



ÅRSRAPPORT 2022



svenska
hemofili
registret.se

FÖRORD

Vi har nu glädjen att publicera Svenska Hemofilregistrets årsrapport för 2022. Även för 2022 har antalet patienter som omfattas av registret ökat till 1995 i december. I skrivande stund är antal patienter i september 2023 2063. Vi har en 100 % anslutningsgrad och mycket hög täckningsgrad avseende hemofili A, B och von Willebrands sjukdom.

Jämfört med 2020–2021 där världen starkt påverkades av pandemin så har 2022 varit ett mer ”normalt” år. Registret fortsätter att vara ett viktigt instrument för uppföljning av vård och behandling av blödningssjukdomar både på kort och lång sikt. Förändringar i läkemedelsbehandling kan snabbt följas upp. Styrgruppen för Svenska Hemofilregistret har representanter från alla tre hemofilicentra och flera professioner är representerade. Vi ser fram emot fortsatt arbete under kommande år.

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

För Svenska Hemofilregistret,
Margareta Holmström
Registerhållare

INNEHÅLL

FÖRORD	3
ORGANISATIONSFAKTA OM SVENSKA HEMOFILIREGISTRET	5
Styrgrupp.....	5
Bakgrund	5
Registercentrum	5
IT-plattform	5
INFORMATION OM HEMOFILI	6
Bakgrund	6
Behandling	7
Komplikationer	7
Vården av personer med blödarsjuka i Sverige.....	8
Samverkan med andra länder	8
KVALITETSINDIKATIONER.....	9
Processindikatorer	9
Resultatindikatorer	9
RESULTAT 2022	10
Demografi	10
Diagnoser och svårighetsgrad av sjukdom.....	12
Inhibitorer	13
Behandling	14
Data för patienter behandlade med emicizumab (Hemlibra) 2022	16
Blödningar (annual bleeding rate).....	17
Ledscore	18
Livskvalitet.....	19
DATAKVALITET	20
Patienturval för årsrapporten	20
Åtgärdande av saknade och motsägande uppgifter i registeruttag.....	20
Övriga pågående aktiviteter avseende datakvalitet.....	20
Täckningsgradsanalys	20
AKTIVITETER OCH UTVECKLING 2022	22
Forskning.....	22
Svenska Hemofiliregistret som stöd för förbättringsarbete/ verksamhetsutveckling under 2022.....	22



ORGANISATIONSAKTA 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 Barnsjuksköterska, Koagulationscentrum, Skånes Universitetssjukhus

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

Elisabeth Brodin, Översjuktugymnast, med dr, Koagulationscentrum, Sahlgrenska Universitetssjukhuset. Medverkade i styrgruppen till och med maj 2023

Elsa Olsson, Leg Sjuksköterska, Registerkoordinator, Koagulationsmottagningen, Karolinska Universitetssjukhuset

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

Maria Magnusson, Överläkare, med dr, Vuxen- och Barnkoagulationsmottagningen, Karolinska Universitetssjukhuset

RosMarie Pohjanvuori, Fysioterapeut, Koagulationscentrum, Sahlgrenska Universitetssjukhuset. Tillträdde i styrgruppen april 2023.

Adnan Berberovic, Patientrepresentant

Bakgrund

Beslut fattades om inrättande av nationellt kvalitetsregister inom ramen för nationella satsningen 2012. Svenska Hemofiliregistret omfattas av godkännande

som nationellt kvalitetsregister, inklusive CPUA, 2013-07-04.

Vården av hemofili och andra blödningsjukdomar i Sverige är centraliserad. Det finns tre svenska nationella centra; Sahlgrenska Universitetssjukhuset, Skånes Universitetssjukhus och Karolinska Universitetssjukhuset i Solna. Vid dessa tre centra omhändertas patienter med blödningsjukdomar från alla Sveriges 20 regioner. I styrgruppen finns företrädare för flera professioner (läkare, sjuksköterskor, fysioterapeuter och en patientrepresentant). Vid behov kan andra professioner/specialiteter delta i styrgruppsmöten för att diskutera specifika frågor t.ex från klinisk kemi eller klinisk genetik.

Styrgruppen finns representerade i Svenska Sällskapet för Trombos och Hemostas, Nätverk för Hemofilisjuksköterskor finns på nationell nivå. Många i styrgruppen är också medlemmar i Nordic Haemophilia Council, EAHAD, ISTH och ASH. Svenska Hemofiliregistret hör till NPO Sällsynta sjukdomar och har etablerat kontakt.

Alla tre hemofilicentra är certifierade enligt EAHADs kriterier.

Registercentrum

Svenska Hemofiliregistret är sedan starten 2012 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.

