



ÅRSRAPPORT 2021

svenska
hemofili
registret.se

INNEHÅLL

FÖRORD	3
ORGANISATIONSFAKTA OM SVENSKA HEMOFILIREGISTRET	4
Styrgrupp	4
Registercentrum	4
IT-plattform	4
INFORMATION OM HEMOFILI	5
Bakgrund	5
Behandling	6
Komplikationer	6
Vården av personer med blödarsjuka i Sverige	7
Samverkan med andra länder	7
KVALITETSINDIKATIONER	8
Processindikatorer	8
Resultatindikatorer	8
RESULTAT 2021	9
Demografi	9
Diagnoser och svårighetsgrad av sjukdom	11
Behandling	12
Ledscore	13
Inhibitorer	14
Blödningar (annual bleeding rate)	14
Livskvalitet	15
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 2021	18
Forskning	18
Svenska Hemofiliregistret som stöd för förbättringsarbete/ verksamhetsutveckling under 2021	18



FÖRORD

Här följer Svenska Hemofiliregistrets årsrapport som avser 2021. Även under 2021 har antalet patienter i registret ökat tack vare alla som arbetar aktivt ute på landets tre hemofilicentra och alla patienter som berörs.

Under 2021 påverkades vården i stort och även vården för blödarsjuka av pandemin med Covid-19. Inget visar på att blödarsjuka i sig skulle innebära en ökad risk att få Covid-19 eller att konsekvenserna skulle vara sämre av denna infektion.

Vi i styrgruppen för Svenska Hemofiliregistret utformade tidigt riktlinjer för vaccination av patienter med blödarsjuka.

Samtidigt har vården och patienterna lärt sig använda digitala arbetssätt, även om naturligtvis det fysiska mötet mellan patient och vårdpersonal aldrig kan underskattas.

Registret fortsätter vara ett viktigt instrument i det dagliga arbetet samt för att utvärdera behandling och möjliggör uppföljning på längre sikt och är ett viktigt instrument och underlag för forskning och utveckling av vården.

Utvecklingen av nya läkemedel och behandlingar är stark inom detta område och registret innebär en unik möjlighet att följa effekt av behandling under lång tid och dess påverkan, inte bara på blödningar utan också på livskvalitet och smärta.

Stort tack även detta år till alla våra patienter, medlemmarna i styrgruppen och alla som arbetar på våra hemofilicentra.

För Svenska Hemofiliregistrets styrgrupp,
Margareta Holmström
Registerhållare

ORGANISATIONSFAKTA OM SVENSKA HEMOFILIREGISTRET

Styrgrupp

Margareta Holmström, Registerhållare Överläkare, Biträdande Professor, Koagulationsmottagningen, ME Hematologi, 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, Översjuktymnast, med dr, Koagulationscentrum, Sahlgrenska Universitetssjukhuset

Elsa Olsson, Leg Sjuksköterska, Registerkoordinator, Koagulationsmottagningen, ME Hematologi, Patientområde Hematologi, Karolinska Universitetssjukhuset

Susanna Ranta, Överläkare, Docent, Barnkoagulationsmottagningen Astrid Lindgrens Barnsjukhus, Karolinska Universitetssjukhuset

Maria Magnusson, Överläkare, med dr, Vuxen och Barn Koagulationsmottagningen, Karolinska Universitetssjukhuset

Adnan Berberovic, Patientrepresentant

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.

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.

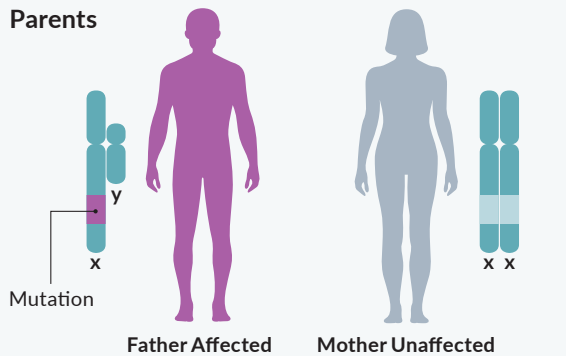
Samtliga döttrar till en man med hemofili är anlagsbärare av mutationen som ger hemofili. En anlagsbärande kvinnas söner har en 50 % risk att drabbas av sjukdomen, likaså har hennes döttrar en 50 % risk att bli anlagsbärare. Sjukdomens form och svårighetsgrad förblir densamma genom generationer i släkten. Det finns möjlighet att kartlägga vilken del av faktor VIII- och IX genen som är förändrad vid blödarsjuka. Det har dessutom visats att det är en ny mutation i familjen som ligger bakom ca 30 % av de

nya fall som diagnostiseras, vilket innebär det att en familj oväntat kan få en son med hemofili. Fosterdiagnostik erbjuds till anlagsbärare av svårare former av hemofili.

