

Avancerade endoskopiska åtgärder i nedre luftvägarna

Sakkunniggruppens underlag
Remissversion

Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för Avancerad endoskopisk diagnostik och behandling i övre och nedre luftvägarna vårdområdet Avancerade endoskopiska åtgärder i nedre luftvägarna och lämnar sitt förslag till nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppens förslag remitteras öppet för synpunkter från alla intresserade. Genom att få in synpunkter på sakkunniggruppens förslag i processen, möjliggörs en bredare konsekvensanalys.

Inför Socialstyrelsens beslut om vad som ska utgöra nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter vården ska bedrivas, kommer även en beredningsgrupp att lämna ett yttrande utifrån underlaget, inkomna synpunkter och konsekvensanalysen.

Socialstyrelsen leder arbetet med att koncentrera mer av den högspecialiserade vården på nationell nivå och ansvarar för arbetsprocessen för detta arbete. Socialstyrelsen vill tacka alla som har deltagit i arbetet med att ta fram detta underlag.

Thomas Lindén
Avdelningschef

Sakkunniggruppens uppdrag

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den eller de delar i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

Innehåll

Förord	2
Sakkunniggruppens uppdrag	3
Ordlista	5
Sammanvägd bedömning	6
Definition	7
Antal enheter	7
Avgränsningar	8
Vårdområde	10
Nuläge	10
Framåtblick	16
Särskilda villkor	18
Konsekvensanalys	21
Uppföljning och utvärdering	24
Deltagare i sakkunniggrupp	26
Om nationell högspecialiserad vård	27

Ordlista

DT	Datortomografi, en medicinsk avbildningsteknik, kallas i dagligt tal ofta CT eller skiktröntgen
ECMO	Extracorporeal Membran Oxygenation, syresättning av blodet utanför kroppen via ett membran, liknande "hjärtlungmaskin"
HTA	Health technology assessment, utvärdering av metoder i hälso- och sjukvården
MDK	Multidisciplinär konferens
MRT	Magnetresonanstomografi, en medicinsk avbildningsteknik med s.k. magnetkamera
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
PET	Positronemissionstomografi, en medicinsk avbildningsteknik som bygger på användning av isotopmärkta preparat
ÖNH	Öron- näsa- och halssjukdomar

Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår, efter genomlysning av vårdområdet Avancerade endoskopiska åtgärder i nedre luftvägarna, att det som framgår av texten nedan ska utgöra nationell högspecialiserad vård. Vårdområde 1 ska bedrivas vid fem vårdenheter och vårdområdena 2-5 ska koncentreras ytterligare och bedrivas vid fyra respektive två av dessa vårdenheter.

Vårdområdet hanterar en komplex patientgrupp med andningssvårigheter, där samsjuklighet kan vara betydande och där åtgärderna i många fall inte är av primär kurativ karaktär utan en aktiv palliation. Ingreppen är av sällan förekommande art och det krävs ett multidisciplinärt omhändertagande med erfaren specialistkompetens i lungsjukdomar, öron-, näs och halssjukdomar (ÖNH) och anestesi och intensivvård. Tillgång till radiologi, patologi, thoraxkirurgi, ECMO-behandling och övre gastrokirurgi är nödvändig. Vården kräver en flexibel organisation med korta och välfungerande beslutsvägar för att snabbt mobilisera multidisciplinära team. Vidare finns krav på hög teknisk standard, specialanpassade operationssalar och avancerad för- och eftervård, vilket medför höga kostnader.

Sakkunniggruppen finner att en koncentration av aktuell vård till fem enheter, eller färre för vårdområdena 2-5, ökar förutsättningarna för förbättrad kvalitet på vården, ökad patientsäkerhet och utökad kunskapsutveckling, samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås. Vidare bedömer sakkunniggruppen att en ytterligare koncentration av vården skulle kunna ha negativa effekter på tillgänglighet och försvåra transporterna för dessa patienter, som inte sällan behöver marktransport. Fler enheter än vad som föreslagits kan ge negativa konsekvenser för möjligheterna till erfarenhets- och kunskapsuppbyggnaden per enhet.

Sakkunniggruppen bedömer att konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva, då det medför ett samlat patientunderlag av sällankirurgi samt en säker och resurseffektiv vård. Genom att klart definiera vart dessa patienter kan remitteras ökar också möjligheten till lika vård oavsett hemort. Vidare bedömer sakkunniggruppen att påverkan på akutsjukvård sannolikt blir begränsad. Närliggande vårdområden kan påverkas i viss utsträckning, eftersom koncentration av föreslagna vårdområden tillfälligt kan tränga undan vård av lägre prioriteringsgrad vid de nationella enheterna. Sakkunniggruppen bedömer att detta kan kompenseras genom viss regional omfördelning.

Definition

Sakkunniggruppen anser att bedömning, behandlingsrekommendation och i förekommande fall endoskopisk behandling för de delområden som anges nedan till 1-5 ska utgöra nationell högspecialiserad vård för vuxna patienter.

1. Planerade endoskopiska kirurgiska åtgärder vid centrala luftvägshinder (distalt om larynx) med risk för andningsstopp, exempelvis, men inte uteslutande:
 - a) Debulking (exempelvis mha laser, shaver, diatermi, kryo)
 - b) Dilatationer av stenoser
 - c) Stentbehandling
2. Avancerad behandling av komplicerade fistlar till och från luftvägarna.
3. Endobronkiell lungvolymsreducerande behandling vid emfysem, exempelvis, men inte uteslutande, ventilbehandling
4. Hellunglavage
5. Avancerad endobronkiell medicinsk behandling av tumörer och förträngningar i luftvägar, exempelvis, men inte uteslutande, brachyterapi.

Antal enheter

Fem enheter ska utföra planerade endoskopiska kirurgiska åtgärder vid centrala luftvägshinder (distalt om larynx) med risk för andningsstopp.

Av dessa fem enheter ska

- **fyra** enheter bedriva vård vid komplicerade fistlar
- **fyra** enheter bedriva vård vid endobronkiell lungvolymsreducerande behandling vid emfysem (*exempelvis ventilbehandling*)
- **två** enheter bedriva vård vid hellunglavage
- **två** enheter bedriva vård vid avancerad endobronkiell medicinsk behandling av tumörer och förträngningar i luftvägar (*exempelvis brachyterapi*)

Avgränsningar

Sakkunniggruppen har genomlyst följande områden i ett separat sakkunniggruppsunderlag:

1. Transbronkiell subpleural lungbiopsi med kryoteknik vid oklar interstitiell lungsjukdom

Sakkunniggruppen har också identifierat områden som inte bör ingå i tillståndet men bör nivåstruktureras inom varje samverkansregion:

1. Endoskopiska åtgärder som utgör stor volym och/eller utgör rutindagnostik, exempelvis:
 - a) Kryobehandling vid andra indikationer än vid oklar interstitiell lungsjukdom
 - b) Endobronkiellt ultraljud (EBUS) för mediastinal staging eller provtagning, s.k. konventionell EBUS. Bör finnas tillgängligt vid enheter som utför invasiv stadieindelning av lungcancer.
 - c) Radiell EBUS.
 - d) Elektromagnetisk navigering för att nå små, perifera tumörer (t.ex. SuperDimension).
 - e) Behandling av larynxstenoser:
 - Subglottisk stenos (oavsett genes) utgör mängdkirurgi med upprepat behandlingsbehov
 - Övriga stenoser i larynx, t.ex. uni- och bilateral stämbandspares, respiratoriska papillom och web. Dessa tillsammans utgör omfattande mängd och bör inte tillståndspliktigas som NHV.
2. Stel bronkoskopi vid andra indikationer än de ovan föreslagna NHV-områdena. Akut stel bronkoskopi vid t.ex. främmande kropp i luftväg utgör förvisso relativ sällankirurgi, men på grund av dess akuta indikation och krav i målbeskrivning för ST utbildning (ex ÖNH), skall inte stel bronkoskopi tillståndsförpliktigas som NHV.
3. Terminalvård, d.v.s. det sista skedet i palliativ vård, bör ske i hemregionen
4. Bronkoesofagala fistlar kan vara kongenitala eller förvärvade. Behandling av bronkoesofageala fistlar hanteras inom övre gastrokirurgi i samarbete med thoraxkirurgi och i förekommande fall lungläkare samt vid behov barnkirurgisk kompetens. Vårdområdet genomlyses därför inte i denna grupp.

Följande områden är redan genomlysta eller genomlyses parallellt av en annan sakkunniggrupp:

1. Brachyterapi vid huvud- och halscancer
2. Huvud- och halstumörer
3. Matstrupskirurgi
4. Svåra kroniska lungsjukdomar hos barn

Följande områden har sakkunniggruppen identifierat för eventuell framtida genomlysning:

1. Stenoserande larynxfraktur hanteras via öppen extern kirurgi, området genomlyses inte i aktuell sakkunniggrupp.
2. Pediatrik luftvägsförträngning. Bör hanteras av sakkunniggrupp med specifik kompetens inom pediatrik luftväg.
3. Mediastinoskopier, ersätts allt mer av EBUS eller VATS (Video-assisted thoracoscopic surgery), utförs av thoraxkirurg och bör därmed genomlysas av thoraxkirurger i samråd med lungmedicin och ÖNH.
4. Thyroideakirurgi; bör genomlysas av sakkunniggrupp med representation av endokrinkirurg
5. Trakealstenoser betingade av kollaberande broskdeformiteter. Hanteras huvudsakligen via öppen kirurgi även om ingreppet guidas för optimalt utfall med endoskopisk teknik. Bör genomlysas av sakkunniggrupp med representation av thoraxkirurg.
6. Behandling av extratrakeala kompressionstillstånd utöver stentbehandling innebär vanligen extern kirurgi och bör genomlysas av sakkunniggrupp med representation av thoraxkirurg.

Vårdområde

Nuläge

Övergripande beskrivning av det aktuella vårdområdet

Med nedre luftvägarna menas de delar av luftrådet som finns distalt (caudalt) om larynx. Avancerade endoskopiska åtgärder i dessa nedre delar av luftvägarna kräver högspecialiserad klinisk kompetens och avancerad teknologi. Patientgruppen är komplex och vården i många fall inte kurativ utan syftar till att förbättra livskvaliteten för svårt sjuka och deras närstående. Den vanligaste orsaken till avancerade endoskopiska åtgärder i nedre luftvägarna är lungcancer, som drabbar cirka 4 000 personer i Sverige årligen. Enligt kvalitetsregisterrapporten för lung- och lungsjukdomar initieras medicinsk behandling för 35 procent av patienterna inom 40 dagar och endast 12 procent får strålbehandling och kirurgi inom 44 dagar. Skillnaden mellan de olika sjukhusen i landet är stora.

Vården som utgör fokus i denna genomlysning kräver god samarbetsförmåga och väl upprätthållen operativ färdighet, t.ex. genom simulationer över specialitetsgränserna. I det multiprofessionella teamet behövs tillgång till specialister i lungsjukdomar, öron-, näs och halssjukdomar (ÖNH), thoraxkirurgi, anestesi och intensivvård samt perfusionist och ECMO/hjärtlungmaskin. I utvalda fall behövs specialist i övre gastrokirurgi. Lungmedicinsk specialitet representeras också av sjuksköterskor med erfarenhet av avancerade bronkoskopiska ingrepp. För diagnostik måste radiolog och patolog med specialkunskap i ämnet finnas tillgängligt digitalt eller fysiskt.

De föreslagna vårdområdena utgör sällankirurgi, med små vårdvolymer som förutsätter en snabbt mobiliserad operativ organisation med korta beslutsvägar. Nödvändig utrustning för diagnostik, behandling och ventilation är kostsam och bör övrig tid utnyttjas till endoskopiska ingrepp av mindre riskfylld karaktär för att betraktas som resurseffektiv. Inte sällan kräver dessa avancerade interventioner hög personaltäthet och patienterna har ett stort omvårdnadsbehov i anslutning till ingreppen. Den avancerade för- och eftervården omfattar även stöd till anhöriga.

Åtgärderna kan komma att kräva förberedande ingrepp på hemorten av specialistläkare med kompetens inom endoskopi för att patienten ska kunna transporteras till en högre vårdnivå. Behandlingsvalet styrs av flera faktorer såsom t ex patientens önskemål, grad av avancerad och i vissa fall generaliserad sjukdom samt eventuell samsjuklighet. Idag bereds den operativa interventionen centraliserat till landets universitetssjukhus, där möjlighet till specialitetsöverskridande luftvägsteam finns att tillgå vid ingrepp och komplikationer till dessa. Vid universitetssjukhusen finns också den diagnostiska specialkunskap som krävs inom ex radiologi och patologi.

Idag varierar antalet avancerade ingrepp på ett otillfredsställande sätt mellan vårdgivare utifrån tillgång till kritisk kompetens och tillgång till teknik och metod. Det är för hela vårdområdet svårt att utvärdera resultat beroende på grundsjukdomens omfattning och patientens samsjuklighet. Sakkunniggruppen bedömer dock att en samlad vård skapar förutsättning för att den högspecialiserade vården tillhandahålls och fördelas på lika villkor.

Delområde 1: Planerade endoskopiska kirurgiska åtgärder vid centrala luftvägshinder (distalt om larynx) med risk för andningsstopp, enligt ovan

Planerad endoskopisk debulking vid centrala luftvägshinder görs i första hand på svårt sjuka patienter med andningssvårigheter. Intentionen är i första hand kurativ eller palliativ, men kan även vara diagnostisk.

Endoskopisk debulking kräver ovan nämnda specialitetsöverskridande vårdteam med fokus på operation och ventilation. Ingreppet får inte riskera sätta patienten i ett mer utsatt sjukdomstillstånd än det preoperativa. Det är en komplicerad process att lyfta fram rätt patient till rätt ingrepp, utfört vid rätt tillfälle på rätt sätt och av rätt operatör med tillgång till rätt vårdteam. Vården vid centrala luftvägshinder är kostsam då kompetens för ventilation och operation samt utrustning för respektive teknik och för eventuella komplikationer alltid bör finnas tillgänglig.

Idag är planerade endoskopiska åtgärder vid centrala luftvägshinder centraliserade till landets universitetssjukhus. Bedömning och säkerställande av luftvägen vid akuta luftvägshinder ingår i uppdragsbeskrivningen för varje sjukhus med akutverksamhet (ca 30 sjukhus i Sverige). I utvalda fall förbereds patienten endoskopiskt (intuberas) för att kunna transporteras till universitetssjukhus för ett mer avancerat ingrepp. Således behövs även på mindre sjukhus kompetens för att bland annat säkra transporten av andningspåverkade patienter mellan sjukhus.

Delområde 2: Avancerad behandling av komplicerade fistlar till och från luftträdets

I detta delområde genomlysas bronkopleurala och bronkmediastinala fistlar (dvs. mellan bronk och pleura respektive bronk och mediastinum). Till området fistlar hör även bronkoesofageala fistlar, som hanteras inom "övre gastrokirurgi" (se Avgränsningar). Fistlar till och från luftträdets kan orsaka läckage av luft in i lungsäcken, varvid lungvävnaden trycks undan. Inför åtgärd krävs därför markburen interhospital transport, samt att en dialog och bedömning av ev. dränbehov inför transport genomförs.

Att lokalisera en fistel till och från luftträdets och sluta fistelgången kräver god teknisk och instrumentell färdighet eftersom patienten under ingreppet även måste ha fri luftväg. I det multidisciplinära teamet behövs ovan nämnda kompetenser. De specifika ventilerna som kan användas är kostsamma, liksom de Y-stentar som används vid centrala fistlar. På grund av risk för komplikationer till ingreppet med påverkad andning, behöver patienten vårdas inneliggande efteråt.

Idag är fistelslutning med ventil eller plugg vid t.ex. persisterande pneumothorax och tumör genomväxt in i luftvägen centraliserade till universitetssjukhus. Volymerna av de komplicerade fall aktuella för fistelslutning som beskrivs i detta underlag är låga (se rubrik "Vårdvolym" nedan).

Delområde 3: Endobronkiell lungvolymreducerande behandling vid emfysem

Patienter med kronisk obstruktiv lungsjukdom (KOL) drabbas inte sällan av emfysem, ett svårbehandlat tillstånd utan möjlighet till bot. Sakkunniggruppen har i detta underlag valt att beskriva ventilbehandling, men vårdområdet som föreslås bli nationell högspecialiserad vård begränsas inte till detta utan bör även, åtminstone initialt, omfatta eventuella andra endobronkiella metoder som kan komma att utvecklas i framtiden.

Ventilbehandling innebär att en begränsad del av luftvägen på lob-nivå stängs av endobronkiellt så att luft och slem kan passera ut i luftrådet men inte tillbaka, d.v.s. man åstadkommer en s.k. iatrogen atelektas. Det emfysematösa området faller samman, så att den friska lungvävnaden kan expandera.

Komplexiteten vid ventilbehandling ligger i selektionen av patienter. För goda resultat ska patienten sakna kollateralventilation mellan emfysemförändringarna i den lob man planerar att behandla och den övriga lungvävnaden. Detta för att luft inte ska passera "bakvägen" in i de emfysematösa förändringarna. Med utvecklad radiologi kan man identifiera grupper med förväntad hög patientnytta och minimerad risk för komplikationer. En multidisciplinär bedömning är central, där ovan nämnda specialister med erfarenhet av området deltar.

Även i efterförloppet behövs ett multidisciplinärt team inkluderande fysioterapeut med erfarenhet av dessa patienter. De första dagarna efter ingreppet behövs inläggande vård med beredskap för övervakning eftersom risken för pneumothorax beräknas till ca 15–20 procent. Det är viktigt att övervakningen sker på rätt sätt eftersom patienterna är sköra. De ventiler som används är kostsamma, men för rätt utvald patientgrupp är ingreppet mindre riskfyllt och kostnadseffektivt jämfört med öppen thoraxkirurgisk intervention.

Metoden är etablerad internationellt. En nyligen gjord HTA visar på att införande av ventilbehandling är kostnadseffektivt vid rätt indikation. Införandet av ventilbehandling är påbörjad i Sverige vid ett par enheter men har försenats i och med covid-19-pandemin, och därför är det svårt att bedöma aktuella årliga vårdvolym. En uppskattning är att 50-60 patienter årligen skulle behöva behandling i Sverige med nuvarande indikation. Internationellt är indikationen bredare. Efter utvärdering av forskningsresultat samt vård- och omsorgsanalys, förväntas en utökad nationell implementering.

Delområde 4: Hellunglavage

Hellunglavage ges som behandling för alveolär proteinos, en sällsynt sjukdom med begränsade behandlingsmöjligheter. Alveolär proteinos innebär att

surfaktant ansamlas i lungorna och påverkar lungfysiologin negativt. Den redovisade prevalensen av sjukdomen är ca 4 per miljon invånare och inciden- sen 0,4 per miljon invånare, vilket motsvarar ca 40 patienter i Sverige per år (ca 20 nyinsjuknande/år). Obehandlade patienter med alveolär proteinos ris- kerar utveckla progressiv lungfunktions-inskränkning exempelvis i form av lungfibros med hög morbiditet och på sikt mortalitet. På senare tid har immu- nologiska behandlingsalternativ utvecklats, men för ett antal patienter har inte läkemedelsbehandling varit tillräcklig eller aktuell som behandlingsalter- nativ, varför fortsatta behandlingar med lunglavage har en klar indikation.

Hellunglavage kräver avancerad endoskopisk kunskap och teknisk färdig- het. Processen innebär att förvald lung-sida isoleras och selektivt sköljs med en stor mängd saltlösning. Inför behandling sammanvägs patientnyttan med riskfaktorer såsom samsjuklighet. Sannolikheten för ett terapiutfall som kom- mer patienten till godo kompletteras med fysiologisk, radiologisk och klinisk data, vilket i sig kräver erfarenhet av ingreppet. Behandlingen kräver tillgång till ECMO ifall komplikationer skulle uppstå.

Det multidisciplinära teamet behöver, utöver kompetens i avancerad luft- väg, även ha erfarenhet av hellunglavage och endoskopi med dubbellu- mentub. Fysioterapeuterna behöver ha erfarenhet av den procedur som mobi- liserar surfaktant. Idag bedrivs hellunglavage vid enstaka universitetssjukhus i landet.

Delområde 5: Avancerad endobronkiell medicinsk behandling av tumörer och förträngningar i luftvägar, exempelvis, men inte uteslutande, brachyterapi

Sakkunniggruppen har i detta delområde valt att, som ett exempel på en- dobronkiell behandling av cancer med avancerad inväxt i central luftväg, fo- kusera på endobronkiell brachyterapi. Då nya endobronkiella behandlings- metoder kan tillkomma bör inte det föreslagna tillståndet begränsas till detta. Brachyterapi är en sällanintervention där stråldos tillförs ett målområde via interna katetrar. Metoden är reserverad till ett fåtal patienter med behov av palliation vid malign sjukdom i central luftväg, då maximal extern stråldos är given, eller som adjuvans till annan behandling. I utvalda fall används brachyterapi även vid icke malign sjukdom.

Komplexiteten vid endobronkiell brachyterapi består främst i selektionsar- betet av patientgruppen, men också i snabb mobilisering av multidisciplinärt behandlingsteam med kapacitet för täta behandlingsintervall för att genom- föra behandlingen. Patientens luftväg behöver bedömas kliniskt inför ingrep- pet av erfaren bronkoskopist. Därefter diskuteras patientnyttan i relation till riskprofilen med strålonkolog och med patienten själv. Vid behandlingen ve- rifieras kateterns position radiologiskt och strålfältet beräknas av strålfysiker med specialkunskap i området. Beredskap för intensivvård ska finnas för hantering av komplikationer som påverkar luftväg och andning.

Idag är brachyterapi centraliserad huvudsakligen till ett par strålonkolo- giska kliniker. Sannolikt föreligger skillnader i tillgänglighet till metoden över riket. För en optimal hantering av patienter med behov av brachyterapi behöver kunskapsläget förbättras och remitteringsvägar förtydligas.

Vårdvolym

Tabell 1 Antalet patienter per år skiljer sig från antalet behandlingar per år för respektive åtgärd, se nedan.

Vårdområde	Uppskattad årlig vårdvolym nationellt (behandlingar/år)
Endoskopiska kirurgiska åtgärder vid centrala luftvägshinder	300
Komplicerade fistlar till och från luftrådet	100
Endobronkiell behandling vid emfysem (ventilbehandling)	50-60 med nuvarande indikation
Hellunglavage	<10
Avancerad medicinsk endobronkiell behandling av tumörer och förträngningar i luftvägar (brachyterapi)	<20

Delområde 1: Planerade endoskopiska kirurgiska åtgärder vid centrala luftvägshinder (distalt om larynx) med risk för andningsstopp

Det är svårt att uppskatta en vårdvolym för delområdet då det sannolikt finns ett mörkertal av patienter som skulle kunna vara aktuella för dessa åtgärder, som i huvudsak utförs vid centralt växande malignitet. En tydligare remissväg genom nationell koncentration skulle kunna bidra till ett ökat antal patienter. Även antalet behandlingar per patient kan variera. Om man utgår från de lungcancerfall som uppfyller indikationen för åtgärderna och adderar patienter med metastatisk växt från t.ex. gastrointestinalkanal, gynekologiska organ och malignt melanom samt patienter som behöver stentbehandling efter lungtransplantation, så uppskattas den totala vårdvolymen aktuell för NHV nå drygt 300 behandlingar/år.

Delområde 2: Komplicerade fistlar till och från luftrådet

Den uppskattade volymen av patienter som får fistlar som restillstånd efter lungcancerkirurgi, transplantation, iatrogen eller vid KOL är ca 100/år, men denna siffra kan sannolikt variera och är svår att uppskatta. Sakkunniggruppen har i sin uppskattning räknat med en behandling per patient/år.

Delområde 3: Endobronkiell lungvolymsreducerande behandling vid emfysem (exempelvis ventiler)

Idag är denna metod under uppstart i Sverige och då för patienter med heterogent emfysem och dålig lungfunktion. I Skåne beräknar man göra ca 10-15 ventilbehandlingar per år med denna indikation, vilket skulle motsvara ca 50-60 behandlingar nationellt. Tillkommande är sannolikt patienter med homogent emfysem (enligt indikationen som gäller internationellt), varför en stor ökning kan väntas på framtida NHVe. Uppskattningsvis kan en framtida vårdvolym handla om ca 150 patienter/år.

Delområde 4: Hellunglavage

Idag utförs detta på ett fåtal patienter per år nationellt. Framtida vårdvolym kan öka efter en tydligare remissgång, men det exakta behovet är svårt att uppskatta eftersom sjukdomen är mycket sällsynt och patientens svar på immunbaserad behandling varierar. Antal behandlingar per år varierar således

och är svårberäknade men sakkunniggruppen uppskattar att ca 10 behandlingar per år i Sverige kan bli aktuella för NHV.

Delområde 5: Avancerad medicinsk endobronkiell behandling av tumörer och förträngningar i luftvägar (exempelvis brachyterapi) Idag genomgår ett mycket selekterat antal patienter vid ett fåtal strålonkologiska kliniker en serie behandlingar med endoskopisk brachyterapi i täta behandlingsintervall. Vårdbehovet uppskattas att öka då patienter med lungcancer lever allt längre genom fler behandlingsled. Antalet behandlingar årligen varierar men utifrån rapporterade vårdvolym 2020 uppskattar sakkunniggruppen att ca 20 behandlingar per år i Sverige kan bli aktuella för NHV.

