

REJESTRY IDIOPATYCZNEGO WŁÓKNIENIA PŁUC (IPF) w EUROPIE

WSPÓŁPRACA POLSKI Z INNYMI KRAJAMI

*Prof.dr hab.n.med. Jan Kuś
Instytut Gruźlicy i Chorób Płuc
w Warszawie*

CHOROBY RZADKIE

(RARE DISEASES)

<1/ 1500 osób (USA)

<1/ 2000 osób (EU)

Istnieje ponad 7000 chorób rzadkich.

Około 6500 z nich nie ma numeru w klasyfikacji międzynarodowej.

W klasyfikacji **ICD** jest sklasyfikowanych ok. **30 000** chorób.

ZACHOROWALNOŚĆ NA IDIOPATYCZNE WŁÓKNIENIE PŁUC (wskaźnik na 100 000 ludności)

Kraj	Zapadalność (incidence)	Źródło danych
Grecja	0,93	Karakatsani A i wsp. Respir. Med. 2009; 103:1122-1129
Dania	1,3	Hyldegaard C i wsp. Resspir Med.2014;108:793-799
Japonia	2.23	Natsuizaka M i wsp. Am J Respir Crit Care Med 2014; 190:773-779
Norwegia	4.3	Von Plessen C i wsp. Respir Med 2003;97:428-435
USA	6,8	Raghu G. i wsp. Am J Respir Crit Care Med 2006;174;810-816
Wielka Brytania	8.04	Navaratnam V i wsp. Thorax 2011; 66:462-467
Włochy	9,3	Agabiti N. i wsp. Sarcoidosis Vasc Diffuse Lung Dis 2014;31:191-197
Wartość średnia	4,7	

SZACOWANA LICZBA ZACHOROWAŃ NA **IPF** W POLSCE

Województwo	Liczba ludności* Stan na 31.12.2013	szacowane	
		zachorowalność	chorobowość
Mazowieckie	5316840	250	909
Śląskie	4599447	216	787
Wielkopolskie	3467016	163	593
Małopolskie	3360581	158	575
Dolnośląskie	2909997	137	498
Łódzkie	2513093	118	430
Pomorskie	2295811	108	393
Lubelskie	2156150	101	369
Podkarpackie	2129294	100	364
Kujawsko- Pomorskie	2092564	98	358
Zachodnio- Pomorskie	1718861	81	294
Warmińsko- Mazurskie	1446915	68	247
Świętokrzyskie	1268239	60	217
Podlaskie	1194965	56	204
Lubuskie	1021470	48	175
Opolskie	1004416	47	172
POLSKA	38 495	1809	6 585

EURORDIS-NORD-CORD Joint Declaration of

10 Key Principles for

Rare Disease Patient Registries

1. Patient Registries should be recognised as a global priority in the field of Rare Diseases.
2. Rare Disease Patient Registries should encompass the widest geographic scope possible.
3. Rare Disease Patient Registries should be centred on a disease or group of diseases rather than a therapeutic intervention.
4. Interoperability and harmonization between Rare Disease Patient Registries should be consistently pursued.
5. A minimum set of Common Data Elements should be consistently used in all Rare Disease Patient Registries.
6. Rare Disease Patient Registries data should be linked with corresponding biobank data.
7. Rare Disease Patient Registries should include data directly reported by patients along with data reported by healthcare professionals
8. Public-Private Partnerships should be encouraged to ensure sustainability of Rare Disease Patient Registries.
9. Patients should be equally involved with other stakeholders in the governance of Rare Disease Patient Registries.
10. Rare Disease Patient Registries should serve as key instruments for building and empowering patient communities.