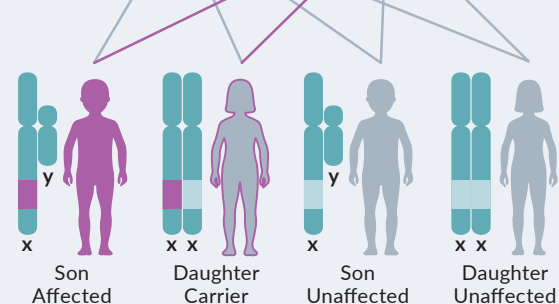
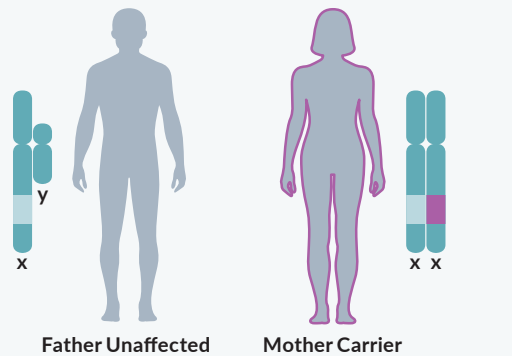
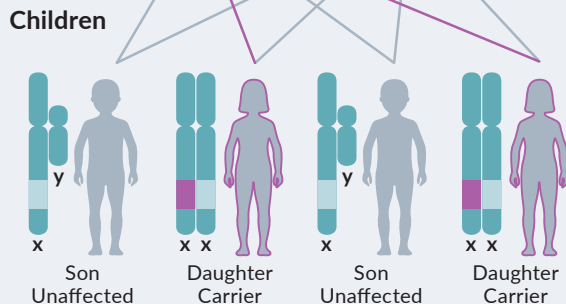
Koagulationsfaktorer är proteiner (äggviteämnen) som tillverkas i levern. Brist på någon koagulationsfaktor medför att blodet koagulerar (levar sig) dåligt eller nästan inte alls. Hemofili A och B förekommer i tre olika svårighetsgrader: svår, medelsvår (moderat) och mild form. Risken för blödning är 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 ledbrösket. 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 blödning i inre organ.

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 Willebrandfaktor. 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 undergrupper (typ 1–3). Milda 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 har ledblödningar som leder till kroniska ledsador och handikapp på liknande 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 faktorkoncentrat 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 dagligen till cirka en gång per vecka. 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 ha lärt sig att själv injicera faktorkoncentratet.

Tills helt nyligen har behandlingen givits intravenöst, men för ett par år sedan har läkemedel som ges subkutan (direkt under huden) introducerats. Emicizumab (Hemlibra) som ges subkutan har använts i Sverige för patienter med hemofili A med antikroppar mot FVIII. Statistik redovisas separat. Sannolik kommer fler sådana alternativ på sikt. Genterapi har under 2021 varit tillgänglig för enstaka patienter inom ramen för klinisk prövning. Här sker en snabb utveckling och under 2022 har Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) godkänt ett läkemedel.

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. Patienter med hemofili A som inte lyckas behandla bort antikropparna kan idag få blödningsförebyggande behandling subkutan med emicizumab, en antikropp som ersätter funktionen av FVIII.

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 certifieras som comprehensive care centre (EHCCC) av European haemophilia network (EUHANET) skall flera kriterier uppfyllas.

Vården vid ett EHCCC omfattar allt från den genetiska rådgivningen till föräldrar till den komplexa vården av multisjuka äldre blödarsjuka personer.

Ett EHCCC förutsätter 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 handläggning 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 of 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 Hemofiliregistret 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 resultatindikationer:

Processindikatorer

- Antal patienter vid de tre hemofilicentra 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 (inhibitorer) mot koagulationsfaktor hos patienter med hemofili
- Blödningar hos patienter med hemofili under 2021, Annual Bleeding Rate (ABR)
- Livskvalitet med EQ-5D
- Sjukdomens påverkan på patientens liv
- Ledstatus uppmätt med Hemophilia Joint Health Score (HJHS)

RESULTAT 2021

Diagram- och tabellöversikt av den statistik som presenteras i årsrapport 2021 från Svenska Hemofilregistret.

