



Zakres danych, definicje zmiennych i aspekty praktyczne Rejestru Europejskiego Towarzystwa Mukowiscydozy (ECFSPR)

Lek. Łukasz Woźniacki

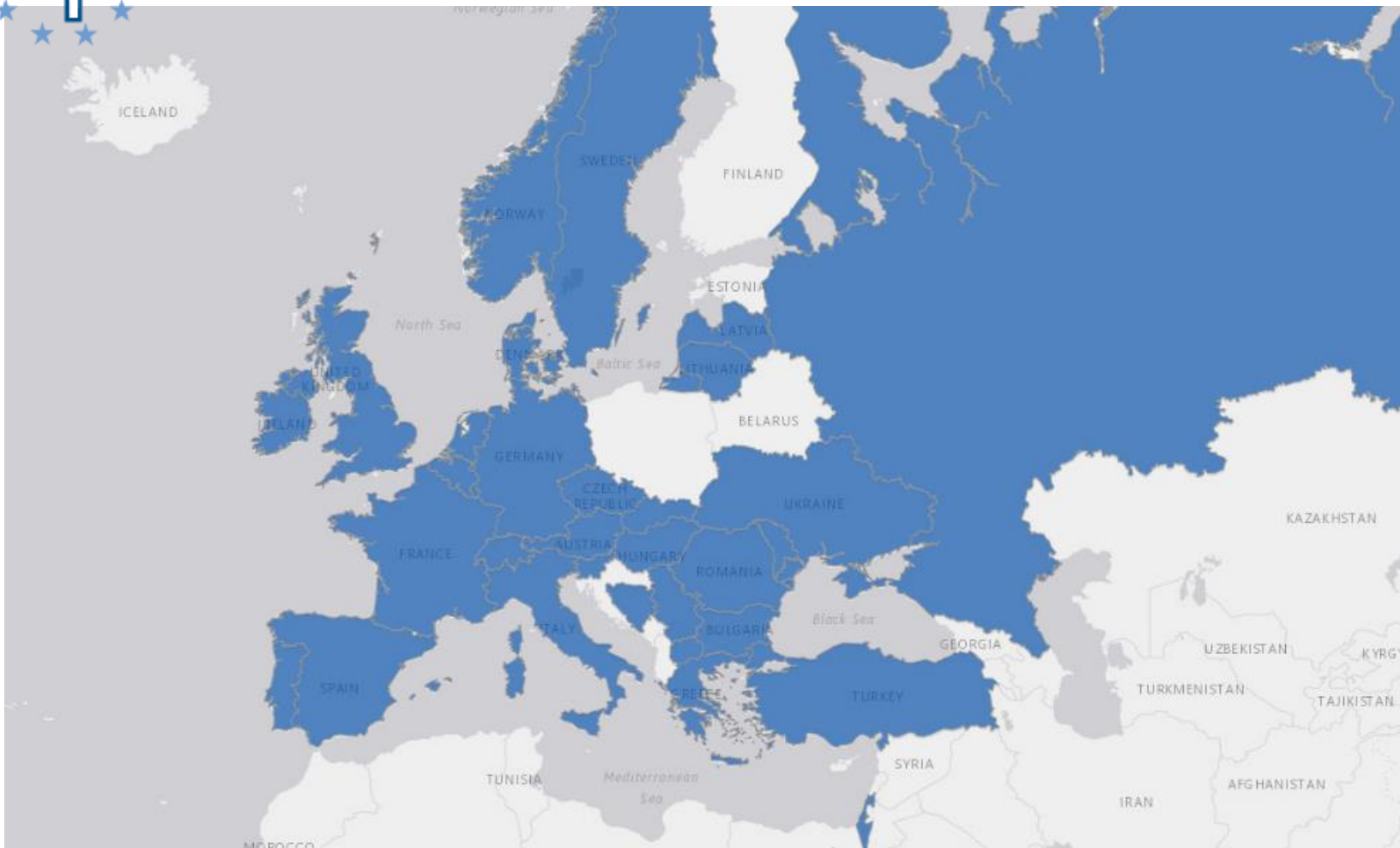
Zakład Mukowiscydozy IMiD Warszawa

Centrum Leczenia Mukowiscydozy w Dziekanowie Leśnym

Kierownik: Prof. dr hab. n. med. Dorota Sands



European Cystic Fibrosis Society Patient Registry (ECFSPR)



42 000 chorych
33 kraje

obserwacje
kliniczne od 2008r.



