

# Die CF Behandlung auf der Basis erforschter Massnahmen

Enzymersatz	Kreon
Leberfunktion	Ursofalk (Ursodesoxycholsäure)
Fettlöslichen Vitamine, Salz	Vit E Biogelat, Carotabene, AquADEKs, Supradyn, Vit D, Vit K, Salzlösung, Salzkapseln...
Inhalations-therapie	Berodualin, Sultanol, Pulmozyme, NaCl 0.9%-6%
Antibiotika	oral: Augmentin, Keflex, Ospexin, Ciproxin... i.v.: Tobrasix, Fortum, Tazonam, Meropenem, Lidaprim,.. inhalativ: Bramitop ,Tobi Podhaler, Colistin, Colobreathe, Cayston,...
Atemtherapie	PEP, Flutter, Blasespiele, Klopfen, Trampolin,...
Ernährung	Hochkalorische Ernährung, PEG-sonde
Psychologie	Motivation, Sport
Modulatoren	Potentiatoren (Ivacaftor), Korrektoren (Lumicaftor)

# CF-NG-Screening Austria: 1997-2014



• Geburten	1.347914	(78 000/J)
• 1. IRT erhöht	9305	=0.69%
• 2. IRT erhöht	2323	=0.17%
• Missed CF	18	=0.0013%
• CF-Diagnose	390	
	22-23/J	=0.029%

Inzidenz	1:3450
Mittleres Diagnosealter	6.7 Wochen

# CF Screening Inzidenz



---

1997-2001	1:3400
2002-2006	1:3300
2007-2011	1:3900
<u>2012-2014</u>	<u>1:3300</u>
Ingesamt	1:3450

# CF Transition

---

- Seit 20 Jahren:  
Start: Kinderklinik AKH Wien zu KH  
Hietzing-Pulmologie
- Mittlerweile nachfolgende Zentren in ganz  
Österreich - siehe Karte
- „Transition“ ist ein Programm, keine  
„Transferierung“

## CF Transition: wie beginnt es?

---

- Initiative muss vom Kinderzentrum ausgehen  
motivierten Erwachsenen – Mediziner aufspüren
- Voraussetzung für Erwachsenen-Zentrum  
schaffen: organisatorisch, interdisziplinäres  
Team, hygienische und räumliche  
Anforderungen
- Kontakt und Miteinbeziehung des regionalen  
Selbsthilfevereins (nicht nur finanzielle  
Unterstützung, auch ideelle Unterstützung des  
Programmes wesentlich)

# CF Transition Voraussetzungen

---

## **Kinderzentrum**

- Bereitschaft, Betreuung abzugeben
- so früh wie möglich Eltern und später Patient selbst informieren über Erwachsenen – Zentrum
- muss überzeugt sein von Qualität des Erwachsenenmediziners und des Zentrums

## **Erwachsenenzentrum**

- Verständnis für Sorgen der Pädiater, der Patienten und Eltern
- Aufbau einer Vertrauens- und Kooperationsbasis

# CF Transition

---

## **Kinderzentrum**

- Intensive Förderung und Unterstützung am Weg in die Selbstständigkeit
- Unterstützung der Eltern beim Loslassen

## **Erwachsenenzentrum**

- Frühzeitige Präsenz schon lange vor Übergabe

# CF Transition

---

## **Kinder und Erwachsenenzentrum:**

- Gemeinsame Visiten ab dem 16. Lebensjahr
- Jährliche gemeinsame Evaluierung
- schriftliches Informationsmaterial über Erwachsenenzentrum