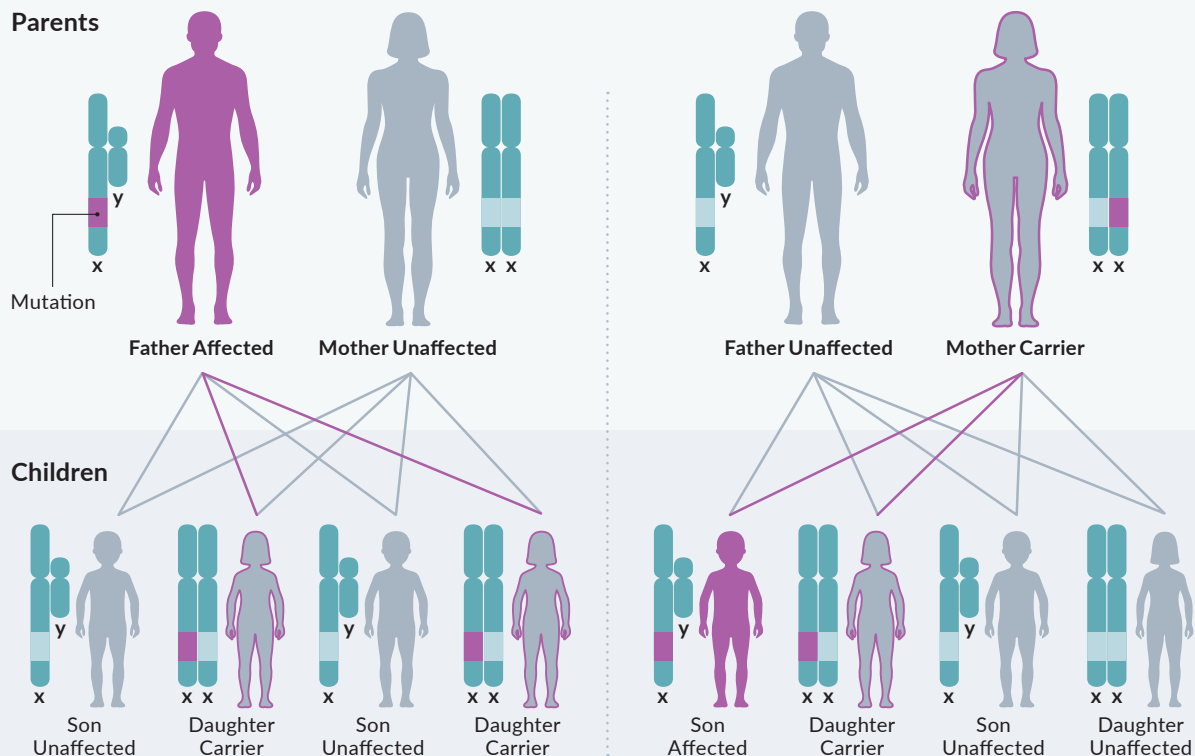
Samtliga döttrar till en man med hemofili är anlagsbärare av mutationen som ger hemofili. En anlagsbärande kvinnas söner har en 50 % risk att drabbas av sjukdomen, likaså har hennes döttrar en 50 % risk att bli anlagsbärare. Sjukdomens form och svårighetsgrad förblir densamma genom generationer i släkten. 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 (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





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 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 subkutant 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 subkutant (direkt under huden) introducerats. Emicizumab (Hemlibra) som ges subkutant 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 subkutant 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 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 resultatindikationer:

Processindikatorer

- Antal patienter vid de tre hemofilicentra i Sverige
- Fördelningen av typ och svårighetsgrad av blödar-sjuka 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 2022, Annual Bleeding Rate (ABR)
- Livskvalitet med EQ-5D
- Sjukdomens påverkan på patientens liv
- Ledstatus uppmätt med Hemophilia Joint Health Score (HJHS)

RESULTAT 2022

Diagram- och tabellöversikt av den statistik som presenteras i årsrapport 2022 från Svenska Hemofilregistret.

RESULTAT: DEMOGRAFI

Diagram 1. Totalt antal patienter (Hemofili A, Hemofili B och von Willebrands sjukdom)

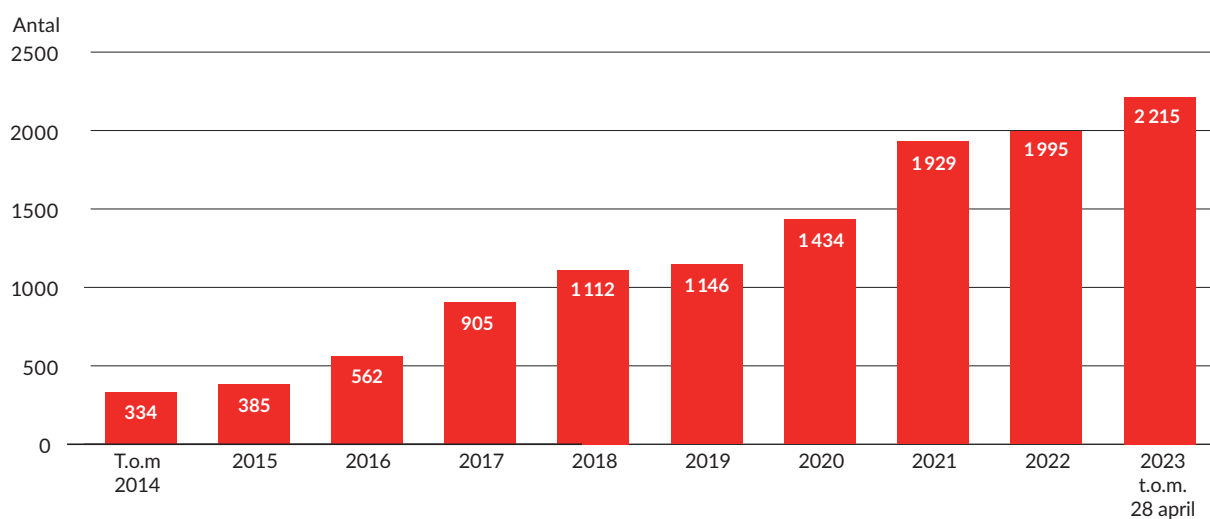


Diagram 1 visar det totala antalet patienter, med samtliga diagnoser och svårighetsgrad i registret varje år från start 2014. När registret startades, överfördes patienter från ett lokalt hemofilregister vid centrat i Malmö, varför siffran inte är 0 från start. Från start har snabb ökning av antal patienter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