Przekazywanie danych medycznych pacjentów z mukowiscydozą do Europejskiego Rejestru Mukowiscydozy – uzasadnienie

O EUROPEJSKIM TOWARZYSTWIE MUKOWISCYDOZY

Europejskie Towarzystwo Mukowiscydozy (European Cystic Fibrosis Society – ECFS) jest medycznym towarzystwem naukowym zrzeszającym europejskich i międzynarodowych ekspertów we wszystkich dziedzinach związanych z mukowiscydozą. Misją towarzystwa jest poprawa przeżywalności i jakości życia chorych na mukowiscydozę poprzez promocję wysokiej jakości badań klinicznych, edukację i opiekę. Do głównych zadań ECFS należą:

- Rozwijanie wymiany informacji pomiędzy ekspertami w międzynarodowej sieci specjalistów (Allied Health Professionals)
- Organizowanie dorocznych konferencji naukowych szeroko poświęconych tematyce związanej z chorobą
- Promocja młodych badaczy
- Tworzenie europejskich standardów postępowania medycznego i opieki
- Wydawanie czasopisma poświęconego mukowiscydozie (*Journal of CF* – 6 numerów rocznie).

O EUROPEJSKIM REJESTRZE MUKOWISCYDOZY (EUROPEAN CYSTIC FIBROSIS SOCIETY PATIENT REGISTRY – ECFSPR)

W opiece nad chorymi z mukowiscydozą jako chorobie rzadkiej występującej z częstością poniżej 5 przypadków na 100 000 populacji, wysokiej jakości dane są kluczowe w podejmowaniu decyzji zarówno w odniesieniu do poszczególnego pacjenta jak i szerszej grupy chorych. Nawet największe ośrodki leczenia mukowiscydozy mają doświadczenia z ograniczoną liczbą pacjentów.

Przyczynami powstania Europejskiego Rejestru Mukowiscydozy była potrzeba zbierania jak najszerzej ilości danych, aby poszerzyć wiedzę o mukowiscydozie, poprawić skuteczność opieki zdrowotnej, stworzyć standardy postępowania klinicznego oraz wspierać rozwój badań naukowych.

Europejski Rejestr Mukowiscydozy zawiera anonimowe dane demograficzne i kliniczne ponad 30 000 pacjentów chorych na mukowiscydozę z 16 krajów europejskich. Dane te są wysokiej jakości i spełniają z góry ustalone kryteria, definicje oraz implementują system kodowania. Listę zmiennych i danych klinicznych przedstawia Załącznik nr 1.



Komisja Bioetyczna przy Instytucie Matki i Dziecka w Warszawie

Dane z rejestru mogą posłużyć m.in. do:

- porównywania wyników leczenia pomiędzy poszczególnymi krajami
- porównania skuteczności leczenia za pomocą poszczególnych metod (technik fizjoterapii, procedur chirurgicznych, terapii lekowych czy interwencji genetycznych)
- identyfikowania niekorzystnych zjawisk klinicznych u poszczególnych pacjentów (spadek parametrów spirometrycznych, zakażenie dróg oddechowych drobnoustrojami wysoce patogennymi)
- planowania potrzeb zdrowotnych dla pacjentów z mukowiscydozą
- identyfikowania grup pacjentów odnoszących szczególne korzyści z leczenia (terapia lekowa konkretnej mutacji).

DANE PRZEKAZYWANE DO REJESTRU

Na potrzeby przekazywania danych do rejestru Europejskie Towarzystwo Mukowiscydozy stworzyło dedykowane oprogramowanie komputerowe o nazwie ECFS Tracker. Oprogramowanie jest dostępne on-line, ma prosty interfejs użytkownika i umożliwia walidację danych na 3 różnych etapach: na etapie wprowadzania danych, na etapie przed wysłaniem oraz na etapie analizy statystycznej. Oprogramowanie nie wymaga instalacji ani aktualizacji na komputerze i umożliwia pracę w różnych formatach plików, m. in. XML oraz MS Excel. ECFS Tracker pozwala na tworzenie raportów oraz wyznaczanie trendów zarówno dla poszczególnych pacjentów, jak i wybranych grup.