Forskning

Någon pågående forskning avseende behandling av centrala luftvägshinder finns inte i Sverige. Inom KOL/emfysem-relaterade ingrepp pågår studier av endobronkiell lungvolymreduktion med ventiler (med ett uppehåll under covid-19-pandemin). Forskningen inom de övriga delområdena ser delvis olika ut och förutsättningarna skiljer sig åt.

De aktuella patienterna är i många fall i livets slutskede, vilket medför en begränsning i studier då man inte kan randomisera patienterna till stora studier. Blivande NHV-enheter behöver följa upp åtgärderna med kvalitetsmått på individuell nivå.

Genom regionala cancercentrum i samverkan (RCC) finns nationella informationsnätverk och även lungcancerregistret utgör en god bas för klinisk och patientnära forskning. En samlad patientvolym och ett nationellt samarbete skulle kunna öka möjligheten att utveckla vård, validera data och bedriva attraktiv forskning med hänsyn till den låga incidensen i en jämförelsevis liten befolkning. Dagens lungcancerpatienter utreds med allt bättre diagnostiska metoder och behandlingsalternativ. Den kliniska tillämpbarheten av pågående forskning har mynnat ut i förändrade behandlingsrekommendationer, moderna lungcancerkirurgiska principer och effektiviserad strålbehandling.

Internationell utblick

I Danmark har man på nationell nivå koncentrerat vården vid alveolär proteinos, men utför inte lunglavage. Inte heller brachyterapi vid tumörer och förträngningar i luftvägar utförs i Danmark. Debulking görs vid alla thoraxkirurgiska centra och lungvolymreducerande åtgärder vid tre centra.

I Norge har man i princip koncentrerat vården vid invasiva endoskopiska ingrepp till en enhet, där man gör ett drygt hundratal ingrepp om året. Enstaka ingrepp görs på andra enheter, då man inte kan skicka patienter till Rikshospitalet. Endobronkiell behandling av emfysem görs på en enhet, medan fistlar till luftvägarna behandlas runt om i landet.

I Finland har man inte koncentrerat någon vård inom detta område på nationell nivå.

I Storbritannien hanteras kritisk vård av svår luftväg med förväntat behov av extra corporeal membrane oxygenation (ECMO) på nationell högspecialiserad vårdnivå. Beredskap för ECMO skall finnas vid akut svår men potentiellt reversibel andningssvikt och utgör en kritisk resurs i de särskilda villkoren i detta underlag.

Framåtblick

Tiden från välgrundad misstanke till diagnos och behandling av maligniteter i luftvägarna är en tid av oro för patient och närstående. Det finns ett tydligt samband mellan sjukdomsstadium och överlevnad samt livskvalitet. Både ur ett patientperspektiv men också av sjukdomsbiologiska orsaker bör denna tid vara så kort som möjligt.

En koncentration av ovanliga fall medför större erfarenhet och möjlighet att individualisera behandling. Att samla kunskap om sällandiagnoser och behandling förväntas ge ett förbättrat effektutfall, som även kan mätas i kvalitets- och forskningsprojekt. Ur ett patientperspektiv vore nationell koncentration värdefull, då det kan tydliggöras var respektive patientgrupp skall vårdas, vilket väntas öka möjligheten till lika tillgång till högspecialiserad vård. Det är viktigt att nationella högspecialiserade vårdenheter (NHVe) kan erbjuda snabb och standardiserad utredning, liksom flertalet behandlingsalternativ för att alltid kunna välja det mest lämpliga för den enskilda patienten. Det är patienten själv som efter information från NHVe accepterar eller avböjer behandlingsförslag.

En nationell vårdenhet förutsätter ett välfungerande multidisciplinärt team som kan hantera kritiska moment. Utöver erfarenhetsvinster kan detta säkerställas genom simulatorövningar. Det behövs kompetens och beredskap på sjukhuset för komplikationer såväl under ingreppet som i efterförloppet. Den omkringliggande organisationen förutsätts drivas med flexibilitet och korta beslutsvägar eftersom ingreppen och hanteringen av eventuella komplikationer sker inom en snäv tidsram.

Det är viktigt med en nära samverkan mellan hemsjukhus, patient, närstående och NHVe. För ett optimalt samarbete mellan hemsjukhuset och NHVe behövs tillgång till specialutbildad radiolog och patolog. Vid planerade ingrepp av diagnostisk och terapeutisk karaktär föregås de medicinska behandlingsbesluten av multidisciplinära konferenser (MDK). MDK bör även ske mellan NHVe för säkra verksamhetens likvärda nationella status, kompetens och utveckling samt för att gynna samarbetet mellan dessa. Avancerade endoskopiska ingrepp på lungtransplantationspatienter bör behandlas i samråd med lungtransplantationsenheter, för bästa möjliga resultat. Interhospital förflyttning skall ske med patientens bästa i fokus. Efter att ha vårdats vid NHVe får patienten med sig en individuell vård- och rehabiliteringsplan för fortsatt vård på hemorten.

Vid NHVe är en kontaktsjuksköterska mycket viktig för snabb, effektiv och ämneskunnig information. Denna kontaktsköterska bör vara väl insatt i

såväl den individuella patientens situation som i det ingrepp patienten är planerad för, inklusive förväntade vårdtider och efterföljande medicinska och paramedicinska insatser. Önskvärt är även att NHVe samarbetar med patientföreningar.

De nationella enheterna ska samordna och upprätthålla en specialitetsöverskridande, aktuell ämneskunskap inom central luftväg. De enheter som bedriver vård inom respektive delområde ska upprätthålla motsvarande specifikt för dessa områden, inklusive hantering av komplikationer och en säker eftervård. Det är särskilt viktigt att långsiktigt hålla ihop involverade specialiteter och kunna samarbeta väl utan konkurrens.

Det är önskvärt att framtida NHVe bidrar till forskning inom de aktuella sjukdomsområdena och verkar för utveckling av nya behandlingsmetoder. Exempelvis är nya endobronkiella behandlingsmodaliteter utöver brachyterapi under utveckling. NHVe kommer att inneha ett ansvar för kunskapsspridning till enheter som inte innehar tillstånd för de aktuella åtgärderna, vilket kan ske genom t.ex. kurser fysiskt eller online. NHVe kan även bistå i uppbyggnad av utbildningsplattformar för effektiv kunskapsspridning och utbildning. NHVe bör delta aktivt i implementering och utformande av riktlinjer kring vårdområdets tekniker och kliniska tillämpning.

Särskilda villkor

Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilka särskilda villkor som ska gälla för tillstånden. De generella villkoren regleras i Socialstyrelsens föreskrifter (HSLF-FS 2018:48 om nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppen ansvarar för att ta fram förslag till särskilda villkor för respektive område. Förslagen ska återspegla definitionen och i viss mån vara vägledande vid tilldelning av tillstånd. De föreslagna särskilda villkoren för aktuellt tillstånd kan komma att justeras av nämnden när beslut om tillstånd fattas.

Kompetens och resurser	
Kritisk medicinsk kompetens (läkare)	<p>Vid alla fem enheter ska nedanstående läkare med erfarenhet av avancerade ingrepp vid svåra luftvägsproblem finnas:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Specialist i lungsjukdomar • Specialist i ÖNH-sjukdomar • Thoraxanestesiolog • Thoraxkirurg • Läkare med ECMO-kompetens • Radiolog med thoraxkompetens (tillgänglig fysiskt eller digitalt) • Specialist inom nuklearmedicin med PET-CT kompetens (tillgänglig fysiskt eller digitalt) • Patolog med lungmedicinsk kompetens (tillgänglig fysiskt eller digitalt) <p>Vid enhet som erhållit tillstånd för endobronkiell brachyterapi ska även nedan angivna kompetenser finnas:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Specialist i lungsjukdomar med erfarenhet av avancerad endobronkiell behandling inom brachyterapi • Strålonkologer med erfarenhet av brachyterapi <p>Vid enhet som erhållit tillstånd inom hellunglavage ska utöver ovanstående även nedan angivna kompetenser finnas:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Läkare inom relevant specialitet med erfarenhet inom hellunglavage
Andra typer av kritisk kompetens (t.ex. sjuksköterska, kurator, psykolog eller fysioterapeut med specialkompetens)	<p>Personal med särskild kompetens av avancerade ingrepp vid svåra luftvägsproblem:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Anestesisjuksköterska • Endoskopisköterska alternativt operationsköterska med erfarenhet av bronkoskopier • Perfusionist • Sjuksköterska med särskild kompetens inom omvårdnad vid svår luftväg

	<p>Vid enhet som erhållit tillstånd för endobronkiell brachyterapi ska utöver ovanstående även nedan angivna kompetenser finnas:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Sjukhusfysiker med erfarenhet av området <p>Vid enhet som erhållit tillstånd inom hellunglavage ska utöver ovanstående även nedan angivna kompetenser finnas:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Fysioterapeut med erfarenhet av behandling vid hellunglavage
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	<ul style="list-style-type: none"> • Metod att hålla fri luftväg ex stelt bronkoskop/stelt laryngoskop eller motsvarande • Metoder för avancerad ventilation ex jet-teknik • Flexibla videobronkoskop med adekvata tillbehör för det tillståndsgivna området • ECMO <p>Vid enhet som erhållit tillstånd för endobronkiell brachyterapi ska utöver ovanstående även nedan angivna resurser finnas:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Strålapparat • Strålkällor • Rum anpassade för behandling enligt Strålskyddsmyndighetens krav
Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den föreslagna vården ska kunna bedrivas	<ul style="list-style-type: none"> • För området specialiserad kirurg (övre gastrokirurg, endokrinkirurg) • Thoraxintensivvård • Postoperativ vård på vårdavdelning med övervakning av luftvägssymtom för eventuella komplikationer • Klinisk fysiologisk verksamhet inkluderat personal och utrustning • Kliniskt patologiskt laboratorium med lungmedicinsk kompetens
Kritiska diagnostiska metoder	<ul style="list-style-type: none"> • Radiologi passande för ingreppet • MRT/DT/PET-CT • Klinisk fysiologiska diagnosinstrument
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	
Rehabilitering som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (särskilt anpassad till behovet)	<ul style="list-style-type: none"> • Funktionell andningsterapi; logoped och/eller fysioterapeut med specialkompetens • Kontaktsjuksköterska med särskild kompetens inom det tillståndsgivna området • Kurator med kompetens knuten till lungmedicinska specialiteter • Dietist
Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	<ul style="list-style-type: none"> • NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs. • NHVe ska verka för att etablera ett internationellt samarbete inom tillståndsområdet.

	<p>Detta gäller i synnerhet för de enheter som utgör en av två utövare.</p> <ul style="list-style-type: none">• NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.
--	--

Konsekvensanalys

Socialstyrelsens beslut föregås av en bred remiss och beredning för att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet. Beredningsgruppen (B1) utgår från sakkunniggruppernas underlag och remissvaren för att göra en övergripande analys av systemeffekterna, framförallt förmågan att bedriva akut sjukvård.

Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp (B2). Beredningsgruppen ska tillsammans representera följande perspektiv: länssjukvård, akut vård, universitetssjukhusvård och medicinsk fakultet. Systemkonsekvenser t.ex. påverkan på akutsjukvården, patienttransporter samt utbildning och forskning får beaktas vid en fördelning av tillståndet/tillstånden om det är för att säkerställa patientens bästa.

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)	<p>NHV ger lika möjlighet till högkvalitativ vård för avancerad endoskopiska åtgärder i nedre luftvägarna oavsett var i landet man bor. Remitteringsvägarna blir nationellt tydligare och mer enhetliga med möjlighet även till rådgivning via NHV. Aktuell vård utgör subakut verksamhet av svårt sjuka patienter som hanteras inom slutenvårdens ramar.</p> <p>Betydelsen av en geografisk närhet mellan behandlande instans och bostaden skall beaktas, men sakkunniggruppen bedömer att värdet av att (genom koncentration) uppbygga en hög, väl samarbetande kompetens för denna utvalda patientgrupp ändå överväger. Redan idag innebär vården vanligen en resa från sin hemort eftersom dessa patienter i nuläget behandlas på universitetssjukhus.</p> <p>Man bör ta särskild hänsyn till patientens medicinska tillstånd och önskemål vid generaliserad sjukdom eller omfattande samsjuklighet och vid stor osäkerhet kring patientens personliga vinst av NHV.</p>
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	<p>En nationell koncentration av aktuell vård förväntas ge kvalitetsvinster genom påverkan på utbildning, kunskap, kompetensöverföring. Den medför sannolikt en liten kompetensförlust då antalet utförda ingrepp i landet redan är få. Det kommer sannolikt även i framtiden att vara ett fåtal även om en viss ökning är att vänta.</p>

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	En möjlig risk är att kunskapen om vissa begränsande undergrupper inom det aktuella vårdområdet minskar vid enheter som inte innehar tillstånd. I förlängningen kan dessa enheters attraktionskraft minska, d.v.s. att personal med endobronkiell kompetens inte söker sig till enheter som har tappat denna verksamhet. Detta behöver kompenseras genom att NHVe får ett tydligt utbildningsansvar såväl inom som utanför NHVe.
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	NHVe bör delta aktivt i arbetet med utveckling av databaser för denna patientgrupp och därmed öka förutsättningarna att bedriva forskning och utveckling. NHV skapar en möjlighet till ett större och mer komplext forskningsunderlag. Forskningen kan även främjas genom ett tydligt samverkansansvar mellan NHVe.
Påverkan på närliggande områden	Koncentration av avancerad endobronkiell verksamhet kan ha viss undanträngningseffekt på kirurgi av lägre medicinsk prioritet. Det är därför av vikt att patienterna fördelas jämnt mellan NHVe för att undvika en överbelastning. Viss regional omfördelning av patienter kan behövas mellan enheter som har respektive inte har tillstånd.
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.	Det kan bli viss påverkan på akutsjukvård och intensivvård på blivande NHVe i och med ökade volymer, men denna påverkan förväntas vara låg eftersom patientantalet är lågt. Akuta komplikationer till avslutad NHV kan vara svårt för hemsjukhuset att hantera om den avancerade endoskopiska kompetensen saknas. Det kan innebära att patienten behöver vård på närmaste universitetssjukhus alternativt återremitteras till NHVe.
Påverkan på vårdkedjan	Transporterna för de aktuella patienterna är riskfyllda, det är därför viktigt att beakta att transporterna inte blir för långa. Patienterna kommer i vissa fall att behöva förberedas på hemort inför transport oavsett om det sker direkt till NHVe eller via regionvård. Det finns med NHV förutsättningar för en effektivare vårdkedja och kortare ledtider genom ökad enhetlighet kring de aktuella åtgärderna.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	Multidisciplinära möten inom det aktuella vårdområdet kommer att konsumera resurser, som skall mobiliseras på kort tid utifrån det aktuella sjukdomspanoramata. De enheter som tilldelas tillstånd kommer att få något ökade vårdvolymen men eftersom antalet patienter är få väntas denna påverkan bli liten. Resursförstärkning

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	<p>bör ske för att undvika förlängd väntetid för patienten.</p> <p>Ett tydligt uppdrag för NHVe kommer sannolikt att utgöra ett attraktionsmoment för specialister inom berörda områden. Samarbete mellan NHVe kan minska sårbarhet vid tillfälliga problem med kompetensförsörjning inom berörda specialiteter.</p> <p>En nationell koncentration ökar förutsättningarna att implementering av nya behandlingsmetoder sker på ett strukturerat sätt.</p>
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	<p>Patienten är i behov av transporter med hög vårdkompetens inom avancerad luftväg, främst genom marktransport då patientgruppen inte bedöms vara transportabel inom flygtransport. Detta ställer högre krav på marktransporter. Det totala antalet transporter väntas inte påverkas nämnvärt då antalet fall är få samt att patienterna redan idag transporteras till närmsta universitetssjukhus. Däremot kan något fler interregionala transporter med hög kompetens krävas, jämfört med idag.</p>
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	<p>I framtiden förväntas efterfrågan på avancerad endoskopisk behandling och diagnostik att öka utifrån pågående forskning och metodutveckling inom bl.a. lungcancer. I och med att ett flertal av de avancerade endoskopiska ingreppet kan göras i lokalbedövning är patientantalet fler i jämförelse mot öppen thoraxkirurgi.</p>
Övriga kommentarer:	

Uppföljning och utvärdering

Tillståndsinnehavarna av nationell högspecialiserad vård ansvarar för uppföljning av sina verksamheter (egenkontroller) samt för inlämning av årsrapporter till Socialstyrelsen. Årsrapporterna ska utgå från verksamhetens egenkontroll. Socialstyrelsen ansvarar för fördjupad utvärdering av tillstånden för nationell högspecialiserad vård.

Sakkunniggruppen ansvarar för att ta fram förslag till de uppföljningsmått som de anser relevanta för den vård som föreslås ska koncentreras (definitionen). Uppföljningsmått ska utgå från nedan mall. Uppföljningsmått kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Förslag till uppföljningsmått

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått – Antal patienter*	Antal patienter/bedömningar/remisser till NHVe Ev även uppdelat på diagnos eller behandling om det finns behov
Bakgrundsmått – Antal behandlingar	Antal operationer/behandlingar vid NHVe Ev även uppdelat på diagnos eller behandling om det finns behov
Bakgrundsmått - Vårdtid	Vårdtid (i dygn) inläggande patienter Datum för utskrivning minus datum för inskrivning
Tillgänglighetsmått – tid till bedömning	Tid (i dagar) från remissankomst till bedömning Datum för bedömning minus datum för remissankomst
Tillgänglighetsmått – tid till behandling	Tid (i dagar) från bedömning till åtgärd Datum för åtgärd minus datum för bedömning
Medicinska resultat	Komplikation, exempelvis grad av blödning och pneumothorax
*För patienter inom NHV följs demografisk data upp: <ul style="list-style-type: none"> • Ålder (om relevant) • Kön • Patientens hemregion (folkbokföringsadress) 	

- Diagnos

Deltagare i sakkunniggrupp

Samverkansregion Stockholm: Ranjh Hamed, specialist inom lungsjukdomar

Samverkansregion Linköping: Maria Öhman, specialist inom lungsjukdomar
samt internmedicin och intensivvård

Samverkansregion Umeå: Katarina Olofsson, specialist inom öron-, näs- och
halssjukdomar med grenspecialitet inom röst och talrubbningar

Samverkansregion Lund/Malmö: Stefan Barath, specialist inom lungsjukdo-
mar

Samverkansregion Göteborg: Margaretha Smith Wallhede, specialist inom
lungsjukdomar och internmedicin

Samverkansregion Uppsala/Örebro: Leif Nordang, specialist inom öron-,
näs- och halssjukdomar

Patientföreträdare: Tommy Björk, Lungcancerföreningen

Om nationell högspecialiserad vård

Den 1 juli 2018 genomfördes ändringar i hälso- och sjukvårdslagen (2017:30), HSL, som innebär en ny beslutsprocess för den nationella högspecialiserade vården. I 2 kap. 7 § HSL definieras nationell högspecialiserad vård som offentligt finansierad hälso- och sjukvård som behöver koncentreras till en eller flera enheter men inte till varje sjukvårdsregion för att kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen ska kunna upprätthållas och ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser ska kunna uppnås.

Vid bedömningen av om en åtgärd ska utgöra nationell högspecialiserad vård ska hänsyn särskilt tas till om vården är komplex eller sällan förekommande och om den kräver en viss volym, multidisciplinär kompetens eller stora investeringar eller medför höga kostnader (se 7 kap. 5 § HSL).

Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

För vården innebär denna nivåstrukturering en möjlighet att profilera sig inom olika områden och bygga upp olika specialistcentra. Ett större patientunderlag för en högspecialiserad verksamhet skapar nödvändiga förutsättningar för att bedriva hög-kvalitativ forskning, utbildning och rekrytera spetskompetens.

Socialstyrelsen samarbetar med regionernas system för kunskapsstyrning i hälso- och sjukvård och engagerar profession och patientrepresentanter i arbetet med att definiera vilken vård som ska anses vara av nationell karaktär.

Hänsyn ska tas till hela vårdkedjan. Riktlinjer, vårdprogram, vårdresultat och register-data ska beaktas i definition av vårdområden och framtagande av kunskapsunderlag för nationell högspecialiserad vård.

Arbetsprocessen för att nivåstrukturera vården på nationell nivå består av åtta steg:



Representanterna i nationella programområdet (NPO) förväntas ha särskilt god kunskap inom sitt vårdområde för att kunna ge underlag till steg 1 i arbetsprocessen. NPO ansvarar för uppgiften att ta fram förslag på vårdområden som ska genomlysas samt att ge förslag på personer till de sakkunniggrupper som i steg 2 tar fram underlag inför beslut om nationell högspecialiserad vård.

NPO ska inhämta kunskapsläget nationellt och internationellt och därefter föreslå områden som skulle kunna utgöra nationell högspecialiserad vård. För att stödja arbetet med att ta fram förslag på områden (t.ex. en diagnostisk metod, ett kirurgiskt ingrepp, en avancerad medicinsk behandling, en rehabiliterande insats) vid ett visst hälso- eller sjukdomstillstånd har Socialstyrelsen tagit fram kriterier som arbetet ska utgå ifrån.

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den del i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

Sakkunniggruppernas underlag skickas ut på en bred remiss. Socialstyrelsen sammanställer inkomna synpunkter och därefter kan sakkunniggruppen komplettera sitt underlag eller göra eventuella förtydliganden.

Sakkunniggruppens underlag och remissvar lämnas över till en beredningsgrupp vars uppdrag är att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet.

Efter beredning beslutar Socialstyrelsen vilken vård som ska nivåstruktureras samt antalet vårdenheter i landet som får bedriva den tillståndspliktiga vården.

Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilken/vilka region/regioner som ska få bedriva definierad vård på nationell nivå. Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp.

Extraktion av pacemakerutrustning

Sakkunniggruppens förslag på nationell
högspecialiserad vård
Remissversion

Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för extraktion av pacemakerutrustning vårdområdet med samma namn och lämnar sitt förslag till nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppens förslag remitteras öppet för synpunkter från alla intresserade. Genom att få in synpunkter på sakkunniggruppens förslag i processen, möjliggörs en bredare konsekvensanalys.

Inför Socialstyrelsens beslut om vad som ska utgöra nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter vården ska bedrivas, kommer även en beredningsgrupp att lämna ett yttrande utifrån underlaget, inkomna synpunkter och konsekvensanalysen.

Socialstyrelsen leder arbetet med att koncentrera mer av den högspecialiserade vården på nationell nivå och ansvarar för arbetsprocessen för detta arbete. Socialstyrelsen vill tacka alla som har deltagit i arbetet med att ta fram detta underlag.

Thomas Lindén
Avdelningschef

Sakkunniggruppens uppdrag

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den eller de delar i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

Innehåll

Förord	2
Sakkunniggruppens uppdrag	3
Ordlista.....	5
Sammanvägd bedömning.....	6
Definition	7
Vårdområde	9
Särskilda villkor	14
Konsekvensanalys.....	16
Uppföljning och utvärdering	19
Referenser	21
Deltagare i sakkunniggrupp	22
Om nationell högspecialiserad vård	23

Ordlista

CIED	Cardiac implantable electronic device (inopererade elektroniska hjärtstimulatorer)
Elektroextraktion	Borttagande av pacemaker/ICD- elektroder
Endokardit	Infektion i hjärtats klaffar eller i endokardiet
ICD	Implantable cardioverter defibrillator
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad enhet
PM	Pacemaker
SKG	Sakkunniggrupp

Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet extraktion av pacemakerutrustning att det som framgår under rubriken Definition ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra enheter.

Detta bedöms vara vård som är komplex, sällan förekommande och kräver en viss volym. Vården är även multidisciplinär då bland annat kardiolog, infektionsläkare, anestesilog, thoraxkirurgiskt operationsteam, kärlkirurg och intensivvård kan behövas och skall finnas tillgängligt.

Sakkunniggruppen finner att en koncentration av aktuell vård ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås.

Konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva då en minskning av antal enheter från sex till fyra skulle öka förutsättningarna för utbildning och multidisciplinär bemanning på varje enhet. Fyra enheter skulle möjliggöra en uppbyggnad och vidmakthållande av höga vårdvolymen vid varje enhet, förenliga med internationella riktlinjer. Vidare skulle en koncentration säkerhetsställa att enbart sjukhus med bäst förutsättningar får utföra åtgärderna vilket skulle säkerställa god kvalitet och utvecklingsmöjligheter av elektrodextraktioner. Genom inrättande av nationella enheter med specifikt ansvar för den definierade vården skulle även förutsättningar för kortare väntetider öka. Alla patienter i landet skulle få en adekvat bedömning inför en eventuell elektrodextraktion – vilket sin tur leder till en ökad rättvisa och god och jämlik vård.

Sakkunniggruppen bedömer att akutsjukvården inom detta område är adekvat tillgodosedd då extraktionskirurgi ej bedrivs som akut kirurgi inom 24 timmar. Patienter kan stabiliseras lokalt på länslasarett/regionalt sjukhus och transporteras till NHVe, då behov av extraktion behöver utföras skyndsamt (i typfallet inom en vecka för akuta fall).

Omkringliggande områden som kan påverkas är t.ex. sådan vård som kräver samma resurser, exempelvis thoraxkirurgiska och elektrofysiologiska ingrepp. Denna eventuella undanträngningseffekt är dock förväntad och hanterbar.

Behovet av ambulanstransporter till NHVe kommer att öka marginellt.

Definition

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till definition av nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter den ska bedrivas.