RESULTAT: DEMOGRAFI

Diagram 1. Hemofili A, Hemofili B och von Willebrands sjukdom

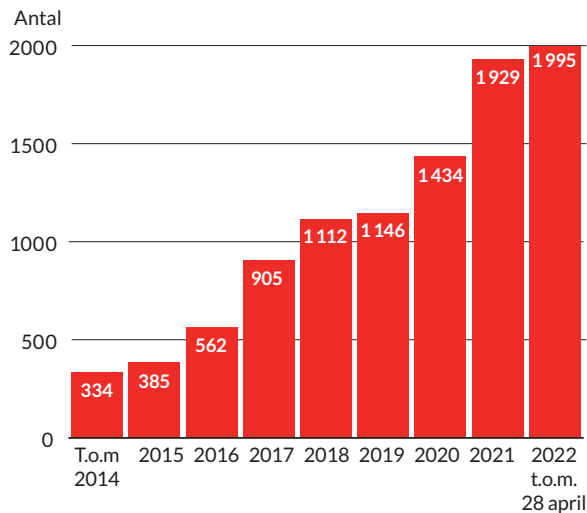


Diagram 1 visar det totala antalet patienter, med samtliga diagnoser och svårighetsgrad i registret varje år från start 2014. När registret startades, överfördes patienter från ett lokalt hemofilregister vid centrat i Malmö, varför siffran inte är 0 från start. Från start har snabb ökning av antal patienter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

Diagram 2. Antal patienter i Svenska Hemofilregistret, fördelat på respektive centra 2021

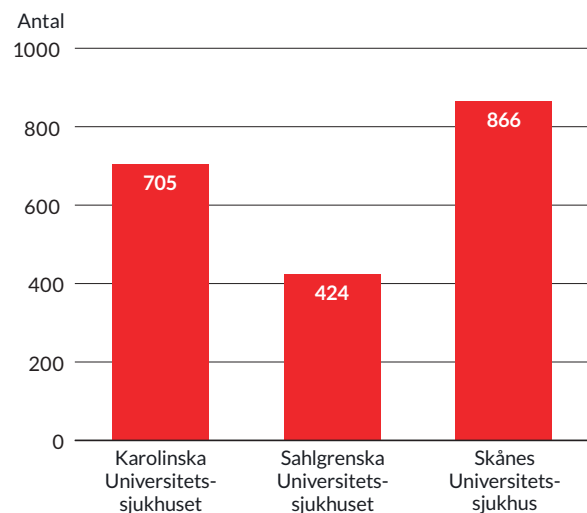


Diagram 2 visar antal patienter vid de tre hemofili-centra i Sverige per 28 april 2022. Patienter med olika diagnoser och svårighetsgrad ingår.

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

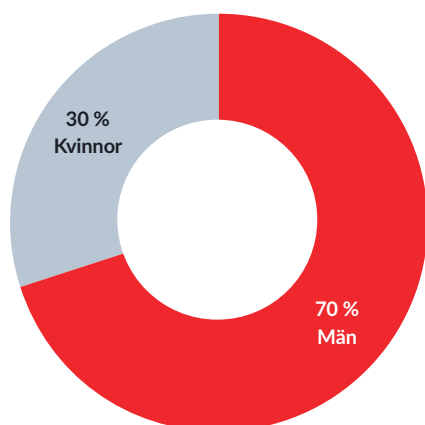
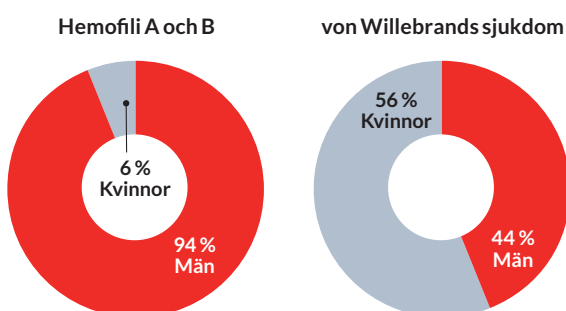