Wprowadzane dane są weryfikowane automatycznie zgodnie z definicjami zawartymi w Załączniku nr 1. Do zbieranych danych klinicznych należy m. in. typ mutacji, stężenie chlorków w pocie, stosowane leki, florę bakteryjną dróg oddechowych, przebyte niedrożności smółkowej oraz dane antropometryczne.

BEZPIECZEŃSTWO DANYCH

Uzyskanie niezbędnych zgód pacjenta jest zasadniczą częścią przyłączenia się do Europejskiego Rejestru Mukowiscydozy, zgodnie z wymogami dyrektywy UE/95/46/WE. Pacjenci są powiadamiani o wszystkich planach dotyczących gromadzenia i przetwarzania danych.

Zgodnie z przepisami o ochronie danych osobowych, dane przechowywane na serwerze rejestru muszą być anonimowe. Wprowadzone dane są szyfrowane, rozpoznawalne tylko dla podmiotu, który wprowadził je do rejestru. Generowane są kody pacjenta, które przechowywane są tylko na komputerze wprowadzającego podmiotu. Ich wykaz jest zabezpieczony przez nazwę i hasło użytkownika, co uniemożliwia ich odczytanie przez osoby nieupoważnione. Zatem



Komisja Bioetyczna przy Instytucie Matki i Dziecka w Warszawie

dane kliniczne są dostępne tylko po wprowadzeniu odpowiedniej nazwy oraz hasła użytkownika.

Do bazy danych przesyłany będzie tylko kod pacjenta oraz dane demograficzne i kliniczne. Dane te będą zanonimizowane, co oznacza, że ani przy identyfikacji bezpośredniej ani pośredniej nie można zidentyfikować danej osoby.

Rejestr bazy danych jest zabezpieczony zgodnie z przepisami o ochronie danych UE, zarówno fizycznie jak i technicznie. Serwery rejestru znajdują się na terenie państw Unii Europejskiej.

ZAŁĄCZNIK NR 1

LISTA ZMIENNYCH I DANYCH KLINICZNYCH

DANE DEMOGRAFICZNE

KOD OŚRODKA MUKOWISCYDOZY
KOD PACJENTA
ROK OBSERWACJI
DATA URODZENIA
PŁEĆ
STAN PACJENTA
PRZYCZYNA ZGONU
DATA ZGONU

DIAGNOSTYKA

ROZPOZNANIE POTWIERDZONE
WIEK W MOMENCIE ROZPOZNANIA
RODZAJ TESTU POTU
ELEKTROLITY
WARTOŚĆ CHLORKÓW W POCIE
NIEDROŻNOŚĆ SMÓŁKOWA
BADANIE PRZESIEWOWE
NOWORODKÓW

GENOPTYP

PIERWSZA MUTACJA
DRUGA MUTACJA

DALSZE DZIAŁANIA

DATA NAJLEPSZEGO PARAMETRU FEV₁
WARTOŚĆ NAJLEPSZEGO PARAMETRU

LECZENIE

LECZENIE SOLĄ HIPERTONICZNĄ
LECZENIE WZIEWNYM ANTYBIOTYKIEM
LECZENIE WZIEWNYM BETA -
MIMETYKIEM
(bronchodylatatorem)
LECZENIE TLENEM
STOSOWANIE rhDNasy (Pulmozyny)
PRZEWLEKŁE STOSOWANIE
AZYTROMECCYNY
(lub innego antybiotyku)
STOSOWANIE KWASU
URSODEOKSYCHOLEWEGO
STOSOWANIE ENZYMÓW
TRZUSTKOWYCH