WAŻNIEJSZE CELE REJESTRÓW I KORZYŚCI

1. Uzyskanie wiarygodnych danych epidemiologicznych
2. Doskonalenie charakterystyki choroby
3. Analiza i ocena jakości opieki zdrowotnej nad chorymi
4. Standaryzacja i optymalizacja procedur leczniczych
5. Tworzenie hipotez naukowych do kontrolowanych badań klinicznych
6. Opracowywanie metod profilaktycznych
7. Badanie psychospołecznych skutków choroby
8. Rekrutacja do badań klinicznych
9. Tworzenie sieci terapeutycznych, systemów konsultacji, wytycznych diagnostyki i leczenia
10. Rozprowadzanie informacji wśród chorych

REJESTRY CHORÓB RZADKICH W KRAJACH UNII EUROPEJSKIEJ

COUNTRY	REGIONAL	NATIONAL	EUROPEAN	GLOBAL	NOT DEFINED	TOTAL
AT - Austria	1	14	0	2	0	17
BE - Belgium	2	17	2	1	0	22
BG - Bulgaria	0	11	0	0	0	11
CH - Switzerland*	1	5	1	2	0	9
CY - Cyprus	0	1	0	0	0	1
CZ - Czech Republic	0	4	0	0	0	4
DE - Germany	9	73	0	36	1	119
DK - Denmark	1	3	0	0	0	4
EE - Estonia	0	2	0	0	0	2
ES - Spain	13	35	1	2	0	51
FI - Finland	0	8	0	0	0	8
FR - France	18	93	13	4	1	129
GR - Greece	0	2	0	0	0	2
HR - Croatia	0	1	0	0	0	1
HU - Hungary	0	4	0	0	0	4
IE - Ireland	4	7	0	0	0	11
IL - Israel*	0	2	0	0	0	2
IS - Iceland*	0	2	0	0	0	2
IT - Italy	7	48	3	8	2	68
LT - Lithuania	0	1	0	0	0	1
LU - Luxembourg	0	1	0	0	0	1
LV - Latvia	0	1	0	0	0	1
MK - Republic of Macedonia*	0	1	0	0	0	1
MT - Malta	0	2	0	0	0	2
NL - Netherlands	1	12	4	9	0	26
NO - Norway*	0	4	4	0	0	8
PL - Poland	3	5	1	0	0	9
PT - Portugal	5	11	0	0	0	16
RO - Romania	0	2	0	0	0	2
RS - Serbia*	0	4	0	0	0	4
SE - Sweden	0	14	1	3	0	18
SI - Slovenia	0	2	0	0	0	2
SK - Slovakia	0	2	0	0	0	2
TR - Turkey*	0	4	0	0	0	4
UA - Ukraine*	0	1	0	0	0	1
UK - United Kingdom	12	47	10	7	0	76
TOTAL	77	446	40	74	4	641

*surrounding countries participating to the Orphanet consortium

REJESTR IPF (SWP) OCZEKIWANIA I WYMAGANIA

- **Rejestr naukowy z wysokim progiem rekrutacji**
- Rozbudowane kryteria włączenia i wyłączenia
- Bardzo duża ilość informacji, w tym wyniki bardzo specjalistycznych badań
- Centralna weryfikacja danych (wiarygodność, kompletność) i kwalifikacja do rejestru
- Wymaga dużego zespołu, dużego nakładu pracy, jest kosztowny
- **Efekt**
- Bardzo wyselekcjonowana grupa chorych
- Duża wartość naukowa
- Nie odzwierciedla realnej sytuacji
- Nie pozwala uzyskać rzeczywistych danych epidemiologicznych

REJESTR IPF (SWP) OCZEKIWANIA I WYMAGANIA

- **Rejestr kliniczny z niskim progiem rekrutacji**
- Mniej informacji
- Nie ma centralnej weryfikacji zgłaszanych danych, możliwe konsultacje „on demand”
- **Efekt**
- Pozwala uzyskać bardziej zbliżony do realnego obraz rozpoznawania i leczenia choroby na danym obszarze
- Prawie wszyscy chorzy otrzymujący swoiste leczenie znajdą się w rejestrze
- Uzyskane dane epidemiologiczne są zbliżone do rzeczywistych

