



ÅRSRAPPORT 2018

svenskahemofiliregistret.se

INNEHÅLL

ORGANISATIONSFAKTA OM SVENSKA HEMOFILIREGISTRET	3
Styrgrupp	3
Arbetsgrupp för Årsrapport 2018	3
Registercentrum	3
IT-plattform	3
INFORMATION OM HEMOFILI	4
Bakgrund	4
Behandling	5
Komplikationer	5
Vården av personer med blödarsjuka i Sverige	6
Samverkan med andra länder	6
KVALITETSINDIKATIONER	7
Processindikatorer	7
Resultatindikatorer	7
RESULTAT 2018	8
Demografi	9
Diagnoser och svårighetsgrad av sjukdom	11
Behandling	12
Inhibitorer	12
Blödningar (annual bleeding rate)	13
Livskvalitet	14
DATAKVALITET	16
Patienturval för årsrapporten	16
Åtgärdande av saknade och motsägande uppgifter i registeruttag	16
Övriga pågående aktiviteter avseende datakvalitet	16
Täckningsgradsanalys	16
AKTIVITETER OCH UTVECKLING 2018	18
Forskning	18
Svenska Hemofiliregistret som stöd för förbättringsarbete/verksamhetsutveckling under 2018	18



ORGANISATIONSAKTA OM SVENSKA HEMOFILIREGISTRET

Styrgrupp

Margareta Holmström, Registerhållare Överläkare, Biträdande Professor, Patientflöde Koagulation, Patientområde Hematologi, Karolinska Universitetssjukhuset

Fariba Baghaei, Överläkare, med dr, Koagulationscentrum, Sahlgrenska Universitetssjukhuset

Jan Astermark, Överläkare, Professor, Koagulationscentrum, Skånes Universitetssjukhus

Anna Olsson, Överläkare, med dr, Koagulationscentrum, Sahlgrenska Universitetssjukhuset

Nadine Gretenkort-Andersson, Överläkare, med dr, Koagulationscentrum, Skånes Universitetssjukhus

Malin Axelsson, Leg Sjuksköterska, Koagulationscentrum, Skånes Universitetssjukhus

Linda Myrin Westesson, Översjuksköterska, fil dr, Koagulationscentrum, Sahlgrenska Universitetssjukhuset

Elisabeth Brodin, Översjukgymnast, med dr, Koagulationscentrum, Sahlgrenska Universitetssjukhuset

Elsa Olsson, Leg Sjuksköterska, Patientflöde Koagulation, Patientområde Hematologi, Karolinska Universitetssjukhuset

Pia Petrini, Överläkare, Barnkoagulationsmottagningen, Karolinska Universitetssjukhuset

Adnan Berberovic, Patientrepresentant

Arbetsgrupp för Årsrapport 2018

Deltagare från varje center

Stockholm: Margareta Holmström, Elsa Olsson

Göteborg: Anna Olsson, Elisabeth Brodin, Linda Myrin Westesson

Malmö: Jan Astermark

QRC: Gunilla Jacobsson-Ekman, Ellen Lundqvist

Registercentrum

Svenska Hemofiliregistret är sedan starten anslutet till QRC Stockholm, som är ett av de regionala registercentra som stödjer nationella kvalitetsregister. QRC stödjer registret löpande i dagliga frågor samt utvecklingsprojekt. Detta inkluderar bl.a. styrgruppsarbete, registerfunktion, datauttag, samverkansprojekt och juridik.

IT-plattform

Svenska hemofiliregistret är byggt på en teknisk plattform, RealQ som lanserades 2007, och används för att bygga register och patienthanteringsverktyg. Applikationer baserade på RealQ finns idag både nationellt och internationellt.

RealQ är en teknisk plattform där man inte behöver programmeringskunskaper för att skapa beslutsstödverktyg eller kvalitetsregister. Som en konsekvens kan applikationerna skapas och designas av personal med medicinsk bakgrund, vilket underlättar samarbete och kommunikation.

I registret finns det en rad olika moduler såsom patientformulär, statistik, integrationer (t ex laboratorieanalyser), importmodul, patientlistor, beslutsstödsgrafer, etc. RealQ har också stöd för patientrapporterade data.

INFORMATION OM HEMOFILI

Bakgrund

Hemofili (blödarsjuka) beror på en medfödd brist på koagulationsfaktor VIII (hemofili A) eller koagulationsfaktor IX (hemofili B). Hemofili A och B är könsbundet nedärvda och drabbar nästan uteslutande män. En av 5000 pojkar föds med sjukdomen. Det finns ca 1000 patienter med hemofili i Sverige varav ca 300 får regelbunden behandling.

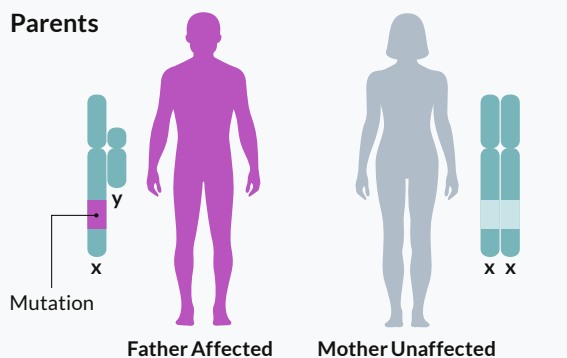
Samtliga döttrar till en man med hemofili är anlagsbärare av mutationen som ger hemofili. En anlagsbärande kvinnas söner har en 50 % risk att drabbas av sjukdomen, likaså har hennes döttrar en 50 % risk att bli anlagsbärare. Sjukdomens form och svårighetsgrad förblir den samma genom generationer i slkten. Det finns möjlighet att kartlägga vilken del av faktor VIII och IX genen som är förändrad och orsakar olika svårighetsgrad av blödarsjuka. Det har dessutom visats att det är en ny mutation i familjen

som ligger bakom ca 30 % av de nya fall som diagnosticeras, vilket innebär det att en familj oväntat kan få en son med hemofili. Fosterdiagnostik erbjuds till anlagsbärare av svårare former av hemofili.