Ställningstagande till, samt i förekommande fall, extraktion av pacemaker/ICD-elektroder för personer över 18 år ska utgöra nationell högspecialiserad vård.

Kontakt med en nationell enhet ska initieras vid uppfyllelse av följande kriterium:

- PM-elektroder som implanterats mer än 2 år sedan
- ICD-elektroder som implanterats mer än 1 år sedan
- PM-elektroder eller ICD-elektroder, oberoende av implantationstidpunkt, där det kan komma att krävas extraktionsutrustning. Till exempel skadade elektroder eller patient med endokardit och större infektiösa pålagringar på PM/ICD-elektroder.

Antal enheter

Fyra enheter

Avgränsningar

Sakkunniggruppen har i sin genomlysning gjort följande avgränsningar till området.

Följande områden, med stark koppling till definitionen, ingår ej i definitionen och ska ej koncentreras på nationell nivå:

1. Extraktion av pacemaker/ICD- elektroder kan i undantagsfall utföras i patientens hemregion efter överenskommelse med NHVe.
2. Barn och ungdomar <18 år i behov av extraktion av pacemaker/ICD- elektroder.

Följande områden har genomlysts separat:

1. Extraktion av pacemaker/ICD- elektroder för barn och ungdomar ingår idag i NHV Hjärtkirurgi på barn och ungdomar.

Vårdområde

Nuläge

Det vårdområde som sakkunniggruppen genomlyst, för att utreda vad som bör koncentreras på nationell nivå är extraktion av pacemakerutrustning. Vården är sällan förekommande då det utförs ca 400 elektrodextraktioner per år i Sverige, vilket motsvarar mellan 160 och 170 patienter/år. Barn och ungdomar i behov av extraktion av pacemaker/ICD- elektroder har inte genomlysts i detta underlag då det redan är koncentrerat till två nationella vårdenheter (NHVe) som utför hjärtkirurgi på barn och ungdomar.

Den vanligaste anledningen till elektrodextraktion är lokal eller systemisk infektion följt av tekniska fel på elektroden. Vid lokal infektion eller vid närvaro av infektiösa pålagringar är evidensen för indikationen för extraktion stark men vid systemisk infektion utan närvaro av pålagringar finns preliminära data som talar för att konservativ behandling med antibiotika kan leda till utläkning utan extraktion av elektroder i selekterade fall.

Extraktion av pacemaker/ICD-elektroder är förenat med en viss risk för komplikationer och mortalitet. Risken ökar med tiden som elektroden är inplanterad och typ av elektrod, men en absolut tidsgräns finns inte. Dock är risken svårbedömd preoperativt och beror också på individuella skillnader hos patienten och elektrod.

Extraktioner är komplext eftersom det krävs en välfungerande kedja med specialtränad personal för hantering av extraktionsverktyg, kärl- och thoraxkirurgisk kompetens samt, thoraxanestesi- och intensivvårdskompetens. Majoriteten av ingrepp bör göras inom en vecka från fastställd infektionsdiagnos vilket kräver avsatta resurser i ordinarie verksamhet för att kunna erbjuda planerade, subakuta och akuta operationstider.

För att möjliggöra en god vård för patientgruppen krävs insatser från kardiolog, infektionsläkare, anestesilog, och undantagsvis från thoraxkirurgiskt operationsteam, kärlkirurg och intensivvård, vilket gör vården multidisciplinär.

Idag fungerar elektrodextraktioner bra vid de enheter som har en uppbyggd extraktionsverksamhet. Dock riskerar ställningstagandet att utebli för patienter som inte är knutna till de etablerade extraktionsverksamheterna. Detta riskerar att leda till att patienter, i behov av extraktion av pacemaker/ICD-elektroder, istället behandlas med ej optimala alternativ, så som enbart antibiotika vid infektion eller addering av fler elektroder än vad som är rekommendabelt.

Idag finns det sex centra som utför extraktioner. Av dessa sex är det fyra vårdgivare som har byggt upp ett flöde från remissbedömning till borttagande av elektroder förenliga med europeiska riktlinjer volymmässigt. Dessa vårdgivare är belägna vid universitetssjukhusen: Karolinska universitetssjukhuset, Skånes universitetssjukhus i Lund, Sahlgrenska universitetssjukhuset

och Akademiska sjukhuset. Idag remitteras patienter, allt som oftast, från andra regioner till någon av dessa fyra enheter.

Vårdvolym

Vårdvolymen för det definierade vårdområdet uppskattas till mellan 160-170 patienter som kräver extraktion per år i landet. Antal bedömningar av patienter uppskattas vara drygt 50 % fler än antalet extraktioner. Siffror från Svenska ICD och Pacemaker registret (PMR) 2020 visar att extraktion av 93 ICD-elektroder och 308 pacemaker-elektroder (totalt 401 elektroder) genomfördes. 401 elektroder motsvarar ca *167 patienter, där en genomsnittspatient har 2,4 elektroder.

(*antal elektroder)/(elektroder/patient)= antal patienter (401/2,4 =167)

Forskning

I Sverige bedrivs, utifrån publikationer, mycket få forskningsprojekt inom extraktionskirurgi. Det förekommer forskningssamarbete i registerstudier (t.ex. ELECTRa registret, europeiskt extraktionsregister) samt vid framtagande av internationella riktlinjer. Det svenska kvalitetsregistret, PMR, startades 1989 för att ge en samlad bild av pacemakerbehandling i Sverige och inkluderar sedan 2015 elektrodextraktioner. Rapporteringen har blivit mera fullständig de senaste åren och ger därmed en möjlighet att uppskatta volymer och göra prognoser. Registret kan utvecklas och ligga till grund för framtida svensk registerforskning inom området. Forskning ska bedrivas enligt internationella rekommendationer och en koncentration av extraktionskirurgin kommer sannolikt att ge bättre förutsättningar för att utveckla uppföljningssystem och registerhållning. Dessutom skulle en koncentration till ett fåtal sjukhus transformera svenska centra till riktiga högvolumsjukhus fullt jämförbara med stora europeiska centrum och därmed i högre utsträckning facilitera prospektiv forskning av hög kvalitet.

Internationell utblick

I ett nordiskt perspektiv är extraktionskirurgi koncentrerad till ett fåtal enheter med väl utbildade operatörer som strävar efter att följa europeiska rekommendationer för utbildning och volymer [1], se nedan för mer detaljerad redogörelse för Norge och Danmark.

I Norge genomförs elektrodextraktioner vid tre sjukhus: UUS (Oslo universitetssjukhus Ullevål), HUS (Haukeland universitetssjukhus i Bergen), St. Olav (St. Olavs hospital i Trondheim). Det finns totalt åtta operatörer i Norge varav fem är verksamma på UUS. 2020 opererades 167 patienter i Norge, se tabell 1. Siffrorna för 2019 är ungefär de samma och volymerna har varit stabila de senaste åren.

Tabell 1. Vårdvolym i Norge

	UUS	HUS	St. Olav
Elektroder	212	65	37
Patienter	111	33	23

I Danmark genomförs elektrodextraktioner vid fyra sjukhus; Århus, Ålborg, Odense och Köpenhamn (Rigshospitalet). Sundhetsstyrelsen kräver att det finns thoraxkirurgi på danska enheter. Danska centra strävar efter att uppfylla kraven från The European Heart Rhythm Association (EHRA) på utbildning och volym. Det finns totalt sju operatörer, två i Köpenhamn, två i Odense, två i Århus och en i Ålborg. Alla extraktioner rapporteras till det danska registret. Inga siffror på antal patienter/år per enhet har kunnat tillhandahållas.

I Europa finns på grund av olika ersättningsystem många mindre centra (<40 extraktioner/år) men även mycket stora centra (>100 extraktioner/år), vilket bör beaktas vid jämförelser. Storbritannien, som har en mer jämförbar sjukvårdsorganisation med Sverige, bedriver extraktionskirurgi företrädesvis på så kallade tertiärsjukhus som är remissinstanser för respektive region och har förhållandevis stora volymer (50-200 extraktioner/år).

Framåtblick

Som tidigare nämnts i underlaget så innebär extraktion en viss risk för komplikation och mortalitet i samband med ingreppet. Enligt internationella riktlinjer ökar risken med tiden, om elektroderna varit inplanterade mer än ett år. Men i realiteten finns ingen absolut tidsgräns, utan den varierar med patientens fysiologiska och medicinska förutsättningar. Sakkunniggruppens bedömning är att komplexiteten och riskerna vid extraktion av just pacemaker-elektroder ofta uppstår efter flera år beroende på individuella skillnader hos patienten. Därav har sakkunniggruppen, baserat på sin beprövade erfarenhet, valt att definiera pacemakerextraktioner med en två-årsgräns och därmed också valt att frångå de internationella riktlinjerna på denna punkt. Dock har sakkunniggruppen valt att vid extraktion av ICD-elektroder använda en ettårsgräns, då risken för komplikation är mer betydande vid extraktion av ICD-elektroder än vid extraktion av pacemaker-elektroder.

Varför nationell högspecialiserad vård?

Centralisering av elektrodextraktioner till ett fåtal centra skulle möjliggöra större volym per operatör. Detta bör eftersträvas då högre volym per operatör korresponderar till fler lyckade ingrepp och minskad komplikationsrisk [2, 3]. Fyra enheter skulle således möjliggöra en uppbyggnad och vidmakthållande av höga vårdvolymer förenliga med internationella rekommendationer. Därtill skulle en koncentration inom ramen för NHV möjliggöra att alla patienter i landet får en adekvat bedömning inför en eventuell elektrodextraktion. Sakkunniggruppens bedömning är att det förekommer icke-evidensbaserad behandling av t.ex. dosfückeinfektioner.

Resonemang kring antal enheter

Andelen infektioner vid pacemakerkirurgi har legat på en stadig nivå enligt inrapportering till PMR och förväntas inte stiga. Den konservativa behandlingen med antibiotika förväntas däremot öka vid systemisk infektion. Detta balanseras till viss mån ut av en ökad medvetenhet om att extraktion av överflödiga elektroder hos yngre patienter är gynnsamt för god långtidfunktion

av pacemakersystem. Dock saknas stora vetenskapliga material som stöder detta. Tekniska fel på elektroder har förekommit under hela den period pacemaker och ICD behandling funnits men har minskat över tid. De antas dock inte helt försvinna. Baserat på dessa fakta antas volymökningen av elektrodextraktioner i Sverige vara blygsam och som mest 10 % per år de närmaste åren. Antalet bedömningar uppskattas öka till 350 patienter/år då vården blir tillståndspliktigt och medvetenheten kring behandlingsmöjligheter ökar, se tabell 2.

En koncentration till fyra enheter skulle ge en extraktionsvolym på ca 45 patienter per år och enhet och en bedömningsvolym på ca 75 patienter per år och enhet. Enligt internationella rekommendationer är en adekvat extraktionsvolym per operatör minimum 20 elektrodextraktioner (15 operationer) per år [1]. Tabell 3 illustrerar beräknat antal operationer per år i relation till antal enheter samt uppskattad volymökning av operationer i Sverige de närmaste åren.

Gällande förslaget att koncentrera vårdområdet till fyra enheter är baserat på att det idag finns fyra enheter som skulle kunna upprätthålla minimivolym per enhet och adekvata volymer per operatör. Detta skulle också skapa en starkare redundans i systemet vid oförutsedda händelser. Sakkunniggruppen ser dock att det kan finnas skäl som talar för att koncentrera det till tre enheter. Koncentration till tre enheter skulle innebära större patientvolym per enhet och fler ingrepp per operatör. Dock skulle en eventuell ökning av patientvolym bli svårare att hantera och eventuella produktionsbortfall på en enhet skulle potentiellt bli mer sårbart med totalt tre enheter.

Tabell 2. Uppskattade antal bedömning/år per enhet med framtida scenario

Eventuell volymökning de kommande åren	Antal bedömningar/år*	Antal enheter	Antal bedömningar/enhet
Nuläge	250	2	125
	250	3	83
	250	4	63
Ökning 100 patienter	350	2	175
	350	3	117
	350	4	88

*Siffrorna är en uppskattning av sakkunniggruppen och exakta siffror har inte kunnat tillhandahållas. Antal bedömningar av patienter uppskattas vara 50 % fler än antalet extraktioner. $167 \cdot 50 \% = 250$.

Tabell 3. Antal operationer/år per enhet med framtida scenario

Eventuell volymökning de kommande åren	Antal operationer/år*	Antal enheter	Antal operationer/enhet	Möjliggör antal operatörer per enhet (räknat på 20 op/år)#
Nuläge	167	2	84	4 (4,2)
	167	3	56	2 (2,8)

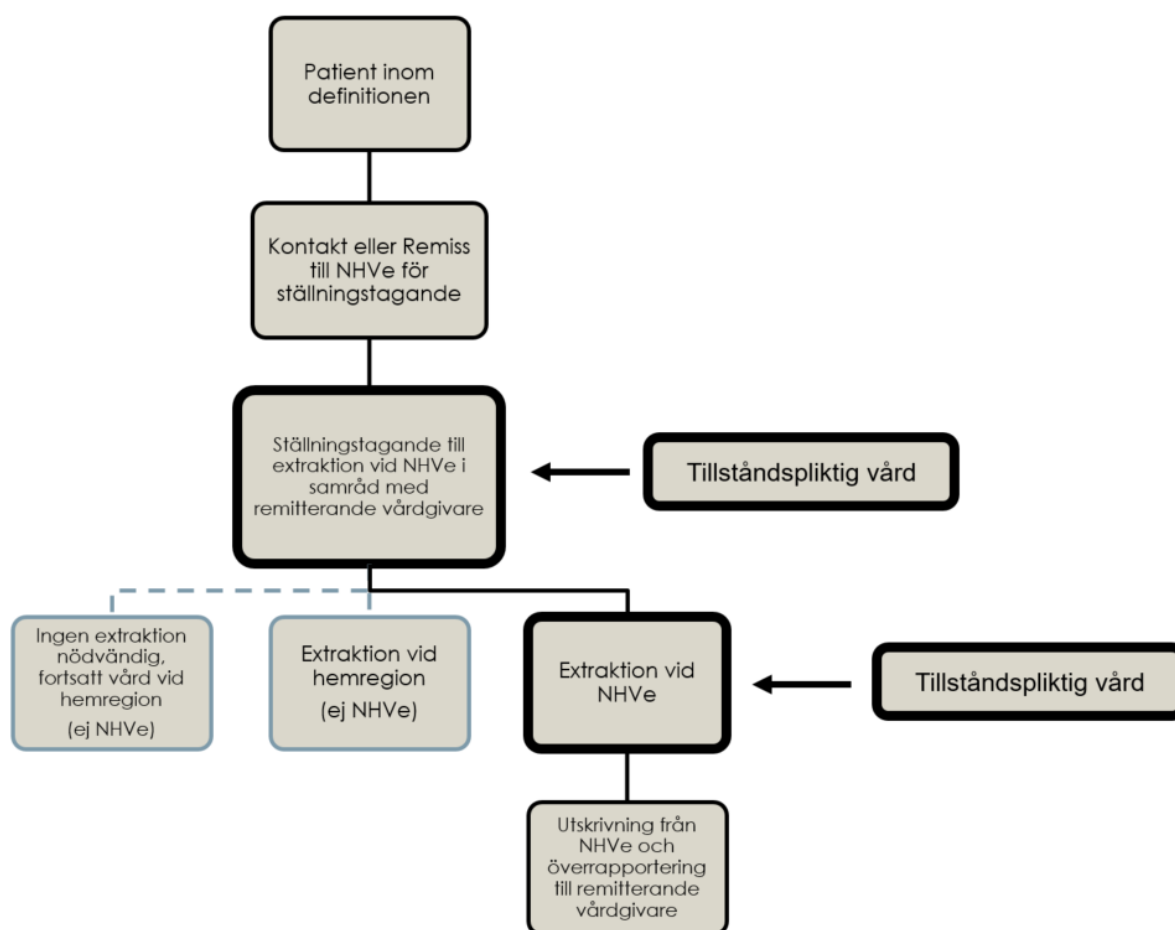
	167	4	42	2 (2,1)
Ökning 10 %	184	2	92	4 (4,6)
	184	3	61	3 (3,1)
	184	4	46	2 (2,3)

*Siffror 2020: 93 ICD elektroder + 308 PM elektroder= 401 elektroder= ca 167 patienter (antal elektroder)/(elektroder/patient) = antal patienter (401/2,4 =167).

#Internationella riktlinjer [1] anger 15 op/år och per operatör som ett minimum, här har vi räknat med 20 op/år och per operatör för att ha en adekvat och önskvärd marginal för att upprätthålla kompetens och ge utrymme för utbildning av nya operatörer.

Förslag till vårdflöde/vårdkedja

Idag finns det fler än fyra upprättade extraktionsverksamheter i landet, och efter överenskommelse med NHVe kan extraktion av pacemaker/ICD- elektroder genomföras i patientens hemregion, vilket illustreras i figur 1. Detta skulle syfta till att undvika onödigt resande för sköra patienter i de fall elektrodextraktion kan genomföras säkert vid hemortssjukhusen. Figur 1 illustrerar ett potentiellt vårdflöde från remiss till utskrivning från NHVe.



Figur 1. Vårdflöde: Extraktion av pacemakerutrustning

Särskilda villkor

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till särskilda villkor. Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilka särskilda villkor som ska gälla för tillstånden. De generella villkoren regleras i Socialstyrelsens [föreskrifter](#) (HSLF-FS 2018:48) om nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppen ansvarar för att ta fram förslag till särskilda villkor för respektive område. Förslagen ska återspegla definitionen och i viss mån vara vägledande vid tilldelning av tillstånd. De föreslagna särskilda villkoren för aktuellt tillstånd kan komma att justeras av nämnden när beslut om tillstånd fattas.

De villkor som anges under respektive rubrik ska vara unika saker som det definierade området kräver. Vård som kan ges på alla sjukhus i Sverige behöver inte framgå som ett särskilt villkor.

Kritisk personalkompetens

Här ska det framgå vilken typ av personal som är specifik för detta område. Samtliga specialister/professioner i det multidisciplinära teamet ska ha specifik erfarenhet/kunskap/kompetens inom det definierade området.

- Kardiolog med erfarenhet av arytmier och CIED.
- Operatör-/er med rätt utbildning och erfarenhet; primär operatör med minimum 20 elektrodextraktioner/15 operationer per år, högre krav för handledare*
- Anestesiolog och anestesijuksköterska
- Bilddiagnostisk kompetens (ekokardiografi, radiologi)
- Thoraxkirurgiskt operationsteam (inkl senior thoraxkirurg, anestesiolog, operationssjuksköterska, anestesijuksköterska och perfusionist) tillgängligt

*enligt internationella riktlinjer [1]

Kritisk utrustning, lokaler

Här ska det framgå om det är någon typ av utrustning som inte tillhör standardutbudet på ett sjukhus som behövs för att diagnosticera och/eller vårda patienter inom definitionen. Endast om utrustningen/lokalen är ovanlig eller starkt kopplad till definitionen ska den anges.

- Extraktionsutrustning (som möjliggör komplett och säker extraktion av alla elektroder)
- Röntgenutrustning med hög upplösning adekvat för angiografi
- Ekokardiograf med möjlighet för transesofagalt ultraljud

- Hjärtlungmaskin tillgänglig

Andra förutsättningar för att vården inom det definierade området ska kunna bedrivas

Här beskrivs behov av andra medicinska områden eller vårdåtgärder som inte är definierade som NHV, men som måste finnas för att vård inom definitionen ska kunna bedrivas. Det kan exempelvis gälla tillgång till akuta konsultationer inom något område, någon särskild behandling som behöver finnas eller tillgång till annan resurs (lekterapi etc). Dessa behöver ej finnas att tillgå fysiskt på samma sjukhus som NHVe, men en ansökande enhet behöver kunna visa hur de ska säkra att dessa områden finns tillgängliga för en överskådlig tid.

- Intensivvårdsenhet med thoraxkompetens inkluderande mekanisk hjärtassist
- Endokarditteam för multidisciplinär bedömning av inkommande remisser
- Sepsisvård (infektionsklinik) med vana av infektioner i hjärtats klaffar och pacemakersystem
- Erfarenhet av alternativa implantationsmetoder för nytt pacemaker-/ICD-system, t ex epikardiellt system, "leadless" pacemaker och subcutan ICD.

Övrigt

- NHVe ska genomföra strukturerad uppföljning av operationsresultat
- NHVe ska ansvara för att rapportera till nationellt kvalitetsregister
- NHVe ska bidra till att utforma dedikerade vårdprogram/process för elektrodextraktion inkluderande komplikationshantering
- NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs.
- NHVe ska verka för att etablera ett internationellt samarbete inom tillståndsområdet.
- NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.

Konsekvensanalys

Nedan följer sakkunniggruppens konsekvensanalys av sitt förslag till att koncentrera definierad vård.

Socialstyrelsens beslut föregås av en bred remiss och beredning för att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet. Beredningsgruppen (B1) utgår från sakkunniggruppernas underlag och remissvaren för att göra en övergripande analys av systemeffekterna, framförallt förmågan att bedriva akut sjukvård.

Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp (B2). Beredningsgruppen ska tillsammans representera följande perspektiv: länssjukvård, akut vård, universitetssjukhusvård och medicinsk fakultet. Systemkonsekvenser t.ex. påverkan på akutsjukvården, patienttransporter samt utbildning och forskning får beaktas vid en fördelning av tillståndet/tillstånden om det är för att säkerställa patientens bästa.

Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)

En koncentration av vården inom definitionen till fyra enheter ger en volym på minst 40 extraktioner per år per enhet, vilket ger möjlighet till utbildning och bemanning på varje enhet för att ge goda förutsättningar för korta väntetider och säkerställa god kvalitet och utvecklingsmöjligheter. Fler patienter förväntas även få en korrekt bedömning inför en eventuell extraktion, då ställningstagande till extraktion kommer att bli tillståndspliktigt.

Vården kring dessa patienter förväntas även att standardiseras vid NHVe vilket ger bättre förutsättningar för uppföljning och utvärdering.

En koncentration till fyra enheter skulle kunna ge goda förutsättningar för korta väntetider. Vid enheter med för låga extraktionsvolymmer utförs extraktioner mer sällan vilket kan ge längre väntetider för patienter då fasta operationstider kan saknas. Samtidigt kan längre väntetider uppstå även vid enheter med för höga extraktionsvolymmer, då detta kan överskrida anslagna resurser. Väntetider kan vara av avgörande betydelse för vårdkvalitén för en sepsispatient.

En koncentration kan medföra en längre restid för patienterna vilket dock anses vara av mindre betydelse för ett högspecialiserat ingrepp som görs vid livsavgörande situationer och med stor sannolikhet bara en gång i livet.

Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring

Det är värdefullt att koncentrera extraktionsverksamhet till ett fåtal ställen för möjligheten att bygga upp utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring, samt ordna en fungerande grupp med individer för problemlösning och

kunna hålla service kontinuerligt under året. Det är lättare att upprätthålla kompetens kring flera olika extraktionsmetoder med en stor patientvolym och det bör även kunna främja en positiv utveckling av samarbete mellan tillståndsenheterna.

Läkarnas ST-utbildning kommer inte påverkas negativt på de enheter som inte får tillståndet, då denna vård inte är på ST-nivå.

Det finns viss risk för att kompetens försvinner från enheter som inte får tillståndet. Dock kommer andra enheter ha möjlighet att genomföra elektrodextraktioner, efter överenskommelse med NHVe, om rätt kompetens och förutsättningar finns.

Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?

Koncentration och samverkan mellan nationella enheter möjliggör bättre forskning och utveckling av register.

Påverkan på närliggande områden

Omkringliggande områden som kan påverkas är t.ex. sådan vård som kräver samma resurser, exempelvis thoraxkirurgiska och elektrofysiologiska ingrepp. Denna eventuella undanträngningseffekt är dock förväntad och hanterbar.

Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort

Sakkunniggruppen bedömer att akutsjukvården inom detta område är adekvat tillgodosedd då extraktionskirurgi ej bedrivs som akut kirurgi inom 24 timmar. Patienter kan stabiliseras lokalt på länslasarett/regionalt sjukhus och transporteras till NHVe, då behov av extraktion behöver utföras skyndsamt (i typfallet inom en vecka för akuta fall).

Påverkan på vårdkedjan

Det finns en risk att den vårdkedja som finns idag påverkas genom att patienter kan remitteras direkt till NHVe istället för via regionsjukhus. Det bör dock kunna skapas regionala rutiner för denna patientgrupp där det behövs.

Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)

En koncentration skulle leda till högre volymer, och tillgängliga data visar att högvolymscentra har högre grad av lyckade ingrepp och färre komplikationer. Höga volymer tillåter också att flera operatörer är aktiva och bättre täckning under året kan uppnås då man inte behöver ta hänsyn till enskilda individers tjänstgöring. En högre volym skapar en möjlighet till att minst 2-3 operatörer är aktiva och därmed uppnås en flexibilitet och minskad sårbarhet

vad gäller schematäckning. Små volymer ger enbart möjlighet att en enstaka operatör upprätthåller skicklighet och möjlighet till metodutveckling.

NHVe kan behöva göra investeringar som är kostsamma. Dock finns det fyra vårdgivare som idag har en väl uppbyggd extraktionsverksamhet där både utrustning och operatörer finns tillgängliga.