Diagram 2 visar antal patienter vid de tre hemofili-centra i Sverige per 28 april 2022. Alla patienter, oavsett diagnos eller svårighetsgrad, ingår i dessa diagram.

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

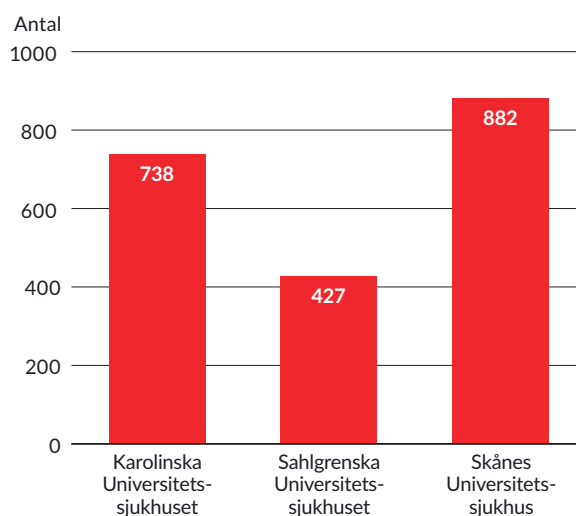


Diagram 3. Andel patienter i Svenska Hemofiliregistret, fördelat på kön

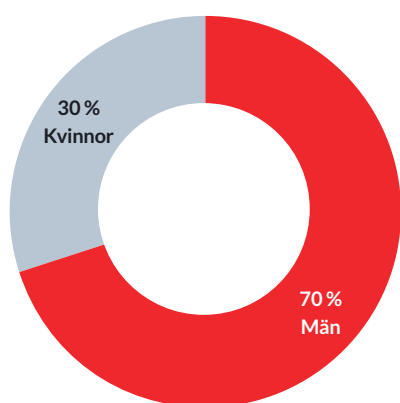
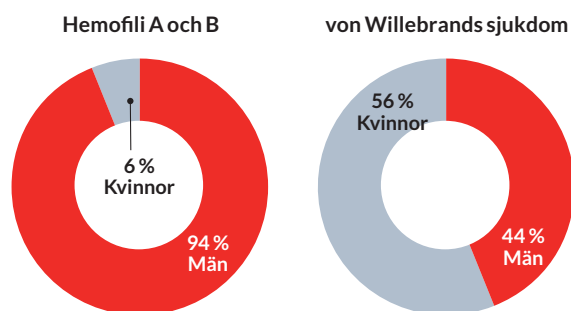


Diagram 4. Andel patienter per diagnos i Svenska Hemofiliregistret, fördelat på kön



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 ärvt. 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

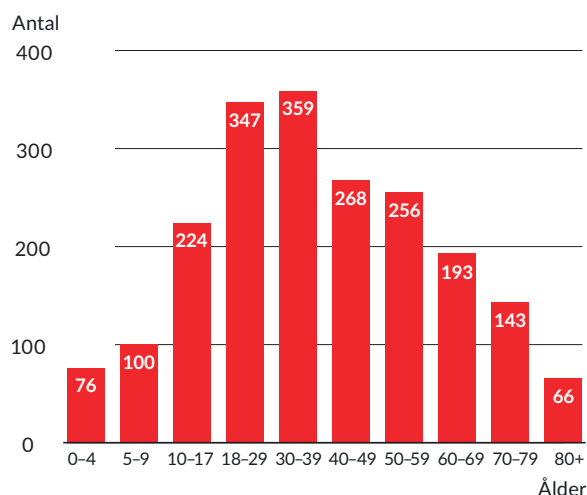


Diagram 5 visar fördelning i ålder av patienter som ingår i Svenska Hemofiliregistret. Andelen patienter äldre än 65 år är begränsad. Det förklaras av att det tidigare, d.v.s. före slutet av 1950-talet, inte fanns någon behandling vid hemofili med faktorkoncentrat och patienterna hade då en förväntad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

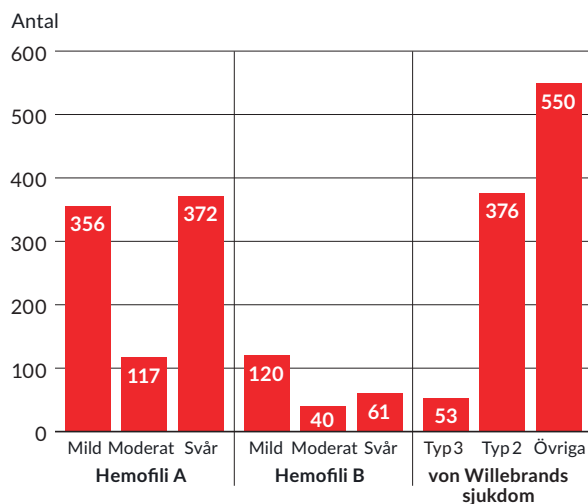


Diagram 6 och 7 visar fördelning av patienter per diagnos och svårighetsgrad. Alla centra inkluderade. Patienter med hemofili A i svår och mild form dominerar vilket är i överensstämmelse med andra rapporter. Hemofili A har också en högre incidens än hemofili B vilket diagrammet också visar.