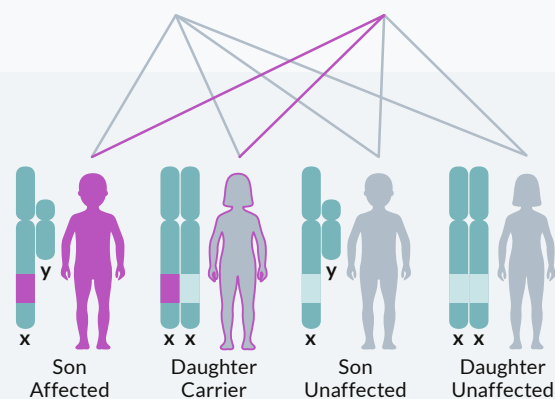
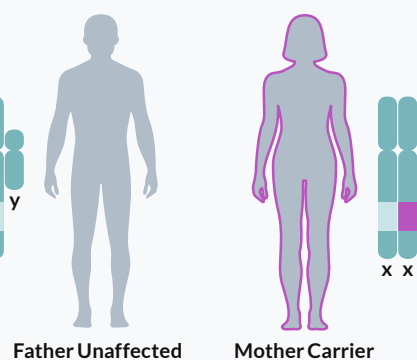
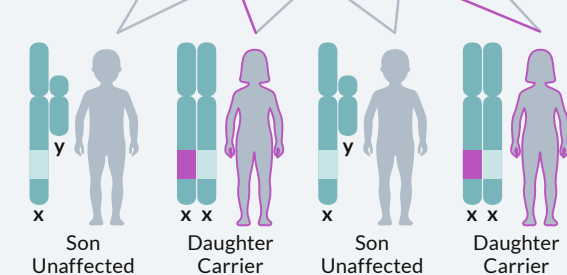
Koagulationsfaktorer är proteiner (äggviteämnen) som tillverkas i levern. Brist på någon koagulationsfaktor medför att blodet koagulerar (levrar sig) dåligt eller nästan inte alls. Hemofili A och B förekommer i tre olika svårighetsgrader: svår, medelsvår (moderat) och mild form. Risken för blödning är kopplad till svårighetsgraden och vid svår form kommer de första blödningarna vanligen vid 5–6 månaders ålder och vid moderat form oftast vid 1–2 års ålder. Blödningarna är till synes spontana eller kan uppkomma redan efter ett minimalt trauma. Vid mild hemofili uppstår blödningsproblemen vanligen i samband med operationer och större skador, och diagnosen ställs ibland först sent i livet.

X-Linked Recessive

Parents



Children



Symtomen vid svår och medelsvår hemofili är mer eller mindre spontana blödningar som drabbar leder och muskler. Obehandlade ledblödningar leder till akut tryckökning i leden med svår smärta. Efter hand utvecklas kronisk ledinflammation med nedbrytning av ledbrosket. Personen drabbas av stelhet, rörelseinskränkning och kronisk värk. Hemofilin leder utan adekvat medicinering till en allvarlig funktionsnedsättning. Personer med hemofili riskerar också att drabbas av andra typer av allvarliga blödningar såsom hjärnblödning eller magblödning.

von Willebrands sjukdom är också en ärftlig blödarsjukdom, men genen finns inte i könskromosomerna varför både män och kvinnor kan drabbas. Sjukdomen orsakas av brist på eller nedsatt funktion av ett protein som benämns von-Willebrand-faktor. Von Willebrands sjukdom visar sig främst som blödningar från slemhinnor. Förekomsten av von Willebrands sjukdom är ca 1/ 1000. von Willebrands sjukdom finns i olika svårighetsgrader och under grupper (typ 1–3). Milde former av von Willebrands sjukdom är vanligast, men det finns ca 50 personer i Sverige med svår form av von Willebrands sjukdom (typ 3). De personer som har den svåra formen (typ 3) har ledblödningar som leder till kroniska ledsador och handikapp på liknanden sätt som personer med svår eller medelsvår hemofili.

Behandling

Personer med hemofili eller svårare former av von Willebrands sjukdom får idag behandling med den eller de koagulationsfaktorer som saknas (faktorkoncentrat). Behandling med faktor koncentrat ges vid behov vid blödning (on-demand behandling) eller regelbundet och förebyggande. Dos, frekvens och typ av behandling vid blödarsjuka beror inte bara på svårighetsgraden av sjukdomen utan också på personens ålder, livsstil och önskemål.

Förebyggande behandling kallas profylaxbehandling (substitution) och innebär att personer kan göras symptomfria i likhet med situationen vid andra sjukdomar med bristsymtom (insulinberoende diabetes, B12- brist, hypotyreos d.v.s. underfunktion i sköldkörteln). Faktorkoncentrat framställdes tidigare ur blodplasma. På 1980-talet visade det sig att dessa faktorkoncentrat överförde HIV och hepatit C-infektioner. Dessa två katastrofer bidrog till att man har

utvecklat säkra syntetiska, s.k. rekombinanta faktorkoncentrat och de första började användas på 1990-talet. Faktorkoncentraten ges direkt in i blodet, intravenöst. I princip har alla personer med svår hemofili i Sverige profylaktisk behandling med faktorkoncentrat. En stor andel av personer med medelsvår hemofili har också profylaktisk behandling. Profylaxbehandling ges intravenöst varannan till var tredje dag. Oftast ges behandlingen perifert i ven, men i undantagsfall får personen faktorkoncentratet i en subkutan venport.