Eventuella konsekvenser för sjuktransporter

Omkringliggande områden som kan påverkas är t ex behovet av ambulans-transporter till NHVe. Det finns dock redan idag ett välfungerande system med transporter av patienter till högspecialiserade centra och inrättandet av NHVe för extraktion påverkar behovet marginellt.

Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsplanering

Antalet patienter ökar långsamt och följer i stort sett befolkningsökningen. År 2020 fanns drygt 50000 patienter med pacemaker och drygt 12000 patienter med ICD. Antalet elektrodextraktioner förväntas således öka blygsamt framöver från dagens ca 170 patienter med ca 10 % per år med dagens indikationer.

Övriga kommentarer

Uppföljning och utvärdering

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till uppföljningsmått för årlig rapportering av den definierade vården. Uppföljningsmåttan genomarbetas och fastställs av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Tillståndsinnehavarna av nationell högspecialiserad vård ansvarar för inlämning av årsrapporter till Socialstyrelsen samt uppföljning av sina verksamheter (egenkontroller). Socialstyrelsen ansvarar för fördjupad utvärdering av tillstånden för nationell högspecialiserad vård.

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått – Antal patienter*	Antal patienter/bedömningar/remisser till NHVe Ev även uppdelat på diagnos eller behandling om det finns behov
Bakgrundsmått – Antal behandlingar	Antal operationer/behandlingar vid NHVe Ev även uppdelat på diagnos eller behandling om det finns behov
Bakgrundsmått - Vårdtid	Vårdtid (i dygn) ineliggande patienter Datum för utskrivning minus datum för inskrivning
Tillgänglighetsmått – tid till bedömning	Tid (i dagar) från remiss till bedömning Datum för bedömning minus datum för remiss
Tillgänglighetsmått – tid till behandling	Tid (i dagar) från remiss (alt bedömning) till behandling/åtgärd Datum för behandling/åtgärd minus datum för remiss (alt bedömning) Alternativt: Andel patienter (i procent) som behandlats inom vårdgarantin (rekommenderad tid)
Medicinska resultat	Överlevnad
Medicinska resultat	Komplikation
*För patienter inom NHV följs demografisk data upp: <ul style="list-style-type: none"> • Ålder (om relevant) 	

- Kön
- Patientens hemregion (folkbokföringsadress)

Referenser

Sakkunniggruppen har identifierat några referenser till forskningsstudier som beskriver patientgrupper, vårdformer, behandlingsmetoder samt frågeställningen om koncentration av vård inom området extraktion av pacemakerutrustning. Sakkunniggruppens bedömning utgår från internationell utblick, litteraturgranskning, klinisk erfarenhet och kunskap om den svenska sjukvårdens struktur inom området.

1. Deharo JC, Bongiorni MG, Rozkovec A, Bracke F, Defaye P, *et al.* Pathways for training and accreditation for transvenous lead extraction: a European Heart Rhythm Association position paper. *Europace* 2012;14:124–34.
2. Sidhu BS, Gould J, Bunce C, Elliott M, Mehta V, Kennergren C, *et al.* The effect of centre volume and procedure location on major complications and mortality from transvenous lead extraction: an ESC EHRA EORP European Lead Extraction Controlled Electra registry subanalysis. *EP Europace* 2020;22:1718–28.
3. Di Monaco A, Pelargonio G, Narducci ML, Manzoli L, Boccia S, Flacco ME, *et al.* Safety of transvenous lead extraction according to centre volume: a systematic review and meta-analysis. *EP Europace* 2014;16:1496–507.

Deltagare i sakkunniggrupp

Samverkansregion Göteborg: Jakob Gäbel, specialist inom thoraxkirurgi
Samverkansregion Linköping: Kåge Säfström, specialist inom kardiologi
Samverkansregion Lund/Malmö: David Mörtzell, specialist inom kardiologi
Samverkansregion Stockholm: Fredrik Gadler, specialist inom kardiologi
Samverkansregion Umeå: Folke Rönn, specialist inom kardiologi
Samverkansregion Uppsala/Örebro: Priit Teder, specialist inom kardiologi

Följande föreningar/personer har bidragit med synpunkter utifrån patientperspektivet på sakkunniggruppens utkast inför remittering:

- Britt Bergh, patientrepresentant från Riksförbundet HjärtLung

Om nationell högspecialiserad vård

Den 1 juli 2018 genomfördes ändringar i hälso- och sjukvårdslagen (2017:30), HSL, som innebär en ny beslutsprocess för den nationella högspecialiserade vården. I 2 kap. 7 § HSL definieras nationell högspecialiserad vård som offentligt finansierad hälso- och sjukvård som behöver koncentreras till en eller flera enheter men inte till varje sjukvårdsregion för att kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen ska kunna upprätthållas och ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser ska kunna uppnås.

Vid bedömningen av om en åtgärd ska utgöra nationell högspecialiserad vård ska hänsyn särskilt tas till om vården är komplex eller sällan förekommande och om den kräver en viss volym, multidisciplinär kompetens eller stora investeringar eller medför höga kostnader (se 7 kap. 5 § HSL).

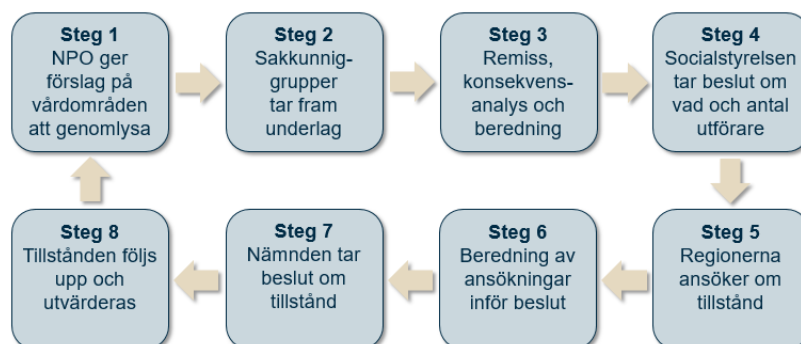
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

För vården innebär denna nivåstrukturering en möjlighet att profilera sig inom olika områden och bygga upp olika specialistcentra. Ett större patientunderlag för en högspecialiserad verksamhet skapar nödvändiga förutsättningar för att bedriva hög-kvalitativ forskning, utbildning och rekrytera spetskompetens.

Socialstyrelsen samarbetar med regionernas system för kunskapsstyrning i hälso- och sjukvård och engagerar profession och patientrepresentanter i arbetet med att definiera vilken vård som ska anses vara av nationell karaktär.

Hänsyn ska tas till hela vårdkedjan. Riktlinjer, vårdprogram, vårdresultat och registerdata ska beaktas i definition av vårdområden och framtagande av kunskapsunderlag för nationell högspecialiserad vård.

Arbetsprocessen för att nivåstrukturera vården på nationell nivå består av åtta steg:



Representanterna i nationella programområdet (NPO) förväntas ha särskilt god kunskap inom sitt vårdområde för att kunna ge underlag till steg 1 i arbetsprocessen. NPO ansvarar för uppgiften att ta fram förslag på vårdområden som ska genomlysas samt att ge förslag på personer till de sakkunniggrupper som i steg 2 tar fram underlag inför beslut om nationell högspecialiserad vård.

NPO ska inhämta kunskapsläget nationellt och internationellt och därefter föreslå områden som skulle kunna utgöra nationell högspecialiserad vård. För att stödja arbetet med att ta fram förslag på områden (t.ex. en diagnostisk metod, ett kirurgiskt ingrepp, en avancerad medicinsk behandling, en rehabiliterande insats) vid ett visst hälso- eller sjukdomstillstånd har Socialstyrelsen tagit fram kriterier som arbetet ska utgå ifrån.

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den del i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

Sakkunniggruppernas underlag skickas ut på en bred remiss. Socialstyrelsen sammanställer inkomna synpunkter och därefter kan sakkunniggruppen komplettera sitt underlag eller göra eventuella förtydliganden.

Sakkunniggruppens underlag och remissvar lämnas över till en beredningsgrupp vars uppdrag är att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet.

Efter beredning beslutar Socialstyrelsen vilken vård som ska nivåstruktureras samt antalet enheter i landet som får bedriva den tillståndspliktiga vården.

Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilken/vilka region/regioner som ska få bedriva definierad vård på nationell nivå. Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp.

Medfödda metabola sjukdomar

Sakkunniggruppens förslag på nationell
högspecialiserad vård
Remissversion

Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för medfödda metabola sjukdomar vårdområdet, inkl. neurometabola sjukdomar och nyföddhetscreening, och lämnar sitt förslag till nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppens förslag remitteras öppet för synpunkter från alla intresserade. Genom att få in synpunkter på sakkunniggruppens förslag i processen, möjliggörs en bredare konsekvensanalys.

Inför Socialstyrelsens beslut om vad som ska utgöra nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter vården ska bedrivas, kommer även en beredningsgrupp att lämna ett yttrande utifrån underlaget, inkomna synpunkter och konsekvensanalysen.

Socialstyrelsen leder arbetet med att koncentrera mer av den högspecialiserade vården på nationell nivå och ansvarar för arbetsprocessen för detta arbete. Socialstyrelsen vill tacka alla som har deltagit i arbetet med att ta fram detta underlag.

Thomas Lindén
Avdelningschef

Sakkunniggruppens uppdrag

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den eller de delar i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

Innehåll

Förord	2
Sakkunniggruppens uppdrag	3
Ordlista.....	5
Sammanvägd bedömning.....	6
Definition	7
Vårdområde	10
Särskilda villkor	17
Konsekvensanalys.....	21
Uppföljning och utvärdering	25
Referenser	26
Deltagare i sakkunniggrupp	27
Om nationell högspecialiserad vård	28

Ordlista

ATMP	Advanced Therapy Medicinal Products
MetabERN	European Reference Network for Hereditary Metabolic Disorders
MR	Magnetresonanstomografi, medicinsk avbildningsteknik med s.k. magnetkamera
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
PKU	Fenylketonuri
RMMS	Registret för Medfödda Metabola Sjukdomar

Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet medfödda metabola sjukdomar att det som framgår under rubriken *Definition* ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid tre vårdenheter. Ytterligare koncentration av riktad utredning och nyföddhetscreening föreslås till två respektive en av dessa tre enheter.

Detta bedöms vara vård som är komplex och sällan förekommande. Det kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården kräver multidisciplinärt omhändertagande av bland annat (barn)endokrinolog, (barn)neurolog, dietist, fysioterapeut, arbetsterapeut samt sjuksköterska/koordinator. Därutöver behövs ofta en helhetsbedömning av patientens behov göras tillsammans med andra organspecialister samt habilitering.

Med hänsyn tagen till vårdens resurser, tillgänglighet och framtida patientvolymer föreslår sakkunniggruppen en koncentration av vårdområdet från hur dagens struktur ser ut. Sakkunniga ser behov av att formalisera ett tydligt ansvar för nyföddhetscreeningen, samt att öka förutsättningarna för metodutveckling och kompetensförsörjning inom diagnostik och behandling. Utöver nyföddhetscreeningen är volymerna inom detta område svårbedömda. Riktad diagnostik utförs redan idag vid två enheter. Trots viss förväntad ökning av patientgruppen, anses bedömning, avancerad uppföljning och ställningstagande till avancerad behandling kunna utföras vid tre NHVe.

Konsekvenserna av detta förslag är övervägande positiva för patienterna och professionen. Sakkunniggruppen bedömer att en koncentration av föreslagna vård gör verksamheterna mer robusta, underlättar inhämtning och överföring av kunskap om medfödda metabola sjukdomar samt ger bättre förutsättningar att bedriva forskning.

Snabbare och fler korrekta diagnoser ökar både patientsäkerhet och vårdkvalitet. Det blir även bättre förutsättningar för kunskapsutveckling inom vårdområdet. Dessa fördelar överväger nackdelarna med längre avstånd och resor. De nationella enheterna kan behöva bygga större team för mindre sårbarhet vid eventuell personalomsättning. Akutsjukvården (inkl. intensivvård) vid NHVe bedöms inte belastas mer än idag.

Omkringliggande vårdområden kan dock påverkas när fler patienter får vård vid en nationell högspecialiserad vårdenhet. Framför allt gäller detta diagnostik och utredning av andra patientgrupper. Denna påverkan bedöms bli som störst i början men planas ut med tiden.

Definition

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till definition av nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter den ska bedrivas.

Viss vård vid medfödd metabol sjukdom* ska utgöra nationell högspecialiserad vård. Förslaget avser vård av både barn och vuxna.

*Vidare i dokumentet kommer medfödda metabola sjukdomar att användas som samlingsnamn och inkludera neurometabola sjukdomar.

Den vård vid medfödd metabol sjukdom som ska bedrivas nationellt är:

1. Nyföddhetscreening.
2. Riktad utredning vid misstanke om medfödd metabol sjukdom, med exempelvis genetiska, biokemiska, histopatologiska analyser och klinisk bedömning. Om oklara genetiska varianter har påvisats vid annan utredning ska NHVe kontaktas för fortsatt bedömning och om möjligt bekräfta diagnosen.
3. Handha larm från nyföddhetscreening och dirigera den fortsatta handläggningen.
4. Av den kliniska bedömning som görs av alla patienter med medfödd metabol sjukdom ska minst en göras vid en nationell enhet. Vid sådan bedömning ska ställningstagande till fortsatt uppföljning vid NHVe beslutas.
5. Utredning inför, och ställningstagande till in- och utsättning av viss avancerad behandling samt beslut om var behandling ska ske samt uppföljning och kontroller av sådan behandling.

Med medfödd metabol sjukdom och neurometabol sjukdom avses rubbningar i aminosyrametabolismen och organiska acidemier, rubbningar i mitokondriella energimetabolismen, i fettsyreoxidationen och i ketonkroppsmetabolismen, lysosomala och peroxisomala sjukdomar, medfödd glykosyleringsstörning, porfyrisjukdomar och rubbningar i omsättningen av neuromodulatorer och andra små molekyler (metab.ern-net.eu).

Med avancerad behandling avses exempelvis, men inte uteslutande enzymsättningsbehandling, andra särläkemedel och ATMP (cellterapi och gentterapi etc.).

Antal enheter

Tre NHV-enheter har ansvar för att handha larm från nyföddhetscreeningen, göra kliniska bedömningar och ta ställning till avancerad behandling (punkt 3-5), varav två enheter har ansvar för riktad utredning (punkt 2). Nyföddhets-screening (punkt 1) ska koncentreras ytterligare till en av dessa två enheter.

Avgränsningar

Sakkunniggruppen har i sin genomlysning gjort följande avgränsningar till området.

Följande områden, med stark koppling till definitionen, ska ej koncentreras på nationell nivå:

1. De sjukdomar som, utöver de medfödda metabola, ingår i nyföddhets-screening berörs ej av detta förslag.
2. Eventuell släktutredning och genetisk vägledning av släktingar inför graviditet bör i normalfallet ske via närmaste kliniska genetiska avdelning.
3. Viss biokemisk analys, så som ammoniumjon, aminosyror i plasma, urin, likvor ska fortsatt kunna utföras regionalt med stöd från NHVe.
4. Avancerad behandling, exempelvis enzymterapi, kan/måste i vissa fall utföras regionalt/lokalt.

Följande områden bör nivåstruktureras inom varje samverkansregion:

Sakkunniggruppen förutsätter att regionerna bibehåller och utvecklar regional verksamhet för medfödda metabola sjukdomar, som finns hos lokala vårdgivare. NHVe ska ge stöd till den lokala vårdgivaren, exempelvis avseende kontroller, justeringar av kost- och läkemedelsbehandling, rådgivning och åtgärder vid infektioner och undervisning till föräldrar. NHVe kan även ge stöd till den lokala vårdgivaren för information till exempelvis barnomsorg och skola samt vid samordning med exempelvis habilitering/BUP.

Vårdområde

Nuläge

Nyföddhetscreeningen för medfödda metabola sjukdomar påbörjades 1965 för sjukdomen fenylketonuri (PKU). Sedan 2010 testas alla nyfödda för 22 metabola sjukdomar. Cirka ett av 2800 nyfödda barn har en metabol sjukdom som ingår i nyföddhetscreeningen. Screening rekommenderas också för adoptiv- och invandrabarn under 8 år. Gemensamt för dessa screeningsjukdomar är att effektiv behandling finns.

Medfödda metabola sjukdomar är ett samlingsnamn för genetiska sjukdomar som beror på en medfödd störning i ämnesomsättningen. Man känner till ca 1500 sådana sjukdomar som alla är mer eller mindre ovanliga. Dessa beror oftast på enzym- eller transportördefekter som gör att kolhydrater, fetter eller aminosyror inte kan omsättas normalt. Följaktligen uppstår brist på vissa metaboliter eller så ansamlas toxiska ämnen som kan orsaka skada. Symptomdebut kan ske under hela livet men vanligast är debut under barndomen. Tillstånden kan vara livshotande om man inte känner till den bakomliggande orsaken och därför är en snabb diagnos av högsta betydelse för denna patientgrupp. De medfödda metabola sjukdomar som ingår i nyföddhetscreeningen debuterar ofta med akut kris tidigt i livet. De neurometabola sjukdomarna kännetecknas ofta av fortlöpande försämring av mentala och motoriska funktioner. Förutom nervsystemet drabbas inte sällan andra vävnader i kroppen såsom lever, muskel, perifera nerver, hjärta, ögon, öron, skelett och mage-tarm. Allt fler patienter får diagnos i vuxen ålder och då handlar det ofta om mildare former med inte lika tydlig fenotyp av sjukdomen som om den hade debuterat under barndomen.

Patientgruppen är heterogen med mycket varierande vårdbehov. Givet varje enskild sjukdom eller sjukdomsgrupps sällsynthet är det svårt för vårdpersonal att tillägna sig tillräcklig kompetens och för huvudmännen att prioritera patientgruppen. I nuläget finns geografiska och åldersmässiga skillnader i tillgång till diagnostik, uppföljning och behandling.

Diagnostik och utredning

Nyföddhetscreening, det s.k. PKU-provet ska tas vid 48 timmars ålder då det är viktigt att behandling sätts in snabbt, men också för att minimera risken att analysen ger felaktigt svar. En del barn som kallas till uppföljning på grund av ett avvikande screeningresultat visar sig vara fullt friska medan andra nyfödda insjuknar med livshotande symptom innan provsvar från nyföddhetscreeningen finns klart.

Diagnostik vid misstänkt medfödd metabol sjukdom är en stegvis process som bygger på klinisk bedömning, biokemiska analyser, histopatologiska och genetiska utredningar, och radiologi. Vid misstanke om dessa sjukdomar är

det viktigt att diagnostik sker snabbt för att kunna upptäcka behandlingsbara tillstånd och förhindra bestående och ibland livshotande skador.

Nämnda tillstånd och komplikationer kräver ofta en samlad bedömning av erfarna experter, och är svåra att hantera utan speciell kunskap om sjukdomarna. Utredningen, särskilt för neurometabola sjukdomar, är i nuläget ofta långsam och ofullständig.

Behandling

Behandlingen av dessa sjukdomar behöver vara individanpassad, dvs. av precisionmedicinsk karaktär. För flera av de medfödda metabola sjukdomarna finns behandling, exempelvis avancerad kostbehandling och kofaktorer, men även enzymterapi, substratreduktions-behandling, chaperoner, levertransplantation, stamcellstransplantation och genterapi. Kostnaden för avancerade behandlingar är oftast mycket hög, och användningen är därför begränsad och till viss del ojämnt fördelad. Urval av patienter samt planering för uppföljning och kontroller för att bedöma behandlingens effektivitet samt ta ställning till avslut av behandling är komplext och kräver särskild kompetens och erfarenhet.

Organisation

Olika specialister kan behövas för bedömningar, fastställande av diagnos och uppföljning. Exempel på specialiserade läkare som behövs för denna patientgrupp är endokrinologer, neurologer, och kliniska genetiker med motsvarande specialister för barn. Kostbehandling är kritisk för många av patienterna och därför krävs specialkunniga dietister. Därutöver behövs för diagnostik bl.a. kliniska kemister, kemister och specialutbildade molekylärbioologer. Organspecialister såsom hjärtläkare, lungläkare, ögonläkare liksom psykologer, sjukgymnaster samt arbetsterapeuter behöver också finnas för helhetsbedömningarna av patientens olika behov. Ansvarsfördelningen är ofta otydlig vilket kan utgöra en patientsäkerhetsrisk samt skapa otrygghet och ett ökat vårdsökande hos patienten.

Kompetens kring ett flertal medfödda metabola sjukdomar är redan idag koncentrerad till ett fåtal enheter. Idag utför specialistlaboratoriet vid centrum för medfödda metabola sjukdomar vid Karolinska universitetssjukhuset den nationella nyföddhetscreeningen. Det finns två kompletta laboratorier i Sverige, Sahlgrenska Universitetssjukhuset och Karolinska Universitetssjukhuset, med uppsatt metodik för att diagnosticera sjukdomarna. Analys av aminosyror sker också på Skånes Universitetssjukhus, Malmö.

För de medfödda metabola screeningsjukdomarna har man sedan 2010 inrättat fyra (initialt fem) regionala metabola barn/vuxencentra (Norrlands Universitetssjukhus, Karolinska universitetssjukhuset, Sahlgrenska Universitetssjukhuset och Skånes Universitetssjukhus). Akademiska sjukhuset i Uppsala har ett metabolt centrum för vuxna. Dessa fungerar som kompetenscentra inom specifika sjukdomsgrupper och där känner man även till och följer eventuella internationella riktlinjer.

Övergången från barn- till vuxensjukvård fungerar inte alltid optimalt inom detta område. Barnsjukvårdens verksamhet säkerställer till stor utsträckning att barnets olika vårdbehov blir tillgodosedda. Vuxensjukvårdens verksamhet är mer organspecifik och det finns ingen som har ett övergripande ansvar för den vuxnes alla vårdbehov och det ansvaret klarar inte alltid patienten själv att ta. Det leder inte sällan till missade undersökningar och uteblivna uppföljningar.

Vårdvolym

Sakkunniggruppen bedömer att ca 5000 patienter lever med medfödd metabol sjukdom idag i Sverige. Sannolikt något fler på grund av underdiagnostik.

Volymerna för nyföddhetscreening följer antalet nyfödda, ca 115 000 barn per år. Årligen handhas till dags dato i snitt 80 metabola larm varav 40% är sanna. Med bättre diagnostik larmas idag färre än förr.

Ca 5-10% av personer som lever med en medfödd metabol sjukdom bedöms i nuläget ha någon typ av avancerad behandling som inte enbart innefattar avancerad kostbehandling.

Forskning

Idag bedrivs forskning inom vårdområdet. Det förekommer forskningssamarbeten inom landet och internationellt. En koncentration av vården med större volymer vid nationella enheter skulle öka möjligheterna till forskning inklusive internationella forskningssamarbeten.

I Sverige finns ett nationellt kvalitetsregister RMMS - Registret för medfödda metabola sjukdomar - vilket idag har 43 olika diagnoser men baseras framförallt på de sjukdomar som upptäcks via nyföddhetscreening. Registret täcker endast en del av de diagnoser/sjukdomsgrupper som avses i detta underlag.

Internationell utblick

Sjukdomarnas komplexitet och sällsynthet har lett till ett behov av internationellt samarbete för diagnostik och nya avancerade behandlingar. Inom EU skapades 2019 MetabERN (metab.ern-net.eu) som är ett nätverk av 78 europeiska centra där Sahlgrenska Universitetssjukhuset och Karolinska Universitetssjukhuset ingår.

I Danmark följs det stora flertalet av medfödda metabola sjukdomar vid Rikshospitalet i Köpenhamn. I uppdraget ingår nyföddhetscreening, genetik utredning, tolkning och rådgivning inklusive behandling och kontroller med hela Danmark som upptagningsområde. Vissa enstaka diagnoser såsom ceroida lipofuscinoser och porfyrisjukdomar följs i Aarhus respektive Odense.

I Norge finns dels en nationell behandlingstjänst med ansvar för nyföddhetscreening, laboratoriediagnostik och behandling av PKU, dels ett nationellt kompetenscenter (Frambue kompetenscenter for sjeldne diagnoser) som ger rådgivning kring sällsynta diagnoser. Majoriteten av klinisk uppföljning

av patienter med medfödda metabola sjukdomar sker vid något de tre universitetssjukhusen i Oslo, Bergen eller Trondheim med viss uppdelning sinsemellan av sjukdomsgrupper. Neuronala ceroida lipofuscinoser följs t.ex. vid Oslos universitetssjukhus.

I Holland, med ca 17 miljoner invånare finns åtta metabola centra. Även där har omhändertagandet av vissa diagnosgrupper fördelats på olika centra, t.ex. ett centra för Pompes sjukdom och två centra för PKU.

Framåtblick

Varför nationell högspecialiserad vård?

Sakkunniggruppen bedömer att det idag finns en underdiagnostik inom vårdområdet, en underbehandling och brister i uppföljningen vilket gör vården ojämlig i landet. Mot bakgrund av sällsyntheten av de individuella sjukdomarna, komplexiteten i diagnostik och uppföljning samt behandling, som ofta innefattar nya dyra läkemedel, anser sakkunniggruppen att området lämpar sig för nationell högspecialiserad vård. Kunskapsutvecklingen inom både diagnostik och nya avancerade behandlingar ställer krav på både bred och djup kompetens hos vårdgivare som handlägger ovanliga eller komplexa sjukdomar.

Det finns idag en brist på flera av de kritiska kompetenserna som krävs inom vårdområdet, t.ex. subspecialiserade barn- och vuxenläkare men även laboratoriepersonal med specifik kompetens. NHV skulle ge ett formellt ansvar för kompetensförsörjning med krav på att säkerställa kontinuitet för denna vård, exempelvis att nyföddhetscreeningen förblir en nationell resurs.

