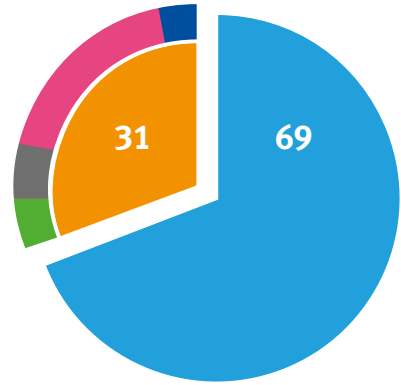


Therapien

Kinder und Jugendliche unter 18 Jahren

31 % (+ 10 % im Vergleich zum Vorjahr)
Modulationstherapie

69 %
keine Modulationstherapie

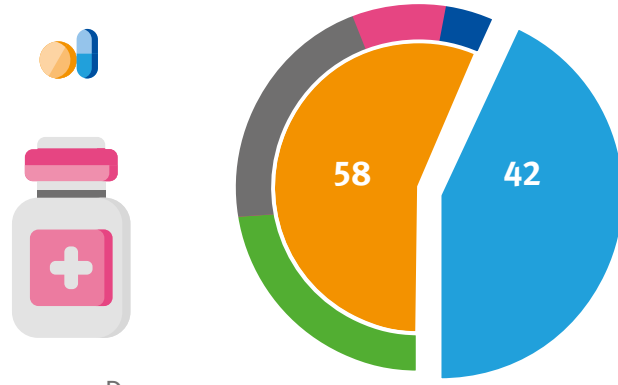


Davon
10 % Kalydeco **62 % Orkambi**
12 % Symkevi **16 % Kafrio**

Erwachsene ab 18 Jahren

58 % (+ 22 % im Vergleich zum Vorjahr)
Modulationstherapie

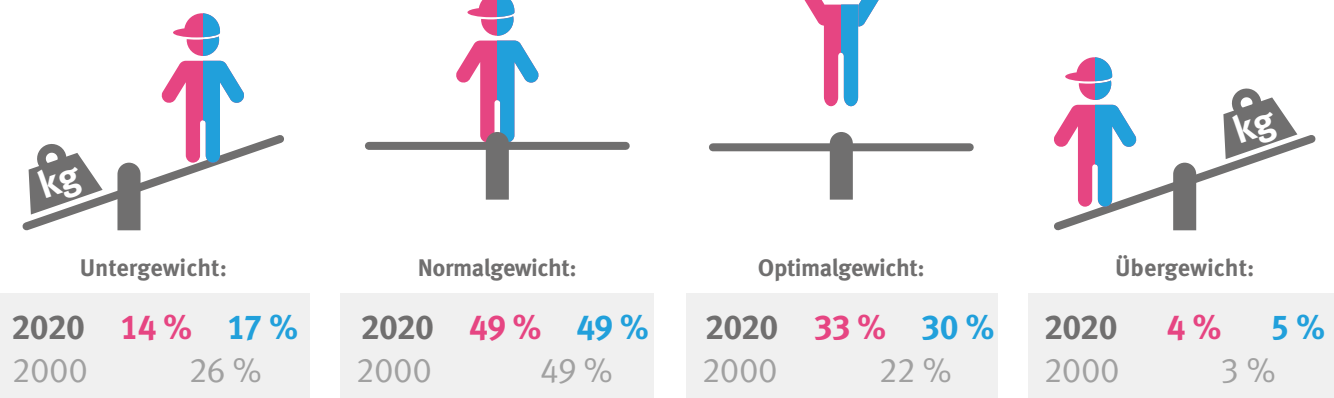
42 %
keine Modulationstherapie



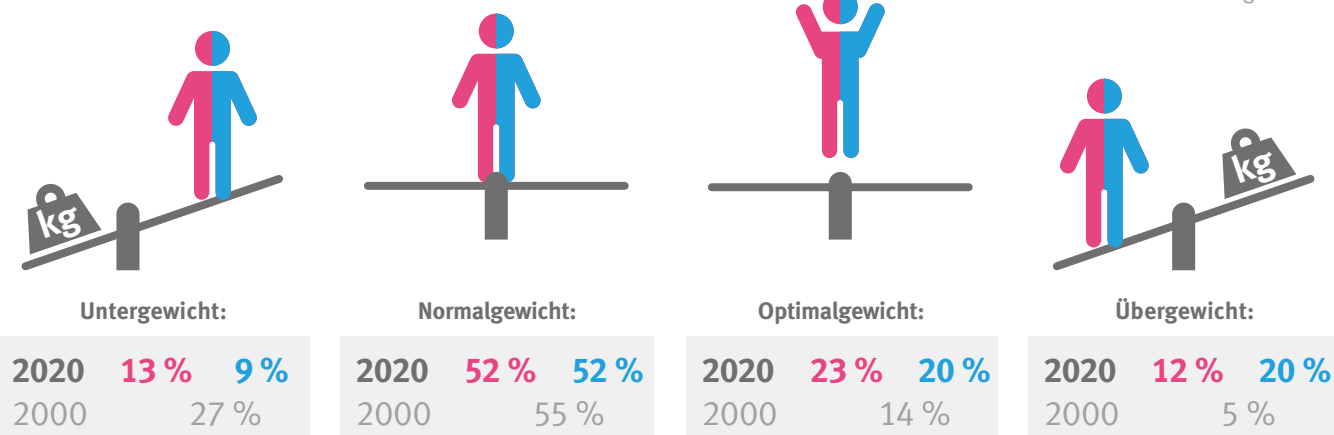
Davon
8 % Kalydeco **15 % Orkambi**
41 % Symkevi **38 % Kafrio**

Ernährungsstatus

Kinder und Jugendliche unter 18 Jahren



Erwachsene ab 18 Jahren



Gesamthäufigkeit in %

Das Deutsche Mukoviszidose-Register

Seit wann gibt es das Register und wer beteiligt sich?

Das Deutsche Mukoviszidose-Register wurde im Jahr 1995 unter dem Namen „Qualitätssicherung Mukoviszidose“ gestartet und wird durch den Mukoviszidose e.V. entwickelt und finanziert. Ohne die Daten der Patienten und ihre Einwilligung würde es das Register überhaupt nicht geben. Im Jahr 2020 beteiligten sich 6.648 Patienten in 88 CF-Einrichtungen. Danke für Ihr Vertrauen in das Deutsche Mukoviszidose-Register!

Was sind die Ziele?

Mit dem Deutschen Mukoviszidose-Register verfolgt der Mukoviszidose e.V. den **Zweck der Qualitätssicherung Mukoviszidose**, das heißt unter anderem:

- » die Versorgungssituation von Patienten mit Mukoviszidose in Deutschland zu erfassen, zu analysieren und zu verbessern,