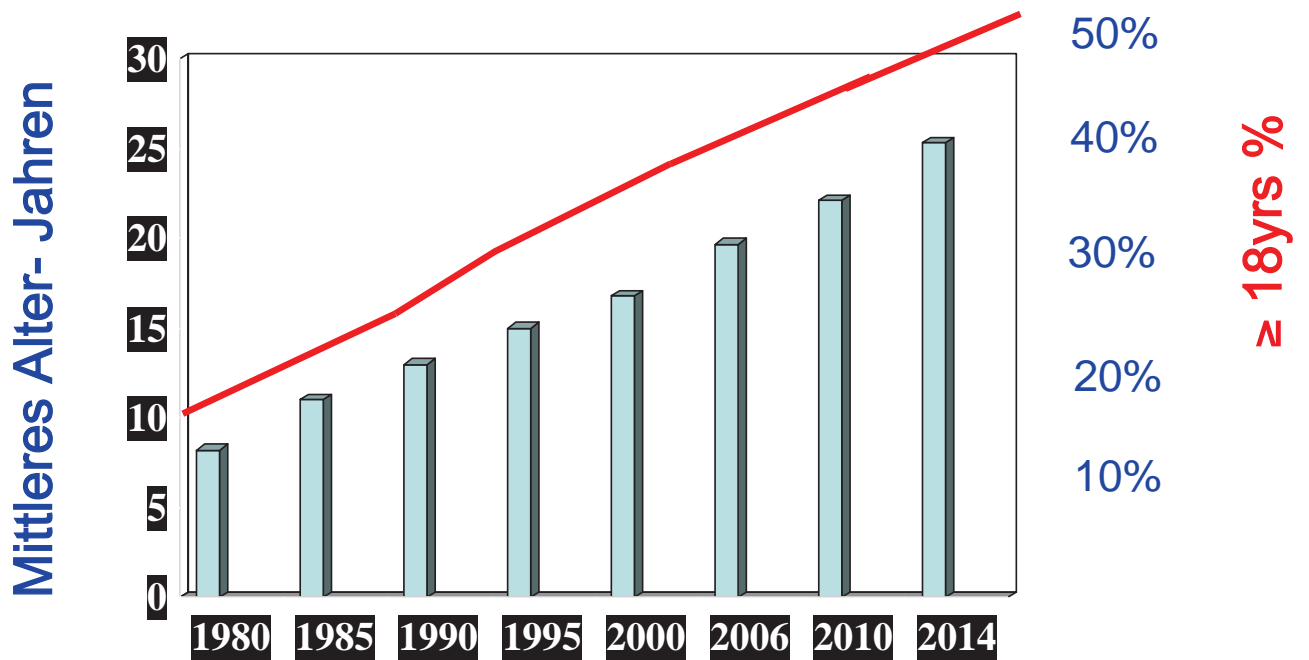
# CF Transition-Schlussfolgerung

---

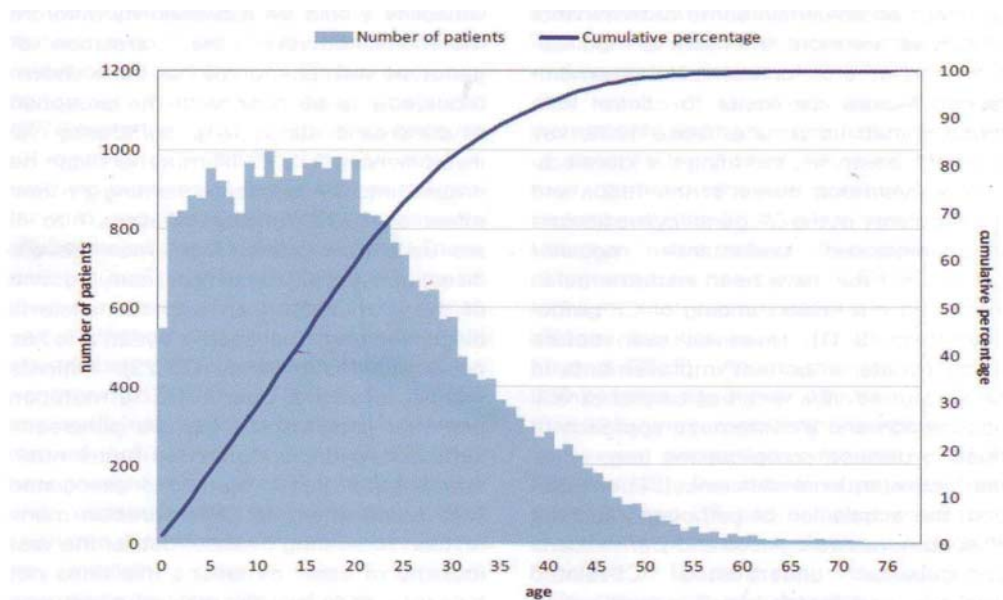
- Transitionprogramm erfordert großen Aufwand und Engagement
- Alle Beteiligten müssen vom Programm überzeugt sein
- Programm muss von pädiatrischen und vom Erwachsenen Team gemeinsam erarbeitet und getragen werden
- Programm muss regelmäßig evaluiert werden