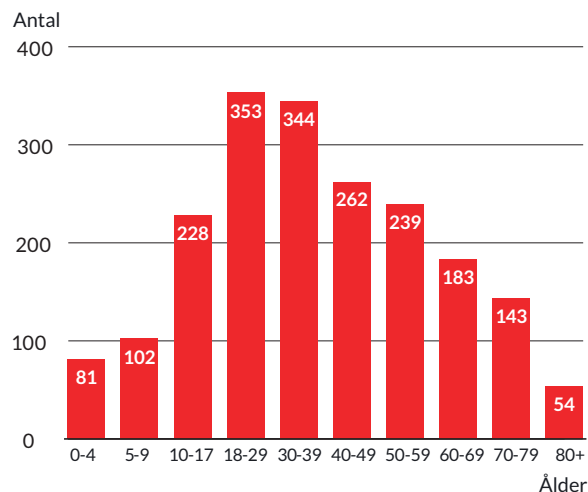
Diagram 4. Andel patienter per diagnos i Svenska Hemofiliregistret, fördelat på kön



Största andelen av patienterna i registret är män, 70 %, medan en mindre andel är kvinnor, 30 %. Orsaken till detta är den genetiska ärftligheten av hemofili A och B 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 eller moderat hemofili.

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

Diagram 5. Antal patienter i Svenska Hemofiliregistret, fördelat på ålder



Not. 6 patienter saknar uppgift om ålder.

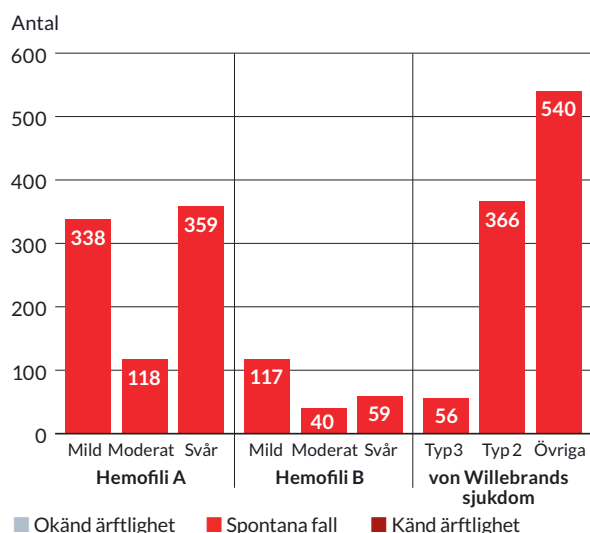
Diagram 5 visar fördelning i ålder av patienter som ingår i Svenska Hemofiliregistret. Andelen patienter äldre än 65 år är begränsad. Det förklaras av att det tidigare, d.v.s. före slutet av 1950-talet, inte fanns någon behandling vid hemofili med faktorkoncentrat och patienterna hade då en förväntad 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 6. Antal patienter i Svenska Hemofilregistret, fördelat på diagnos



Not. 2 patienter saknar uppgift om diagnos.

Diagram 6 och 7 visar 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 7. Antal patienter per diagnos i Svenska Hemofilregistret, fördelat på centra