- » die erhobenen Daten als Grundlage für Versorgungsforschung, Therapieentwicklung und Arzneimittelsicherheitsüberwachung bereitzustellen,
- » die Registerdaten für Patienten und Therapeuten in jährlich erscheinenden Berichtsbänden aufzubereiten und transparent darzustellen.

Wie werden die Daten erfasst?

Die Daten werden in den am Deutschen Mukoviszidose-Register beteiligten CF-Einrichtungen durch die behandelnden Ärzte/Dokumentare mithilfe der Onlineregistersoftware MUKO.web dokumentiert. Mehr über MUKO.web erfahren Sie online unter www.muko.info/register.

Welche Daten der Patienten werden ausgewertet?

Für das Berichtsjahr 2020 fließen Registerdaten von 6.648 Patienten in die Auswertungen zur Demographie, Mukoviszidose-Diagnose und Mortalität ein. 2020 wurden alle 353 im Register dokumentierten transplantierten Patienten aus den Auswertungen zu Ernährungsstatus, Lungenfunktion, Lungeninfektionen, Komplikationen und Therapien ausgeschlossen, um die internationale Vergleichbarkeit weiter zu erhöhen. Detaillierte Informationen finden Sie online unter www.muko.info/vertrauensstelle

Wofür können die Daten genutzt werden?

Die Daten aus dem Mukoviszidose-Register können als Basis für klinische Studien herangezogen werden. Sie werden anhand von Patientendaten durchgeführt und sind Voraussetzung für die behördliche Arzneimittelzulassung. Eine Identifikation Ihrer Person oder der behandelnden Ambulanz ist zu jeder Zeit ausgeschlossen.