# CF: Altersentwicklung seit 1980

Qualitätssicherung Mukoviszidose 2014



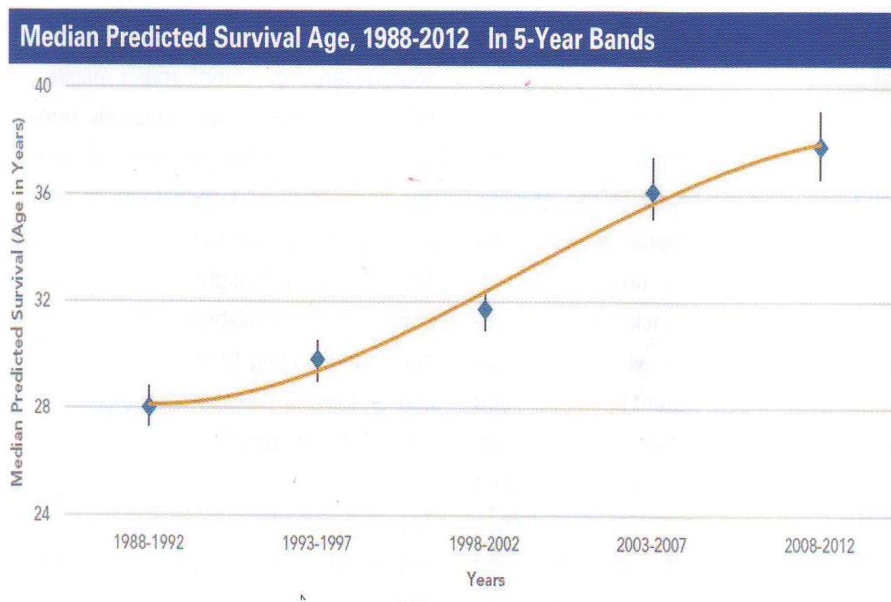
# Alter der Patienten in Europa (2010)



Each blue vertical bar represents the number of patients of that age alive in 2010. The cumulative percentage (blue line, right vertical axis) describes how many patients (as a percentage) are below a certain age (e.g. 50% of the patients are less than 18 years of age).

**Fig. 2** Cross-sectional data of patient age in Europe, 2010. (Reproduced with permission from European Cystic Fibrosis Society [6].)

# Mediane Lebenserwartung in US (1988 – 2012)



**Fig. 1** Cystic fibrosis patients under care at CF Foundation-accredited care centers in the United States, who consented to have their data entered in 2012 - Median predicted survival, 1986–2012 (using 5-year bands on the x-axis to reduce year-to-year variability). (Reproduced with permission from Cystic Fibrosis Foundation [3].)

# Cystische Fibrose

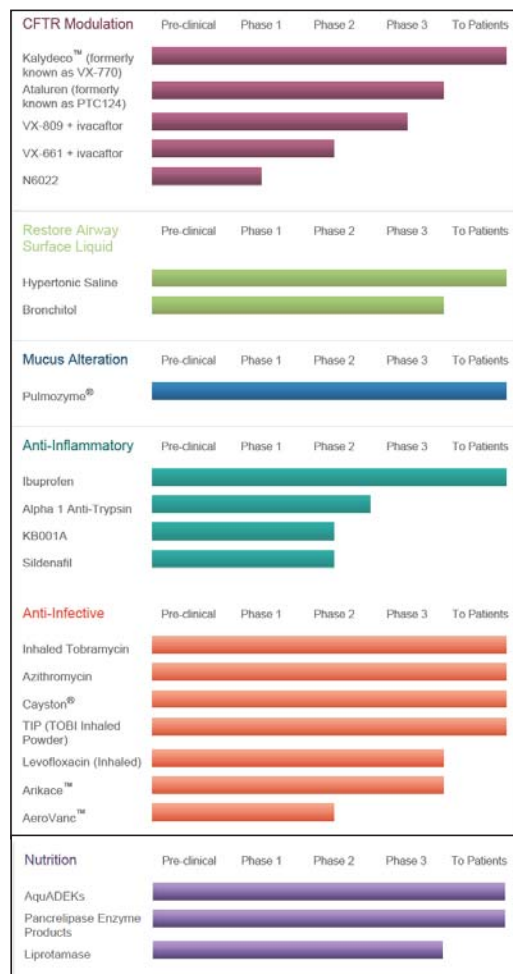
**Pathogenese:** autosomal rezessive Erkrankung eines Cl-Kanal-Transporters CFTR mit pathologisch-zähem Schweiß