Prover och analyser behöver också värderas och konfirmeras tillsammans med kliniska fynd. Om den riktade utredningen inkl. de biokemiska analyserna utförs på samma NHVe förbättras och effektiviseras den diagnostiska processen. Sakkunniggruppen anser vidare att genom att bedömningar görs vid/av NHVe kommer kunskapen om när och hur man bör följa specifika sjukdomstillstånd öka. Detta möjliggör kartläggning av ovanliga följder/komplikationer till de medfödda metabola sjukdomarna.

Att säkerställa ansvar och struktur genom att inrätta NHVe ger bättre förutsättningar för ökad patientsäkerhet, minska risken för försenad eller utebliven diagnos och det ökar förutsättningarna för att upprätthålla kompetens samt åstadkomma kunskapsöverföring mot remitterande enheter. NHVe skulle exempelvis kunna ansvara för att ta fram behandlings-/uppföljningsrekommendationer och skapa vårdprogram för behandling och handläggning vid t.ex. narkos, graviditet och förlossning.

Resonemang kring antal enheter

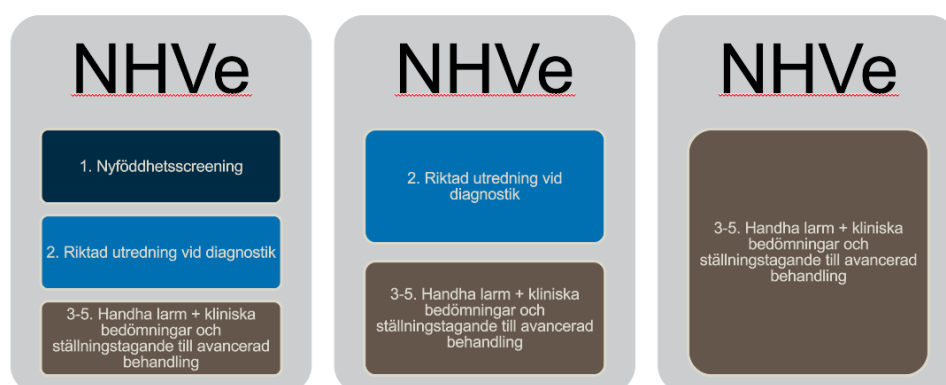
Sakkunniggruppen anser att det inte är möjligt eller samhällsekonomiskt försvarbart att försöka upprätthålla beskriven multidisciplinär kompetens för den definierade patientgruppen inom varje region eller ens vid varje universitetssjukhus.

Antalet diagnostiserade patienter och därmed vårdbehovet bedöms öka, i och med bättre diagnostik och att nya sjukdomar kontinuerligt beskrivs i detta område. Med hänsyn tagen till definitionens omfattning, vårdens resurser, tillgänglighet och framtida patientvolymen föreslår sakkunniggruppen tre nationellt högspecialiserade vårdenheter. Färre än tre enheter för uppdrag 3-5 i definitionen (handhavande av larm, klinisk bedömning och ställningstagande till avancerad behandling) bedöms bli för sårbart och belastningen på enheterna för stor.

Sakkunniggruppens avsikt med att föreslå tre nationella enheter är inte att sprida den kompetens som finns på fler enheter än vad som är ändamålsenligt för sjukdomsgruppen. NHVe ska därför verka för en koncentration och fördelning av sjukdomsgrupperna i enlighet med den kompetens och erfarenhet som finns vid NHV-enheterna.

I dag utförs nyföddhetscreening (punkt 1) vid en enhet och sakkunniggruppen bedömer att en enhet skulle fortsatt ha adekvat kapacitet för detta uppdrag, trots viss volymökning i framtiden. Två enheter med ansvar för riktad utredning (punkt 2) skulle dock krävas, dels för att minska sårbarheten men också för att gynna gemensam metodutveckling, dialog och kompetensförsörjning. Det handlar om relativt små volymer och att sprida dessa på fler enheter skulle göra det svårt att få en effektivitet i verksamheterna. Detta kan orsaka en fördröjning av diagnos för patienterna och kvaliteten i analyserna riskerar även att bli sämre. Verksamheterna skulle ha svårt att upprätthålla personalens kompetens, och fler skulle behöva investera i dyr och komplex utrustning.

Ansvar för att handha larm, utföra kliniska bedömningar och ställningstagande till avancerad behandling (punkt 3-5) handlar om större patientvolymer och bör därför finnas vid tre nationella enheter. Detta innebär en koncentration från hur det ser ut i nuläget men, med dagens brist på kritisk personal inom området, ökar förutsättningarna för att hela det multidisciplinära teamet ska kunna upprätthålla och utveckla kompetensen, både inom barn- och vuxensjukvården.



Figur 1. Ansvarsområden/uppdrag fördelade mellan de nationella vårdenheterna. Tre NHV-enheter har ansvar för att handha larm från nyföddhetscreening, klinisk bedömning och ställningstagande till avancerad behandling (punkt 3-5), varav två enheter har ansvar för riktad utredning (punkt 2). Nyföddhetscreening (punkt 1) ska koncentreras ytterligare till en av dessa två enheter.

Förslag till vårdflöde/vårdkedja

NHVe med ansvar för nyföddhetscreening larmar ett NHVe som i sin tur för dialog med lokal vårdgivare för fortsatt handläggning av patienten. Vid behov överförs patienten till en NHVe. NHVe kan också bli kontaktad av en lokal vårdgivare för råd kring riktad utredning. Utredning, kan till viss del, så som provtagning, radiologiska och fysiologiska undersökningar, utföras lokalt med stöd i tolkning och förslag på uppföljning och monitorering från

NHVe. NHVe skall vid behov vara behjälplig med undersökningar och behandlingar av mer komplexa problem. Vid vissa sjukdomar förekommer också särskilda risker för komplikationer vid anestesi varför sövning/kirurgi kan behöva ske på NHVe med särskild kompetens. En nedskrivna medicinsk vårdplan samt en tät dialog/regelbundna möten mellan NHVe och lokal vårdgivare ökar förutsättningarna för kunskapsöverföring åt båda håll samt underlättar även när överföring ska ske till vuxensjukvård.

Särskilda villkor

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till särskilda villkor. Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilka särskilda villkor som ska gälla för tillstånden. De generella villkoren regleras i Socialstyrelsens [föreskrifter](#) (HSLF-FS 2018:48) om nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppen ansvarar för att ta fram förslag till särskilda villkor för respektive område. Förslagen ska återspegla definitionen och i viss mån vara vägledande vid tilldelning av tillstånd. De föreslagna särskilda villkoren för aktuellt tillstånd kan komma att justeras av nämnden när beslut om tillstånd fattas.

De villkor som anges under respektive rubrik ska vara unika saker som det definierade området kräver. Vård som kan ges på alla sjukhus i Sverige behöver inte framgå som ett särskilt villkor.

Kritisk personalkompetens

Samtliga specialister/professioner i det multidisciplinära teamet ska ha specifik erfarenhet/kunskap/kompetens inom det definierade området

För de enheter som ska ansvara för att handha larm vid nyföddhetscreening, kliniskt bedöma och ta ställning till avancerad behandling (punkt 3-5) ska ha följande:

- Barnmedicinare/internmedicinare t.ex. endokrinolog (barn/vuxen)
- Neurolog (barn/vuxen)
- Dietist
- Sjuksköterska (koordinator och kontaktsjuksköterska)
- Psykolog
- Fysioterapeut
- Arbetsterapeut

För de enheter som ska ansvara för riktad utredning vid diagnostik (punkt 2) ska utöver ovan även ha följande:

- Specialistläkare (såsom patolog, klinisk kemist och klinisk genetiker) och andra professioner (såsom molekylärbiolog, biokemist och bioinformatiker) med god kunskap om sjukdomsgruppen och de biokemiska och genetiska metoder som används

För den enhet som ska bedriva nyföddhetscreening (punkt 1) ska utöver ovan även ha följande:

- Specialistläkare med god kunskap om screeningprocessen samt utredning och behandling av screeningsjukdomarna

- Sjukhuskemister med god kunskap av metoder så som tandemmasspektrometri, biokemiska och molekylärgenetiska metoder
- Biomedicinska analytiker med god kunskap om dessa metoder och flödet det innebär att arbeta med screening

Kritisk utrustning, lokaler

För de enheter som ska ansvara för att handha larm vid nyföddhetscreening, kliniskt bedöma och ta ställning till avancerad behandling (punkt 3-5) ska ha följande:

- Lagerhållning eller lättillgänglig specialnutrition samt läkemedel nödvändiga vid metabol kris
- MR med spektroskopi

För de enheter som ska ansvara för riktad utredning vid diagnostik (punkt 2) ska utöver ovan även ha instrument för:

- Avancerad laboratorietrustning och metodik för att diagnosticera och följa sjukdomsförlopp och behandling

För den enhet som ska bedriva nyföddhetscreening (punkt 1) ska utöver ovan även ha följande:

- Adekvat utrustning och metoder för nyföddhetscreening exempelvis tandemmasspektrometrar, instrument för immunkemi och molekylärgenetiska metoder

Andra förutsättningar för att vården inom det definierade området ska kunna bedrivas

För de enheter som ska ansvara för att handha larm vid nyföddhetscreening, kliniskt bedöma och ta ställning till avancerad behandling (punkt 3-5) ska ha följande:

- Klinisk genetik och genetisk vägledning
- Förlossningsavdelning
- Neonatal intensivvård / BIVA / IVA
- Dialys
- Kardiologi
- Gastroenterologi
- Oftalmologi
- ÖNH
- Dermatologi
- Anestesi
- Ortopedi
- Kirurgi

- Neurokirurgi
- Neuroradiolog

För de enheter som ska ansvara för riktad utredning vid diagnostik (punkt 2) ska utöver ovan även ha följande:

- Inga tillägg

För den enhet som ska bedriva nyföddhetscreening (punkt 1) ska utöver ovan även ha följande:

- Inga tillägg

Övrigt

För de enheter som ska ansvara för att handha larm vid nyföddhetscreening, kliniskt bedöma och ta ställning till avancerad behandling (punkt 3-5) ska ha följande:

- NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.
- NHVe ska ansvara för att ta fram en medicinsk vårdplan i dialog med patienten och dess lokala vårdgivare.
- NHVe ska verka i dialog med patientföreningar.
- NHVe ska ansvara för samordning/samverkanskonferenser vid överföring från barn- till vuxensjukvård vid NHVe.
- NHVe ska medverka vid överföring från barn- till vuxensjukvård inom regional vård.
- NHVe ska verka för att ta fram gemensam patientinformations-/utbildningsmaterial.
- NHVe ska verka för att ta fram nationella vårdprogram eller implementera internationella.
- NHVe ska ta fram gemensamma start- och stoppkriterier för avancerad behandling.
- NHVe ska inrätta en cirkulerande jourverksamhet för att ha kapacitet för akut rådgivning till remitterande enheter 24 timmar om dygnet.
- NHVe ska verka för en koncentration och fördelning av sjukdomsgrupper i enlighet med den kompetens och erfarenhet som finns vid enheterna.
- NHVe ska erbjuda utbildningar för remitterande vårdgivare inom deras huvudsakliga upptagningsområden, med möjlighet för yrkesvisa träffar.
- NHVe ska erbjuda auskultationsmöjligheter.
- NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs.
- NHVe ska arbeta för att alla patienter med definitiv diagnos registreras i ett nationellt kvalitetsregister.

För den enhet som ska bedriva nyföddhetscreening (punkt 1) ska utöver ovan även ha följande:

- NHVe ska verka för att etablera ett internationellt samarbete inom tillståndsområdet.

Konsekvensanalys

Nedan följer sakkunniggruppens konsekvensanalys av sitt förslag till att koncentrera definierad vård.

Socialstyrelsens beslut föregås av en bred remiss och beredning för att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet. Beredningsgruppen (B1) utgår från sakkunniggruppernas underlag och remissvaren för att göra en övergripande analys av systemeffekterna, framför allt förmågan att bedriva akut sjukvård.

Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp (B2). Beredningsgruppen ska tillsammans representera följande perspektiv: länssjukvård, akut vård, universitetssjukhusvård och medicinsk fakultet. Systemkonsekvenser t.ex. påverkan på akutsjukvården, patienttransporter samt utbildning och forskning får beaktas vid en fördelning av tillståndet/tillstånden om det är för att säkerställa patientens bästa.

Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)

Patientsäkerheten förväntas öka då en koncentration av verksamheten gör att vårdpersonal får träffa och bedöma fler patienter. Detta kommer öka kompetensen och i förlängningen leda till snabbare och mer effektiv diagnostik där tidkrävande och för patienten onödiga utredningar undviks. Mer erfarenhet av diagnostik och bedömning av patienter med medfödda metabola sjukdomar kommer också leda till bättre genetisk vägledning samt optimerad uppföljning och behandling av sjukdomarna, vilket minskar risken för komplikationer. Vidare förväntas ett mer samordnat multidisciplinärt omhändertagande, t.ex. där en patient kan träffa fler olika specialister vid ett och samma NHVe, leda till att den totala tidsåtgången på NHVe ökar men för patienten kan det innebära en tidsvinst.

En koncentration ökar förutsättningarna till kunskapsutbyte mellan barn- och vuxenläkare, ett behov som förväntas öka då fler och fler med sjukdomarna överlever långt upp i åldrarna.

Patienter med medfödda metabola sjukdomar kommer generellt att behöva resa längre för att träffa en specialist om det inrättas tre NHVe i landet. Dock kan kommunikationerna mellan mindre orter i glesbygd till de större städerna vara bättre än till närmaste regionsjukhus och flera vårdmöten vid en NHVe bör också kunna ske digitalt vilket minskar resebehovet. Vård samlad under NHV kan ge minskat behov av utomlandsvård för väldigt sällsynta diagnoser.

Precis som idag finns det en risk att patientbesöken inte hinns med och blir fördröjda, vilket gäller oavsett vårdnivå. Det kan även vara svårt att hitta lämpliga tider att samordna mellan lokal vårdgivare och NHVe.

Flera kliniska undersökningar och provtagningar samt andra bedömningar kan också fortsättningsvis göras av lokal vårdgivare, men i framtiden med stöd av NHVe. Detta utbyte mellan lokala vårdgivare och NHVe kommer ha den positiva effekten att kunskapen om medfödda metabola sjukdomar och omhändertagandet av dessa patienter kommer att bli bättre hos den lokala vårdgivaren. Sammantaget förväntas koncentration av viss vård vid medfödda metabola sjukdomar ge tydligare vårdkedjor och öka patientsäkerheten.

Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring

Samling av olika specialister och professioner inom medfödda metabola sjukdomar till NHVe kan öka kunskapsutvecklingen och kompetensöverföringen dem emellan. En NHVe får dessutom ett tydligt utbildningsansvar inom och utanför NHVe, t.ex. genom möjlighet till randning och vidareutbildning för olika yrkeskategorier.

Gemensamma digitala vårdmöten ger en kunskapsöverföring till patientens lokala vårdgivare från NHVe, men även åt andra hållet när det gäller akuta vårdtillfällen och andra händelser mellan besök på NHVe.

Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?

Såväl klinisk som translationell forskning gynnas av att verksamheten koncentreras. Det underlättar studier av genotyp-fenotypkorrelationer, naturlöslöpp, biomarkörer, sjukdomsmekanismer och kliniska prövningar. Redan idag är verksamheten på högspecialiserad vård i gränslandet mellan klinik och forskning. En koncentration innebär betydligt större möjlighet till internationellt forskningssamarbete. Det ger ett bredare och mer komplett forskningsunderlag (för t.ex. epidemiologiska studier mm.) och nationella patientregister kan få bättre täckningsgrad och därmed kvalitet, vilket främjar forskningssamarbete såväl mellan olika NHVe som mellan NHVe och remitterter.

Påverkan på närliggande områden

En koncentration av vården kan eventuellt leda till undanträngningseffekter initialt då många patienter inom definitionen ska undersökas, t.ex. olika organkontroller vid multiorgansjukdomar. Många av dessa undersökningar kan dock ske hos lokal vårdgivare i samråd med NHVe.

Risk för undanträngning av befintliga patienter, även med andra diagnoser, om det kommer ett stort antal nya patienter till NHVe för diagnostik/uppföljning.

Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort

Den vanliga akutverksamheten bör ligga hos lokal vårdgivare, såsom akuta infektioner etc. Det är viktigt att NHVe kan bistå övriga vården med rådgivning vid t.ex. akuta tillstånd och i samband med anestesi hos dessa patienter.

Påverkan på vårdkedjan

Vård samlad under NHV kan ge bättre möjlighet till konsultation för remitterter och tydligare, effektivare remitteringsvägar för både läkare och patient. Det ger större möjlighet att skapa fungerande vårdprocesser med tydligare ansvarsfördelning.

En koncentration av vård till NHVe och därmed bättre uppföljning av patienterna kan förebygga onödiga inläggningar och följsjukdomar.

Med nationella enheter kan det bli lättare att få en överblick kring behovet av akutlager av läkemedel hos lokala vårdgivare och NHVe.

Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)

Sakkunniggruppen räknar med att NHVe kommer att klara den volymsbelastning som kommer att bli aktuell. Större volymer och flera olika bedömningar av patienter med medfödda metabola sjukdomar som samlas vid NHVe kommer att kräva utökade personal- och lokalresurser och därmed ytterligare ekonomiska resurser. Systemet blir mer förutsägbart när det gäller personal och resursbehov om patientvolymerna blir kända och variationen minskar.

En koncentration av vården av medfödda metabola sjukdomar kan göra det lättare att attrahera och utbilda specialister och därmed att planera verksamheten på nationella enheter och motverka bristen på kritiska personalresurser. Det skulle också kunna öka möjligheterna till strukturerad vidareutbildning inom området.

Verksamheten vid framtida NHVe kommer initialt att få ökade vårdvolymer till följd av att alla patienter inom definitionen har rätt till en bedömning vid en NHVe. Likaså förväntas själva NHV-reformen leda till att fler patienter får korrekt diagnos, vilket i sig kan öka patientantalet. De aktiviteter som framtida NHVe förväntas utföra förutom själva vården (t.ex. hålla i kvalitetsregister och utveckla vårdprogram) kommer kräva resurser. Dock innebär NHV-uppdraget en tydlighet i vad som förväntas av NHV vilket gör det lättare att planera verksamheten och förebygga flaskhalsar genom att ha rätt resurser och kompetens. Med rätt kompetenser samlade kan tidsåtgången per patient också kortas.

Det kommer också innebära en ekonomisk påverkan på remitterande regioner (för t.ex. fler vårdbesök på NHVe och resor men möjligen också minskat vårdbehov tack vare bättre omhändertagande av patientgruppen).

Eventuella konsekvenser för sjuktransporter

En koncentration kommer inte att göra någon större skillnad gällande transporter mot idag, men vissa patienter får en längre resväg till den NHVe som denne besöker. De flesta kan resa med vanliga färdmedel (inkl. planerad riks-färdtjänst). Patienter med avancerade sjukdomar kan försämras vid transporter och detta måste bedömas i varje individuellt fall. Samlade utredningar och ökad digitalisering gör att man borde kunna minska antalet transporter/resor.

Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsplanering

Patientvolymerna kommer öka, särskilt i början av en NHVe:s verksamhet då fler ska erbjudas en bedömning. Men också på grund av den ökade överlevnaden samt att vi fortfarande inte uppnått steady-state efter den utvidgade nyföddhetscreeningen. På barnsidan förväntas detta uppnås 2029 men på vuxensidan kommer volymökningen pågå till 2040. Därtill kommer utveckling av analysmöjligheter, vilket gör att fler sjukdomar kommer att identifieras, framförallt inom den neurometabola gruppen. Sammantaget krävs det alltså en utökning av verksamheten vid de vårdenheter som blir NHVe. Med bättre och nya behandlingar, och därmed längre livslängd, kan även nya följsjukdomar och biverkningar upptäckas vilket i sin tur kan öka vårdbehovet. En koncentration av vård och samarbete mellan olika NHVe kommer framöver att ge en bättre nationell överblick över hela sjukdomsgruppen.

Övriga kommentarer

Inga övriga kommentarer.

Uppföljning och utvärdering

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till uppföljningsmått för årlig rapportering av den definierade vården. Uppföljningsmåttan genomarbetas och fastställs av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Tillståndsinnehavarna av nationell högspecialiserad vård ansvarar för inlämning av årsrapporter till Socialstyrelsen samt uppföljning av sina verksamheter (egenkontroller). Socialstyrelsen ansvarar för fördjupad utvärdering av tillstånden för nationell högspecialiserad vård.

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått – Antal patienter*	Antal patienter/bedömningar/remisser till NHVe Ev även uppdelat på diagnos eller behandling om det finns behov
Bakgrundsmått – Antal patienter*	Diagnostik
Bakgrundsmått – Antal patienter*	Uppföljning/årskontroll
Bakgrundsmått – Antal patienter*	Ställningstagande till behandling
Bakgrundsmått – Antal patienter*	Bedömning (ett besök, nybesök och återbesök)
Tillgänglighetsmått – tid till bedömning	Tid (i dagar) från remiss till bedömning Datum för bedömning minus datum för remiss/ eller datum när remissen anländer till NHVe
Tillgänglighetsmått – tid till provsvar	Vid utredning/diagnostik
Tillgänglighetsmått – tid till riktad utredning	
Tillgänglighetsmått – tid till ställningstagande till behandling	Tid (i dagar) från remiss (alt bedömning) till ställningstagande till behandling/åtgärd Datum för ställningstagande till behandling/åtgärd minus datum för remiss (alt bedömning)
Medicinska resultat	Andel som får en individuell medicinsk vårdplan (barn och vuxen)
Medicinska resultat	Fungerande multidisciplinär överföring från barn- till vuxensjukvård vid NHVe och regionalt Antal samverkanskonferenser (överföringsmöte)
*För patienter inom NHV följs demografisk data upp: <ul style="list-style-type: none"> • Ålder (om relevant) • Kön • Patientens hemregion (folkbokföringsadress) 	

Referenser

Detta underlag är ett förslag på vilken vård som bör koncentreras till nationella enheter. Referenser som beskriver fördelar eller nackdelar med att koncentrera viss vård är relevanta att hänvisa till i underlaget. Referenser till forskningsstudier som beskriver patientgrupper, vårdformer, behandlingsmetoder och liknande är ej relevanta för frågeställningen. Däremot kan det vid behov vara lämpligt att hänvisa till eventuella nationella riktlinjer eller vårdprogram, i stället för att i detalj beskriva dessa i underlaget.

Förslag till text om underlaget saknar referenser helt:

Sakkunniggruppen har inte genomfört någon strukturerad litteratursökning som undersöker frågeställningen om koncentration av viss vård inom området ”medfödda metabola sjukdomar”. Deras bedömning utgår från internationell utblick, klinisk erfarenhet och kunskap om den svenska sjukvårdens struktur inom området.

Deltagare i sakkunniggrupp

Samverkansregion Göteborg: Niklas Darin, specialist inom barn- och ungdomsneurologi

Samverkansregion Linköping: Åsa Lundin, sjuksköterska och länssamordnare Centrum för Sällsynta diagnoser Sydost

Samverkansregion Lund/Malmö: Domniki Papadopoulou, specialist inom barn- och ungdomsmedicin

Samverkansregion Stockholm: Mikael Oscarson, specialist inom internmedicin och endokrinologi

Samverkansregion Umeå: Deborah Frithiof, specialist inom barn- och ungdomsmedicin

Samverkansregion Uppsala/Örebro: Andreas Kindmark, specialist inom internmedicin och endokrinologi

Patientföreträdare: Veronica Hübinette, Svenska MPS Föreningen (MPS står för mukopolysackaridos)

Patientnyttan ska genomsyra arbetet i sakkunniggruppen och patientperspektivet ska beaktas i sakkunniggruppens förslag till koncentration av viss vård. Socialstyrelsen lyfter aktivt dessa frågor utifrån sitt uppdrag.

Om nationell högspecialiserad vård

Den 1 juli 2018 genomfördes ändringar i hälso- och sjukvårdslagen (2017:30), HSL, som innebär en ny beslutsprocess för den nationella högspecialiserade vården. I 2 kap. 7 § HSL definieras nationell högspecialiserad vård som offentligt finansierad hälso- och sjukvård som behöver koncentreras till en eller flera enheter men inte till varje sjukvårdsregion för att kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen ska kunna upprätthållas och ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser ska kunna uppnås.

Vid bedömningen av om en åtgärd ska utgöra nationell högspecialiserad vård ska hänsyn särskilt tas till om vården är komplex eller sällan förekommande och om den kräver en viss volym, multidisciplinär kompetens eller stora investeringar eller medför höga kostnader (se 7 kap. 5 § HSL).