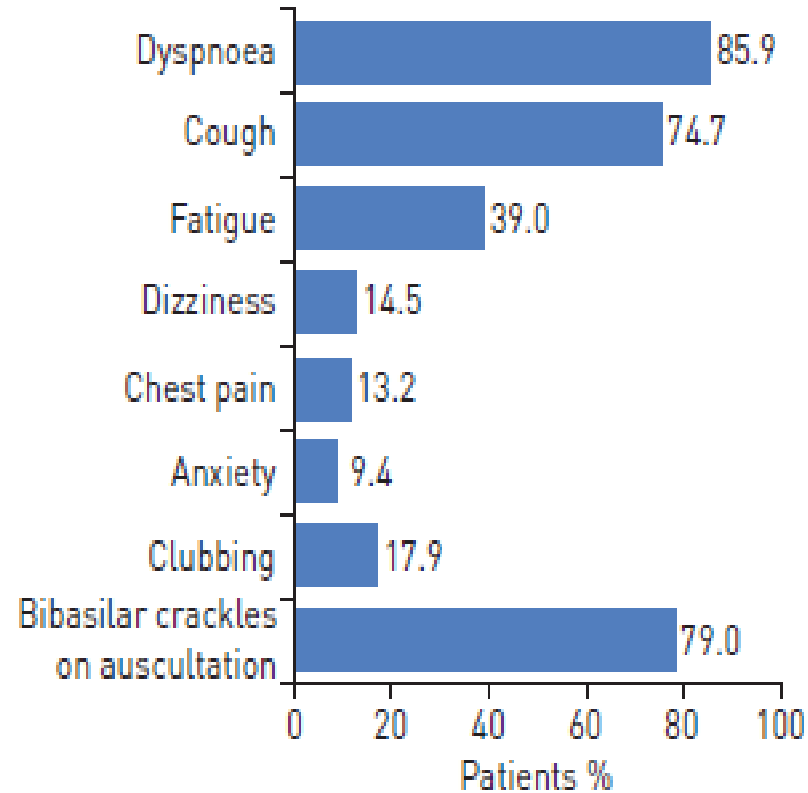
REJESTRY IPF (SWP)

Rejestr INSIGHT –IPF

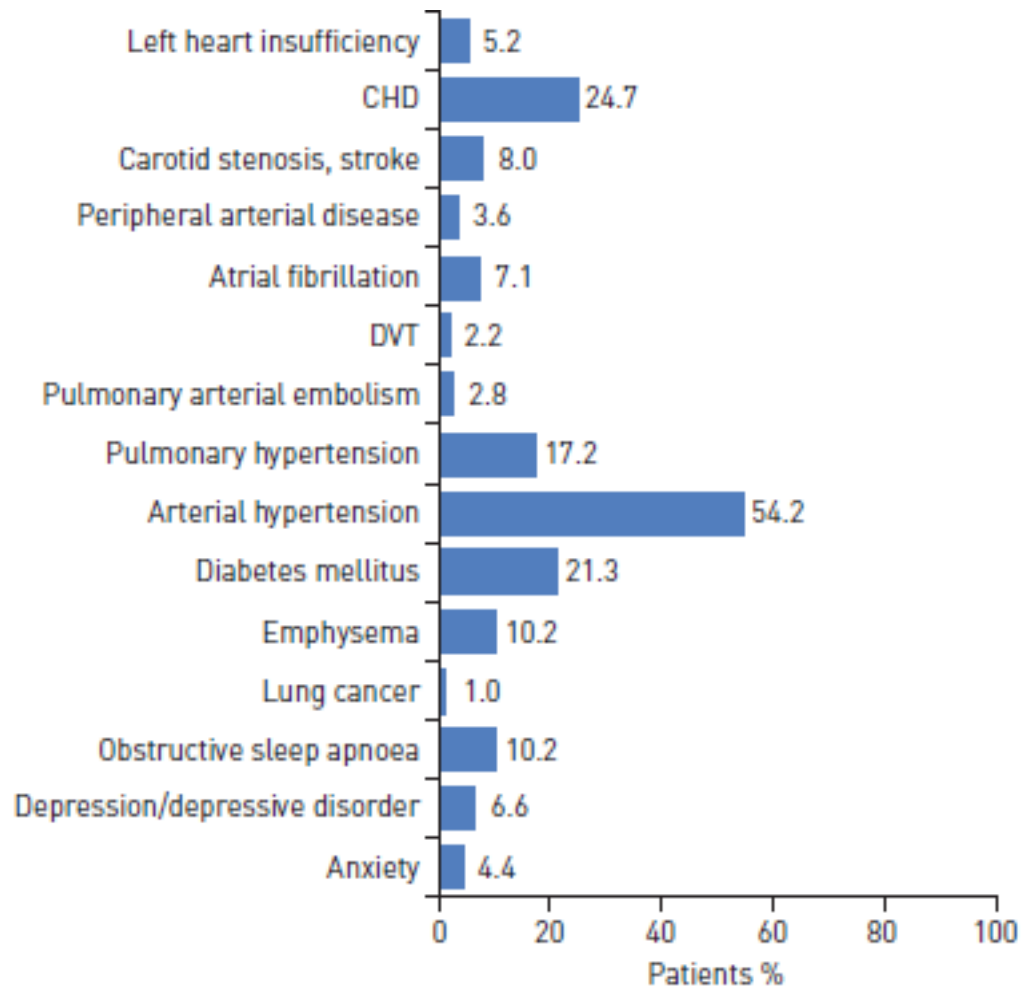
(Investigating Significant Health Trends in Idiopathic Pulmonary Fibrosis), utworzony w 2012.