Hembehandling innebär en ökad livskvalitet för personer med blödarsjuka. Regelbunden, säker och lättillgänglig behandling i hemmet är avgörande för att minska sjukdomens inverkan i det dagliga livet. Hembehandling innebär också minskad hälso- och sjukvårdskostnad. Profylaxbehandlingen ges i hemmet av föräldrar och senare av personen själv. Hembehandling har många fördelar för personen, samhället och familjen.

Behandlingen inleds på sjukhusbaserad mottagning under de första ett till två åren efter diagnos. Successivt tar föräldrarna över ansvaret för barnets behandling och hembehandlingen tar vid. I de tidiga tonåren brukar de flesta pojkar ha lärt sig att själv injicera faktorkoncentratet. Tills helt nyligen har behandlingen givits intravenöst, men under senaste året har läkemedel som ges subkutan (direkt under huden) introducerats. Sannolik kommer fler sådana alternativ på sikt. Genterapi är nu tillgängligt för patienter i klinisk prövning. Vården för blödarsjuka är centraliserad till tre koagulationsmottagningar. Personer med svår eller medelsvår blödarsjuka kontrolleras en till två gånger per år. Personer med mildare former kontrolleras mer sällan utefter behov. Under barndomen är besöken på mottagningarna tätare.

Komplikationer

Utveckling av antikroppar är en allvarlig komplikation relaterad till behandling med faktorkoncentrat. Antikropparna neutraliserar faktorkoncentratet och behandlingen är inte längre effektiv. Över 30 % av barn med svår hemofili A utvecklar antikroppar mot faktorkoncentratet i samband med start av behandlingen. Barn med hemofili B har mindre risk att utveckla antikroppar mot behandlingen

och förekomsten är rapporterad till mellan 3 och 5 %. Personer med medelsvår eller mild hemofili har betydligt lägre risk att utveckla antikroppar mot behandlingen. För att behandla bort antikropparna ges oftast en daglig hög dos av faktorkoncentrat. Denna behandling kallas immuntoleransinduktion (ITI) och kan pågå under flera år.

Vården av personer med blödarsjuka i Sverige

Vård och behandling av personer med blödarsjuka är högspecialiserad och bedrivs vid tre koagulationsmottagningar i Sverige. Dessa mottagningar är lokaliserade vid Karolinska Universitetssjukhuset, Sahlgrenska Universitetssjukhuset och Skånes Universitetssjukhus. Vården ges i samråd med behandlande läkare på hemorten. En stor del av vården är utomlänsvård och personer med blödarsjuka finns således i hela riket. Vid de tre mottagningarna bedrivs vården enligt internationell praxis d.v.s. comprehensive care. För att certifierats som comprehensive care centre (EHCCC) av European haemophilia network (EUHANET) skall flera kriterier uppfyllas. Vården vid ett EHCCC omfattar allt från genetiska rådgivningen till föräldrar till den komplexa vården av multisjuka äldre blödarsjuka personer.

Ett EHCCC förutsätter är ett tvärprofessionellt team bestående av läkare, sjuksköterska, sjukgymnast, koagulationslaboratorium, kurator, ortoped, genetiker, tandläkare och gynekolog. Övriga resurser kopplas till teamet vid behov. Samtliga centra har dygnetrunt verksamhet med jourhavande läkare avseende rådgivning kring behandling och handlägg-

ning vid akutsituationer. Patienterna och deras anhöriga kan själva ringa till jourhavande läkare.

Vården av blödarsjuka är högspecialiserad och det föreligger en god samsyn kring behandlingen vid blödarsjuka. Sjukvårdspersonalen som arbetar vid centra är specialiserade och har tät och regelbunden kontakt. Man deltar och samarbetar i akademiska och kliniska studier, både nationellt och internationellt. Samarbete och utbyte sker också i nationella, nordiska och internationella nätverk.

Samverkan med andra länder

- Nordic Haemophilia Council (NHC) är ett forum med medlemmar från de fem nordiska länderna. NHC utvecklar riktlinjer (guidelines) för vården och behandling av blödningsjukdomar. Alla tre EHCCC i Sverige är representerade i NHC's arbetsgrupper.
- European Association of Hemophilia and Allied Disorders (EAHAD) är en europeisk intresseorganisation med omfattande vetenskaplig aktivitet som arrangerar årliga vetenskapliga konferenser i europeiska länder, samtliga EHCCC från Sverige skickar deltagare till EAHADs kongresser
- World federation hemophilia (WFH) är en global patientdriven organisation med omfattande verksamhet, inte minst att stötta ekonomiskt svaga länder med utbildning och ekonomiska resurser. WFH ordnar vartannat år vetenskapliga konferenser där både patienter och hälso- och sjukvårdspersonal deltar. Svenska läkare och sjuksköterskor föreläser på WFHs kongresser.



KVALITETSINDIKATIONER

De kvalitetsindikatorer som rapporteras i Svenska Hemofilregistret är dels processindikatorer, dels resultatindikatorer. Processindikatorerna visar hur patienterna tas om hand i vården och hur de behandlas. Resultatindikatorerna visar hur det går för patienterna och deras sjukdomsrelaterade livskvalitet.