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

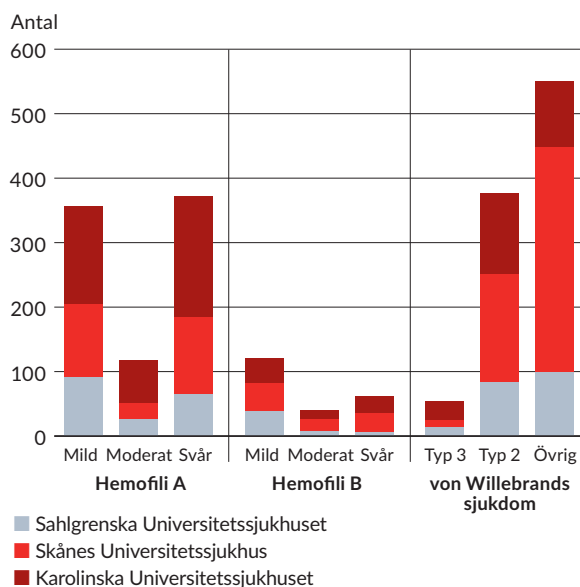


Diagram 8. Ärftlighet per diagnos

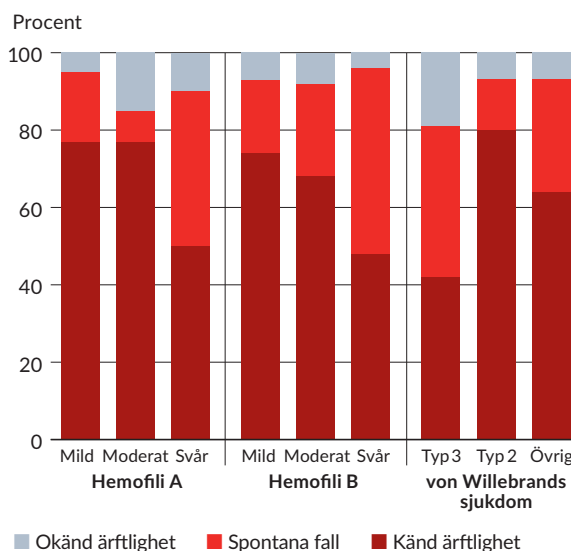
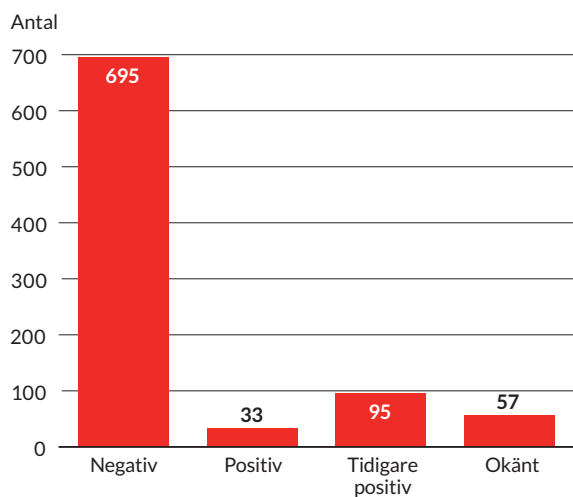


Diagram 8 visar förekomst av ärftlighet för blödningsjukdom hos patienter med hemofili A, B och von Willebrands sjukdom. Spontana fall är också vanliga och kan bero på att en s.k. nymutation, d.v.s. förändring i arvsmassan, DNA, har uppkommit.



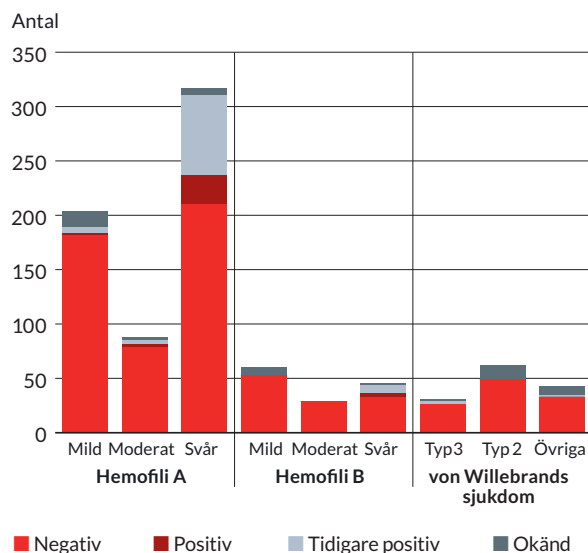
RESULTAT: INHIBITORER

Diagram 9. Inhibitorer



Av de patienter som testats för förekomst av s.k. inhibitorer (d.v.s. antikroppar mot koagulationsfaktor FVIII eller FIX) är 3,0 % av patienterna i registret positiva f.n. och 8,9 % 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.