- Sponsor: Gesellschaft für Wissenschaftstransfer (GWT-TUD GmbH) w 100% subsydiowane przez Uniwersytet w Dreźnie (Technical University of Dresden)
- Źródła zbierania danych: 19 specjalistycznych ośrodków pneumonologicznych z terenu całych Niemiec
- Rejestr elektroniczny, weryfikacja danych „on-site” w ok.20% ośrodków
- 502 chorych (27 Oct.2014).

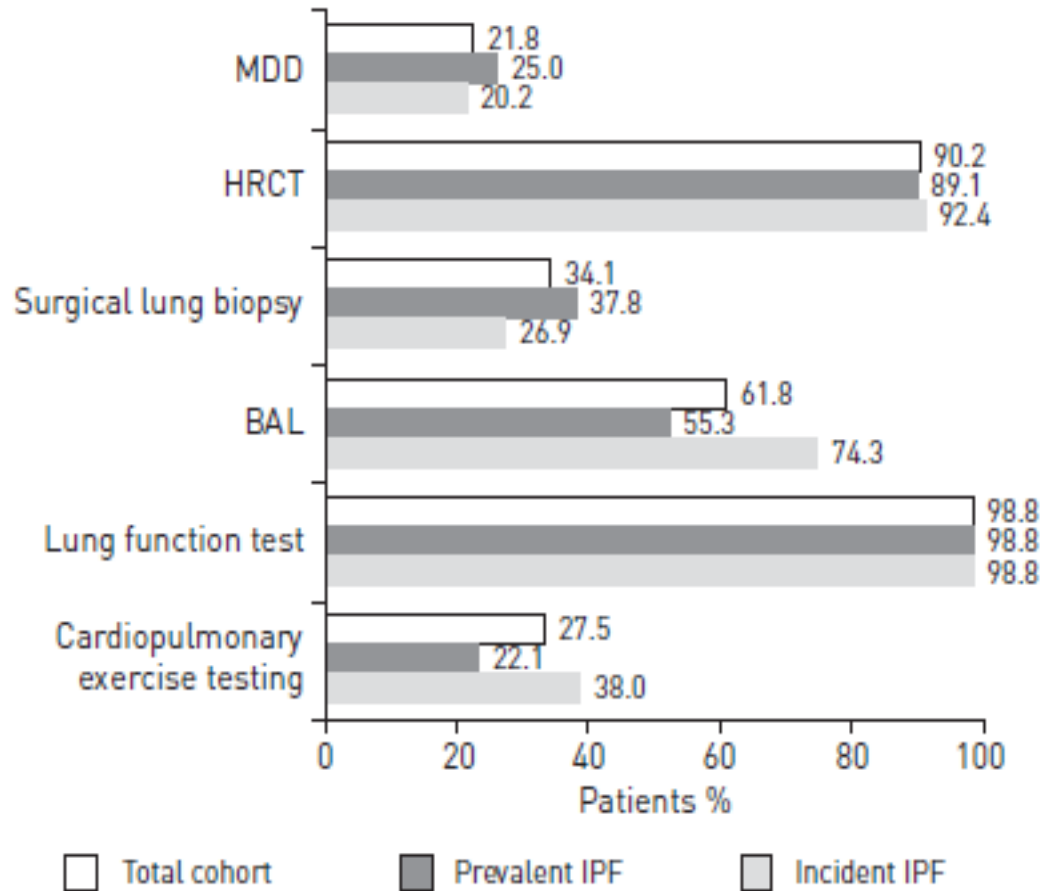
Rejestr INSIGHT –IPF



Rejestr INSIGHT –IPF



Rejestr INSIGHT –IPF



REJESTR IPF (SWP) W REPUBLIKIE CZESKIEJ

- Rozpoczęty VI/2012,
- administrowany przez Instytut Biostatystyki i Analiz (IBA) Uniwersytetu Masaryka w Brnie
- Właściciel rejestru: Czeskie Towarzystwo Pneumonologii i Ftizeologii
- Zawiera dane zbierane z centrów ILD w Republice Czeskiej
- Raporty z Rejestru są wydawane co miesiąc
- Na żądanie: podstawowa ocena statystyczna danych demograficznych, badań czynnościowych, HRCT, wyników leczenia....
- Raport z 1 marca 2015 – 394 chorych
114 leczonych pirfenidonem, 12 nintedanibem

Centralization of care for IPF in the Czech Republic- 10 centres specialized for ILDs

1.	Prague	Thomayer Hospital, Department of Pulmonary Medicine + General University Hospital in Prague, Department of Tuberculosis and Respiratory Diseases + Hospital Na Bulovce, Department of Pulmonary Medicine and Thoracic Surgery
2.	Prague	University Hospital in Motol, Department of Pulmonary Medicine
3.	Plzen	University Hospital Plzen, Department of Tuberculosis and Respiratory Diseases
4.	Hradec Kralove Pardubice	University Hospital Hradec Kralove, Department of Pulmonary Medicine Regional Hospital Pardubice, Department of Pulmonary Diseases and Tuberculosis
5.	Olomouc Kroměříž	University Hospital Olomouc, Department of Pulmonary Diseases and Tuberculosis + Hospital Kromeriz, Department of Pulmonary Medicine and Allergology