**Häufigkeit:** 1:3000

**Diagnose:** Schweißtest, Neugeborenenenscreening

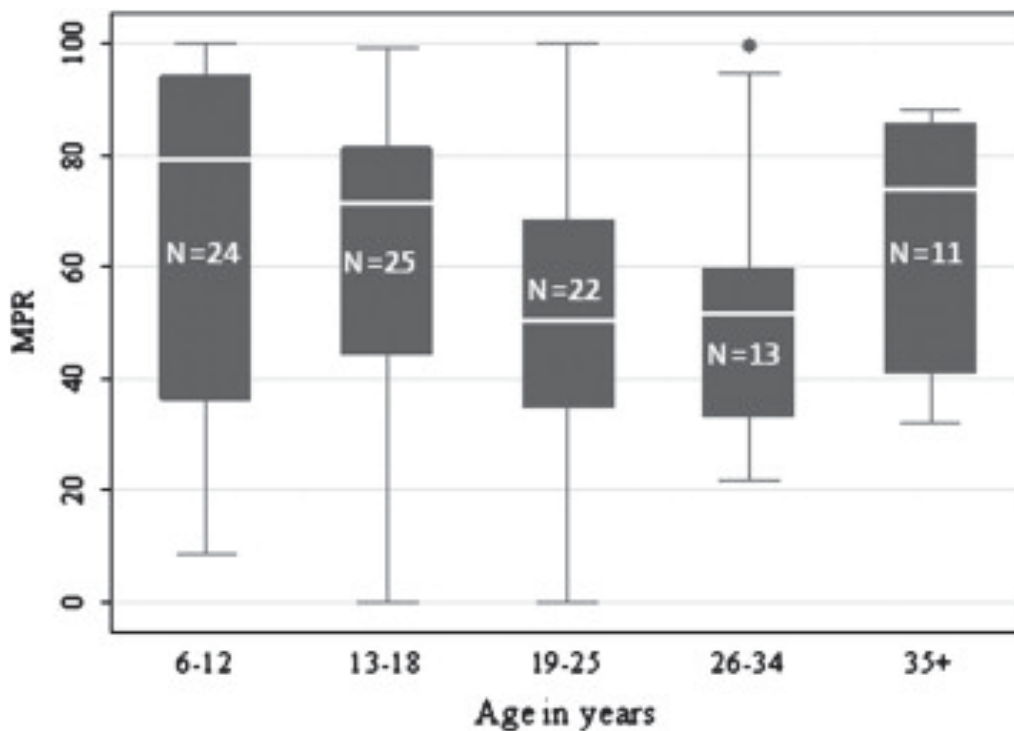
**Klinik:** Meconiumileus, Pankreasinsuffizienz, Fertilitätsprobleme, rezid. Atemwegsinfekte (Staph., Pseudomonas, Cepacea), Leberzirrhose

**Therapie:** Inhal., Parasympat., DNase (inhal.), AB (oral, iv., inhal), Physiotherapie, hochkalorische Ernährung, Lungentransplantation



# Cystische Fibrose

## Therapie Adhärenz - Medication Possession Ratio (MPR) und Alter



Eakin et al, Longitudinal association between medication adherence and lung health in people with cystic fibrosis, Journal of Cystic Fibrosis 2011