Beispiel: Post authorisation safety studies (PASS)

Die Zulassung neuer Medikamente ist für Patienten, Behandler, Arzneimittelhersteller und Zulassungsbehörden mit Hoffnungen, aber auch mit Fragen zur Langzeiteffektivität und -sicherheit verbunden. Die europäische Arzneimittelbehörde (EMA) fordert nach der Zulassung neuer Medikamente die Nachbeobachtung in einer repräsentativen Patientenpopulation, um das Auftreten von Nebenwirkungen über einen längeren Zeitraum zu erfassen. In der Vergangenheit wurden diese Arzneimittelsicherheitsstudien nach der erfolgreichen Zulassung, als sogenannte Phase-4-Studien oder auf Basis von Medikamentenregistern der Arzneimittelhersteller durchgeführt. Im Bereich der Mukoviszidose stellen Patientenregister, auch dank Ihrer Einwilligung zur Teilnahme am Deutschen-Mukoviszidose-Register nach einer aktuellen Stellungnahme der EMA eine Alternative dar.



Mukoviszidose-Register Auf einen Blick

Alle gezeigten Zahlen basieren auf dem Berichtsjahr 2020 (Datenstand: 10.06.2021).

88
Teilnehmende
CF-Einrichtungen

18 Erwachsene
(≥ 18 Jahre) im Register

28 %
43 %
59 %

55
Ø Lebenserwartung
eines heute geborenen Kindes

Registrierte Patienten

6.648
3.661
2.496

1995 | 2005 | 2020

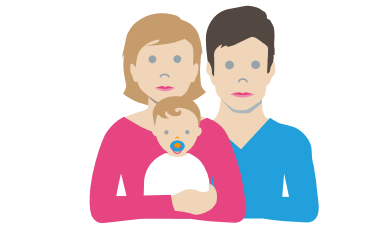
52 % Männer 48 % Frauen

12
6
1

Alter bei Diagnose
in Monaten

35 %
67 %
73 %

Diagnose
im 1. Lebensjahr

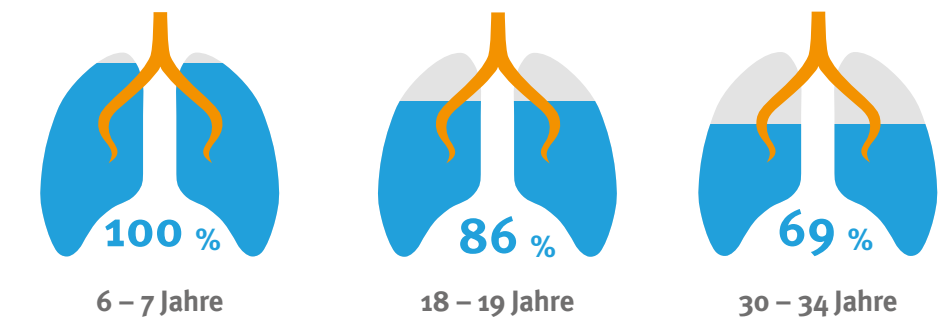


Mutter-/Vaterschaften

1995: 2
2005: 5
2020: 18

1995: 1
2005: 1
2020: 8

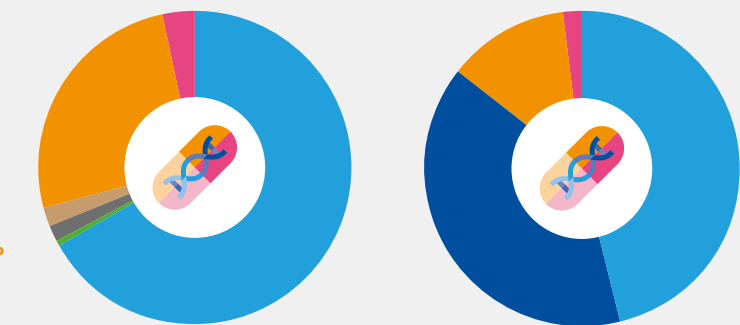
Lungenfunktion Median FEV1%



Häufigkeit Allele

F508del: 66 %
R117H: < 1 %
G554X: 2 %
G551D: 2 %
Andere Mutation: 27 %
Unbekannt/nicht identifiziert: 3 %