6.	Brno Znojmo Jihlava	University Hospital Brno, Department of Pulmonary Diseases and Tuberculosis + Hospital Znojmo, Department of Pulmonary Medicine + Hospital Jihlava, Department of Pulmonary Medicine
7.	Usti nad Labem	Regional Medical Association, JSC - Masaryk Hospital in Usti nad Labem, Department of Pulmonary Medicine
8.	Ceske Budejovice	Hospital Ceske Budejovice, JSC, Department of Pulmonary Medicine and Tuberculosis
9.	Ostrava Novy Jicin	University Hospital Ostrava, Department of Tuberculosis and Respiratory Diseases + Hospital Novy Jicin, Department of Pulmonary Medicine

European MultiPartner IpF Registry - EMPIRE

Inicjator projektu:

Uniwersytet Masaryka w Brnie
Instytut Biostatystyki i Analiz (IBA)
Ul. Kotlarska 2
61137 Brno, Republika Czeska

Koordynator/Kierownik Naukowy: prof. Martina Vasakova MD, PhD

Department of respiratory Medicine. Charles university, Prague, Czech
Republic

Członkowie Komitetu Naukowego (Steering Committee):

CZ:. Ass.Prof. Martina Vasakova,
CZ:.Dr Martina Sterclowa, Czechy
HU:.Prof.Veronika Muller, Węgry
PL:.Prof. Jan Kuś, Polska
SK:.Prof. Marta Hajkova, Słowacja

EMPIRE

European MultiPartner REgistry

- Badanie wielośrodkowe, międzynarodowe, nie interwencyjne
Rejestr chorych na SWP z Republiki Czeskiej i krajów Europy Centralnej oraz Wschodniej
- Właściciel danych z dostępem do bazy: narodowe towarzystwa pneumonologiczne
- Narodowy przedstawiciel z każdego kraju w Komitecie Naukowym (Steering Committee)
- Przewodnicząca/koordynator: **prof. Martina Vasakova**,
Dpt of Respiratory Medicine 1st Medical School Charles University
Thomayer Hospital, Prague

Państwa z których zbierane są dane do rejestru EMPIRE

- Aktualnie uczestniczą: **Republika Czeska -10 ośrodków**
- **Polska – 6 ośrodków, Węgry – 5 ośrodków , Słowacja-6 ośrodków**
- Zgłosiły chęć uczestnictwa: **Izrael, Turcja, Bułgaria, Chorwacja**
- Pozostałe kraje regionu mogą również przystępować