# Lungentransplantation

---

**Indikation:** End-stage respiratorische Insuffizienz (CF, PH)

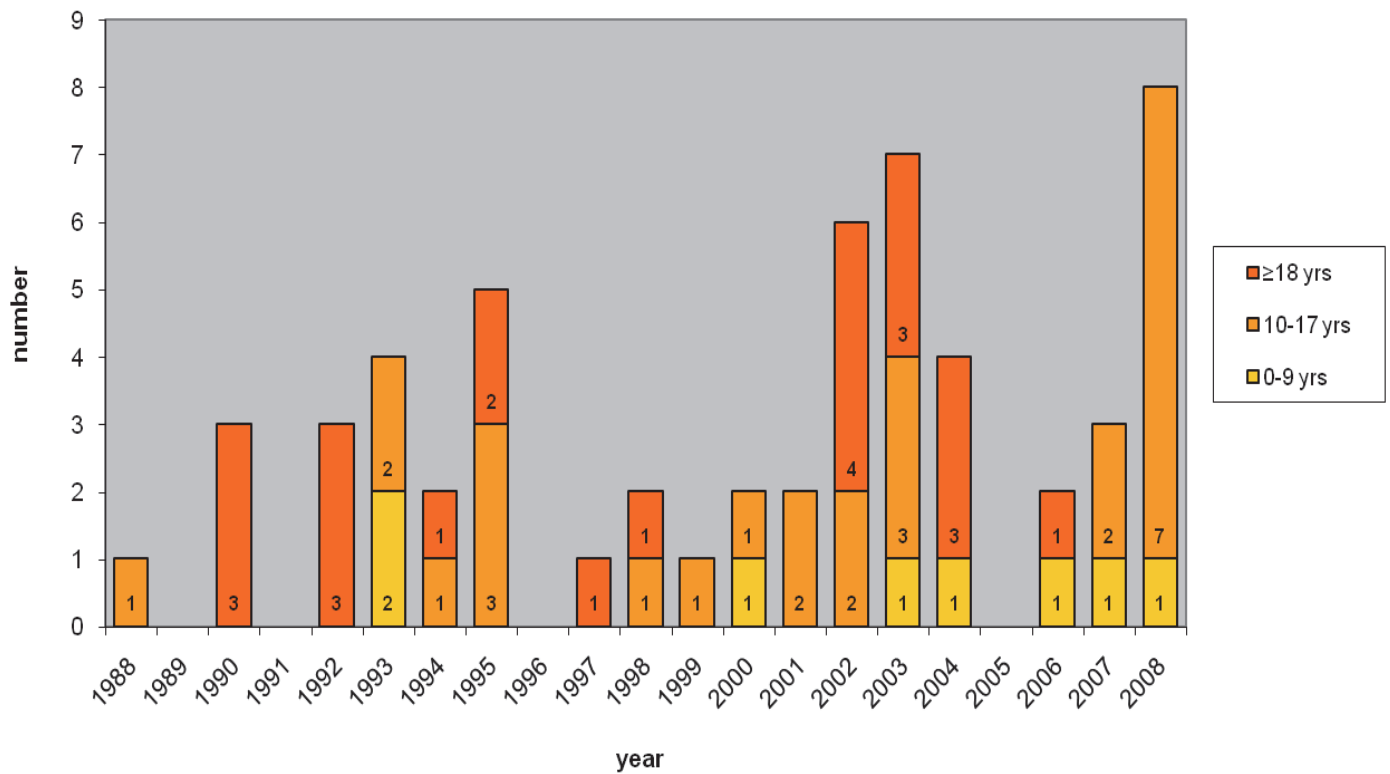
**Organüberleben:** 5J.  
Organüberleben = Patientenleben  
50%

**Häufigkeit:** sehr selten, 1-10/  
Jahr in Öst. bei Kindern/Jgdl.

**Therapie:** lebenslange  
Immunsuppression (Steroide,  
Calcineurininhibitoren,  
Mycophenolat),  
Infektionsprophylaxe