Genetik



Mutationskombinationen

F508del homozygot: 46 %
F508del heterozygot: 40 %
Andere Mutationen: 13 %
Unbekannt/nicht identifiziert: 2 %

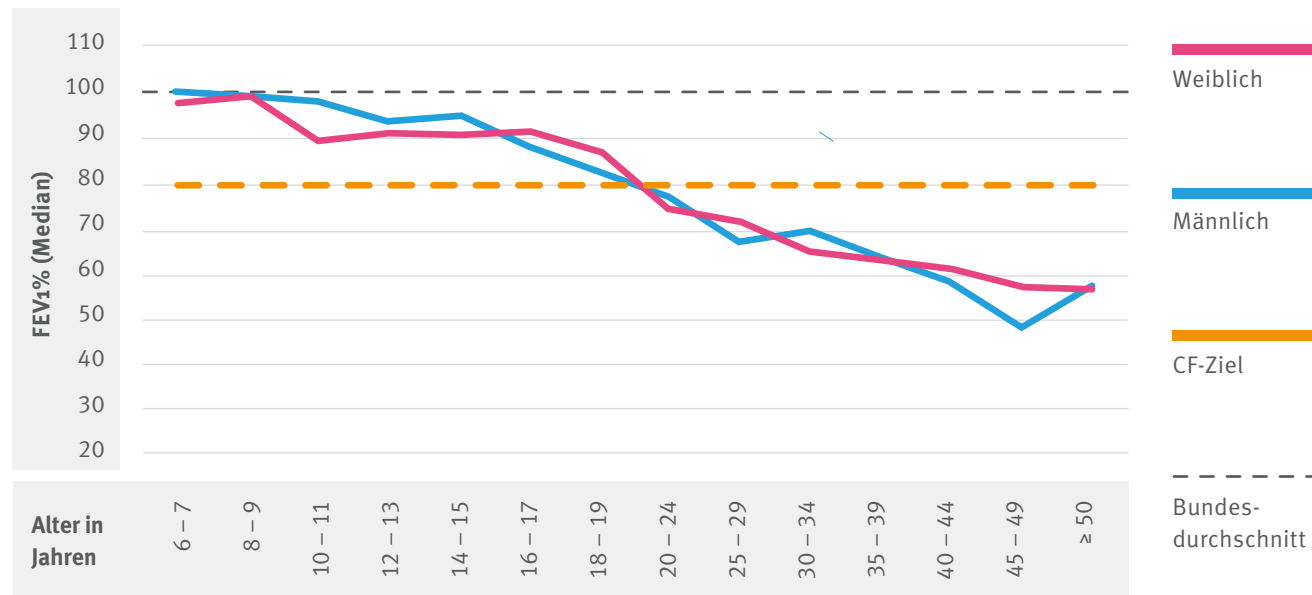


Herausgeber:
Mukoviszidose e.V. &
Mukoviszidose Institut gGmbH
In den Dauen 6, 53117 Bonn
E-Mail: info@muko.info
www.muko.info

Ansprechpartner für das Deutsche Mukoviszidose-Register:
Mukoviszidose Institut gGmbH
Qualitätsmanagement
Manuel Burkhardt
E-Mail: mburkhart@muko.info

Datenmanagement & statistische Auswertungen:
Universitätsmedizin der Johannes Gutenberg Universität
Interdisziplinäres Zentrum Klinische Studien (IZKS)
Langenbeckstraße 1
55131 Mainz
www.izks-mainz.de

Lungenfunktion



Wofür steht der FEV1%?

Der FEV1% ist der prozentuale Wert des durchschnittlichen FEV1, den gesunde Menschen des gleichen Alters, Geschlechts und Länge/Gewicht erreichen. Der individuelle FEV1% kann oberhalb von 100 % liegen. Der FEV1% kann Werte von über 140 % erreichen.

Ambulanzbetreuung

*bezogen auf Mukoviszidose-Patienten ab 12 Jahren.