I denna årsrapport har styrgruppen valt att fokusera på följande process- och resultatindikatorer:

Processindikatorer

- Antal patienter vid de tre hemofilcentra i Sverige
- Fördelningen av typ och svårighetsgrad av blödersjuka i Sverige
- Ålder vid diagnos
- Typ av läkemedelsbehandling för personer med hemofili

Resultatindikatorer

- Förekomst av antikroppar mot koagulationsfaktor hos patienter med hemofili (inhibitor)
- Blödningar hos patienter med hemofili under 2018, Annual Bleeding Rate (ABR)
- Livskvalitet med EQ-5D
- Sjukdomens påverkan på patientens liv
- Ledstatus uppmätt med Hemophilia Joint Health Score(HJHS)

RESULTAT 2018

**Diagram- och tabellöversikt av den statistik som presenteras
i årsrapport 2018 från Svenska Hemofilregistret**

DEMOGRAFI Diagram 1–4

DIAGNOS Diagram 5–6

BEHANDLING Tabell 1

BLÖDNINGAR (annual bleeding rate) Tabell 2

LIVSKVALITET Diagram 7–8

..... Tabell 3–4

TÄCKNINGSGRADSJÄMFÖRELSE Diagram 9

Källa, diagram och tabeller: Svenska hemofilregistret

RESULTAT:

DEMOGRAFI

Diagram 1. Ackumulerat antal patienter i Svenska Hemofiliregistret, samtliga diagnoser, fördelat efter inskrivningsår

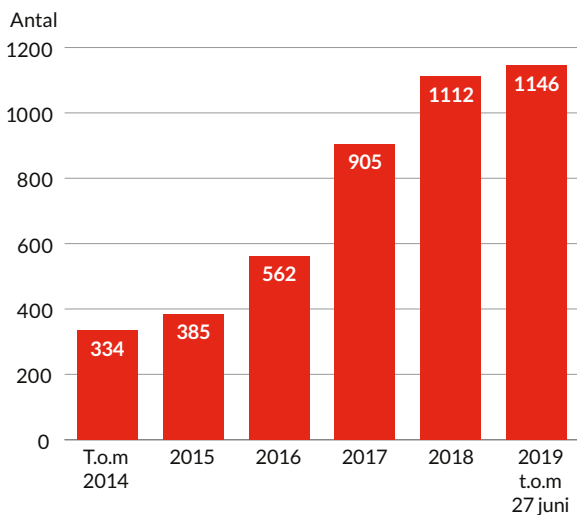


Diagram 1 visar det totala antalet patienter, med samtliga diagnoser och svårighetsgrad i registret varje år från start. 2014. När registret startades, överfördes patienter från ett lokalt hemofiliregister vid centrat i Malmö, varför siffran inte är 0 från start. Från start har snabb ökning av antal patienter i registret skett vilket diagrammet visar.

Diagram 2. Antal patienter i Svenska Hemofiliregistret, fördelat på behandlande sjukhus den 27 juni år 2019

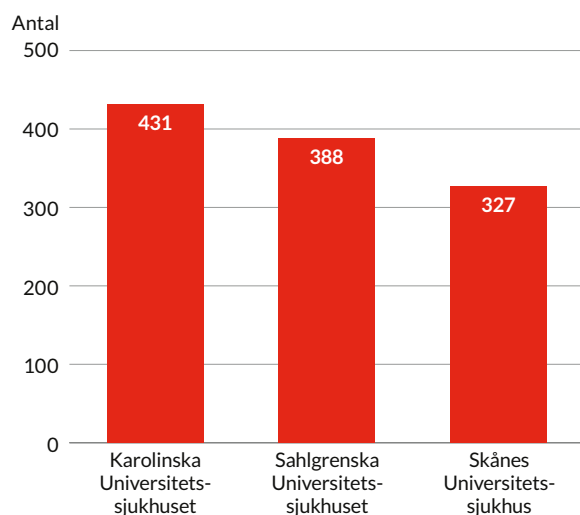
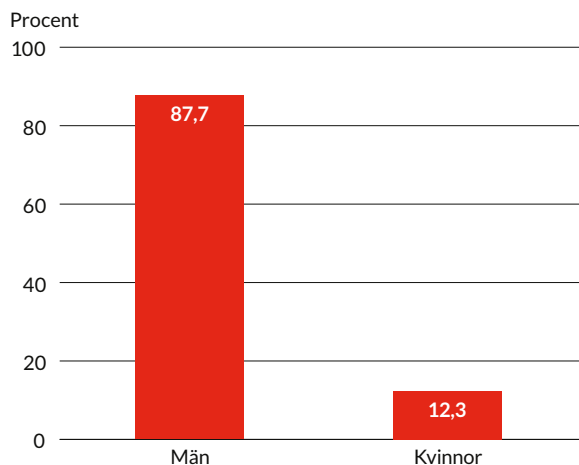


Diagram 2 visar antal patienter vid de tre hemofili-centra i Sverige per 27/6 2019. Patienter med olika diagnoser och svårighetsgrad ingår. De patienter som hittills inkluderats i registret är patienter med hemofili A och B. Inklusion av patienter med von Willebrands sjukdom pågår och kan förklara en del av skillnaden i antal patienter per centra.