POWIKŁANIA

ALERGICZNA ASPERGILLOZA
OSKRZELOWO - PŁUCNA
CUKRZYCA, LECZENIE INSULINĄ
ODMA OPŁUCNOWA WYMAGAJĄCA
DRENAŻU
CHOROBY WĄTROBY
KRWIOPŁUCIE POWYŻEJ 250 ML
ELASTAZA W KALE
WYDALANIE TŁUSZCZU W KALE
WYSTĄPIENIE NOWOTWORU
ZŁOŚLIWEGO

MIKROBIOLOGIA

BURKHOLDERIA CEPACIA COMPLEX
ZAKAŻENIE PRĄDKAMI
NIEGRUŻLICZYMI
PSEUDOMONAS AERUGINOSA



FORMULARZ ŚWIADOMEJ ZGODY NA PRZEKAZYWANIE DANYCH
MEDYCZNYCH DO EUROPEJSKIEGO
REJESTRU MUKOWISCYDOZY
(EUROPEAN CYSTIC FIBROSIS SOCIETY PATIENT REGISTRY -
ECSPR)

Ja, niżej podpisany/a:

.....
.....
.....
..... imię i nazwisko pacjenta i/lub
jego opiekuna prawnego¹

oświadczam, że wyrażam zgodę na przekazywanie zakodowanych danych
medycznych pacjenta:

.....
..... imię i nazwisko pacjenta

do Europejskiego Rejestru Mukowiscydozy (European Cystic Fibrosis Society
Patient Registry - ECFSPR) w formie papierowej i/lub elektronicznej celem
poszerzania wiedzy o mukowiscydozie, porównywania wyników leczenia
pomiędzy innymi krajami , jak również porównywania skuteczności leczenia
poszczególnymi metodami.

.....
..... data
.....
..... podpis pacjenta i/lub jego opiekuna prawnego

.....
..... data
..... podpis osoby przyjmującej oświadczenie

1 w przypadku pacjentów, którzy ukończyli 16 lat wymagane są podpisy zarówno
pacjenta jak i jego opiekuna prawnego



[ABOUT US](#)[RESEARCH](#)[CARE](#)[EDUCATION](#)[CONFERENCES & EVENTS](#)[PUBLICATIONS](#)[CONTACT](#)[LOG IN](#)

ECFS PATIENT REGISTRY

Information about the ECFSPR for CF Patients

ECFS Patient Registry

[General Information](#)[Registry Guidelines](#)[Data Requests](#)[Publications](#)[Reports](#)[Which Patients should be Reported to the Registry?](#)[Registry Variables and Definitions](#)[Ethics and Patient Confidentiality](#)[Data Security](#)[Guidelines for the ECFSPR](#)

[General Information](#) / [Information about the ECFSPR for CF Patients](#)

Updated: 26 January 2012

Information about

What is the ECFS Patient Registry (ECFSPR)?

We all use lists in our lives and a registry is another name for a list, a registry is merely a secure place where the list is kept safe. The ECFSPR is a registry holding data on CF patients throughout the European Union and some of the neighbouring countries over an extended period of time.

Why do we need a CF patient registry?

DANE DEMOGRAFICZNE

KOD OŚRODKA MUKOWISCYDOZY

KOD PACJENTA

ROK OBSERWACJI

DATA URODZENIA

PŁEĆ

STAN PACJENTA

PRZYCZYNA ZGONU

DATA ZGONU

DIAGNOSTYKA

ROZPOZNANIE POTWIERDZONE

WIEK W MOMENCIE ROZPOZNANIA

RODZAJ TESTU POTOWEGO

ELEKTROLITY

WARTOŚĆ CHLORKÓW W POCIE

NIEDROŻNOŚĆ SMÓŁKOWA

BADANIE PRZESIEWOWE

NOWORODKÓW

LECZENIE

LECZENIE SOLĄ HIPERTONICZNĄ

LECZENIE WZIEWNYM

ANTYBIOTYKIEM

LECZENIE WZIEWNYM BETA -

MIMETYKIEM

(bronchodylatatorem)

LECZENIE TLENEM

STOSOWANIE rhDNasy

(Pulmozyme)

PRZEWLEKŁE STOSOWANIE

AZYTROMYCYN

(lub innego antybiotyku)

