

INTRODUZIONE INTRODUCTION

Il Registro italiano fibrosi cistica (RIFC) si concretizza grazie a un accordo di collaborazione scientifica rinnovato il 4 ottobre 2016 tra l'Istituto superiore di sanità (ISS), i Centri di riferimento regionali (CRR) e i Servizi di supporto (SS) per la fibrosi cistica in Italia (istituzionalmente riconosciuti dall'articolo n. 3 della legge 548/93), l'Unità operativa complessa (UOC) fibrosi cistica dell'Ospedale pediatrico "Bambino Gesù" (OPBG), la Società italiana per lo studio della fibrosi cistica (SIFC) e la Lega italiana fibrosi cistica ONLUS (LIFC).

I componenti del Comitato scientifico e tecnico del RIFC, rappresentanti tutti gli attori coinvolti nel registro stesso, hanno il dovere di elaborare un rapporto sui dati archiviati nel registro e provenienti da CRR, SS e OPBG, al fine di contri-

buire alla verifica del raggiungimento dell'obiettivo principale del RIFC: migliorare la gestione del paziente affetto da fibrosi cistica (FC). Obiettivi particolari del RIFC, che il Rapporto contribuisce a mettere in evidenza, sono:

- l'analisi delle tendenze di medio e lungo periodo nelle caratteristiche clinico-epidemiologiche della malattia;
- il contributo all'identificazione delle necessità assistenziali sul territorio nazionale utili anche per la programmazione sanitaria e per la distribuzione di risorse;
- il confronto con i dati epidemiologici internazionali.

Il presente Rapporto descrive i dati raccolti nel RIFC per gli anni 2011-2014 riguardanti informazioni demografiche e diagnostiche, dati clinici (genetica, funzione respiratoria, nutrizione, microbiologia, complicanze), trapianti e mortalità.

MATERIALI E METODI MATERIALS AND METHODS

IL FLUSSO DEI DATI E IL CONTROLLO DI QUALITÀ DATA FLOW AND QUALITY CONTROL

I dati che afferiscono al RIFC sono stati inviati all'ISS dai CRR, dai SS e dall'OPBG (da qui in poi indicati come "centri FC") prevalentemente attraverso l'impiego di un software dedicato (Camilla, Ibis informatica). Le variabili selezionate sono elencate in Appendice 1 (p. 29). È importante sottolineare che le stesse variabili collezionate a livello italiano sono anche raccolte a livello europeo dal Registro europeo della fibrosi cistica.

I dati sono stati sottoposti a un doppio controllo di qualità (CQ): il primo viene effettuato presso l'ISS e si basa prevalentemente sulla verifica della completezza e correttezza dei dati ricevuti attraverso l'impiego di un software appositamente ideato. Il secondo viene effettuato in seguito all'invio dei dati italiani al Registro europeo fibrosi cistica (European Cystic Fibrosis Society Patient Registry, ECFSP): questo controllo consente una puntuale verifica della congruenza di dati inseriti negli anni precedenti in maniera longitudinale (verifica della congruenza con *core data* già presenti nel database europeo) e trasversale (coerenza dei dati inseriti).

In entrambi i CQ vengono prodotti quesiti che sono inviati ai referenti dei centri FC per la correzione e/o conferma di errori o anomalie rilevate e per il recupero di eventuali dati mancanti.

CRITERI DI INCLUSIONE ED ESCLUSIONE INCLUSION AND EXCLUSION CRITERIA

Nel presente Rapporto sono inclusi, per ogni anno analizzato, tutti i casi prevalenti degli anni precedenti e tutti i casi incidenti dell'anno in corso.¹

Tutte le analisi sono state effettuate solo sui record relativi a pazienti che riportavano l'informazione sul tipo di presa in carico per ciascuno degli anni esaminati: follow-up, visita per consulenza e cogestione. Sono, quindi, esclusi i pazienti deceduti nell'anno precedente a quello cui si riferiscono le analisi e i pazienti per i quali non si dispone di alcuna informazione.

I pazienti cogestiti (casi doppi o tripli) vengono individuati attraverso il codice univoco; il criterio della raccolta dei dati fa riferimento al centro presso il quale il paziente ha eseguito più controlli nell'anno.

Si fa presente che, per alcune variabili, la principale criticità messa in luce in corso di analisi è stata la presenza di numerosi dati mancanti (*missing*), che ha determinato una significativa variabilità dei denominatori inficiando il calcolo delle stime degli indicatori.

A tal proposito, è prevista una piattaforma ad hoc per il recupero dei dati mancanti mediante segnalazione automatica ai centri di riferimento.