**Prognose:** akute Abstoßung  
und chronisches Organversagen

# Lungentransplantation

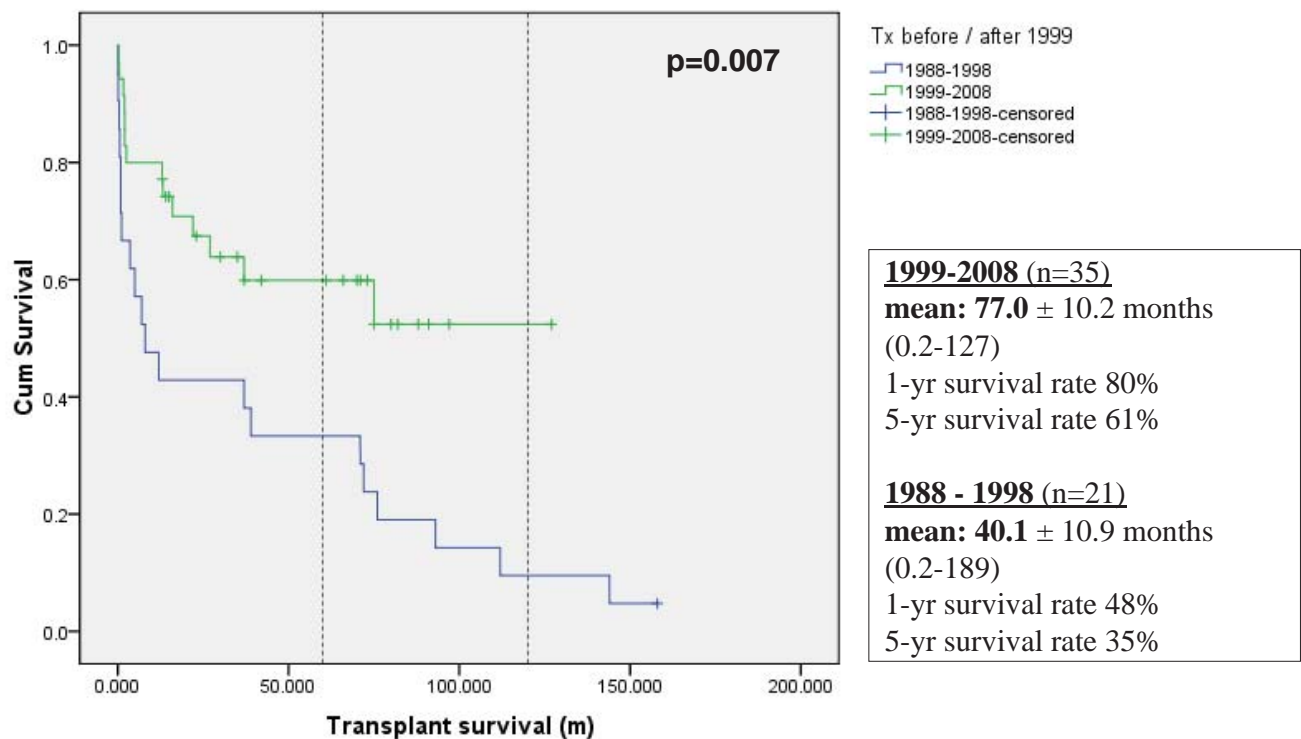


Gruber et al., Lung-transplantation in children and young adults - a 20 years single center experience. Europ Resp J 2012