Diagram 3. Andel patienter i Svenska Hemofiliregistret, fördelat på kön

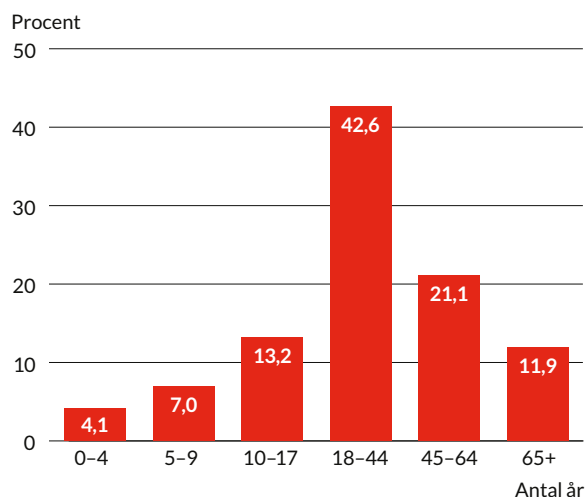


Not. 11 patienter saknar information om kön

Största andelen av patienterna i registret är män, 86,8 %, medan en mindre andel är kvinnor, 12,2 %. Orsaken till detta är den genetiska ärftligheten av hemofili A där män, men inte kvinnor, insjuknar. Det finns en naturlig förklaring till dominansen av män vilket beror på hur hemofili A och B ärvs. Kvinnor är anlagsbärare för denna sjukdom och kan ibland själva ha symtom och om deras nivå av koagulationsfaktor VIII eller IX i blodet understiger 40 % av normal så klassificeras de med diagnosen mild hemofili.

För patienter som ännu inte har ett svenskt personnummer så registreras de utifrån reservnummer. Dessa reservnummer är inte utformade så att ett personens kön kan identifieras.

Diagram 4. Andel patienter i Svenska Hemofiliregistret, fördelat på ålder



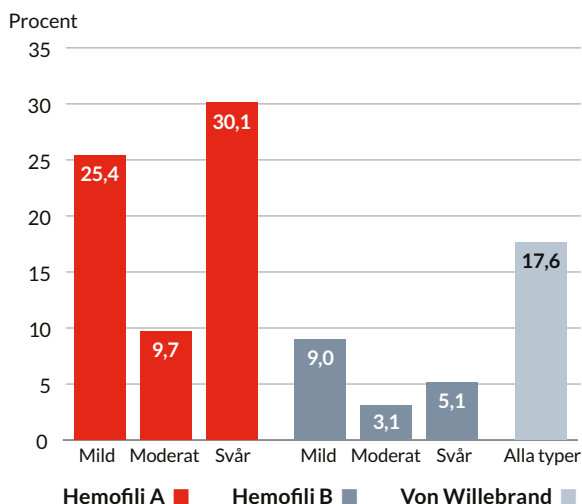
Not. 11 patienter saknar information om ålder

Diagram 4 visar fördelning i ålder av patienter som ingår i Svenska Hemofiliregistret. Patienter i åldersgruppen 18-44 år dominerar och andelen patienten äldre än 65 år är begränsad. Det förklaras av att det tidigare, d.v.s. före slutet 1950-talet, inte fanns någon behandling vid hemofili med faktorkoncentrat och patienterna hade då en förväntad förkortad medellivslängd under 30 år. När senare utveckling av faktorkoncentrat möjliggjorde behandling smittades ca 100 patienter i Sverige med HIV från läkemedel för hemofili som utvanns ur blodplasma vilket orsakade många dödsfall i AIDS i alla åldersgrupper.

RESULTAT:

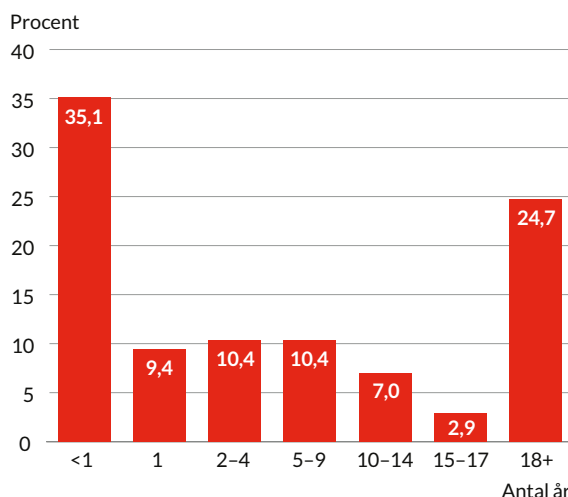
DIAGNOSER OCH SVÅRIGHETSGRAD AV SJUKDOM

Diagram 5. Andel patienter i Svenska Hemofilregistret, fördelat på diagnos



Diagrammet visar procentuell fördelning av patienter per diagnos och svårighetsgrad. Alla centra inkluderade. Patienter med hemofili A i svår och mild form dominerar vilket är i överensstämmelse med andra rapporter. Hemofili A har också en högre incidens än hemofili B vilket diagrammet också visar.

Diagram 6. Ålder för diagnos bland patienter i Svenska Hemofilregistret, procentuell fördelning



Not. 91 patienter saknar information om diagnosålder

Diagrammet visar ålder för när diagnos ställs av blödningsjukdom. För patienter med svår blödarsjuka ställs diagnosen ofta under första levnadsåret, medan patienter med mild sjukdom ofta får diagnosen senare i livet p.g.a. lindrigare och senare debuterande blödningsymtom.