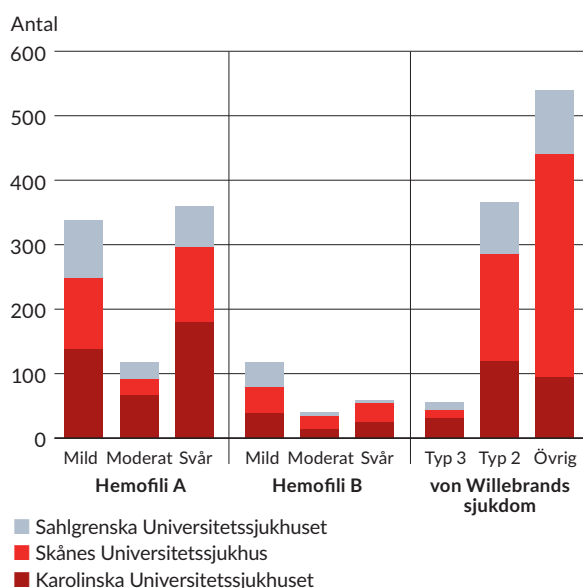


Diagram 8. Ärftlighet per diagnos

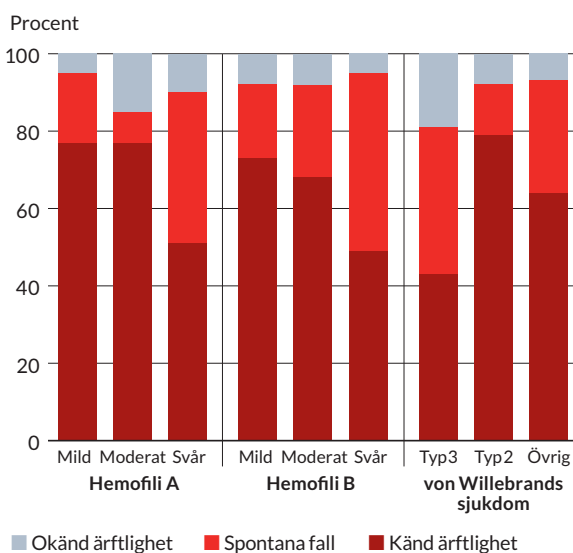
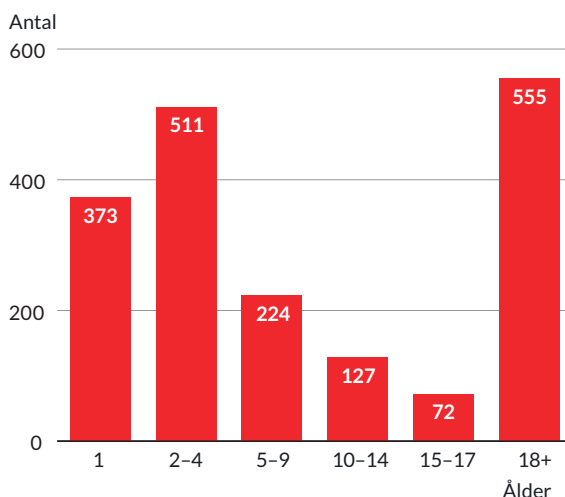


Diagram 8 visar förekomst av ärftlighet för blödningsjukdom hos patienter med hemofili A, B och von Willebrands sjukdom. Spontana fall är också vanliga och kan bero på att en s.k. nymutation, d.v.s. förändring i arvsmassan, DNA, har uppkommit.

Diagram 9. Ålder för diagnos bland patienter i Svenska Hemofilregistret, per åldersgrupp



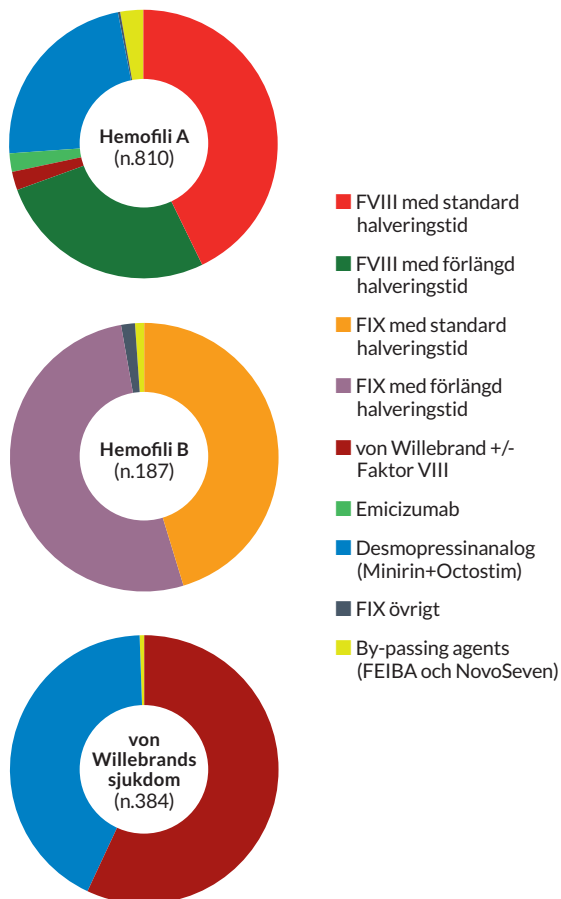
Not. 131 patienter saknar uppgift om ålder vid diagnos.