CELE REJESTRU EMPIRE

- **Cele pierwszorzędowe:**
 - Określenie zachorowalności, chorobowości i śmiertelności na IPF w krajach Europy Centralnej i Wschodniej
- **Cele drugorzędowe:**
 - Opisanie podstawowej charakterystyki chorych (wiek, płeć, czynniki ryzyka etc.)
- **Cele trzeciorzędowe:**
 - Poznanie rzeczywistego (real life) stanu diagnostyki i leczenia chorych na SWP w krajach ECIW:
 - algorytmy diagnostyczne,
 - sposoby leczenia,
 - wyniki leczenia, przeżycie, jakość życia,
 - koszty opieki (leczenia).
 - Orientacja co do liczby chorych do ewentualnych badań klinicznych.

REJESTR **IPF** DLA EUROPY CENTRALNEJ

European MultiPartner IPF Registry - EMPIRE



INSTITUTE OF BIOSTATISTICS AND ANALYSES

Faculty of Medicine and Faculty of Science of the Masaryk University

Kamenice 126/3
625 00 Brno

<http://www.iba.muni.cz>
helpdesk@iba.muni.cz

tel.: +420 549 49 8281
fax: +420 549 49 2855



Status as on: 11/1/2015 12:08 AM

EMPIRE

Report generated: 11/1/2015 2:10

Country	Diagnosis changed	Number of patients	New enrolled patients in 10/201	Patients involved into CT	Ongoing treatment	
Centre	All	All	All	INVOLVED INTO CT	Esbriet	Nintedanib
Hungary	0	28	2	0	0	9
Debrecen University Clin. C. - Center for Pulm.	0	2	0	0	0	0
Deszk-Csongrád County Hospital for Chest Diseases	0	2	0	0	0	0
Nat.Korányi TBC and Pulm Institute-Dep. of Pulm.	0	0	0	0	0	0
Pécs University - Department of Pulmonology	0	2	0	0	0	1
Petz Aladár County Teaching Hosp. - Dep. of Pulmo.	0	6	1	0	0	1
Semmelweis University - Department of Pulmonology	0	16	1	0	0	7
Poland	0	79	13	16	2	0
Inst. of Tuberc. and Lung Dis. Warsaw - I Dep	0	41	9	5	1	0
Inst. of Tuberc. and Lung Dis. Warsaw - III Dep	0	18	0	0	0	0
Inst. of Tuberc. and Lung Dis. Warsaw - IV Dep	0	3	3	0	0	0
Medical University of Lodz - Dep. Pneum. & Allerg.	0	11	0	10	0	0
Śląski Uniwersytet Medyczny - Kat. i Klin. Pneum.	0	5	1	0	1	0
Szpital Gdańsk. Uniw. Med. - Klin. Alerg. i Pneum.	0	1	0	1	0	0
Serbia	0	13	2	0	0	0
Clin. Centre of Serbia - Clinic for Pulm. Diseases	0	13	2	0	0	0
Slovakia	0	18	18	0	0	1
Levice - Ambulancia pneumológie a ftizeológie	0	0	0	0	0	0
Národný ústav tuberkulózy a pľúcnych chorôb	0	18	18	0	0	1
Nitra - ŠN sv. Svorada - Odd. funkčnej diagnostiky	0	0	0	0	0	0
UN Bratislava - Klinika pneumológie a ftizeológie	0	0	0	0	0	0
UN L. Pasteura Košice - Klin. pneum. a ftizeológie	0	0	0	0	0	0
UN Martin - Klinika tuberkulózy a resp. chorôb	0	0	0	0	0	0
Total	3	618	41	50	157	36

REJESTR **IPF** DLA EUROPY CENTRALNEJ

European MultiPartner IPF Registry - EMPIRE

- Aktualnie prowadzone projekty badawcze na podstawie danych z rejestru:
- *Wczesne rozpoznanie IPF – czy ma wpływ na przeżycie chorych?*
- *Analiza fenotypów IPF*
- *Analiza genomu chorych na IPF (tylko na materiale czeskim)*