RESULTAT: BEHANDLING

Tabell 1. Aktuell läkemedelsanvändning (den 27 juni 2019) bland patienter i Svenska Hemofilregistret

Läkemedel	Antal	Andel i % (av de patienter med information om läkemedel)
Advate	151	20,9
Afstyla	10	1,4
Alprolix	18	2,5
Benefix	86	11,9
Elocta	95	13,1
FEIBA	4	0,6
Haemate	45	6,2
Helixate NexGen	8	1,1
Hemlibra och NovoSeven	10	1,4
Immunine	5	0,7
Kogenate Bayer	25	3,5
Kovaltry	54	7,5
Nanofix	23	3,2
NovoEight	59	8,1
NovoSeven	8	1,1
Nuwiq	20	2,8
Refacto AF	76	10,5
Refixia	15	2,1
Övriga läkemedel	12	1,7

RESULTAT: INHIBITORER

Av de patienter som testats för förekomst av s k inhibitorer (dvs antikroppar mot koagulationsfaktor FVIII eller FIX) så är 7,0 % av patienterna i registret positiva för och 13,8 % har tidigare varit positiva. Detta test utförs inte rutinmässigt på alla patienter utan främst på små barn där behandling inleds eller vid misstanke om inhibitorutveckling



RESULTAT:

BLÖDNINGAR (ANNUAL BLEEDING RATE)

Tabell 2. Antal rapporterade blödningar per patient och år (Annual Bleeding rate (ABR)), Svenska hemofili-registret, 2018

Huvuddiagnos	Antal patienter i Svenska hemofiliregistret 2018	Totalt antal rapporterade blödningar 2018	Median	Medel	STD	Min	Max
Hemofili A mild	276	20	0	0,07	0,02	0	4
Hemofili A moderat	109	87	0	0,78	0,19	0	13
Hemofili A svår	337	402	0	1,17	0,15	0	22
Hemofili B mild	98	18	0	0,17	0,07	0	5
Hemofili B moderat	34	17	0	0,47	0,24	0	8
Hemofili B svår	58	146	1	2,52	0,63	0	24
von Willebrand, alla typer	200	23	0	0,11	0,06	0	10

Antal blödningar per år (ABR) är ett internationellt vedertaget och viktigt effektmått vid hemofilibehandling. Medianvärdet brukar vara 0–1 hos patienter som har tillgång till profylaktisk behandling och så även i denna rapport. Som man ser diagrammet är spridningen dock stor. Blödningar rapporteras av patienterna själva.

RESULTAT: LIVSKVALITET

Diagram 7. **Antal patienter 16 år och äldre i Svenska Hemofilregistret som lämnat information om EQ-5D skattningsskala 0–100 (VAS), år 2015–2019**

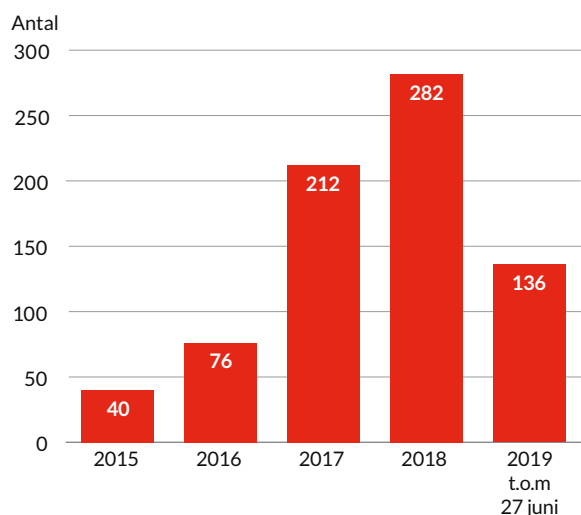


Diagram 7 visar utvecklingen för antal patienter som fyllt i livskvalitetsformulär, EQ-5D, sedan 2016. Formuläret fylls i av personer med hemofili som är äldre än 16 år.

Data i tabell 3 (nedan) visar ingen egentlig skillnad mellan patienter med mild hemofili A och svår hemofili A vilket är något överraskande med tanke på att symtomatologin skiljer sig. Kan vara en effekt av att behandlingen vid hemofili A är så pass bra och effektiv. Resultatet får tolkas med försiktighet då det hittills är ett begränsat antal patienter som lämnat uppgifter.

Tabell 3. **EQ-5D Skattningsskala hälsotillstånd 0–100 (VAS) för patienter 16 år och äldre i Svenska hemofilregistret, 2018**

Huvuddiagnos	Antal	Median	Medel	STD	Min	Max	Uppgift saknas
Hemofili A mild	45	80	76,7	2,3	42	100	194
Hemofili A moderat	30	81	73,7	3,6	20	98	52
Hemofili A svår	142	80	78,3	1,5	20	100	105
Hemofili B mild	13	85	82,3	4,8	35	100	70
Hemofili B moderat	12	83	76,3	5,7	34	96	18
Hemofili B svår	25	70	67,8	4,3	20	100	19
von Willebrand, alla typer	15	85	80,8	3,0	60	92	157

Diagram 8. **Antal patienter 16 år och äldre i Svenska Hemofili-registret som lämnat information om hur sjukdomen påverkar patientens liv på en skala 0–100, år 2015–2019**

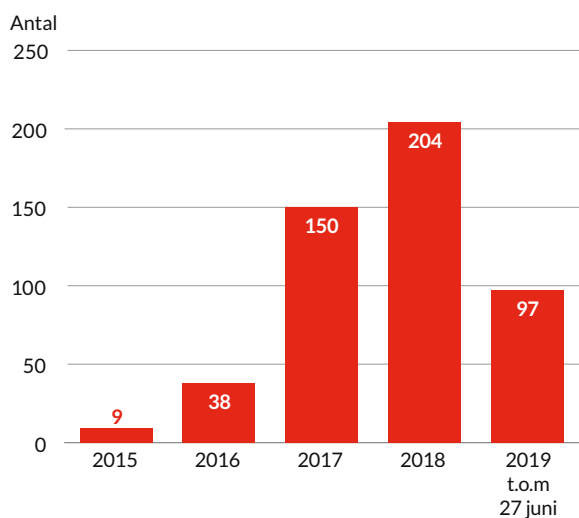


Diagram 8 visar hur många patienter som lämnat uppgifter om hur många patienter som lämnat in uppgift om hur stor påverkan blödarsjuka har på deras liv.