Diagrammet visar ålder för när diagnos ställs av blödningsjukdom. För patienter med svår blödersjuka 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

Diagram 10. Fördelning av hemofilibehandling

Procent

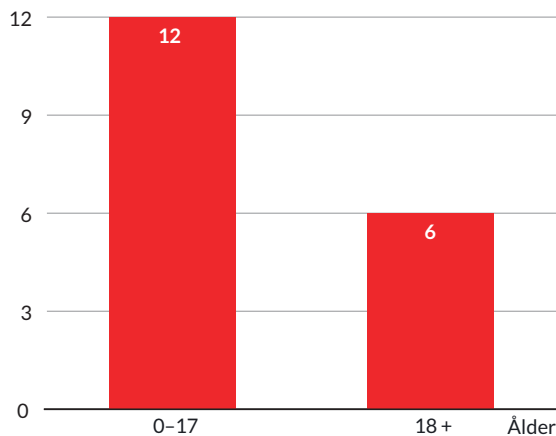


Källa: Svenska hemofilregistret

Diagram 10 visar fördelning av typ av läkemedelsbehandling vid hemofili och von Willebrands sjukdom.

Diagram 11. Antal patienter med Emicizumab, fördelat på åldersgrupp (totalt 18 patienter)

Antal





RESULTAT: LEDSORE

Tabell 1. HJHS-poäng per diagnos

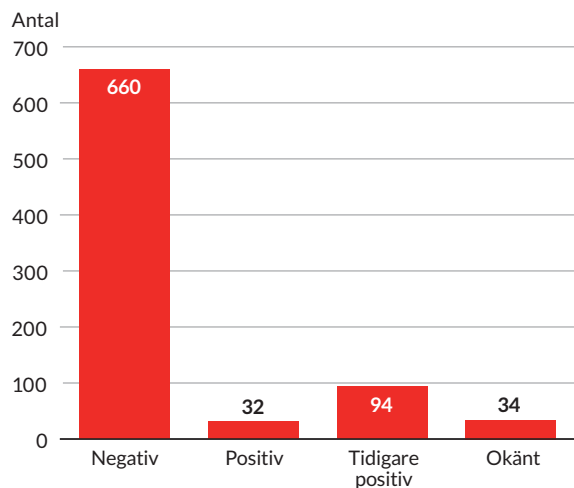
Huvuddiagnos	0	1-3	4-6	7-9	10-19	20-39	>40
Hemofili A mild	2	2	2	0	1	1	1
Hemofili A moderat	18	7	2	2	1	2	0
Hemofili Svår	34	30	8	7	15	18	9
Hemofili B mild	1	1	2	0	1	0	0
Hemofili B moderat	1	2	0	1	0	1	1
Hemofili B svår	7	3	3	2	1	6	1
von Willebrand svår	0	3	1	0	1	0	0
von Willebrand typ 2	2	0	0	0	0	0	0
von Willebrand övriga	2	0	0	0	0	0	0

Ledscore med bedömning av Hemophilia Joint Health Score (HJHS) görs regelbundet av fysioterapeuter på patienterna på alla tre hemofilicentra, men ett mindre antal genomgick detta år 2021 på grund av pandemin då färre fysiska patientbesök genomfördes. Därav är materialet lågt och tolkning av data är osäker.

RESULTAT:

INHIBITORER

Diagram 12. Inhibitorer



Av de patienter som testats för förekomst av s.k. inhibitorer (d.v.s. antikroppar mot koagulationsfaktor FVIII eller FIX) är 3,9 % av patienterna i registret positiva f.n. och 11,5 % har tidigare varit positiva. Detta test utförs inte rutinmässigt på alla patienter utan ff.a. på små barn där behandling inleds eller vid misstanke om inhibitorutveckling.

RESULTAT:

BLÖDNINGAR
(ANNUAL BLEEDING RATE)