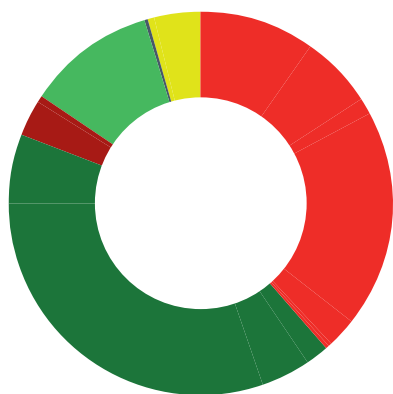
Diagram 10. Inhibitorstatus fördelat per diagnos



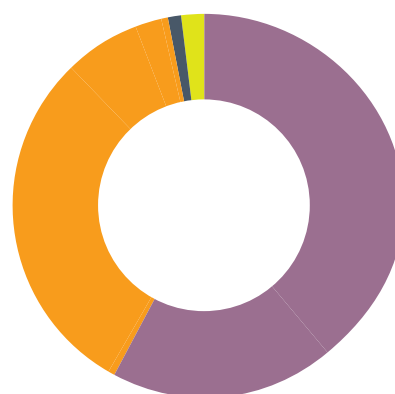
RESULTAT: BEHANDLING

Diagram 11A: Hemofilbehandling fördelat på diagnosgrupp

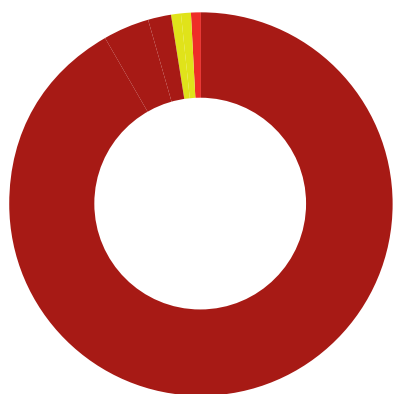
Hemofilbehandling vid Hemofili A



Hemofilbehandling vid Hemofili B



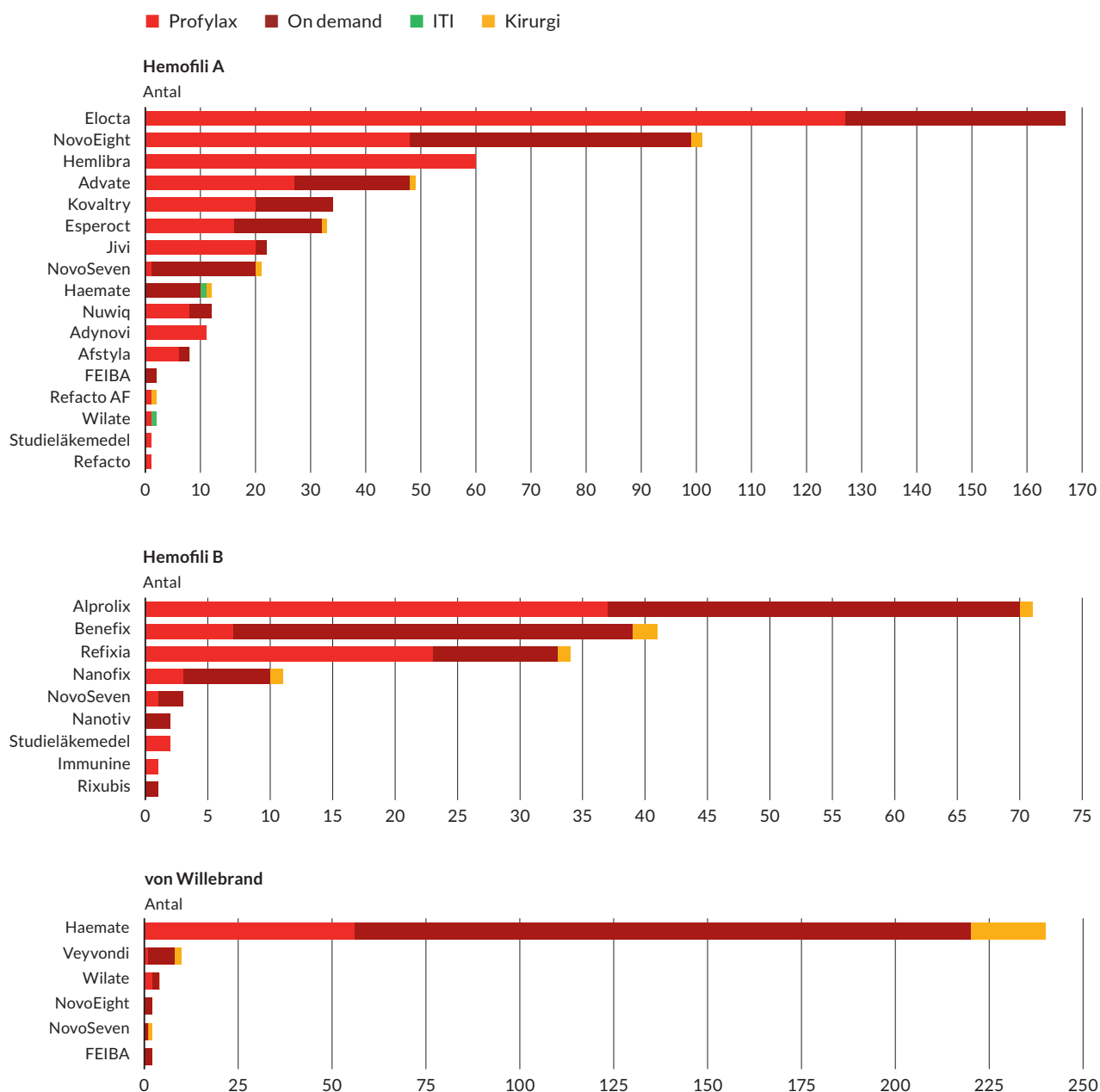
Hemofilbehandling vid von Willebrands sjukdom