I tabell 4 (nedan) ser man en ökande trend med fler och fler patienter där dessa data inhämtas till registret. Patienter med hemofili B i moderat form anger en betydligt högre påverkan av hemofilisjukdomen än övriga grupper. Materialet är litet så tolkningen av data är osäker.

Tabell 4. **Skattningsskala för sjukdomens påverkan på patientens liv (0–100) för patienter 16 år och äldre i Svenska hemofiliregistret, 2018**

Huvuddiagnos	Antal	Median	Medel	STD	Min	Max	Uppgift saknas
Hemofili A mild	31	5	15,6	4,0	0	90	208
Hemofili A moderat	23	5	23,3	6,3	0	80	59
Hemofili A svår	102	10	23,8	2,6	0	100	145
Hemofili B mild	11	1	16,5	7,6	0	75	72
Hemofili B moderat	7	75	50,7	13,5	9	84	23
Hemofili B svår	18	15	22,2	5,1	0	70	26
von Willebrand, alla typer	12	3	15,0	6,1	0	60	160

DATAKVALITET



Patienturval för årsrapporten

Årsrapporten omfattar alla patienter i Svenska Hemofiliregistret som inkluderat sedan start. Även 33 patienter som inkluderats under 2019 ingår i denna rapport. Patienter med hemofili A/B i svår, moderat/medelsvår och mild form ingår liksom patienter med Von Willebrands sjukdom. Hittills har Svenska Hemofiliregistret fokuserat på inklusion av personer med hemofili A och B, men planen är att öka inklusionen av patienter med Von Willebrands sjukdom samt långsiktigt även inkludera patienter med ovanliga koagulationsfaktorbrister.

Åtgärdande av saknade och motsägande uppgifter i registeruttag

Inför årsrapport 2018 har statistiker på QRC skapat listor med saknade och svårtolkade data till respektive centra för kommentar och/eller komplettering i de fall det är möjligt.

Övriga pågående aktiviteter avseende datakvalitet

Registret arbetar tillsammans med QRC Stockholm och IT-leverantör för att höja datakvaliteten avseende bland annat anpassning till nationella standarder, att införa fler logiska kontroller vid registrering/ datainsamling, samt att åstadkomma samma tolkning och tillämpning av variabeldefinitioner.

Täckningsgradsanalys

Begäran om en första täckningsgradsanalys genomfördes i september 2019 och omfattar i denna årsrapport patienter med moderat och svår hemofili A och B, samt patienter med von Willebrands sjukdom.

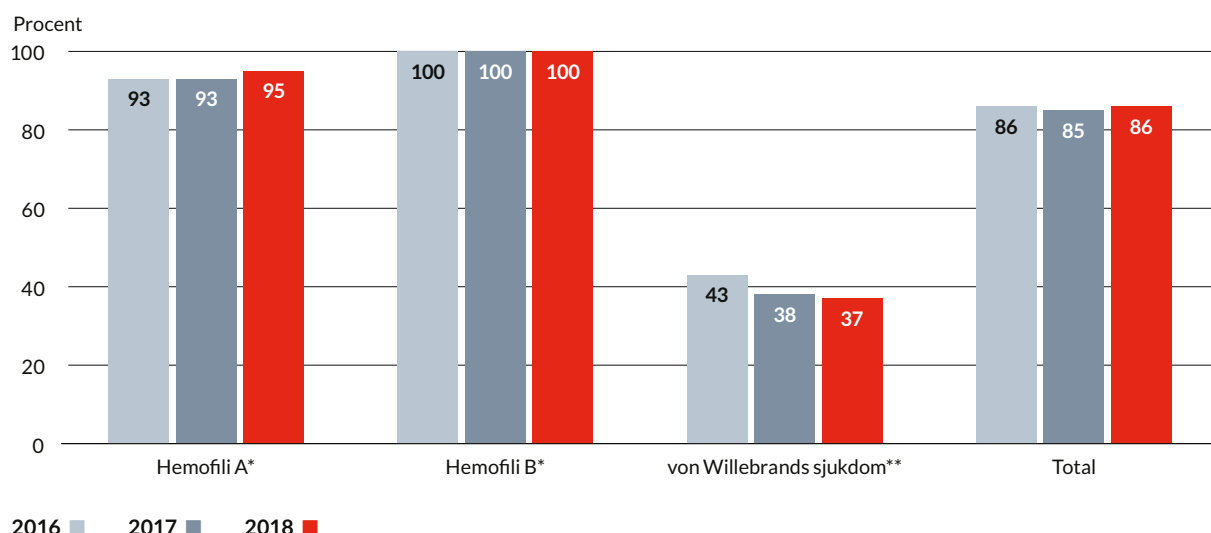
Det register som använts är Läkemedelsregistret hos Socialstyrelsen. I urvalet från hemofiliregistret inkluderades patienter med ovan nämnda diagnoser och i selektionen från Läkemedelsregistret inkluderades samtliga expedieringar med någon av följande ATC-koder:

- B02BD02 Koagulationsfaktor VIII
- B02BD03 Aktiverat protrombinkomplex mot faktor VIII-antikroppar
- B02BD04 Koagulationsfaktor IX
- B02BD06 von Willebrandfaktor och koagulationsfaktor VIII i kombination
- B02BD08 Koagulationsfaktor VIIa
- B02BX06 Emicizumab