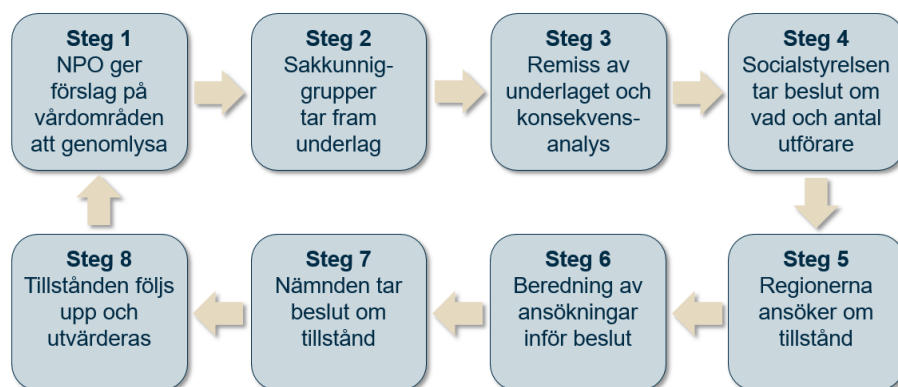
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

För vården innebär denna nivåstrukturering en möjlighet att profilera sig inom olika områden och bygga upp olika specialistcentra. Ett större patientunderlag för en högspecialiserad verksamhet skapar nödvändiga förutsättningar för att bedriva hög-kvalitativ forskning, utbildning och rekrytera spetskompetens.

Socialstyrelsen samarbetar med regionernas system för kunskapsstyrning i hälso- och sjukvård och engagerar profession och patientrepresentanter i arbetet med att definiera vilken vård som ska anses vara av nationell karaktär.

Hänsyn ska tas till hela vårdkedjan. Riktlinjer, vårdprogram, vårdresultat och register-data ska beaktas i definition av vårdområden och framtagande av kunskapsunderlag för nationell högspecialiserad vård.

Arbetsprocessen för att nivåstrukturera vården på nationell nivå består av åtta steg:



Representanterna i nationella programområdet (NPO) förväntas ha särskilt god kunskap inom sitt vårdområde för att kunna ge underlag till steg 1 i arbetsprocessen. NPO ansvarar för uppgiften att ta fram förslag på vårdområden som ska genomlysas samt att ge förslag på personer till de sakkunniggrupper som i steg 2 tar fram underlag inför beslut om nationell högspecialiserad vård.

NPO ska inhämta kunskapsläget nationellt och internationellt och därefter föreslå områden som skulle kunna utgöra nationell högspecialiserad vård. För att stödja arbetet med att ta fram förslag på områden (t.ex. en diagnostisk metod, ett kirurgiskt ingrepp, en avancerad medicinsk behandling, en rehabiliterande insats) vid ett visst hälso- eller sjukdomstillstånd har Socialstyrelsen tagit fram kriterier som arbetet ska utgå ifrån.

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den del i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

Sakkunniggruppernas underlag skickas ut på en bred remiss. Socialstyrelsen sammanställer inkomna synpunkter och därefter kan sakkunniggruppen komplettera sitt underlag eller göra eventuella förtydliganden.

Sakkunniggruppens underlag och remissvar lämnas över till en beredningsgrupp vars uppdrag är att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet.

Efter beredning beslutar Socialstyrelsen vilken vård som ska nivåstruktureras samt antalet enheter i landet som får bedriva den tillståndspliktiga vården.

Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilken/vilka region/regioner som ska få bedriva definierad vård på nationell nivå. Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp.

Underlag för beslut om
nationell högspecialiserad
vård vårdområde-
cytoreduktiv kirurgi
kombinerad med varm
cellgiftsbehandling i
bukhålan för patienter
med spridd cancer i
bukhinnan

Socialstyrelsens bedömning
Remissversion

Socialstyrelsens bedömning

Socialstyrelsen bedömer att åtgärden cytoreduktiv kirurgi kombinerad med varm cellgiftsbehandling i bukhålan för patienter med spridd cancer i bukhinnan ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra enheter.

Definition av tillståndet

Cytoreduktiv kirurgi kombinerad med varm cellgiftsbehandling i bukhålan (CRS/HIPEC) för patienter med spridd cancer i bukhinnan.

Bakgrund

Den 1 maj 2011 slöt regeringen och Sveriges Kommuner och Regioner (SKR) en överenskommelse om nationell samordning av delar av den högspecialiserade cancervården. Överenskommelsen syftade till att regionerna skulle påbörja arbetet med en nivåstrukturering på nationell nivå för sällsynta eller särskilt svårbehandlade cancersjukdomar. Nationell samordning skulle vara utformad så att en koncentration av vårdåtgärderna leder till en ökad vårdkvalitet och förbättrade vårdresultat, ett mer effektivt utnyttjande av hälso- och sjukvårdens resurser samt stärker förutsättningarna för klinisk forskning. Den ska vara värdeskapande för patienten och således vara baserat på ett patientfokuserat synsätt.

Regionala cancercentrum (RCC) i samverkan beslöt vid sitt sammanträde den 8 februari 2016 enhälligt att rekommendera regionerna att CRS/HIPEC koncentreras till fyra vårdenheter och att de enheterna utgörs av Akademiska sjukhuset, Karolinska Universitetssjukhuset, Sahlgrenska Universitetssjukhuset och Skånes Universitetssjukhus. Vidare rekommenderade RCC att koncentrationen av åtgärden skulle införas från och med den 1 januari 2017 [1]. Alla regioner har tagit beslut om att följa RCC:s rekommendation gällande nivåstrukturering på nationell nivå.

Den 1 juli 2018 genomfördes ändringar i hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) som innebär en ny beslutsprocess för den nationella högspecialiserade vården. Den nya beslutsprocessen ersatte därmed systemet med den nationella nivåstruktureringen av cancervården.

Medicinsk bakgrund

Hyperthermic intraperitoneal chemotherapy (HIPEC), dvs. varm cellgiftsbehandling i bukhålan är en förhållandevis ny metod att behandla tumörspridning i bukhålan, så kallad peritoneal carcinos (PC). HIPEC kombineras med samtidig kirurgiskt avlägsnande av all synlig tumörvävnad i buken, så kallad cytoreduktiv kirurgi (CRS). Det kirurgiska ingreppet kan vara mycket omfattande med resektion av bukhinnan och angripna organ. Den sammanlagda operationstiden kan uppgå till 7-16 timmar. Den stora belastningen patienterna utsätts för innebär att de måste vara relativt unga och friska för att klara behandlingen. Vid noggrann selektion av patienter kan en relativt hög andel uppnå långtidsöverlevnad och till och med bot för denna cancerform där annan behandling endast är palliativ.

Sammantaget är dock styrkan i det vetenskapliga underlaget som stöd för behandlingen inte så starkt då kontrollerade jämförande studier till stor del saknas. Genom att en mängd data från kliniska behandlingsstudier nu samstämmigt redovisar goda möjligheter till långtidsöverlevnad efter CRS/HIPEC behandling måste det dock anses oetiskt att i nuläget randomisera patienter till annan idag tillgänglig behandling [2].

Socialstyrelsens överväganden

Rättslig reglering

Av 2 kap. 7 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) framgår att med nationell högspecialiserad vård avses i denna lag offentligt finansierad hälso- och sjukvård som behöver koncentreras till en eller flera enheter men inte till varje sjukvårdsregion för att kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen ska kunna upprätthållas och ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser ska kunna uppnås.

Av 7 kap. 5 § samma lag som ovan framgår bl.a. att den myndighet som regeringen bestämmer beslutar vilken hälso- och sjukvård som ska utgöra nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter sådan vård ska bedrivas. Vid bedömningen av om en åtgärd ska utgöra nationell högspecialiserad vård ska hänsyn särskilt tas till om vården är komplex eller sällan förekommande och om den kräver en viss volym, multidisciplinär kompetens eller stora investeringar eller medför höga kostnader. Beslutet får inte överklagas.

Enligt 2 kap. 1 § hälso- och sjukvårdsförordningen (2017:80) beslutar Socialstyrelsen vilken hälso- och sjukvård som ska utgöra nationell högspecialiserad vård enligt 2 kap. 7 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) och på hur många enheter sådan vård ska bedrivas.

Av förarbetena till hälso- och sjukvårdslagen framgår bl.a. att den nationella nivåstruktureringen av cancervården inte vilar på någon lagstiftning. Utgångspunkten bör dock vara att de utredningar och beslut om koncentration som fattats inom ramen för den nationella nivåstruktureringen av cancervården tas till vara. De verksamheter som hittills har koncentrerats bör få fortsätta med sitt arbete. Sakkunniggrupperna bör i sina genomgångar dra nytta

av tidigare gjorda utredningar både inom rikssjukvården och inom nivåstruktureringen av cancervården, så att inte samma områden behöver utredas på nytt (se prop. 2017/18:40 s. 67).

Socialstyrelsens bedömning

Socialstyrelsen bedömer att det aktuella vårdområdet inte behöver ses över av en sakkunniggrupp eftersom de tidigare utredningarna som har gjorts av RCC är tillräckliga för att ligga till grund för beslut om nationell högspecialiserad vård.

Enligt Socialstyrelsens bedömning utvisar RCC:s utredning att åtgärden Cytoreduktiv kirurgi kombinerad med varm cellgiftsbehandling i bukhålan (CRS/HIPEC) för patienter med spridd cancer i bukhinnan ska utgöra nationell högspecialiserad vård eftersom vården är sällan förekommande, kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens [1].

Socialstyrelsen finner att aktuell vård ska fortsätta att vara koncentrerad till fyra enheter. Av RCC:s uppföljning av åren 2017-2018 framgår att alla fyra enheter deltar i ett HIPEC-register där täckningsgraden är 100%. Akademiska sjukhuset uppger att alla fyra nationella enheterna samverkar i ett forskningsnätverk som har regelbundna möten. Enheterna har vid behov kunnat omfördela patienter mellan sig under exempelvis semesterperioder [3]. Karolinska universitetssjukhuset uppger att de nationella enheterna samarbetar via en multidisciplinär konferens varannan vecka. Vid denna konferens deltar även en enhet i Holland [4]. På Sahlgrenska universitetssjukhuset gör man bedömningen att verksamheten har blivit allt mer stabil under den tid som det nationella vårduppdraget funnits [5]. Skånes universitetssjukhus (SUS) i Malmö uppger att ett gemensamt dokument har tagits fram tillsammans med alla enheter som bedriver CRS/HIPEC. Detta dokument innehåller indikationer, inklusionskriterier, exklusionskriterier och behandlingsstrategier för kemoterapi vid CRS/HIPEC. Vidare uppger SUS att forskningsaktiviteten har ökat efter att det nationella uppdraget startat [6].

Mot denna bakgrund finner Socialstyrelsen att en fortsatt koncentration av aktuell vård till en enhet ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett mer effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås.

Särskilda villkor

Förslagen till särskilda villkor har tagits fram tillsammans med de enheter som idag har nationella vårduppdrag inom området.

Kritisk personalkompetens

- Kolorektalkirurg
- Övre GI-kirurg/leverkirurg
- Kompetens inom medicinsk onkologi
- Anestesiolog med specialkunskap inom området
- Radiolog med specialkompetens inom området
- Patolog med specialkompetens inom området
- Urolog
- Kontaktsjuksköterska
- Kurator
- Dietist
- Stomiterapeuter
- Fysioterapeuter

Kritisk utrustning, lokaler

- HIPEC-pump
- Operationslokaler med bra ventilation
- Bra samarbete med apoteken som levererar cytostatikaberedningar
- PET-undersökningar

Andra förutsättningar för att vården inom det definierade området ska kunna bedrivas

- IVA-avdelning alt. Postop för vård av patienter 1-2 dygn
- Tillgång till intraoperativt patologi-fryssnitt
- Personal med kompetens att stötta patientens hemortsvårdgivare med råd och stöd kring rehabilitering

Övrigt

- Vid utskrivning från NHVe ska patienten ha med sig en vårdplan med planering för bl.a uppföljning samt kontaktuppgifter till NHVe
- NHVe ska vara drivande i framtagandet/revision av SVF, vårdprogramarbete, kvalitetsregister
- NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs.
- NHVe ska överrapportera till remitterande enheten samt följa upp patientrapporterade mått

- NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.

Uppföljning och utvärdering

Tillståndsinnehavarna av nationell högspecialiserad vård ansvarar för uppföljning av sina verksamheter (egenkontroller) samt för inlämning av årsrapporter till Socialstyrelsen. Årsrapporterna ska utgå från verksamhetens egenkontroll. Socialstyrelsen ansvarar för fördjupad utvärdering av tillstånden för nationell högspecialiserad vård.

Nedan finns förslag till de uppföljningsmått som de anser relevanta för den vård som föreslås ska koncentreras (definitionen). Förslagen till uppföljningsmått har tagits fram tillsammans med de som idag har nationellt vårduppdrag inom området. Uppföljningsmått ska utgå från nedan mall. Uppföljningsmått kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Förslag till uppföljningsmått (översikt)

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal behandlade vid NHVe -Ålder -Kön -Remitterande region -Typer av tumörer
Bakgrundsmått	Pertoneal Cancer Index - Mått på tumörbörda Värde 0-39
Tillgänglighetsmått	Tid från operationsbeslut till operation (medel, median P10, P90)
Bakgrundsmått	-Antal som genomgått CRS -Antal som genomgått CRS och HIPEC -Antal som genomgått open and close
Medicinskt mått	Komplikationer enligt Clavien Dindo Uppdelat på: -3b-4 -5 -Andel patienter
Medicinskt mått	Mått på radikaliteten vid operation CCS- Completness of cytoreduktion score Värde 0-3

Referenser

1. Rekommendation rörande nationell och regional nivåstrukturering för sex områden i cancervården Hämtad 2020-03-05 från https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/remisser-och-beslutsunderlag/omgang-2/rekommendation_2016-02-09_nivastrukturering_cancer.pdf
2. Utlåtande från sakkunniggruppen för nationell nivåstrukturering av cytoreduktiv kirurgi med intraperitoneal kemoterapi för behandling av cancer i bukhinnan. Hämtad 2020-03-05 från https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/sakkunnigutlatanden/omgang-2/utlatande_hipec.pdf
3. Uppföljning av nationellt nivåstrukturerade verksamheter- två respektive fyraårsuppföljning (2015-2018, 2017-2018) av nationella vårdenheter med verksamhetsstart januari 2015 respektive januari 2017. Hämtad 2020-03-05 från <https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/nationella-vardenheter/hipec/crs-hipec-akademiska-2017-18-190403.pdf>
4. Uppföljning av Cytoreduktiv kirurgi med intraperitoneal kemoterapi för behandling av cancer i bukhinnan, CRS/HIPEC 2017-2018. Hämtad 2020-03-05 från <https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/nationella-vardenheter/hipec/crs-hipec-karolinska-2017-18-190604.pdf>
5. Verksamhetsredovisning Östra sjukhuset Göteborg 190321- cytoreduktiv kirurgi med intraperitoneal kemoterapi för behandling av cancer i bukhinnan, CRS/HIPEC. Hämtad 2020-03-05 från <https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/nationella-vardenheter/hipec/crs-hipec-ostra-sjukhuset-2017-18-190322.pdf>
6. Rapport Nationellt uppdrag HIPEC, SUS Malmö. Hämtad 2020-03-05 från <https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/nationella-vardenheter/hipec/crs-hipec-sus-2017-18-190402.pdf>

Underlag för beslut om nationell högspecialiserad vård vårdområde - Isolerad Hyperterm Perfusion

Socialstyrelsens bedömning
Remissversion

Socialstyrelsens bedömning

Socialstyrelsen bedömer att åtgärden isolerad hyperterm perfusion ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid en enhet.

Definition av tillståndet

Isolerad hyperterm perfusion

Bakgrund

Den 1 maj 2011 slöt regeringen och Sveriges Kommuner och Regioner (SKR) en överenskommelse om nationell samordning av delar av den högspecialiserade cancervården. Överenskommelsen syftade till att regionerna skulle påbörja arbetet med en nivåstrukturering på nationell nivå för sällsynta eller särskilt svårbehandlade cancersjukdomar. Nationell samordning skulle vara utformad så att en koncentration av vårdåtgärderna leder till en ökad vårdkvalitet och förbättrade vårdresultat, ett mer effektivt utnyttjande av hälso- och sjukvårdens resurser samt stärker förutsättningarna för klinisk forskning. Den ska vara värdeskapande för patienten och således vara baserat på ett patientfokuserat synsätt.

Regionala cancercentrum (RCC) i samverkan beslöt vid sitt sammanträde den 8 februari 2016 enhälligt att rekommendera regionerna att isolerad hyperterm perfusion koncentreras till en vårdenhets och att den enheten utgörs av Sahlgrenska Universitetssjukhuset. Vidare rekommenderade RCC att koncentrationen av åtgärden skulle införas från och med den 1 januari 2017 [1]. Alla regioner har tagit beslut om att följa RCC:s rekommendation gällande nivåstrukturering på nationell nivå.

Den 1 juli 2018 genomfördes ändringar i hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) som innebär en ny beslutsprocess för den nationella högspecialiserade vården. Den nya beslutsprocessen ersatte därmed systemet med den nationella nivåstruktureringen av cancervården.

Medicinsk bakgrund

Isolerad hyperterm perfusion är en avancerad kirurgisk behandlingsprincip som kräver omfattande kringresurser och kompetens. Ingreppet utförs både på extremiteter (isolated limb perfusion, ILP) och lever (isolated hepatic perfusion, IHP). Antalet behandlingar per vårdgivare bör överstiga 30 per år för att kunna upprätthålla kompetensen och möjliggöra såväl kvalitetsuppföljning som forskning. Nuvarande resultat står sig väl i internationell jämförelse och behandlingen rekommenderas i både det nationella vårdprogrammet för Malignt melanom och Skelett och mjukdelssarkom. Då endast cirka 40 patienter i Sverige/år genomgår denna behandling är rekommendationen baserat på nuvarande kunskapsläge att nationellt nivåstrukturera denna behandling till ett centrum [2].

Socialstyrelsens överväganden

Rättslig reglering

Av 2 kap. 7 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) framgår att med nationell högspecialiserad vård avses i denna lag offentligt finansierad hälso- och sjukvård som behöver koncentreras till en eller flera enheter men inte till varje sjukvårdsregion för att kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen ska kunna upprätthållas och ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser ska kunna uppnås.

Av 7 kap. 5 § samma lag som ovan framgår bl.a. att den myndighet som regeringen bestämmer beslutar vilken hälso- och sjukvård som ska utgöra nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter sådan vård ska bedrivas. Vid bedömningen av om en åtgärd ska utgöra nationell högspecialiserad vård ska hänsyn särskilt tas till om vården är komplex eller sällan förekommande och om den kräver en viss volym, multidisciplinär kompetens eller stora investeringar eller medför höga kostnader. Beslutet får inte överklagas.

Enligt 2 kap. 1 § hälso- och sjukvårdsförordningen (2017:80) beslutar Socialstyrelsen vilken hälso- och sjukvård som ska utgöra nationell högspecialiserad vård enligt 2 kap. 7 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) och på hur många enheter sådan vård ska bedrivas.

Av förarbetena till hälso- och sjukvårdslagen framgår bl.a. att den nationella nivåstruktureringen av cancervården inte vilar på någon lagstiftning. Utgångspunkten bör dock vara att de utredningar och beslut om koncentration som fattats inom ramen för den nationella nivåstruktureringen av cancervården tas till vara. De verksamheter som hittills har koncentrerats bör få fortsätta med sitt arbete. Sakkunniggrupperna bör i sina genomgångar dra nytta av tidigare gjorda utredningar både inom rikssjukvården och inom nivåstruktureringen av cancervården, så att inte samma områden behöver utredas på nytt (se prop. 2017/18:40 s. 67).

Socialstyrelsens bedömning

Socialstyrelsen bedömer att det aktuella vårdområdet inte behöver ses över av en sakkunniggrupp eftersom de tidigare utredningarna som har gjorts av RCC är tillräckliga för att ligga till grund för beslut om nationell högspecialiserad vård.

Enligt Socialstyrelsens bedömning utvisar RCC:s utredning att åtgärden isolerad hyperterm perfusion ska utgöra nationell högspecialiserad vård eftersom vården är sällan förekommande, kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens [1].

Socialstyrelsen finner att aktuell vård ska fortsätta att vara koncentrerad till en enhet. Av RCC:s uppföljning av åren 2017-2018 framgår att en enhet har kunnat hantera mängden patienter samt att det bedrivs flera kliniska studier och att enheten har en hög publikationstakt. Vidare framgår det att den beslutade nationella nivåstruktureringen av åtgärden isolerad hyperterm perfusion har fungerat väl. Patienter remitteras i samma utsträckning som tidigare och resultaten ser bra ut utifrån ett internationellt perspektiv. Patientvolymerna är jämförbara med andra internationella centra [3].

Mot denna bakgrund finner Socialstyrelsen att en fortsatt koncentration av aktuell vård till en enhet ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett mer effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås.

Särskilda villkor

Förslagen till särskilda villkor har tagits fram tillsammans med de enheter som idag har nationella vårduppdrag inom området.

Kritisk personalkompetens

- Kirurg väl förtrogen med ingreppet. Ansvarigkirurg ska minst ha utfört 30 ingrepp samt vara väl förtrogen med bedömning av patient inför och efter operation
- Perfusionist väl förtrogen med ingreppet
- Kontaktsjuksköterska förtrogen med vården av patienten

Kritisk utrustning, lokaler

- Perfusionsapparat avsedd för ILP
- Läckagemätning utrustning avsedd för ILP

Andra förutsättningar för att vården inom det definierade området ska kunna bedrivas

- Nuklearmedicinsk enhet för tillhandahållande av teknetium för läckagemätning
- Cytostatikaberedningsenhet
- Kirurgisk kompetens med erfarenhet av allmänkirurgi och kärkirurgi kopplat till detta ingrepp
- Interventionell radiologi

Övrigt

- NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs.
- NHVe ska verka för att etablera ett internationellt samarbete inom tillståndsområdet.
- NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.
- Vid utskrivning från NHVe ska patienten ha med sig en vårdplan med planering för bl.a uppföljning samt kontaktuppgifter till NHVe
- NHVe ska verka för framtagandet/revision av SVF, vårdprogramarbete, kvalitetsregister

Uppföljning och utvärdering

Tillståndsinnehavarna av nationell högspecialiserad vård ansvarar för uppföljning av sina verksamheter (egenkontroller) samt för inlämning av årsrapporter till Socialstyrelsen. Årsrapporterna ska utgå från verksamhetens egenkontroll. Socialstyrelsen ansvarar för fördjupad utvärdering av tillstånden för nationell högspecialiserad vård.

Nedan finns förslag till de uppföljningsmått som de anser relevanta för den vård som föreslås ska koncentreras (definitionen). Förslagen till uppföljningsmått har tagits fram tillsammans med de som idag har nationellt vårduppdrag inom området. Uppföljningsmått ska utgå från nedan mall. Uppföljningsmått kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Förslag till uppföljningsmått (översikt)

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal remisser till NHV -Ålder -Kön Remitterande region
Bakgrundsmått	Antal behandlade vid NHV -Ålder -Kön -Remitterande region
Bakgrundsmått	Andel av ovanstående Antal behandlade i förhållande till antal bedömda remisser
Bakgrundsmått	Vårdtid i antal dygn (min, max, median, medel) -Ålder -Kön -Remitterande region
Tillgänglighetsmått	Tid från beslut om behandling till behandling (medel, median P20)
Medicinskt mått	-Andel patienter med komplett respons på behandlingen
Medicinskt mått	-Andel patienter med komplikationer enligt Clavien-Dindo grad III eller mer

Referenser

1. Rekommendation rörande nationell och regional nivåstrukturering för sex områden i cancervården Hämtad 2020-03-05 från https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/remisser-och-beslutsunderlag/omgang-2/rekommendation_2016-02-09_nivastrukturering_cancer.pdf
2. Utlåtande från sakkunniggruppen till förslag om nationell nivåstrukturering av isolerad hyperterm perfusion. Hämtad 2020-03-05 från https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/sakkunnigutlatanden/omgang-2/utlatande_isoleradhypertermperfusion.pdf
3. Uppföljning av nationellt nivåstrukturerade verksamheter- två årsuppföljning (2017-2018) av nationella vårdenheter med verksamhetsstart januari 2017 Hämtad 2020-03-05 <https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/nationella-vardenheter/melanom/isolerad-hyperterm-perfusion-sahlgrenska-2017-18-190325.pdf>

Underlag för beslut om
nationell högspecialiserad
vård vårdområde-
retroperitoneal
lymfkörtelutrymning vid
testikelcancer

Socialstyrelsens bedömning
Remissversion

Socialstyrelsens bedömning

Socialstyrelsen bedömer att åtgärden retroperitoneal lymfkörtelutrymning vid testikelcancer ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid två enheter.

Definition av tillståndet

Retroperitoneal lymfkörtelutrymning vid testikelcancer.

Bakgrund

Den 1 maj 2011 slöt regeringen och Sveriges Kommuner och Regioner (SKR) en överenskommelse om nationell samordning av delar av den högspecialiserade cancervården. Överenskommelsen syftade till att regionerna skulle påbörja arbetet med en nivåstrukturering på nationell nivå för sällsynta eller särskilt svårbehandlade cancersjukdomar. Nationell samordning skulle vara utformad så att en koncentration av vårdåtgärderna leder till en ökad vårdkvalitet och förbättrade vårdresultat, ett mer effektivt utnyttjande av hälso- och sjukvårdens resurser samt stärker förutsättningarna för klinisk forskning. Den ska vara värdeskapande för patienten och således vara baserat på ett patientfokuserat synsätt.

Regionala cancercentrum (RCC) i samverkan beslöt vid sitt sammanträde den 18 oktober 2016 enhälligt att rekommendera regionerna att retroperitoneal lymfkörtelutrymning vid testikelcancer koncentreras till två vårdenheter och att dessa enheter utgörs av Karolinska Universitetssjukhuset och Sahlgrenska Universitetssjukhuset. Vidare rekommenderade RCC att koncentrationen av åtgärden skulle införas från och med den 1 november 2017 [1]. Alla regioner har tagit beslut om att följa RCC:s rekommendation gällande nivåstrukturering på nationell nivå.