- FVIII med standard halveringstid
- FVIII med förlängd halveringstid
- FIX med standard halveringstid
- FIX med förlängd halveringstid
- von Willebrand +/- Faktor VIII
- Emicizumab (Hemlibra)
- Studieläkemedel
- By-passing agents (FEIBA och NovoSeven)

Grupp	Preparat
FVIII med standard halveringstid	Advate, Kovaltry, Afstyla, Novo Eight, Nuwiq, Refacto
FVIII med förlängd halveringstid	Adynovi, Jivi, Elocta, Esperoct
FIX med standard halveringstid	Benefix, Immunine, Nanofix, Nanotiv, Rixubis
FIX med förlängd halveringstid	Alprolix, Refixia
von Willebrand +/- Faktor VIII	Haemate, Wilate, Veyvondi
Emicizumab	Hemlibra
Studieläkemedel	Studieläkemedel
By-passing agents	FEIBA, NovoSeven

Diagram 11B: Indikation för behandling



RESULTAT:

DATA FÖR PATIENTER BEHANDLADE MED EMICIZUMAB (HEMLIBRA) 2022

Totalt 61 patienter behandlades med Hemlibra 2022.

Diagram 12. Antal patienter som behandlas med Hemlibra fördelat på barn och vuxna

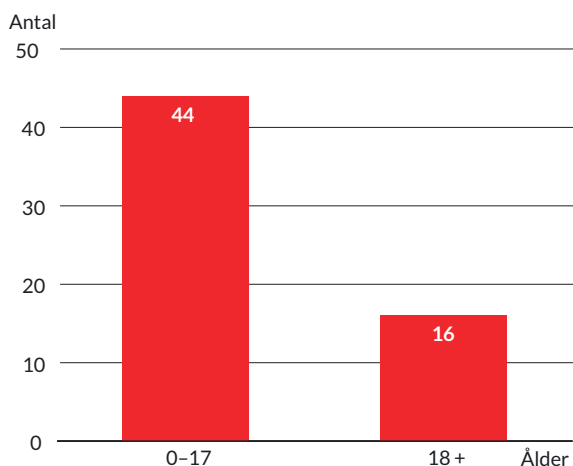
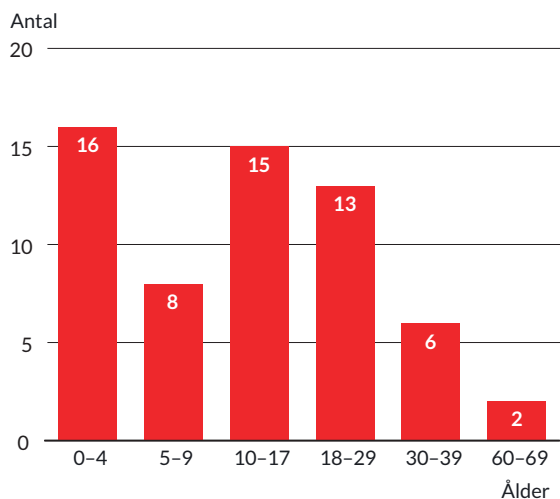
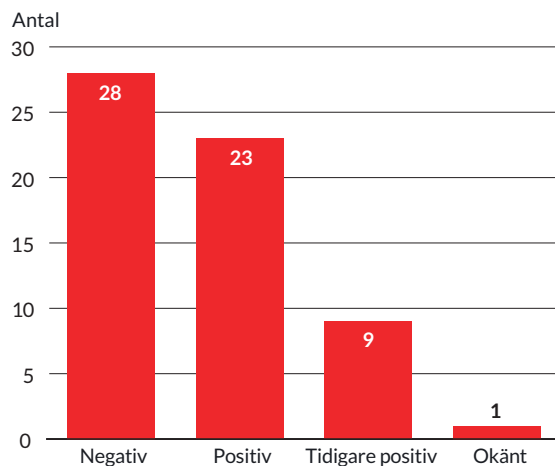


Diagram 13. Åldersfördelning hos patienter med Hemlibra



Not. 1 patient saknar uppgift om ålder.