STOSOWANIE KWASU

URSODEOKSYCHOLEWEGO

STOSOWANIE ENZYMÓW

TRZUSTKOWYCH

GENOPTYP

PIERWSZA MUTACJA

DRUGA MUTACJA

DALSZE DZIAŁANIA

DATA NAJLEPSZEGO PARAMETRU

FEV₁

WARTOŚĆ NAJLEPSZEGO

PARAMETRU FEV₁

WARTOŚĆ NAJLEPSZEGO

PARAMETRU FVC

WZROST W MOMENCIE ZMIERZENIA

NAJLEPSZEGO PARAMETRU FEV₁

MASA CIAŁA W MOMENCIE

ZMIERZENIA NAJLEPSZEGO

PARAMETRU FEV₁

POWIKŁANIA

ALERGICZNA ASPERGILLOZA

OSKRZELOWO - PŁUCNA

CUKRZYCA, LECZENIE INSULINĄ

ODMA OPŁUCNOWA WYMAGAJĄCA

DRENAŻU

CHOROBY WĄTROBY

KRWIOPLUCIE POWYŻEJ 250 ML

ELASTAZA W KALE

WYDALANIE TŁUSZCZU W KALE

WYSTĄPIENIE NOWOTWORU

ZŁOŚLIWEGO

MIKROBIOLOGIA

BURKHOLDERIA CEPACIA COMPLEX

ZAKAŻENIE PRĄTKAMI NIEGRUŻLICZYMI

PSEUDOMONAS AERUGINOSA

STAPHYLOCOCCUS AUREUS

STENOTROPHOMONAS MALTOPHILIA

PRZESZCZEPIENIE

PRZESZCZEPIENIE WĄTROBY

DATA OSTATNIEGO PRZESZCZEPIENIA WĄTROBY (jeśli
wystąpił przed lub w tym roku)

PRZESZCZEPIENIE PŁUC

DATA OSTATNIEGO PRZESZCZEPIENIA PŁUC
(jeśli wystąpił przed lub w tym roku)

Kryteria włączenia – pewne rozpoznanie CF

- 2-krotnie chlorki w pocie > 60 mmol/l
- 1-krotny test chlorkowy > 60 mmol/l i 2 mutacje patogenne
- w przypadku testu potowego ≤ 60 mmol/l, co najmniej 2 z poniższych:
 - 2 mutacje patogenne
 - TPD – wynik potencjałów typowy dla CF
 - typowa manifestacja kliniczna.
- Możliwe wycofanie chorego z rejestru (z rozpoznania CF), jeśli:
 - badania genetyczne nie potwierdzają obecności 2 patogennych mutacji
 - TPD – wynik potencjałów typowy nie jest typowy dla CF
 - kilkakrotne prawidłowe testy potowe.



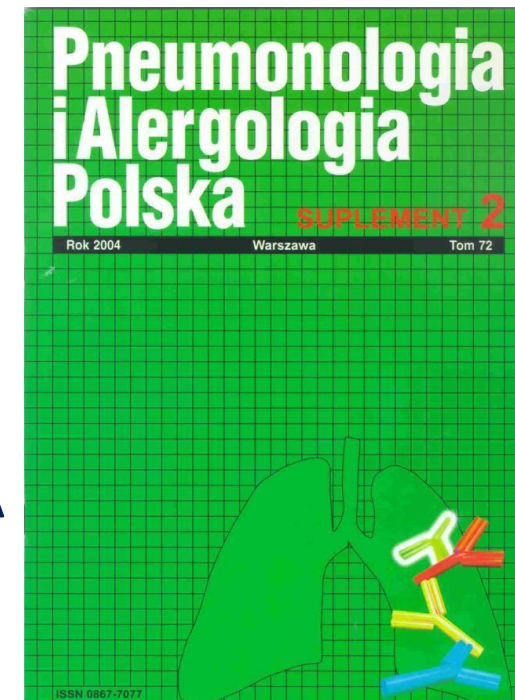
Testy potowe

- wskazane oznaczenie stężenie jonu chlorkowego (Cl⁻)
- wartość podana w mmol/l.
- Jeśli było wykonane podwójne oznaczenie, podajemy wartość najwyższą
- wartość akceptowalne 1-160 mmol/l. Jeśli wartości > 160, test musi zostać powtórzony.