Ytterligare krav för inklusion var att det skett minst två uttag av samma läkemedel under samma år. Analysen genomfördes för år 2016–2018. Resultatet från täckningsgradsjämförelsen fördelades efter hemofili-typ utefter den läkemedelsbehandling som ges;

- Hemofili A: B02BD03, B02BX06, B02BD08, B02BD08 + B02BD02
- Hemofili B: B02BD08 + B02BD04
- von Willebrands sjukdom: B02BD06

Diagram 9. Täckningsgradsjämförelse mellan Svenska hemofiliregistret och Läkemedelsregistret, år 2016–2018



De läkemedelskombinationer som motsvarar respektive diagnos är:
 Hemofili A*: B02BD03, B02BX06, B02BD08, B02BD08 + B02BD02
 Hemofili B*: B02BD08 + B02BD04
 von Willebrands sjukdom: B02BD06

*Moderat och svår form

**Alla typer

Källa: Svenska hemofiliregistret

Täckningsgradsjämförelsen beräknades enligt följande: som täljare användes antal matchande individer, dvs. patienter som fanns både i kvalitetsregistret och i Läkemedelsregistret. I nämnaren ingick de individer som hämtat ut de specificerade läkemedlen och som återfanns i Socialstyrelsens Läkemedelsregister. Resultatet, det vill säga överensstämmelsen, redovisas i procent. Se diagram 9.

Täckningsgradsjämförelsen visar att överensstämmelsen mellan Svenska hemofiliregistret och Läkemedelsregistret är mycket god för Hemofili A och B moderat och svår form med 95 respektive 100 procents täckningsgrad för 2018.

För von Willebrands sjukdom är täckningsgraden lägre, cirka 40 procent. En förklaring är denna diagnos inkluderats i registret senare än övriga hemofili typer. En målsättning är att öka täckningsgraden även för denna patientgrupp och under 2019 har fler patienter inkluderats i Svenska hemofiliregistret. Detta omfattas inte i resultatet från denna täckningsgradsjämförelse.

Totalt sett var täckningsgraden för det urval som analysen omfattade cirka 86 procent, vilket visar på att Svenska hemofiliregistret fångar en stor majoritet av den patientgrupp som registret omfattar.

AKTIVITETER OCH UTVECKLING 2018

Forskning

Svenska Hemofiliregistret har vid två tillfällen 2017 respektive 2018 haft posterpresentationer vid den europeiska hemofilikonferensen arrangerad av EAHAD (European Association of Hemophilia and Allied Disorders).

En skriftlig rutin finns framtagen för forskningsuttag från registret finns framtagen och publicerad på Svenska Hemofiliregistrets hemsida; <https://svenskahemofiliregistret.se/om-registret/>.

Under 2018 har Svenska Hemofiliregistret bidragit med data till två vårdvetenskapliga studier. I en studie undersöktes sjukdomsbördan hos föräldrar till barn med svår och medelsvår hemofili i Sverige. Den andra studien var en internationell studie om sjukdomsbördan hos föräldrar till barn med hemofili, sju olika europeiska länder deltog i studien.

Viss data från Svenska Hemofiliregistret har ingått ett forskningsprojekt som läkemedelsföretaget SOBI genomförde avseende uppföljning av hemofilibehandling.

Svenska Hemofiliregistret som stöd för förbättringsarbete/verksamhetsutveckling under 2018

Nedan ges exempel på hur Svenska Hemofiliregistret används för att stödja och förbättra hemofilivården.

- Registret har bidragit till en ökad samsyn nationellt angående uppföljningen av personer med blödersjuka där samma ledstatus används men också självskattningsvariabler som fysisk aktivitet, livskvalitet och sjukdomens påverkan på vardagen i stort.
- Patientrapporterade mått (PROM= Patient Reported Outcome Measurement och PREM = Patient Reported Experience Measurements) används i syfte att belysa förändring över tid för ledbesvär, ökade antal blödningar mm relaterad till behandlingen av sjukdomen.
- Arbetet med en ny gemensam behandlingsrapport för personer med blödersjuka är påbörjat och en första version testas av alla tre centrerna.

- Personer med blödersjuka ges ett större inflytande på den egna behandlingen genom att personens egen uppfattning avseende behandlingen, inhämtas på ett strukturerat och regelbundet sätt.
- I vårdarbetet är det nu möjligt att över tid visa den enskilda vårdtagaren grafiskt hur behandling och registrerade symtom förändrats över tid. Detta underlättar förståelsen och kommunikationen mellan vårdtagare och vårdgivare.
- Läkemedelsbehandling vid hemofili är kostsam och därför slöts efter förhandlingar ett så kallat trepartsavtal mellan Sveriges Kommuner och Landsting (SKL), Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) samt Läkemedelsindustriföreningen (LIF). Detta avtal har resulterat i kraftiga rabatter på FVIII-läkemedel (faktorkoncentrat). Genom insamlad data i Svenska Hemofiliregistret kan vårdtagare nu följa effekter av trepartsavtalet avseende byte av faktorkoncentrat för personer med hemofili.
- Arbeta med framtagande av nya Nordiska Guidelines för hemofilibehandling via Nordic Hemophilia Council (NHC) har till viss del baserats på data från registret.
- Flera nya läkemedel har introducerats bl.a. långverkande FVIII och FIX-preparat samt det första subkutana läkemedlet vid hemofili; Emicizumab (Hemlibra). Genom registerdata kan nu introduktionen av dessa nya läkemedel följas, till exempelvis antal personer som behandlas, effekten av läkemedel över tid, kostnad och säkerhetsaspekter. Vidare kan inverkan på Annual bleeding rate (ABR), ledstatus och livskvalitet följas vid preparatbyte.

svenskahemofilregistret.se