Diagram 14. Inhibitorstatus hos patienter med Hemlibra



RESULTAT:

BLÖDNINGAR
(ANNUAL BLEEDING RATE)

Diagram 15. Totalt antal rapporterade blödningar och typ av blödning

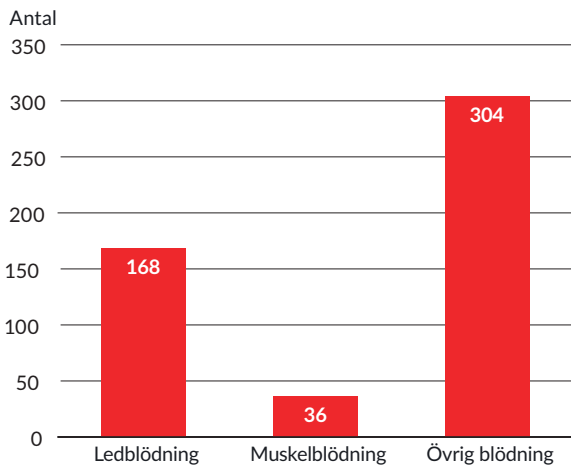
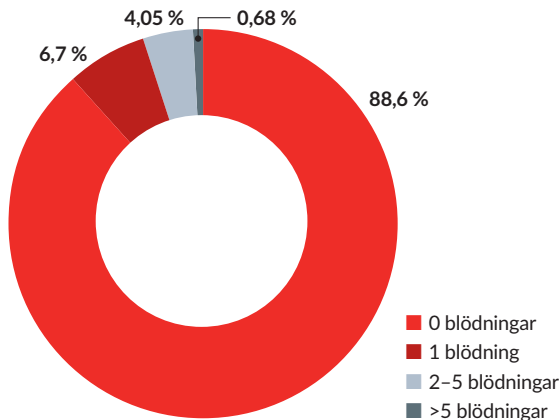
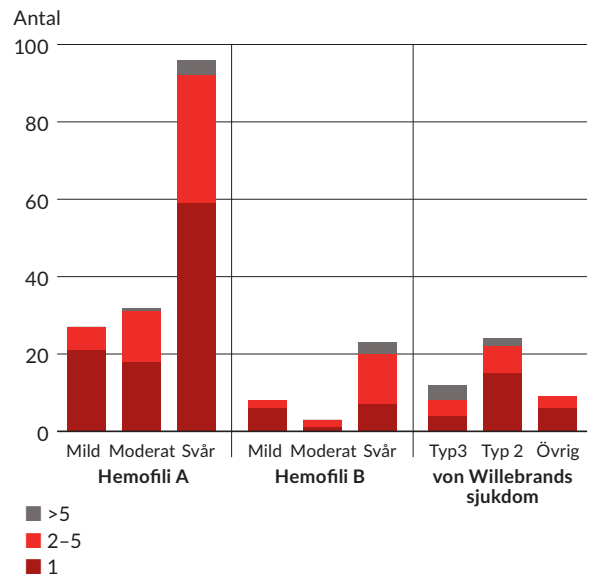


Diagram 16. Andel rapporterade blödningar per patient



Statistiken för inrapporterade blödningar är hämtade från alla aktiva patienter med hemofili A eller B samt von Willebrands sjukdom i registret 2022, oavsett svårighetsgrad. Statistiken för 88 % av patienterna har inte rapporterat några blödningar alls. Andelen patienter som rapporterat blödningar är 11 %. Av dem som rapporterat in blödningar så var det 58,5 % som rapporterade in endast en blödning, 35,5 % som rapporterade in 2-5 blödningar och 6 % rapporterade in mer än 5 blödningar 2022.

Diagram 17. Antal rapporterade blödningar per diagnos



RESULTAT: LEDSORE

Ledscore med bedömning av Hemophilia Joint Health Score (HJHS) görs regelbundet av fysioterapeuter på respektive hemofilicentra. 262 patienter genomgick

detta år 2022. Materialet är lågt och tolkning av data är därför osäker.

Tabell 1. HJHS-poäng per diagnos

Huvuddiagnos	Antal poäng						
	0	1-3	4-6	7-9	10-19	20-39	>40
Hemofili A mild	6	2	1	2	5	0	0
Hemofili A moderat	8	3	5	2	2	5	0
Hemofili Svår	42	36	19	11	21	27	15
Hemofili B mild	1	0	0	3	0	0	0
Hemofili B moderat	2	3	0	0	2	4	0
Hemofili B svår	0	3	4	4	5	6	5
von Willebrand svår	1	1	0	0	0	1	0
von Willebrand typ 2	0	0	0	1	0	0	0
von Willebrand övriga	3	0	1	0	0	0	0

Totalt 20 patienter har gjort HJHS 2 gånger samma år, resterande patienter har gjort det en gång

Tabell 2. Total antal HJHS poäng fördelat på åldersgrupp

Åldersgrupp	Antal poäng						
	0	1-3	4-6	7-9	10-19	20-39	>40
5-9 år	17	1	2	1	0	0	0
10-17 år	32	16	8	2	3	2	0
18-29 år	7	17	10	9	12	4	0
30-39 år	3	9	8	5	8	8	4
40-49 år	2	4	2	2	4	5	0
50-59 år	1	1	0	2	6	13	4
60-69 år	0	0	0	1	1	8	5
70-79 år	0	0	0	1	1	3	5
80+	0	0	0	0	0	0	2