# Lungentransplantation

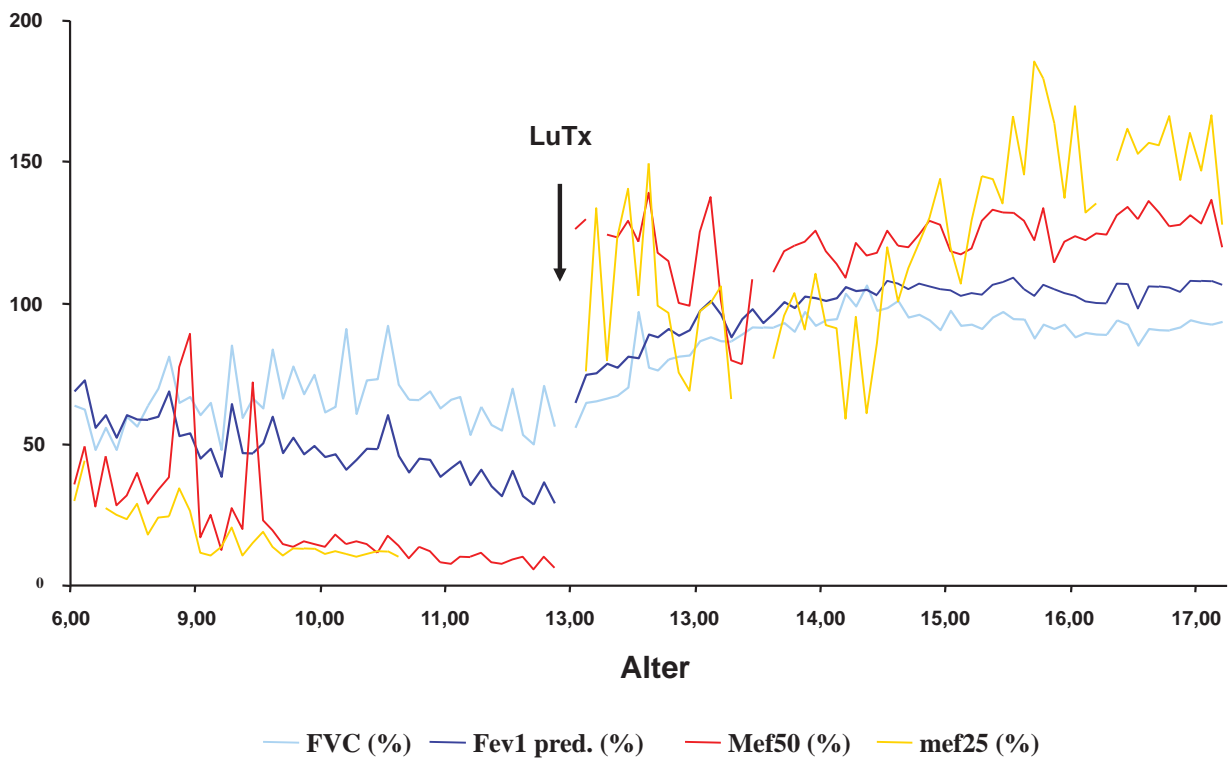
## Transplant Survival by Era



Gruber et al., Lung-transplantation in children and young adults - a 20 years single center experience. Europ Resp J 2012

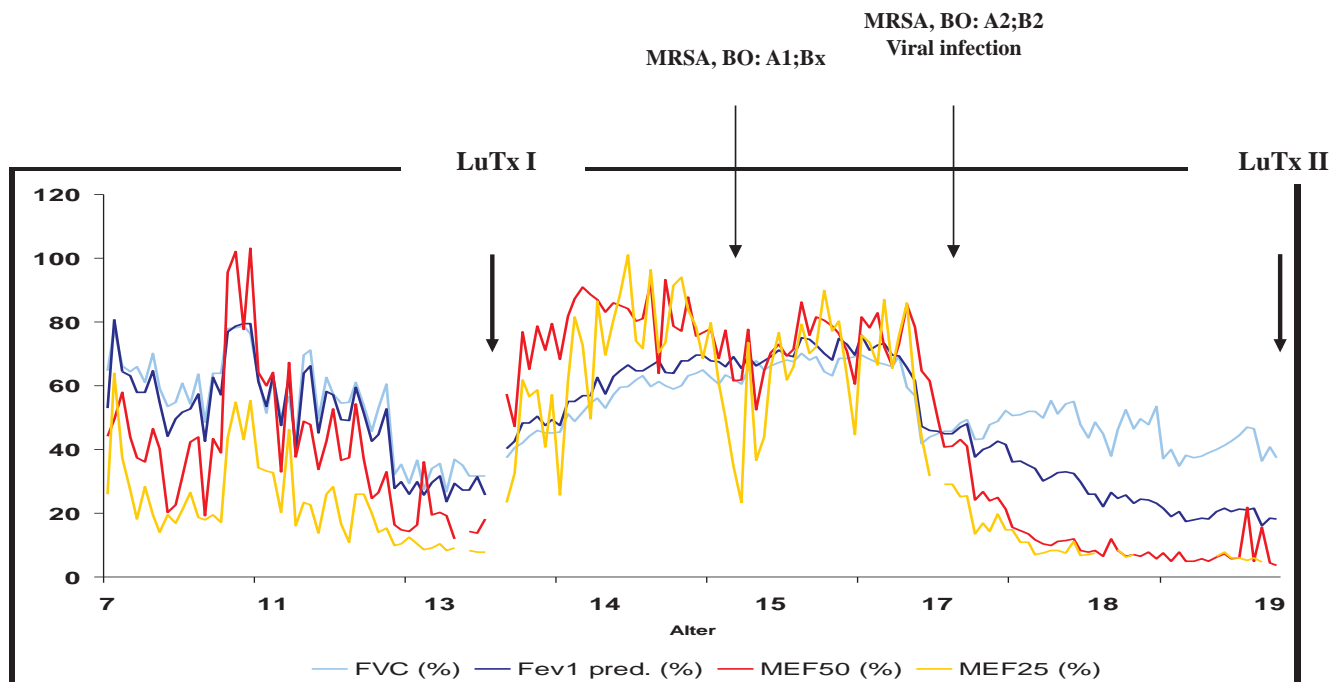
# Lungentransplantation

Patient A



# Lungentransplantation

## Patient B



# Danke für die Aufmerksamkeit