Mukoviszidose-relevante Krankenhausaufenthalte

Kinder und Jugendliche unter 18 Jahren

Häufigkeiten der Anzahl der Mukoviszidose-relevanten Krankenhausaufenthalte pro Mukoviszidose-Patient im Berichtsjahr 2020 in %.

Krankenhausaufenthalte	0	1	2	3	4	5+	unbekannt
	66	18	6	2	1	<1	7

Erwachsene ab 18 Jahren

Krankenhausaufenthalte	0	1	2	3	4	5+	unbekannt
	67	17	6	3	2	1	3

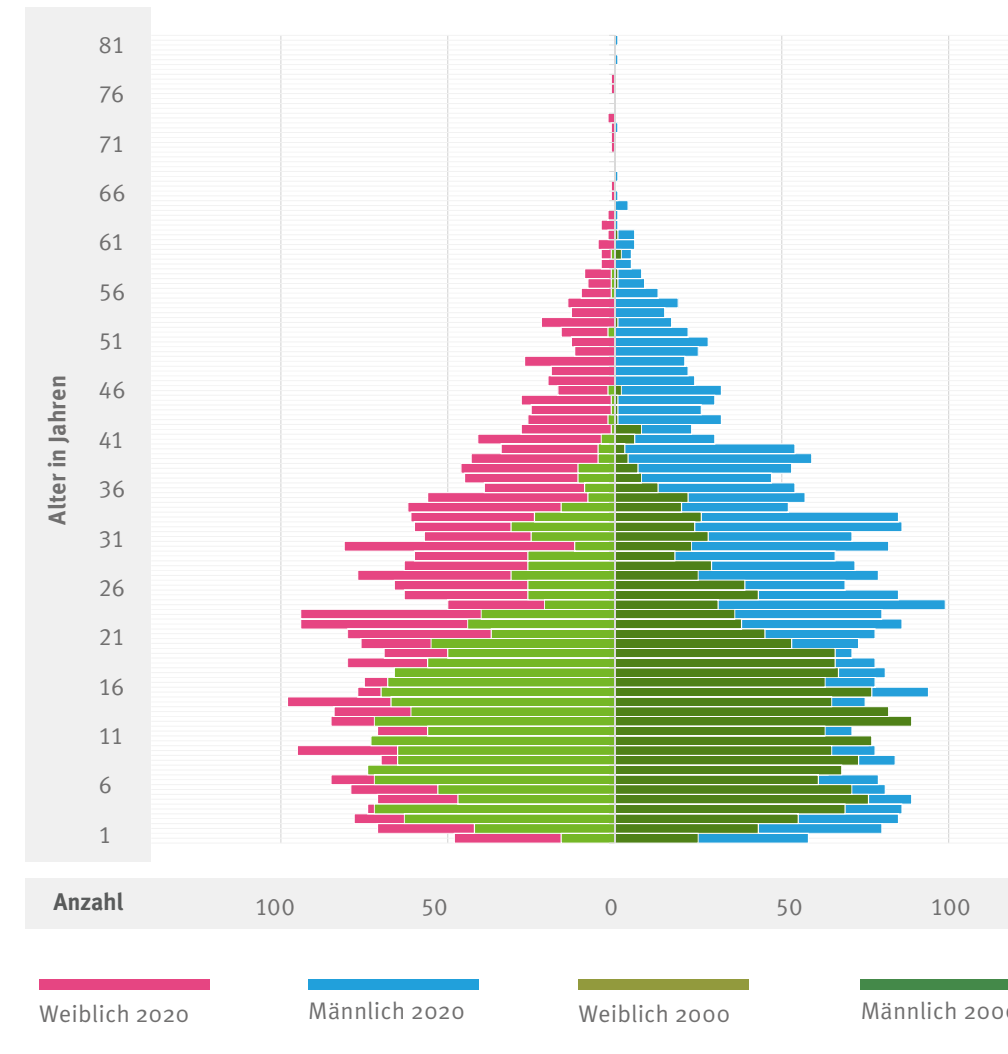
Mortalität

0 – 17 Jahre 5 %
 18 – 29 Jahre 25 %
 30 – 39 Jahre 37 %
 40 – 49 Jahre 16 %
 ≥ 50 Jahre 18 %