Diagram 13. Registrerade blödningar per patient 2021

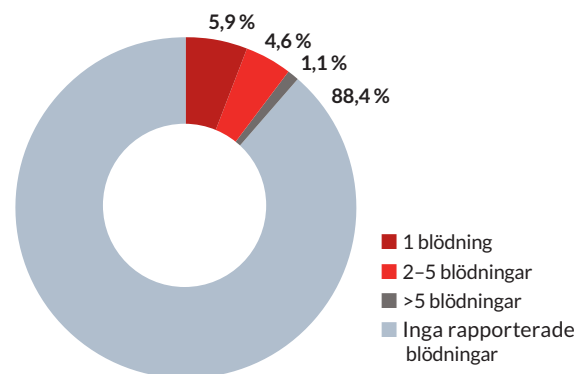
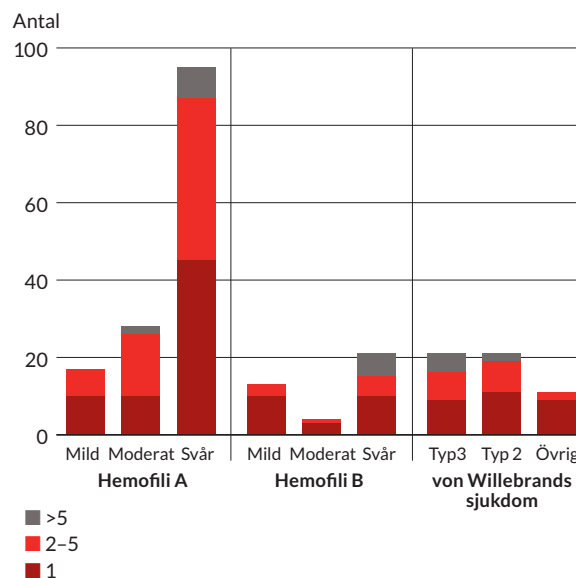


Diagram 14. Registrerat antal blödningar per huvuddiagnos



Statistiken för inrapporterade blödningar är hämtade från alla aktiva patienter med hemofili A eller B samt von Willebrands sjukdom i registret 2021, oavsett svårighetsgrad. Statistiken för 88 % av patienterna har inte rapporterat några blödningar alls. Andelen patienter som rapporterat blödningar är 12 %. Av dom som rapporterat in blödningar så var det 51 % som rapporterade in endast en blödning, 39 % som rapporterade in 2-5 blödningar och 10 % rapporterade in mer än 5 blödningar 2021

RESULTAT:

LIVSKVALITET

Tabellerna nedan visar data för patienternas självskattade livskvalitet och sjukdomens påverkan på patientens liv. Data i tabell 2 (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. Detta kan vara en effekt av att behandlingen vid hemofili A är så pass bra och effektiv. Tabell 3 visar patientens

skattning på hur dennes diagnos påverkar patientens liv, där 0 är ingen påverkan och 100 är att den påverkar helt och hållet.

I och med Covid-19 pandemin har många läkarbesök under 2021 gjorts på distans, antingen via video eller telefon. Detta har medfört att det är ett lägre antal livskvalitetsenkäter som har fyllts i. Därav är materialet lågt och tolkning av data är osäker.

Tabell 2. EQ-5D Skattningsskala hälsotillstånd 0–100 (VAS) för patienter 16 år och äldre i Svenska Hemofilregistret, 2021

Huvuddiagnos	Antal	Median	Medel	Standard-avvikelse	Min	Max
Hemofili A mild	66	80	76	22	20	100
Hemofili A moderat	17	89	83	14	60	100
Hemofili A svår	23	85	80	19	20	100
Hemofili B mild	27	80	73	24	6	100
Hemofili B moderat	4	90	90	4	85	95
Hemofili B svår	3	80	75	13	60	85
von Willebrand typ 3	5	90	74	33	15	95
von Willebrand typ 2	42	83	78	22	20	100
von Willebrand övriga	54	80	76	18	30	100

Tabell 3. Skattningsskala för sjukdomens påverkan på patientens liv (0–100) för patienter 16 år och äldre i Svenska Hemofilregistret, 2021

Huvuddiagnos	Antal	Median	Medel	Standard-avvikelse	Min	Max
Hemofili A mild	58	10	22	26	0	100
Hemofili A moderat	13	10	20	26	0	85
Hemofili A svår	16	7	21	31	0	85
Hemofili B mild	25	20	29	26	0	98
Hemofili B moderat	2	11	11	13	2	20
Hemofili B svår	2	1	1	1	0	2
von Willebrand typ 3	4	8	10	11	0	25
von Willebrand typ 2	38	13	24	29	0	95
von Willebrand övriga	52	10	20	26	0	90

DATAKVALITET



Patienturval för årsrapporten

Årsrapporten omfattar alla patienter i Svenska Hemofiliregistret som inkluderat sedan start. 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 senaste åren har inklusionen av patienter med von Willebrands sjukdom ökat och planen långsiktigt är att även inkludera patienter med ovanliga koagulationsfaktorbrister.