Den 1 juli 2018 genomfördes ändringar i hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) som innebär en ny beslutsprocess för den nationella högspecialiserade vården. Den nya beslutsprocessen ersatte därmed systemet med den nationella nivåstruktureringen av cancervården.

Medicinsk bakgrund

Testikelcancer är en fåtalsdiagnos och utgör en liten andel, cirka 1 %, av manlig cancer. Testikelcancer är dock den vanligaste cancersjukdomen hos män mellan 25 och 40 år med cirka 350 fall i Sverige varje år.

Av de cirka 350 patienter som årligen diagnosticeras med testikelcancer så finns det för 60-70 patienter indikation för retroperitoneal lymfkörtelutrymning (RPLND- retroperitoneal lymph node dissection). Den absolut dominerande indikationen för RPLND är borttagande av resttumör efter genomgången cytostatikabehandling för spridd testikulärt non-seminom, men RPLND utförs i enstaka fall i diagnostiskt syfte vid såväl seminom och non-seminom, samt vid primärt extragonadal sjukdom. RPLND efter cytostatikabehandling är ett kirurgiskt komplicerat ingrepp och kräver en mycket hög kirurgisk kompetens inkluderande tillgång till högspecialiserad kompetens inom ett antal kirurgisk specialiteter utöver urologi, såsom kärlkirurgi, thorax-och tarmkirurgi [2].

Socialstyrelsens överväganden

Rättslig reglering

Av 2 kap. 7 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) framgår att med nationell högspecialiserad vård avses i denna lag offentligt finansierad hälso- och sjukvård som behöver koncentreras till en eller flera enheter men inte till varje sjukvårdsregion för att kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen ska kunna upprätthållas och ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser ska kunna uppnås.

Av 7 kap. 5 § samma lag som ovan framgår bl.a. att den myndighet som regeringen bestämmer beslutar vilken hälso- och sjukvård som ska utgöra nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter sådan vård ska bedrivas. Vid bedömningen av om en åtgärd ska utgöra nationell högspecialiserad vård ska hänsyn särskilt tas till om vården är komplex eller sällan förekommande och om den kräver en viss volym, multidisciplinär kompetens eller stora investeringar eller medför höga kostnader. Beslutet får inte överklagas.

Enligt 2 kap. 1 § hälso- och sjukvårdsförordningen (2017:80) beslutar Socialstyrelsen vilken hälso- och sjukvård som ska utgöra nationell högspecialiserad vård enligt 2 kap. 7 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) och på hur många enheter sådan vård ska bedrivas.

Av förarbetena till hälso- och sjukvårdslagen framgår bl.a. att den nationella nivåstruktureringen av cancervården inte vilar på någon lagstiftning. Utgångspunkten bör dock vara att de utredningar och beslut om koncentration som fattats inom ramen för den nationella nivåstruktureringen av cancervården tas till vara. De verksamheter som hittills har koncentrerats bör få fortsätta med sitt arbete. Sakkunniggrupperna bör i sina genomgångar dra nytta av tidigare gjorda utredningar både inom rikssjukvården och inom nivåstruktureringen av cancervården, så att inte samma områden behöver utredas på nytt (se prop. 2017/18:40 s. 67).

Socialstyrelsens bedömning

Socialstyrelsen bedömer att det aktuella vårdområdet inte behöver ses över av en sakkunniggrupp eftersom de tidigare utredningarna som har gjorts av RCC är tillräckliga för att ligga till grund för beslut om nationell högspecialiserad vård.

Enligt Socialstyrelsens bedömning utvisar RCC:s utredning åtgärden retroperitoneal lymfkörtelutrymning vid testikelcancer ska utgöra nationell högspecialiserad vård eftersom vården är sällan förekommande, kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens [1].

Socialstyrelsen finner att aktuell vård ska fortsätta att vara koncentrerad till två enheter. Av RCC:s uppföljning av åren 2017-2019 framgår att enheterna vid de gemensamma multidisciplinära konferenserna har möjlighet att fördela patienter mellan enheterna kopplat till den enhet som har möjlighet att ta emot patienten. De samverkar också gällande vårdprogram och forskning inom ramen för ett nätverk med svenska och norska deltagare. Av uppföljningen framgår att det i framtiden kommer att vara lättare att bedriva studier och göra uppföljningar då alla Sveriges patienter behandlas på dessa två enheter. Vården bedöms ha fungerat väl under den tid den varit koncentrerad till två enheter[3][4].

Mot denna bakgrund finner Socialstyrelsen att en fortsatt koncentration av aktuell vård till två enheter ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett mer effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås.

Särskilda villkor

Förslagen till särskilda villkor har tagits fram tillsammans med de enheter som idag har nationella vårduppdrag inom området.

Kritisk personalkompetens

- Urolog
- Anestesiolog
- Radiolog
- Patolog
- Onkolog
- Leverkirurg
- Thoraxkirurg
- Kärlkirurg
- Tumörortoped
- Kontaktsjuksköterska
- Kurator
- Fysioterapeut

Kritisk utrustning, lokaler

Andra förutsättningar för att vården inom det definierade området ska kunna bedrivas

- Högspecialiserad intensivvård
- Interventionell radiologi
- Koagulationskonsult

Övrigt

- Vid utskrivning från NHVe ska patienten ha med sig en vårdplan med planering för bl.a. uppföljning samt kontaktuppgifter till NHVe
- NHVe ska verka för framtagandet/revision av SVF, vårdprogramarbete, kvalitetsregister
- NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs.
- NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.

Uppföljning och utvärdering

Tillståndsinnehavarna av nationell högspecialiserad vård ansvarar för uppföljning av sina verksamheter (egenkontroller) samt för inlämning av årsrapporter till Socialstyrelsen. Årsrapporterna ska utgå från verksamhetens egenkontroll. Socialstyrelsen ansvarar för fördjupad utvärdering av tillstånden för nationell högspecialiserad vård.

Nedan finns förslag till de uppföljningsmått som de anser relevanta för den vård som föreslås ska koncentreras (definitionen). Förslagen till uppföljningsmått har tagits fram tillsammans med de som idag har nationellt vårduppdrag inom området. Uppföljningsmått ska utgå från nedan mall. Uppföljningsmått kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Förslag till uppföljningsmått (översikt)

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal fall som avhandlas vid MDK -Ålder -Remitterande region
Bakgrundsmått	Antal behandlade vid NHV -Ålder -Remitterande region
Bakgrundsmått	Antal primäroopererade vid NHV -Ålder -Remitterande region
Bakgrundsmått	Antal opererade efter kemoterapi vid NHV -Ålder -Remitterande region
Bakgrundsmått	Antal recidivopererade (efter primär- och/eller kemo) vid NHV -Ålder -Remitterande region
Bakgrundsmått	Vårdtid i antal dygn (min, max, median, medel) -Ålder -Remitterande region
Tillgänglighetsmått	Tid från första behandlingsdagen i sista cytotostatikabehandlingscykeln till operationsdagen

Medicinskt mått	Komplikation: Clavien Dindo skala från 3 och uppåt, 30 dagar
-----------------	--

Referenser

1. Rekommendation rörande nationell och regional nivåstrukturering cancer vården Hämtad 2020-03-06 från https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/remisser-och-beslutsunderlag/omgang-3/beslutsrekommendation_till_landsting-regioner_161212.pdf
2. Nivåstrukturering inom området Retroperitoneal lymfkörtelutrymning vid testikelcancer- Utlåtande från sakkunniggrupp gällande nationell nivåstrukturering. Hämtad 2020-03-06 från <https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/sakkunnigutlattan-den/omgang-3/utlatande-lymfkortelutrymning-testikelcancer2.pdf>
3. Uppföljning av nationell enhet Karolinska för retroperitoneal lymfkörtelutrymning - två årsuppföljning (2017-2019) av nationella vårdenheter Hämtad 2020-03-05 <https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/nationella-vardenheter/melanom/isolerad-hyperterm-perfusion-sahlgrenska-2017-18-190325.pdf>
4. Tvåårsuppföljning av nationella vårdenheter: Retroperitoneal lymfkörtelutrymning vid testikelcancer på Sahlgrenska Universitetssjukhuset. Hämtad 2020-03-05 <https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/nationella-vardenheter/melanom/isolerad-hyperterm-perfusion-sahlgrenska-2017-18-190325.pdf>

Underlag för beslut om nationell högspecialiserad vård vårdområde- kurativt syftande behandling av vulvacancer

Socialstyrelsens bedömning
Remissversion

UTKAST

Socialstyrelsens bedömning

Socialstyrelsen bedömer att kurativt syftande behandling vid vulvacancer ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra enheter.

Definition av tillståndet

Kurativt syftande behandling av vulvacancer.

Bakgrund

Den 1 maj 2011 slöt regeringen och Sveriges Kommuner och Regioner (SKR) en överenskommelse om nationell samordning av delar av den högspecialiserade cancervården. Överenskommelsen syftade till att regionerna skulle påbörja arbetet med en nivåstrukturering på nationell nivå för sällsynta eller särskilt svårbehandlade cancersjukdomar. Nationell samordning skulle vara utformad så att en koncentration av vårdåtgärderna leder till en ökad vårdkvalitet och förbättrade vårdresultat, ett mer effektivt utnyttjande av hälso- och sjukvårdens resurser samt stärker förutsättningarna för klinisk forskning. Den ska vara värdeskapande för patienten och således vara baserat på ett patientfokuserat synsätt.

Regionala cancercentrum (RCC) i samverkan beslöt vid sitt sammanträde den 8 februari 2016 enhälligt att rekommendera regionerna att kurativt syftande behandling av vulvacancer koncentreras till fyra vårdenheter och att de enheterna utgörs av Karolinska Universitetssjukhuset, Sahlgrenska Universitetssjukhuset, Skånes Universitetssjukhus och Universitetssjukhuset i Linköping. Vidare rekommenderade RCC att koncentrationen av åtgärden skulle införas från och med den 1 januari 2017 [1].

Alla regioner har tagit beslut om att följa RCC:s rekommendation gällande nivåstrukturering på nationell nivå.

Den 1 juli 2018 genomfördes ändringar i hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) som innebär en ny beslutsprocess för den nationella högspecialiserade vården. Den nya beslutsprocessen ersatte därmed systemet med den nationella nivåstruktureringen av cancervården.

Medicinsk bakgrund

Vulvacancer drabbar årligen 150 – 190 kvinnor i Sverige. Symtom som ofta förekommer är långvarig klåda i vulva, sveda, sårbildning eller tumörutveckling. Medianåldern vid diagnos ligger runt 75 år (17 -101 år). Åldersfördelningen har två toppar, dels en topp runt 50-års ålder och en vid 80-års ålder. Etiologin tycks vara olika för åldersgrupperna. Hos den yngre populationen är cancer ofta associerad med HPV-infektion medan däremot vulvacancer hos den äldre populationen oftare är associerad med vulvadystrofi eller lichen sclerosus et atrophicus. Skivepitelcarcinom utgör den vanligaste typen (87%) följt av extramamillär Paget och adenocarcinom (8%) och malignt melanom (5%)[2].

Socialstyrelsens överväganden

Rättslig reglering

Av 2 kap. 7 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) framgår att med nationell högspecialiserad vård avses i denna lag offentligt finansierad hälso- och sjukvård som behöver koncentreras till en eller flera enheter men inte till varje sjukvårdsregion för att kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen ska kunna upprätthållas och ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser ska kunna uppnås.

Av 7 kap. 5 § samma lag som ovan framgår bl.a. att den myndighet som regeringen bestämmer beslutar vilken hälso- och sjukvård som ska utgöra nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter sådan vård ska bedrivas. Vid bedömningen av om en åtgärd ska utgöra nationell högspecialiserad vård ska hänsyn särskilt tas till om vården är komplex eller sällan förekommande och om den kräver en viss volym, multidisciplinär kompetens eller stora investeringar eller medför höga kostnader. Beslutet får inte överklagas.

Enligt 2 kap. 1 § hälso- och sjukvårdsförordningen (2017:80) beslutar Socialstyrelsen vilken hälso- och sjukvård som ska utgöra nationell högspecialiserad vård enligt 2 kap. 7 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) och på hur många enheter sådan vård ska bedrivas.

Av förarbetena till hälso- och sjukvårdslagen framgår bl.a. att den nationella nivåstruktureringen av cancervården inte vilar på någon lagstiftning. Utgångspunkten bör dock vara att de utredningar och beslut om koncentration som fattats inom ramen för den nationella nivåstruktureringen av cancervården tas till vara. De verksamheter som hittills har koncentrerats bör få fortsätta med sitt arbete. Sakkunniggrupperna bör i sina genomgångar dra nytta av tidigare gjorda utredningar både inom rikssjukvården och inom nivåstruktureringen av cancervården, så att inte samma områden behöver utredas på nytt (se prop. 2017/18:40 s. 67).

Socialstyrelsens bedömning

Socialstyrelsen bedömer att det aktuella vårdområdet inte behöver ses över av en sakkunniggrupp eftersom de tidigare utredningarna som har gjorts av RCC är tillräckliga för att ligga till grund för beslut om nationell högspecialiserad vård.

Enligt Socialstyrelsens bedömning utvisar RCC:s utredning att kurativt syftande behandling vid vulvacancer ska utgöra nationell högspecialiserad vård eftersom vården är sällan förekommande, kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens [1].

Socialstyrelsen finner att aktuell vård ska fortsätta att vara koncentrerad till fyra enheter. Av RCC:s uppföljning av åren 2017-2018 framgår att enheterna har gemensam nationell multidisciplinär konferens (MDK). Det har hållits möten med alla fyra enheter samt de som remitterar patienter till enheterna. Hur köläget ser ut går igenom veckovis vid den nationella MDK:n. Patienterna erbjuds efter detta alltid första lediga tid oberoende av vilken enhet som har ledig tid. Alla enheter delta i forskning och detta inkluderar multicenterstudier där alla enheter finns med. I den gemensamma uppföljningen lyfter enheterna att behandlingen vid vulvacancer sannolikt har blivit enhetligare och mer jämlik för patienterna efter koncentrationen till de nationella enheterna [3].

Mot denna bakgrund finner Socialstyrelsen att en fortsatt koncentration av aktuell vård till en enhet ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett mer effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås.

Särskilda villkor

Förslagen till särskilda villkor har tagits fram tillsammans med de enheter som idag har nationella vårduppdrag inom området.

Kritisk personalkompetens

Alla nedanstående kompetenser ska ha specialkunskap inom tillståndsområdet

- Gynekologisk tumörkirurg
- Gynekologisk onkolog
- Urolog
- Kolorektalkirurg
- Referenspatolog inom gynekologisk onkologi
- Plastikkirurg
- Radiolog
- Nuklearmedicinare
- Smärtläkare
- Kontaktsjuksköterska
- Kurator/psykolog
- Omvårdnadspersonal med sexologisk kompetens
- Fysioterapeut
- Lymfterapeut
- Sjukhusfysiker

Kritisk utrustning, lokaler

- PET/CT-utrustning
- MR-utrustning
- Sentinelutrustning
- Utrustning för strålbehandling
- Operationslokaler
- Tillgång till avancerad/högteknologisk patodiagnostisk utrustning samt lokaler för detta

Andra förutsättningar för att vården inom det definierade området ska kunna bedrivas

- Personal med kompetens att stötta patientens hemortsvårdgivare med råd och stöd kring rehabilitering
- Möjlighet att ge cytostatikabehandling
- Vid behov tillgång till patienthotell

Övrigt

- NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs.

- NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.
- Vid utskrivning från NHVe ska patienten ha med sig en vårdplan med planering för bl.a uppföljning samt kontaktuppgifter till NHVe
- Gemensam nationell MDK
- Namngiven Kontaktsjuksköterska på NHVe
- NHVe ska vara drivande i framtagandet/revision av SVF, vårdprogramarbete, kvalitetsregister
- NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs.
- NHVe ska överrapportera till remitterande enheten samt följa upp patientrapporterade mått

Uppföljning och utvärdering

Tillståndsinnehavarna av nationell högspecialiserad vård ansvarar för uppföljning av sina verksamheter (egenkontroller) samt för inlämning av årsrapporter till Socialstyrelsen. Årsrapporterna ska utgå från verksamhetens egenkontroll. Socialstyrelsen ansvarar för fördjupad utvärdering av tillstånden för nationell högspecialiserad vård.

Nedan finns förslag till de uppföljningsmått som de anser relevanta för den vård som föreslås ska koncentreras (definitionen). Förslagen till uppföljningsmått har tagits fram tillsammans med de som idag har nationellt vårduppdrag inom området. Uppföljningsmått ska utgå från nedan mall. Uppföljningsmått kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Förslag till uppföljningsmått (översikt)

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal remisser till NHV -Ålder -Remitterande region
Bakgrundsmått	Antal behandlade vid NHV -Ålder -Remitterande region
Bakgrundsmått	Vårdtid i antal dygn vid NHV (min, max, median, medel) -Vid kirurgisk behandling
Tillgänglighetsmått	Tid från diagnosdatum till start av behandling Tid från nationell MDK till start av behandling (medel, median P20) Undergrupper -Patienter från tillståndsinnehavarens egen region -Patienter från övriga Sverige
Medicinskt mått	-Komplikationer i enlighet med Clavien dindo
Medicinskt mått	-Cancerrelaterad överlevnad 3 eller 5 år

Referenser

1. Rekommendation rörande nationell och regional nivåstrukturering för sex områden i cancervården Hämtad 2020-03-05 från https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/remisser-och-beslutsunderlag/omgang-2/rekommendation_2016-02-09_nivastrukturering_cancer.pdf
2. Utlåtande från sakkunniggruppen till förslag om nationell nivåstrukturering av vulvacancer. Hämtad 2020-03-06 från https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/sakkunnigutlåtanden/omgang-2/utlatande_vulvacancer.pdf
3. Tvåårsuppföljning av nationella nivåstruktureringen vulvacancer (2017-2018) verksamhetsstart januari 2017 Hämtad 2020-03-06 <https://www.cancercentrum.se/globalassets/vara-uppdrag/nivastrukturering/nationella-vardenheter/vulvacancer/vulvacancer-2017-18-gemensam-rapport-fran-samtliga-nationella-vardenheter.pdf>

Svårbehandlad epilepsi

Sakkunniggruppens förslag på nationell
högspecialiserad vård
Remissversion

Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för svårbehandlad epilepsi vårdområdet och lämnar sitt förslag till nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppens förslag remitteras öppet för synpunkter från alla intresserade. Genom att få in synpunkter på sakkunniggruppens förslag i processen, möjliggörs en bredare konsekvensanalys.

Inför Socialstyrelsens beslut om vad som ska utgöra nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter vården ska bedrivas, kommer även en beredningsgrupp att lämna ett yttrande utifrån underlaget, inkomna synpunkter och konsekvensanalysen.

Socialstyrelsen leder arbetet med att koncentrera mer av den högspecialiserade vården på nationell nivå och ansvarar för arbetsprocessen för detta arbete. Socialstyrelsen vill tacka alla som har deltagit i arbetet med att ta fram detta underlag.

Thomas Lindén
Avdelningschef

Sakkunniggruppens uppdrag

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den eller de delar i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

Innehåll

Förord	2
Sakkunniggruppens uppdrag	3
Ordlista och förklaringar	5
Sammanvägd bedömning	6
Definition	7
Vårdområde	9
Särskilda villkor	18
Konsekvensanalys	20
Uppföljning och utvärdering	25
Referenser	26
Deltagare i sakkunniggrupp	27
Om nationell högspecialiserad vård	28

Ordlista och förklaringar

DBS	Djup hjärnstimulering mot mål i thalamus, kirurgisk metod som kan ge anfalls lindring (FoU idag)
DT	Datortomografi, en medicinsk avbildningsteknik, förkortas i dagligt tal ofta CT
EEG	Elektroencefalografi, metod för att registrera hjärnbarkens elektriska aktivitet med hjälp av elektroder utanpå skalpen
EP	Epilepsi
fMRI	Funktionell magnetresonanstomografi (functional magnetic resonance imaging), radiologisk metod som mäter hemodynamisk respons vid neurologisk aktivitet
LITT	Laserablation som är en minimalinvasiv epilepsikirurgiteknik (laser interstitial thermal therapy).
MDK	Multidisciplinär konferens
MEG	Magnetoencefalografi
MR	Magnetresonanstomografi, medicinsk avbildningsteknik med s.k. magnetkamera
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad enhet
NPU	Neuropsykologisk utredning, NPU består av intervju, observation och psykometriska instrument som avser att utvärdera individens kognitiva och psykiska funktioner samt beteenden.
nTMS	Navigerad transkraniell magnetstimulering, neurofysiologisk undersökningsmetod för att med magnetstimulering lokalisera olika hjärnfunktioner såsom motorik och språk
PET	Positronemissionstomografi, medicinsk avbildningsteknik som bygger på användning av isotopmärkta preparat
SEEG	Stereo-elektroencefalografi, metod för att registrera elektrisk aktivitet i hjärnans djupare delar med hjälp av stereotaktiskt inlagda elektroder
SNESUR	Svenska nationella epilepsikirurgiregistret (Swedish National Epilepsy Surgery Register)
SPECT /SISCOM	Enfotonsemissionstomografi (SPECT) och Subtraction Ictal SPECT Co-registered to MRI (SISCOM), funktionella imagingtekniker
VNS	Vagusnervstimulering. VNS är en metod där vagusnerven stimuleras via en elektrod på halsen, kopplad till en pulsgenerator.

Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet *svårbehandlad epilepsi* att det som framgår av definitionen nedan ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid tre enheter. Viss sällankirurgi ska koncentreras ytterligare till en enhet.

Detta bedöms vara vård som är komplex och sällan förekommande. Den aktuella vården kräver också en viss volym och multidisciplinär kompetens för att uppnå god kvalitet. Vården är multidisciplinär då bland annat neurolog, barnneurolog, neurokirurg, neurofysiolog, neuroradiolog och neuropsykolog behövs. För vård av barn behövs ytterligare professioner i teamet.

Kunskapsutvecklingen vid svårbehandlad epilepsi är snabb, och eftersom orsakspanoramata är mycket heterogent behöver behandlingen (både kirurgisk och icke-kirurgisk) vara individanpassad. Detta ställer stora krav på bred och djup kompetens hos det samtrimmade och högspecialiserade multidisciplinära teamet som handlägger ovanliga eller komplexa epilepsier. Det är inte möjligt för alla universitetssjukhus i landet att erbjuda kompletta multidisciplinära team och patientunderlaget är därtill för litet för att upprätthålla sådan kompetens i samtliga regioner. För koncentration talar också internationell konsensus kring minimivolymer vid epilepsikirurgi.

Sakkunniggruppen anser att en koncentration av aktuell vård till tre enheter ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen. Detta samtidigt som att hälso- och sjukvårdens resurser kan användas mer effektivt. Med nuvarande patientvolymer för avancerad utredning och epilepsikirurgiska ingrepp (ett hundratal utredningar och cirka 40 operationer årligen) anser sakkunniggruppen att tre nationella enheter säkrar upp också för ökande volymer.

Konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva, främst eftersom alla patienter, oavsett hemort, får lika stor möjlighet att utredas och behandlas på ett center med en bred och djup kompetens för svårbehandlad epilepsi. Ett samlat patientunderlag för sällaningrepp medför en säker och resurseffektiv vård samt bättre förutsättningar för forskning och kunskapsutveckling. Vidare bedömer sakkunniggruppen att akutsjukvården inom detta område inte kommer att påverkas av förslaget. Närliggande vårdområden kan påverkas i viss utsträckning, eftersom epilepsipatienter då kan tränga undan exempelvis andra patienter i behov av neurofysiologisk undersökning.

Definition

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till definition av nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter denna vård ska bedrivas.

Vid svårbehandlad epilepsi ska viss avancerad utredning och behandling utgöra nationell högspecialiserad vård. Förslaget avser både barn och vuxna.

Med viss avancerad utredning och behandling avses:

- Epilepsikirurgisk utredning utöver basutredning
- Beslut om insättning av vagusnervstimulering (VNS)
- Epilepsikirurgiska ingrepp (inkl. nya behandlingsmetoder så som invasiv neurostimulering/modulering, laserablation [LITT] och djup hjärnstimulering [DBS])
- Bedömning av särskilt komplex genetisk eller metabol diagnostik med svårtolkade resultat eller där potentiell precisionsmedicinsk terapi är aktuell
- Ställningstagande till och rekommendation om nya behandlingsalternativ av precisionsmedicinsk karaktär, såsom cellterapi, enzymterapi eller genterapi, samt ansvar för uppföljning/monitorering av sådan behandling

Med svårbehandlad epilepsi avses patienter som har farmakologiskt terapiresistent epilepsi. Även patienter med epilepsi i behov av komplex genetisk eller metabol diagnostik och behandling ingår.

Med epilepsikirurgi avses neurokirurgi där svårbehandlad epilepsi är huvudindikationen.

Antal enheter

Sakkunniggruppen föreslår att vården ska bedrivas på tre enheter.

Sakkunniggruppen föreslår att *sällankirurgi* i form av hemisfärotomi samt operation vid hypothalamushamartom koncentreras ytterligare och utförs på en av de tre enheterna.