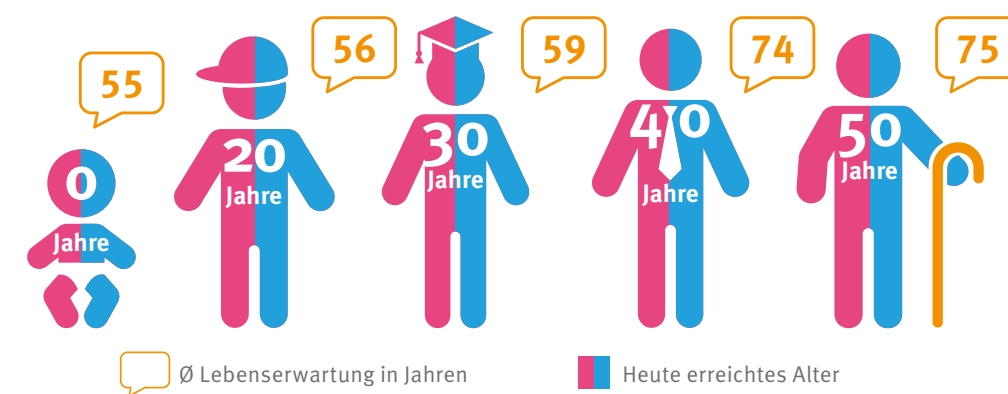
Häufigkeit der in 2020 verstorbenen Patienten (n=57) in %.



Anzahl der Menschen mit Mukoviszidose: 2000 versus 2020



Durchschnittliche Lebenserwartung in Jahren



Wie ist die Grafik zu lesen?

Die Grafik zeigt, wie hoch die durchschnittliche Lebenserwartung eines Menschen mit Mukoviszidose abhängig von seinem aktuellen Alter ist. Das bereits erreichte Alter steht in der Figur, die mittlere Lebenserwartung in der orangenen Sprechblase über dem Kopf. Für ein 2020 neugeborenes Kind (Alter = 0 Jahre) mit Mukoviszidose liegt die durchschnittliche Lebenserwartung bei 75 Jahren. Für einen heute 30 Jahre alten Mukoviszidosebetroffenen liegt die durchschnittliche Lebenserwartung bei 59 Jahren. Es erscheint paradox, dass ein älterer Patient eine höhere Lebenserwartung hat als ein Baby, aber mit zunehmendem Alter steigt die Lebenserwartung tatsächlich an, weil die betroffenen Patienten, das für Mukoviszidose kritische Alter zwischen 20 – 30 Jahren „überlebt“ haben. Gründe hierfür können eine hohe Therapietreue, neue Medikamente oder auch ein milder Verlauf der Mukoviszidose sein.

