing gelaten voor dit jaar.

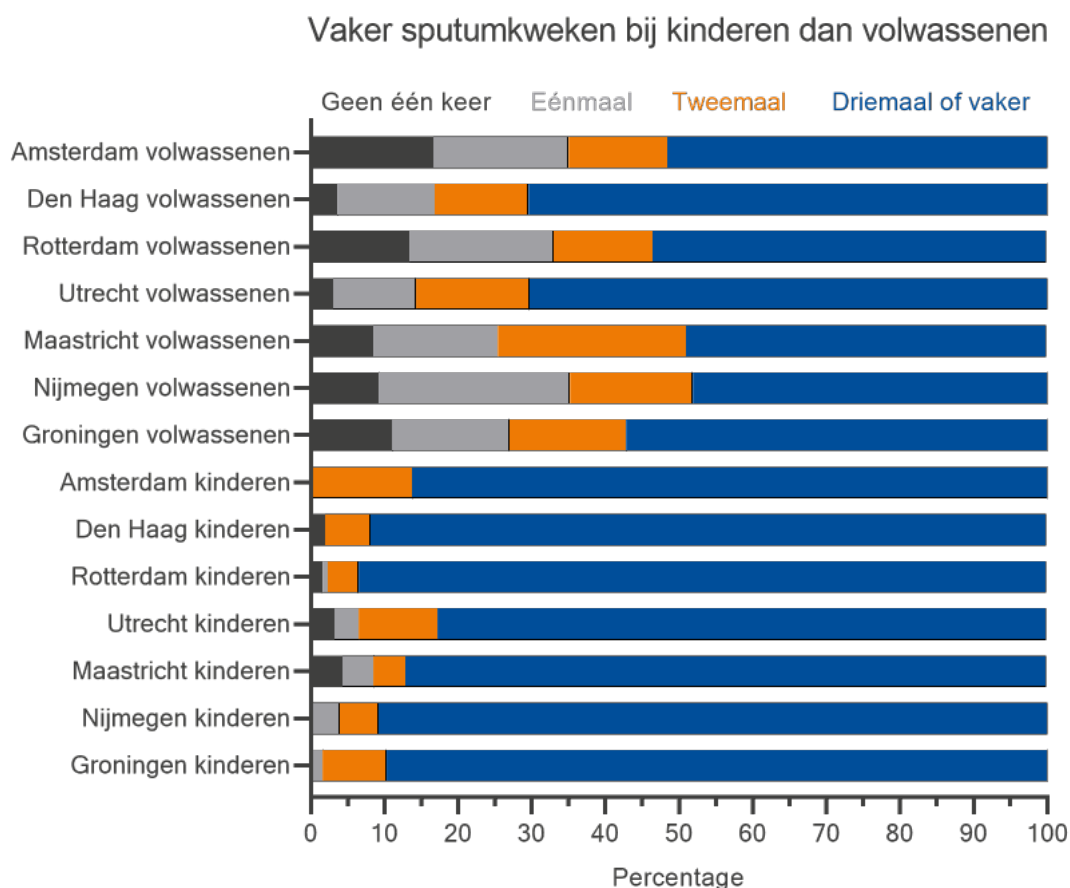
Meer dan 85% is **minstens drie keer** op de polikliniek geweest in 2021



Figuur 55. Aantal polikliniekbezoeken in 2021 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 56 is te zien hoe vaak dit is gedaan per CF-centrum. In totaal heeft 71,9% minstens drie sputumkweken gehad in 2021, dat is meer dan de 66,7% in 2020. Het verschil tussen kinderen en volwassenen is groot. 88,6% van de kinderen heeft drie of meer sputumafnames gedaan. Bij de volwassenen is dit 61,6%. Dat is wel een stuk meer dan de 53,6% in 2020. Bij vier mensen was het niet mogelijk een sputumkweek af te nemen.