Åtgärdande av saknade och motsägande uppgifter i registeruttag

Inför årsrapport 2021 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

En begäran om en täckningsgradsanalys genomfördes och omfattar i denna årsrapport patienter med moderat och svår hemofili A och B, samt patienter med von Willebrands sjukdom. Täckningsgradsanalysen är utförd som matchningsstatistik mot patientregistret (PAR) och mot Läkemedelsregistret hos Socialstyrelsen. I urvalet från hemofiliregistret inkluderades patienter med ovan nämnda diagnoser

och i selektionen från Läkemedelsregistret inkluderas 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. Resultatet från matchningsstatistiken fördelades efter hemofili typ utefter den läkemedelsbehandling som ges;

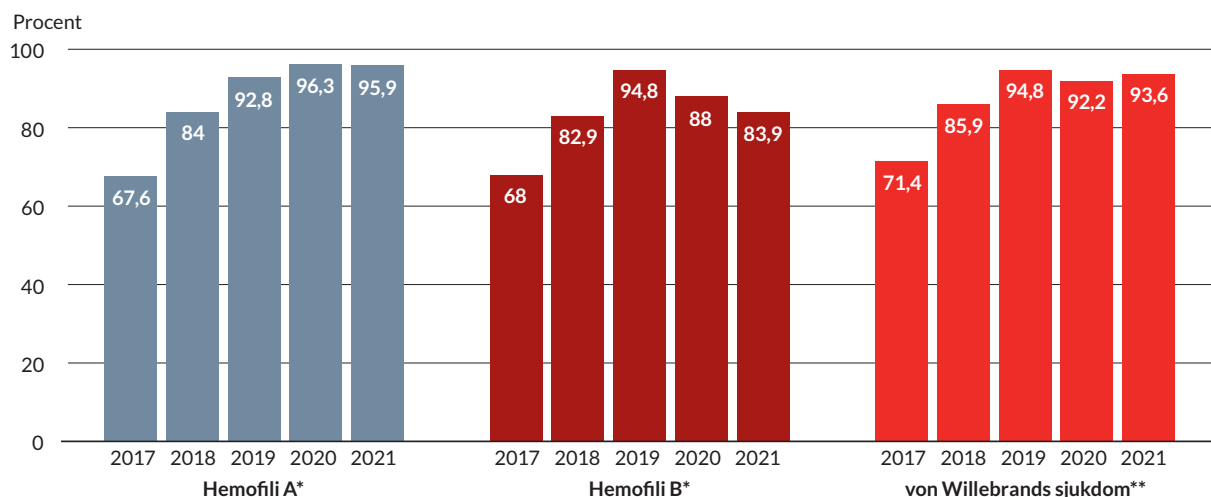
- Hemofili A: B02BD03, B02BX06, B02BD08, B02BD08 + B02BD02
- Hemofili B: B02BD08 + B02BD04
- von Willebrands sjukdom: B02BD06

Matchningsstatistiken beräknades enligt följande: som täljare användes antal matchande individer, d.v.s. 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, d.v.s. överensstämmelsen, redovisas i procent. Se diagram 14.

Matchningsstatistiken visar att överensstämmelsen mellan Svenska Hemofiliregistret och Läkemedelsregistret är mycket god för Hemofili A och B moderat och svår form med 95,9 respektive 88 procents täckningsgrad för 2021. För von Willebrands sjukdom är täckningsgraden 93,6 procent.

Totalt sett var täckningsgraden för det urval som analysen omfattade ca 91 procent, vilket visar på att Svenska hemofiliregistret fångar en stor majoritet av den patientgrupp som registret omfattar.

Diagram 15. Täckningsgradsjämförelse mellan Svenska Hemofiliregistret och Läkemedelsregistret, år 2017–2021



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

AKTIVITETER OCH UTVECKLING 2021

Forskning

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

Svenska Hemofilregistret som stöd för förbättringsarbete/verksamhetsutveckling under 2021

Nedan ges exempel på hur Svenska Hemofilregistret används för att stödja och förbättra hemofilvården.

- 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.
- En ny gemensam behandlingsrapport för personer med blödersjuka används nu rutinmässigt på alla tre centrarna.
- 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 Hemofilregistret kan vårdtagare nu följa effekter av trepartsavtalet avseende byte av faktorkoncentrat för personer med hemofili.
- Arbete 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; Hemlibra (Emicizumab). 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.