Spirometria

- Badanie wykonywane zgodnie z wytycznymi ATS/ERS
- badanie wykonywane w odstępie min. 4 h od SABA i 12h LABA
- najwyższa wartość FEV1 i FVC w L
- $FVC > FEV1$
- niezbędna data badania oraz wzrost w celu określenia wn.
- obecnie stosowane wartości GLI-2012



wskaźnik odżywienia (BMI)

- pomiar masy ciała: w bieliźnie, bez butów i skarpetek
- wzrost : bez butów i skarpetek
- pomiary w dniu wykonywania spirometrii
- z-score dla wzrostu, masy ciała i BMI według wartości referencyjnych CDC



AAOP - kryteria

- ostre lub podostre pogorszenie kliniczne (kaszel, świsty, nietolerancja wysiłku, astma wysiłkowa, pogorszenie PFT, zwiększona produkcja wydzieliny) bez innej uchwytnej przyczyny
- IgE całk. > 500 IU/ml
- (+)Prick Test Ag > 3 mm lub (+) IgE sp. Asp. fumigatus
- 1 z poniższych
 - precypityny A. fumigatus lub p/c IgG anty-Asp. fumigatus
 - nowe zmiany w RTG klp (nacieki, korki śluzowe) lub w CT klp., które nie stępują po antybiotykoterapii i fizjoterapii.



choroba wątroby

- marskość z nadciśnieniem wrotnym: uszkodzenie wątroby przebiegające z włóknieniem, najczęściej w mechanizmie marskości żółciowej
- marskość bez nadciśnienia
- choroba wątroba bez marskości: stłuszczenie wątroby, ale nie marskość



status trzustkowy

- 2 oznaczenia obowiązkowe
- wydalenie tłuszczu w kale - dzieci młodsze $> 4-5\text{g/d}$, $> 7\text{g/d}$ u dzieci powyżej 10rż i dorosłych lub elastaza-1 $< 200\text{ ug/g}$



przewlekłe zakażenie ddo

- w > 50% posiewów, wykonywane w trakcie ost. 12 m-cy, min. 4 próbki
- i/lub istotny wzrost p/c przeciwko *P. aeruginosa* według normy dla danego laboratorium



ECFSTracker

- Dedykowane oprogramowanie dla mukowiscydozy
- nowa wersja oprogramowania w fazie testów
- Możliwość wprowadzania danych na każdej wizycie
- Generowane raporty roczne
- 3-poziomowa kontrola jakość wprowadzanych danych:
 - na etapie samego wprowadzania
 - kontrola tuż przed wysłaniem
 - kontrola przy analizie danych.



ECFSTracker – identyfikacja, bezpieczeństwo danych

- numer PESEL (social security No), numer ID w systemie informatycznym
- indywidualny numer nadawany przez ECFSTracker
- dane osobowe są połączone z indywidualnym numerem za pomocą pliku Lable File. Plik ten jest kodowany algorytmem *Corrected Block TEA* na poziomie protokołu HTTPS. Identyfikacja nazwiska możliwa jest tylko na poziomie danego ośrodka, a dostęp do pliku chroniony jest hasłem.
- dane osobowe są zakodowane
 - Hash: **3f3ad691990c6fb74ebce9d3c00b7afa**
 - String: Łukasz Woźniacki

22305746 (ID pacjenta: 177524, wiek: 17 lat) , nr k. gł. Ks.Gł./3311/2018 , nr k. oddz. Ks. Oddz. Chor. Pł./475/2018





Patient Encounters

Recent Patients

- 9714523847
- 9714523846
- 9714523841
- 6346353528

[Enrol Patient](#)[Browse Patient List](#)

Annual Summaries : Brussels

Trg Centre 1

Year	Brussels Trg Centre 1 Status
2018	Uninitialised
2017	Open
2016	Open
2015	Complete
2014	Submitted
2013	Admitted
2012	Admitted
2011	Admitted

Brussels Trg Centre 1 Reports

- Number of patients
- Age at follow-up / diagnosis
- Growth and lung function
- Therapy and Microbiology
- Complications

Miscellaneous

[Manage Centre](#)[Manage Forms](#)