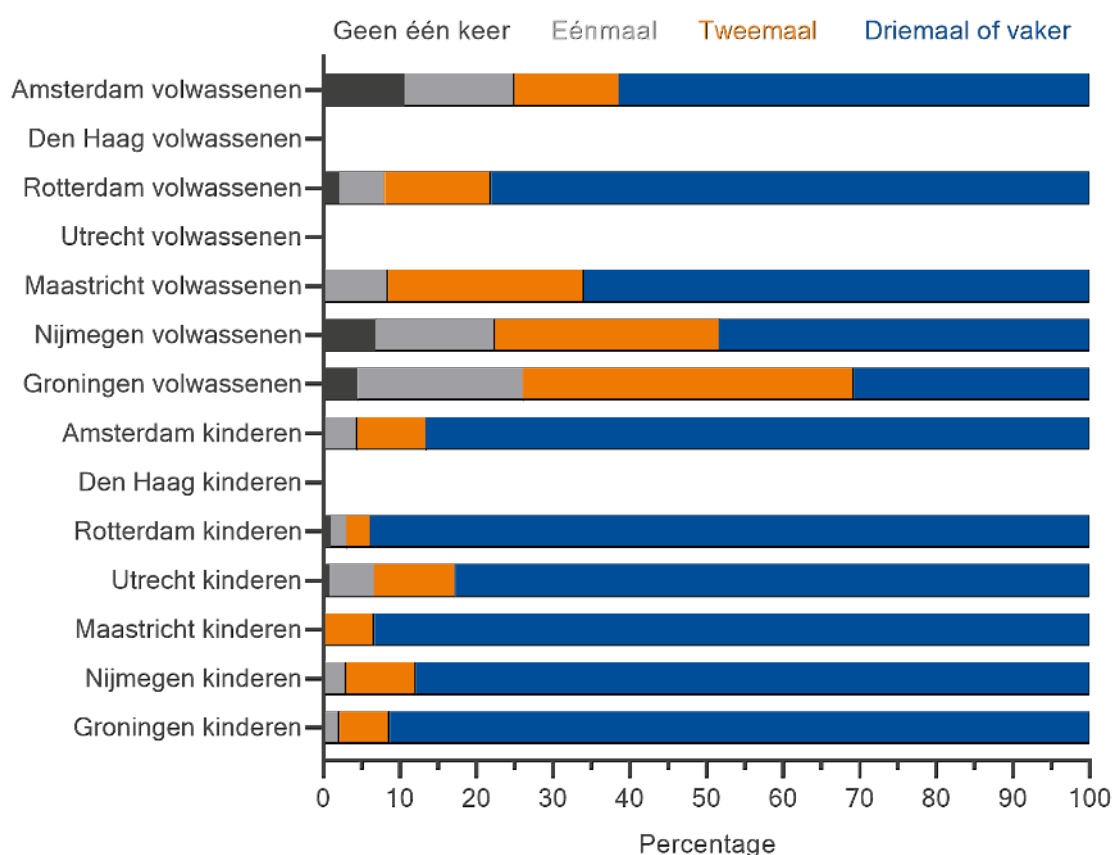
Figuur 56. Aantal sputumkweken in de CF-centra in 2021 bij mensen met CF, zonder longtransplantatie. Uitgesplitst per kinder- en volwassencentrum.



Een andere maat voor kwaliteit van zorg is hoe vaak er een longfunctiemeting is gedaan (FEV1 meting). Sinds 2020 hebben bijna alle mensen met CF, van zes jaar en ouder, een thuismeter. Die gegevens zijn niet geregistreerd. In Figuur 57 gaat het om de longfunctiemetingen die in de CF-centra zijn gedaan. In 2021 is van 801 mensen bekend hoeveel longfunctietesten zij hebben gedaan. Dat is een stuk minder dan voorgaande jaren, omdat de variabele (grotendeels) mist bij Utrecht volwassenen en Den Haag kinderen en volwassenen. Die data zijn hier uit de analyse gelaten.

Bijna iedereen heeft in 2021 minstens één keer een longfunctiemeting geblazen in het CF-centrum (96,8%). De overige mensen hebben geen enkele meting in het ziekenhuis gedaan. 73,3% van de mensen heeft drie keer of vaker een longfunctiemeting gedaan, dat is meer dan de 61% in 2020. Het verschil tussen kinderen en volwassenen is groot. 88,1% van de kinderen heeft drie keer of meer een longfunctie geblazen in het ziekenhuis. Van de volwassenen is dat 60,8%, meer dan in 2020 (49,9%).