Anteil Erwachsene: 2000 vs. 2020

2000

64 % | 36 %



3.595 Patienten

2020

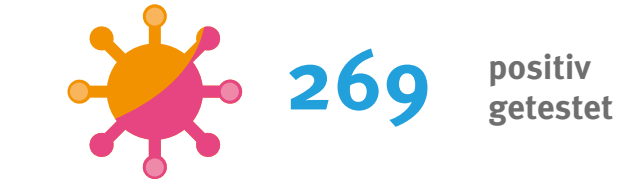
41 % | 59 %



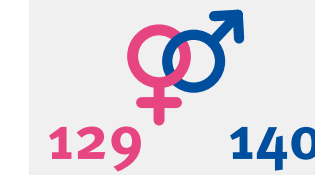
6.648 Patienten

- Kinder & Jugendliche < 18 Jahre
- Erwachsene ≥ 18 Jahre

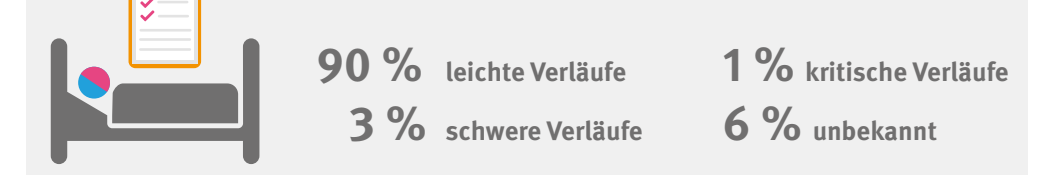
COVID 19



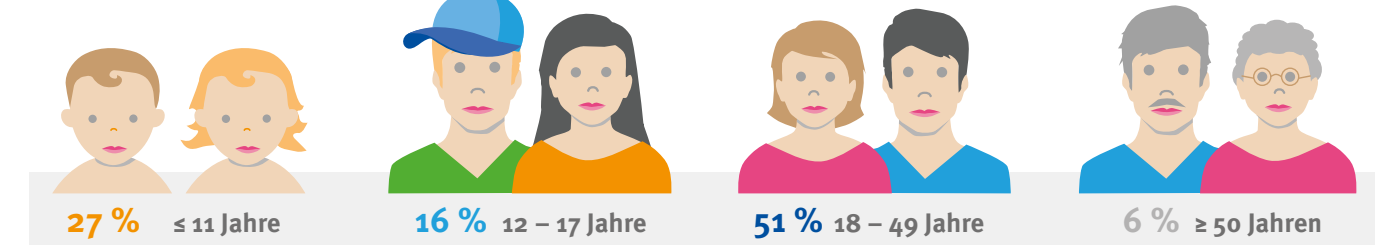
Geschlecht



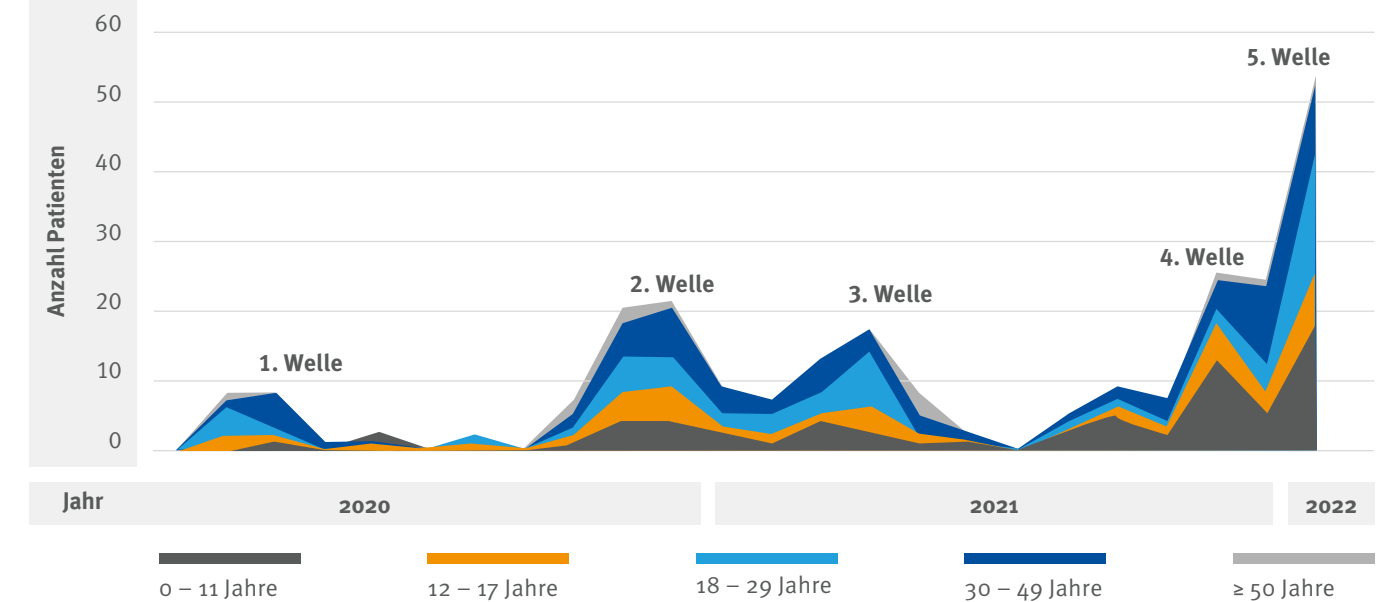
Verläufe



Altersstruktur



Positive PCR-Testungen nach Altersgruppen



Wo wurde die COVID-19 Infektion behandelt?