Tabell 3. Poängfördelning i relation till profylax eller on-demand behandling

Behandlingsform	Antal poäng						
	0	1-3	4-6	7-9	10-19	20-39	>40
Profylax	50	39	24	14	28	33	16
On-demand	13	9	6	9	7	10	4

RESULTAT:

LIVSKVALITET

Tabellerna nedan visar data för patienternas självskattade livskvalitet och sjukdomens påverkan på patientens liv. Data i tabell 4 (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 5 visar patientens skattning på hur dennes diagnos påverkar patientens liv, där 0 är ingen påverkan och 100 är att den påverkar helt och hållet.

Tabell 4. EQ-5D Skattningsskala hälsotillstånd 0–100 (VAS) för patienter 16 år och äldre i Svenska Hemofilregistret, 2022

Huvuddiagnos	Antal	Median	Minimum	Maximum
Hemofili A mild	46	85	10	100
Hemofili A moderat	22	80	40	100
Hemofili A svår	116	80	10	100
Hemofili B mild	14	87,5	50	100
Hemofili B moderat	13	80	30	96
Hemofili B svår	15	65	40	90
von Willebrand typ 3	12	90	40	100
von Willebrand typ 2	26	80	42	100
von Willebrand typ 1 och övriga	10	86	70	100

Tabell 5. Skattningsskala för sjukdomens påverkan på patientens liv (0–100) för patienter 16 år och äldre i Svenska Hemofilregistret, 2022

Huvuddiagnos	Antal	Median	Minimum	Maximum
Hemofili A mild	42	5	0	80
Hemofili A moderat	19	10	0	95
Hemofili A svår	103	20	0	100
Hemofili B mild	14	1,5	0	50
Hemofili B moderat	13	20	0	85
Hemofili B svår	16	50	10	70
von Willebrand typ 3	12	7,5	0	60
von Willebrand typ 2	26	5	0	80
von Willebrand typ 1 och övriga	8	10	0	50

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 2022 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;

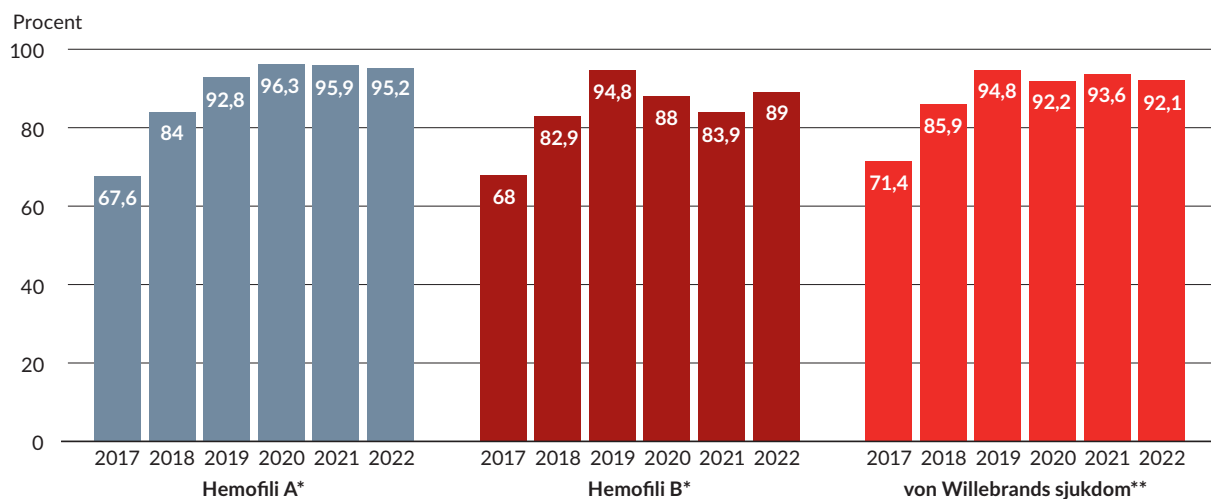
- Hemofili A: B02BD03, B02BX06, B02BD08, B02BD08 + B02BD02
- Hemofili B: B02BD08 + B02BD04
- von Willebrands sjukdom: B02BD06

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 18.

Matchningsstatistiken visar att överensstämmelsen mellan Svenska Hemofiliregistret och Läkemedelsregistret är mycket god för Hemofili A och B moderat och svår form med 95,2 respektive 89 procents täckningsgrad för 2022. För von Willebrands sjukdom är täckningsgraden 92,1 procent.

Totalt sett var täckningsgraden för det urval som analysen omfattade ca 92 procent, vilket visar på att Svenska hemofiliregistret fångar en stor majoritet av den patientgrupp som registret omfattar.

Diagram 18. Täckningsgradsjämförelse mellan Svenska Hemofiliregistret och Läkemedelsregistret, år 2017–2022



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 2022

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 2022

Nedan ges exempel på hur Svenska Hemofilregistret 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.
- En ny gemensam behandlingsrapport för personer med blödersjuka används nu rutinmässigt på 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 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.