Kinderen hebben het vaakst een longfunctiemeting gedaan



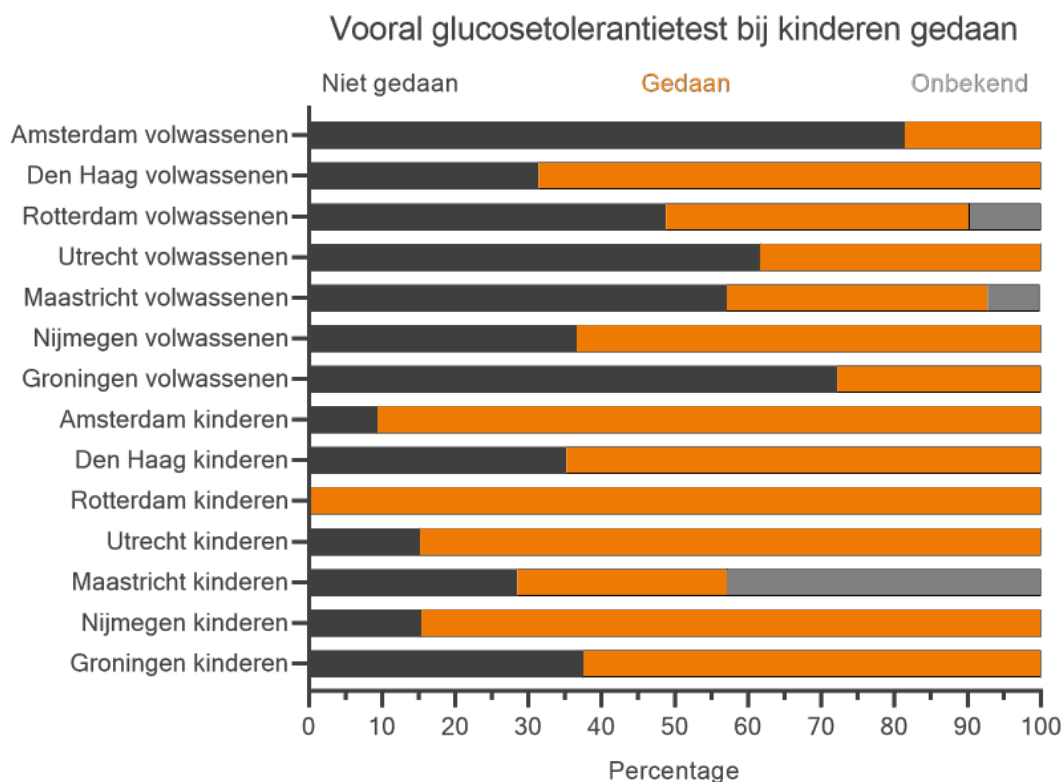
Figuur 57. Aantal longfunctiemetingen in de CF-centra in 2021 bij mensen met CF, zonder longtransplantatie. Uitgesplitst per kinder- en volwassencentrum.



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 552 mensen met CF in aanmerking voor de glucosetolerantietest. Iets meer dan de helft van de mensen (51,4%) heeft de test gedaan in 2021. Ongeveer driekwart van deze groep onderging een orale glucosetolerantietest waarbij je nuchter moet zijn (77,5%), 12,7% deed een test waarbij je niet nuchter hoeft te zijn. 6,0% gebruikte een continue glucosemeter (CGM) en 3,9% kreeg weer een andere, niet nader toegelichte, test.

In Figuur 58 is te zien hoeveel procent van de mensen per CF-centrum zo'n test heeft gedaan. Meer kinderen dan volwassenen hebben de test gedaan: 78,5% en 40,6%.



Figuur 58. Glucosetolerantietest in 2021 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 centra gaat het om kleine verschillen.

Tabel 3. Mediane FEV1% van voorspeld per centrum van 2019-2021.

Centrum	2019	2020	2021
Amsterdam volwassenen	74,4	74	74,52
Den Haag volwassenen	72	72,2	71,67
Rotterdam volwassenen	72,7	71,3	74,15
Utrecht volwassenen	72,7	71,2	70,72
Maastricht volwassenen	68,4	64,5	69,70
Nijmegen volwassenen	69,7	68,4	70,23
Groningen volwassenen	66,4	64,1	64,98
Amsterdam kinderen	95,7	95,7	96,9
Den Haag kinderen	95	94,1	94,3
Rotterdam kinderen	98,9	97,6	98,9
Utrecht kinderen	90,3	90,8	92,7
Maastricht kinderen	89,4	88,1	97,6
Nijmegen kinderen	93,1	90,8	88,9
Groningen kinderen	95,2	94,6	94,4

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 in 2021 meer verandering was in sdsBMI (voor kinderen) en dat het bij volwassenen relatief stabiel bleef.

Tabel 4. Verdeling sdsBMI per kindercentrum en BMI per volwassencentrum van 2019-2021. De sdsBMI van een kind wordt berekend in verhouding tot leeftijdsgenoten van hetzelfde geslacht en dezelfde etniciteit zonder CF. Normale waarden 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 waarden boven 0 (voor kinderen) of 22 (voor volwassenen) zijn geel, hoe donkerder hoe hoger de waarde. De waarden rondom 0 of 22 zijn wit. De waarden lager dan 0 of 22 zijn rood, en hoe donkerder rood hoe lager de waarde is.

	kindercentra (sdsBMI)			volwassencentra (BMI)		
	2019	2020	2021	2019	2020	2021
Amsterdam	0,05	0,15	0,08	22,6	22,2	22,1
Den Haag	0,07	0,09	0,25	22,1	22,2	22,2
Groningen	0,25	0,13	-0,04	22,6	23,0	23,2
Maastricht	0,02	-0,08	0,05	21,7	22,1	22,0
Nijmegen	0,11	0,04	0,29	22,1	22,4	22,6
Rotterdam	-0,10	-0,04	-0,22	21,8	21,9	21,9
Utrecht	0,07	0,07	0,13	21,9	21,9	22,1



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 14 jaar verzameld.

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.

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 2021 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 waarden 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. D.D. Zomer-van Ommen, manager Onderzoek en Kwaliteit van Zorg NCFS, secretaris Stuurgroep

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. Altenburg, 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

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

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