Avgränsningar

Sakkunniggruppen har i sin genomlysning gjort följande avgränsningar till området.

Följande områden, med koppling till definitionen, ingår ej i definitionen och ska ej koncentreras på nationell nivå:

1. Basutredning vid terapiresistent epilepsi ingår inte i definitionen. Denna initiala avancerade utredning bör finnas på samtliga universitetssjukhus och vara en del av basutbudet vid utredning av patienter med terapiresistent epilepsi, i enlighet med nationella riktlinjer. Detta för att ha en god och tillgänglig vård för en stor patientgrupp.
2. Enskilda undersökningsmoment ingående i icke-invasiv epilepsikirurgisk utredning utöver basutredning kan, om förutsättningarna finns, utföras vid samtliga universitetssjukhus. Däremot ska ansvaret för, och tolkningen av, utredningen som helhet ligga på NHVe.
3. Med epilepsikirurgi avses neurokirurgi där svårbehandlad epilepsi är huvudindikationen. Liknande neurokirurgiska ingrepp, vid exempelvis kavernom och låggradiga gliom, som utförs på annan indikation (t.ex. malignitetsmisstanke eller blödningsrisk) omfattas ej av förslaget.
4. Inläggning av VNS samt uppföljning och stimulatorbyte omfattas ej av definitionen utan kan ske på samtliga universitetssjukhus. Ingreppet är relativt tekniskt enkelt och har en låg risk. Beslutet om VNS däremot ska ske på epilepsikirurgirond med NHVe.
5. Icke-epileptiska anfall (PNES) ingår inte i definitionen. Dessa anfall orsakas inte av epilepsi. Däremot kan många av patienterna finnas i populationen svårbehandlad epilepsi och utredas av epilepsiteam på universitetssjukhus.
6. Ställningstagande till och behandling med ketogen kost bör kunna ske vid samtliga universitetssjukhus. Vid behov kan NHVe bistå med stöd för insättning av ketogen kostbehandling.
7. Genetisk rutindiagnostik vid epilepsi skall kunna ske vid alla landets universitetssjukhus.

Vårdområde

Nuläge

Det vårdområde som sakkunniggruppen genomlyst, för att utreda vad inom området som bör koncentreras nationellt, är svårbehandlad epilepsi. Den vård som utifrån sakkunniggruppens genomlysning föreslås att koncentreras nationellt beskrivs ovan under rubriken *Definition*.

Epilepsi förekommer hos 0,5–1 % av befolkningen, vilket innebär att cirka 81 000 personer i Sverige har epilepsi, varav cirka 10 000 barn. Varje år tillkommer epilepsi hos cirka 5 500 personer. Ungefär en tredjedel av patienterna blir inte anfallsfria av läkemedel utan har fortsatta epileptiska anfall trots behandling med minst två korrekt valda antiepileptiska läkemedel, i adekvata doser enskilt eller i kombination (farmakologiskt terapiresistent epilepsi) [1]. Dessa personer är i behov av avancerad utredning och behandling. Detta förslag avser en del av denna population samt epilepsipatienter i behov av komplex genetisk eller metabol diagnostik och behandling.

Epilepsi kan bero på genetiska orsaker eller olika typer av medfödda/förvärvade hjärnskador, men för ungefär hälften av patienterna är orsaken till epilepsin okänd. För att möjliggöra en god vård för patientgruppen krävs insatser från ett väl fungerande multidisciplinärt team med tät kontakt där samtliga har erfarenheter av den mycket heterogena patientgruppen och alla de olika utrednings- och behandlingsalternativ som står till buds. De avancerade utredningarna och ingreppen är högspecialiserade och komplexa i både utförande och tolkning och kräver kompetenser med specifik utbildning och lång erfarenhet. Flertalet av dessa kompetenser finns enbart på universitetssjukhus.

De multidisciplinära teamen består av bland annat specialistläkare i neurologi, barnneurologi med habilitering, neurokirurgi, neuroradiologi och klinisk neurofysiologi samt neuropsykolog och epilepsisjuksköterska. I barnutredningar, där bedömning av barnets utveckling är en viktig parameter, ingår ofta även logoped, arbetsterapeut och fysioterapeut i teamet.

Avancerad utredning

Den avancerade utredningen består av många steg och utredningsmoment, där bedömningen/tolkningen av utredningsresultaten är komplex och kräver erfarenhet och kunskap inom olika specialområden (hela teamet).

Basutredning är första delen av en avancerad utredning vid farmakologiskt terapiresistent epilepsi. Den innefattar bland annat monitorering med video-EEG, MR-undersökning med särskilda epilepsiprotokoll och en kognitiv bedömning. Basutredningen kan ge svar på om epilepsidiagnosen är korrekt och vilken typ av epilepsi patienten har. Här optimeras även läkemedelsbehandling och när det är relevant görs utredning inför, och ställningstagande till, ketogen kostbehandling.

Vid epilepsi som bedöms potentiellt lämplig för kirurgi följer därefter ofta fortsatt icke-invasiv epilepsikirurgisk utredning som kan innefatta avancerade neurofysiologiska och neuroradiologiska undersökningsmetoder, exempelvis magnetoencefalografi (MEG), positronemissionstomografi (PET) och enfonsemissionstomografi (SPECT) samt neuropsykologisk utredning (NPU). Syftet är att ytterligare kartlägga förutsättningarna för resektiv eller palliativ kirurgi.

I komplexa fall behövs en fortsatt invasiv utredning, som ett sista steg inför en eventuell epilepsikirurgi. Det kan bland annat innebära funktionell stimulering och invasiv monitorering med stereo-elektroencefalografi (SEEG) eller andra intrakraniella elektrodyper, och syftar till att lokalisera anfallsgenererande områden och funktioner såsom språk och motorik.

Som en del av den avancerade utredningen krävs en uppdaterad NPU för att kunna dra pålitliga slutsatser inför beslutet om epilepsikirurgi. NPU kan ge indikation på vilka kognitiva och psykiska funktioner samt beteenden som har påverkats av epilepsin. NPU har också ett prognostiskt värde gällande hur dessa funktioner kan komma att påverkas i samband med operation i ett specifikt kirurgiskt målområde och hur patienten kommer att hantera operationens utfall.

Vid misstänkt sällsynt genetisk eller metabol epilepsi behöver man tolka genetiska data, från exempelvis helexom/helgenomsekvensering, och biokemiska/metabola fynd i relation till den enskilda patientens symtombild. Eftersom genetisk epilepsi delvis överlappar med neurometabol, inklusive mitokondriell, sjukdom, vilka ofta ger epilepsi som symtom, behöver teamet även ha tillgång till expertis inom de metabola sjukdomarnas diagnostik och behandling.

Det slutliga beslutet om att erbjuda patienten epilepsikirurgi fattas av epilepsikirurgiteamet efter sammanvägning av potentiella vinster och risker med en operation. Utredningarna kräver särskilda lokaler och utrustning såsom monitoreringsenheter och närhet till neurointensivvård/barnintensivvård samt neurokirurgi och neurofysiologisk klinik.

Avancerad utredning kan fortgå över flera års tid, särskilt hos barn och ungdomar där utveckling och tillväxt kräver extra hänsyn. Ibland slutförs den avancerade utredningen inom vuxensjukvården, varför en god kontakt och ett bra flöde mellan barn-vuxensjukvård är en förutsättning för att vården ska fungera bra.

Behandling

Patienter med svårbehandlad epilepsi behöver omfattande läkemedelsutprovning, eller ställningstagande till vissa icke-farmakologiska behandlingsmetoder, till exempel epilepsikirurgi. Vid bekräftad sällsynt genetisk eller metabol epilepsi kan också avancerad behandling i form av precisionsmedicinsk terapi exempelvis cellterapi, enzymterapi eller genterapi vara aktuell.

Epilepsikirurgi innefattar många olika typer av operationer, till exempel diagnostisk inläggning av intrakraniella elektroder, VNS, resektion eller lase-

rablation av epileptiska fokus eller mer omfattande isärkoppling av stora ban-system i hjärnan. De förändringar i hjärnan som opereras, exempelvis vissa typer av hjärnmissbildningar, är ofta svårare att avgränsa radiologiskt än till exempel hjärntumörer. En del av de invasiva utrednings- och behandlingsteknikerna, som exempelvis att lägga in elektroder, skiljer sig också från annan neurokirurgi. Avlägsnande av ett epileptiskt område i hjärnan behöver därför planeras och individanpassas. Många lesioner vid epilepsikirurgi är inte heller progressiva vilket gör att bedömningar av risk-nytta och förväntad överlevnad skiljer sig från tumörkirurgi.

Eftersom antalet epilepsioperationer är få (ca 40 ingrepp/år i Sverige), och det dessutom handlar om många olika typer av ingrepp, så tar det lång tid att utbilda en neurokirurg till att bli kompetent inom epilepsikirurgi. Antalet hemisfärotomier och operationer av hypothalamushamartom är ännu färre (tillsammans mindre än 3 ingrepp/år) och mer tekniskt avancerade.

Frekvensen av allvarliga komplikationer efter operation är förhållandevis låg (3–4 procent). En operation är dock irreversibel och invasiva ingrepp innebär alltid risker. För alla patienter är operation heller inte det bästa alternativet, och där är förmågan att kunna ge rätt, och individualiserad information nog så viktig.

Organisation

Det utförs cirka 200 avancerade utredningar per år på universitetssjukhusen i Sverige, men behovet av sådana utredningar är troligtvis mycket större då antalet som insjuknar i terapiresistent epilepsi årligen uppskattas till 1 800 personer [1]. Sakkunniggruppen bedömer att personer med farmakologiskt terapiresistent epilepsi inte remitteras i tillräckligt hög utsträckning till den högspecialiserade vården för vidare avancerad utredning och behandling.

Svenska behandlingsresultat inom epilepsikirurgi står sig internationellt, men med dagens struktur är det svårt att få upp tillräckliga volymer hos samtliga utförare för att i framtiden upprätthålla högsta möjliga spetskompetens och exempelvis kunna delta i internationella nätverk/samarbeten och forskningsprojekt på bästa sätt. Det skiljer sig också åt i landet vilka utredningsåtgärder och interventioner som erbjuds eftersom det saknas tillgång till, och kunskap om, alla möjliga lösningar vid terapiresistent epilepsi. Även när det gäller NPU skiljer sig både tid för uppföljning och val av instrument mellan olika enheter, och data registreras inte i det svenska nationella epilepsikirurgiregistret (SNESUR). Brist på kunskap eller tillgång till en viss metod kan därmed styra val av åtgärd – istället för patientens behov. Till exempel kan behandling med VNS sättas in för tidigt, innan förutsättningarna för epilepsikirurgi till fullo utretts. Detta kan påverka möjligheten till framtida epilepsikirurgi eftersom VNS är ett hinder för optimal MR-diagnostik. Ingen av de svenska enheterna uppfyller i nuläget internationella rekommendationer för utrednings- och operationskvantitet.

Vården medför höga kostnader i och med att de avancerade utrednings- och behandlingsåtgärderna kräver ett team med många högspecialiserade kompetenser, varav flertalet är en bristvara på universitetssjukhusen idag.

Sakkunniggruppen bedömer att kostnaden för inläggande vård vid epilepsikirurgiska utredningar och operationer är dyrare än ”vanlig” slutenvård, eftersom det krävs vak dygnet runt av flera unika kompetenser samt dyr diagnostisk utrustning. Idag saknas dessutom resurser för vissa utredningsåtgärder på en del universitetssjukhus.

Det finns idag team som utreder svårbehandlad epilepsi och erbjuder epilepsikirurgi vid sex universitetssjukhus (Akademiska sjukhuset, Karolinska universitetssjukhuset, Linköpings universitetssjukhus, Norrlands universitetssjukhus, Sahlgrenska universitetssjukhuset och Skånes universitetssjukhus). VNS erbjuds vid samtliga sju universitetssjukhus. Det skiljer sig mellan regionerna hur kompletta de epilepsikirurgiska teamen är, vilka patientvolymerna som utreds respektive opereras. Likaså varierar antal epilepsikirurgiska operationer beroende på var i landet patienterna bor, från 0 till 0,88 per 100 000 invånare (medeltal under perioden 2015 till 2019, data från SNESUR) [2].

Enligt data från SNESURs årsrapporter har de flesta ingrepp under de senaste tio åren gjorts på fyra av de sex opererande universitetssjukhusen, men det varierar över tid vilka fyra enheter som opererat mest. Antal operationer per år varierar också stort inom respektive enhet, vilket kan bero på organisation, brist på vissa kompetenser och resurser, enskilda drivande individer samt konkurrens mellan vårdområden snarare än patientunderlag. Under covid-19-pandemin har det på några av de epilepsikirurgiska enheterna skett färre elektiva utredningar och operationer vid svårbehandlad epilepsi.

Mer sällsynta ingrepp som kräver specifik kompetens, exempelvis kallosotomi, hemisfärotomi och diskonnektion av hypothalamushamartom sker på färre ställen och ingrepp vid hypothalamushamartom är redan idag i praktiken centraliserat enligt överenskommelse till ett center, Sahlgrenska universitetssjukhuset.

Stora delar av den postoperativa uppföljningen görs på hemmaplan i samråd med remitterande klinik, men oftast med någon form av uppföljning/återkoppling vid universitetssjukhusen (opererande enhet).

Vårdvolymerna

Under 2010-2019 har volymerna för epilepsikirurgi varierat mellan knappt 40 till drygt 60 operationer per år, där barn och vuxna utgör en ungefär lika stor andel. Under samma period har antalet hemisfärotomier och operationer vid hypothalamushamartom per år legat på 2,1 respektive 0,6. Dessutom görs det ett 60-tal operationer med inläggning av VNS årligen.

Antalet avancerade utredningar som avses i underlaget (fortsatt icke-invasiv och invasiv utredning) bedöms ligga mellan 100–200. Men volymerna kan öka om fler patienter remitteras.

I Sverige föds uppskattningsvis 40-60 barn årligen med svårbehandlade epilepsisyndrom med genetisk orsak, vilka i framtiden kan komma i fråga gällande ställningstagande till nya behandlingsalternativ av precisionsmedicinsk karaktär. Sakkunniggruppen bedömer att det under en viss tid kommer krävas ett strukturerat införande av denna typ av behandlingar. I dagsläget finns inga godkända terapier men det pågår kliniska studier.

Forskning

SNESUR har funnits sedan 1990 och har en mycket god täckningsgrad. Alla operationer som görs på grund av epilepsi i Sverige rapporteras till registret och kan därmed följas upp avseende resultat och komplikationer. Samtliga universitetssjukhus avrapporterar protokoll, vilket innebär en fullständig täckning av den epilepsikirurgiska verksamheten i Sverige. Registrering av icke-invasiva utredningar är däremot bristfällig och görs endast sporadiskt. En anledning till detta är troligtvis att det saknas en definition av när en epilepsikirurgisk utredning startar. Idag saknas också ett nationellt/gemensamt förhållningssätt gällande resultat från de neuropsykologiska utredningarna och uppföljningarna, som inte ingår i registret men som kan ge information utöver anfallsfrihet.

Från SNESUR kommer det ett stort antal publikationer och SNESUR utgör även grunden för samarbete kring uppföljning av patienter som genomgått epilepsikirurgi. Utöver SNESUR finns även andra etablerade samarbetsorgan och nationella forskningsprojekt.

En koncentration skulle kunna påverka möjligheterna till forskning exempelvis inom perioperativ och postoperativ uppföljning. En koncentration med tydligt ansvar hos nationella enheter skulle kunna öka förutsättningarna för informationsinsamling på ett mer strukturerat och systematiskt sätt.

Internationell utblick

Idag har Danmark, Norge och Finland koncentrerat epilepsivård inkl. kirurgi. I Danmark finns ett epilepsisjukhus (Filadelfia i Dianelund) som utför initial utredning av epilepsi och gör basala epilepsikirurgiutredningar. Fall som ska utredas vidare skickas (efter rondbeslut) till Rigshospitalet i Köpenhamn där all epilepsikirurgi sker. I Norge finns ett nationellt epilepsisjukhus (Sandvika) och epilepsioperationerna är centraliserade till Rikshospitalet i Oslo, medan Finland har två epilepsikirurgicenter (Kuopio och Helsingfors). England har ca 7-8 center med mycket stora upptagningsområden.

Våra nordiska grannländer gör fler operationer än i Sverige, utifrån statistik i relation till befolkningens mängd. Antalet epilepsikirurgiska resektioner, per miljon invånare, är i Sverige 5,2, och för våra grannländer är antalet 5,7 (Norge), 6,2 (Danmark) och 8,1 (Finland) [3].

I USA finns en etablerad nivåstrukturering av epilepsivård, där epilepsikirurgi delas upp i två nivåer; en där epilepsikirurgi som kan genomföras utan invasiv utredning (nivå 3) och en för mer komplexa utredningar och operationer (nivå 4). Det ges inga rekommendationer om antal operationer per år för vare sig nivå 3 eller 4, men däremot om antal utredningar per år.

För sällsynt och komplex epilepsi finns ett europeiskt referensnätverk, EpiCARE, där kunskap delas och patientfall diskuteras. Från Sverige är det i nuläget endast Sahlgrenska universitetssjukhuset som är medlem i nätverket.

Internationellt rekommenderas minst 15-25 operationer per år för ett epilepsikirurgiskt centrum av ledande organisationer inom epilepsivård och det europeiska referensnätverket för sällsynt och komplex epilepsi [4–8].

Framåtblick

Varför nationell högspecialiserad vård?

Kunskapen om orsaker till, och behandlingsmöjligheter vid, svårbehandlad epilepsi ökar snabbt. Orsakspanoramata är mycket heterogent och behandlingen behöver vara individanpassad, det vill säga av precisionsmedicinsk karaktär. Detta gäller både kirurgiska och icke-kirurgiska behandlingar. Kunskapsutvecklingen ställer krav på både bred och djup kompetens hos vårdgivare som handlägger ovanliga eller komplexa epilepsier. Det kompletta multidisciplinära teamet ger den bredd som krävs. De enskilda teammedlemmarnas spetskompetens inom respektive ansvarsområde möjliggör djupet – den högspecialiserade expertisen. Sakkunniggruppen anser att det inte är möjligt eller samhällsekonomiskt försvarbart att försöka upprätthålla denna kompetens för den definierade patientgruppen, i samtliga regioner eller vid alla universitetssjukhus i landet, när patientunderlaget är så litet. För koncentration talar också att behövlig apparatur och andra resurser är dyrbara och av det skälet inte finns och inte kommer finnas i samtliga regioner.

Det sker också en ständig utveckling av operationsmetoder. Under de senaste åren har det tillkommit flera metoder för epilepsikirurgi såsom SEEG, endoskopisk diskonnektion av hypothalamushamartom och laserablation (LITT) av epileptiska fokus, och en fortsatt utveckling av nya operationsmetoder är förväntad. Till exempel är responsiv hjärnstimulering vid epilepsi en lovande metod. Det pågår även forskning gällande djup hjärnstimulering (DBS) vid svårbehandlad epilepsi.

Den stora komplexiteten i utredningarna är ett argument för koncentration. Genom att koncentrera föreslagen vård till nationella enheter ges den definierade patientgruppen möjlighet att få vård på ett center med en bred och djup kompetens av både utredning och behandling. Chansen för att patienten får rätt diagnos och behandling ökar och risken att drabbas av en komplikation eller att operationen inte får avsedd effekt på epilepsin minskar.

Resonemang kring antal enheter

Även om nuvarande patientvolym, med cirka 40 operationer årligen, och internationell konsensus kring minimivolym, talar för koncentration till två enheter i Sverige anser sakkunniggruppens att ett förslag med fler enheter säkrar upp för ökande volym – både vad gäller avancerade utredningar och epilepsikirurgi. Sakkunniggruppen anser att en koncentration av aktuell vård till tre enheter ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten och patientsäkerheten. Ett förslag med tre enheter tar även höjd för den stora kunskapsutvecklingen inom exempelvis diagnostik och nya operationsmetoder.

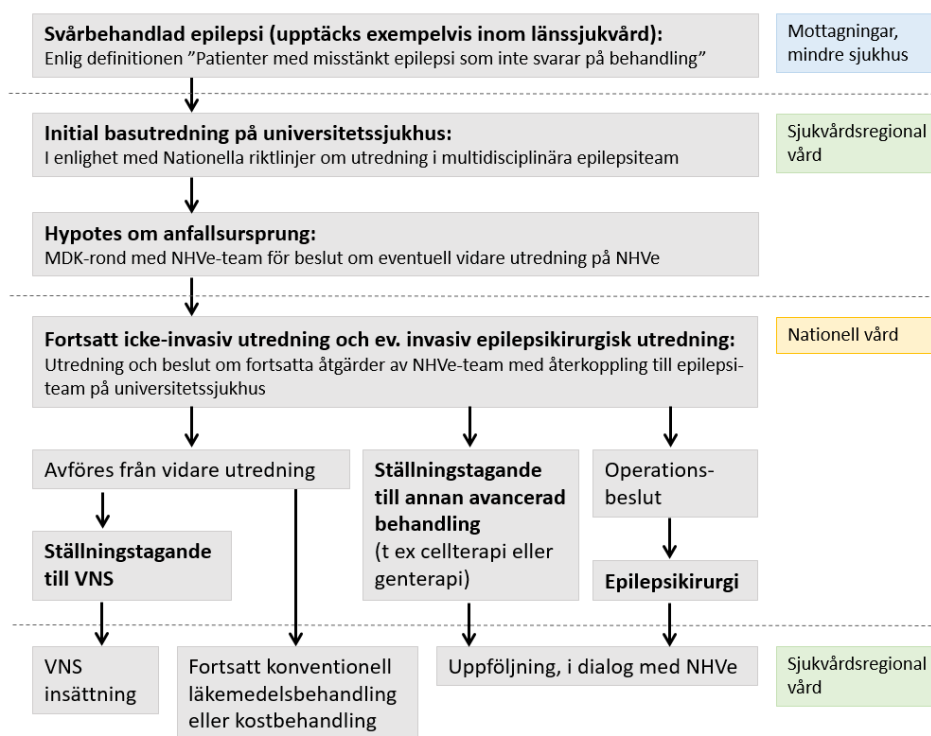
Även fyra enheter har diskuterats och förespråkas av några i sakkunniggruppen utifrån ett tillgänglighetsperspektiv och att volymerna (inklusive utredningar) behöver öka väsentligt jämfört mot dagens. Ytterligare en aspekt, som flera i sakkunniggruppen lyfter är att svenska vårdresultat när det gäller epilepsikirurgi står sig i internationell jämförelse. Ett förslag om fyra enheter skulle dock inte innebära någon större skillnad mot idag.

Sakkunniggruppen har även diskuterat olika alternativ gällande sällankirurgi, om denna ska koncentreras ytterligare genom överenskommelse mellan blivande NHVe eller genom ett formaliserat förfarande som ett separat undertillstånd. Vid en överenskommelse skulle sällankirurgi kunna diskuteras och koncentreras till en av de tre enheterna beroende på rådande förutsättningar som kan ändras på grund av resurser, nya metoder eller liknande. Man kan också tänka sig att dela upp olika typer av sällankirurgi mellan de tre enheterna. Fördelarna med en överenskommelse är att systemet blir mer dynamiskt och skulle kunna ge bättre incitament till utveckling, att hjälpas åt, att resa till varandra, och operera tillsammans. Fördelen med formalisering är tydligheten och att teamet blir mer stabilt över tid och förutsägbart resursmässigt. Det blir också ett tydligt ansvar för NHVe med tillstånd, där det finns krav på backup och internationellt samarbete. Det finns heller inget hinder för att övriga två enheters medarbetare reser till och deltar vid sällankirurgi för vidareutbildning. Med tanke på den tid det tar för ett team att skaffa sig tillräcklig kompetens och erfarenhet skulle alternativet, att låta alla tre NHVe fortsatt ha möjligheten att göra dessa sällanoperationer, riskera att ge en utspädningseffekt av de få fallen.

Förslag till flöde/vårdkedja

I enlighet med de nationella riktlinjerna för vård vid epilepsi bör alla patienter med svårbehandlad epilepsi, som inte svarar på läkemedelsbehandling, remitteras från mottagningar och mindre sjukhus till universitetssjukhus för avancerad basutredning av multidisciplinärt epilepsiteam, se nedan.

Redan tidigt bör samtal initieras med patienterna om möjliga behandlingsalternativ. Epilepsiteamen på universitetssjukhusen har gemensamma epilepsironder tillsammans med NHVe för att diskutera fall för vidare epilepsikirurgisk utredning. Det finns redan idag nationella videokonferenser för epilepsikirurgi där alla centra kan delta och diskutera svåra fall och få råd om fortsatt handläggning. Sakkunniggruppen föreslår att man i tillägg till dessa nationella ronder arbetar upp ett nätverk med tre större team där en NHVe och en icke-NHVe har gemensamma och mer frekventa ronder (*strukturerat system för samarbete*). Detta för att skapa delaktighet och engagerade team i hela landet, där teamen på universitetssjukhus som inte är NHVe är fullvärdiga medlemmar. Denna typ av samverkan kan också skapa en ökad tillgänglighet till kompetensen på NHVe när avancerad behandling av epilepsi kan vara aktuellt. Samverkan kan också underlätta rekrytering av potentiella epilepsikirurgipatienter.



Figur 1. Förslag till flöde/vårdkedja. Patienter med svårbehandlad epilepsi remitteras till epilepsiteam på sjukvårdsregional nivå för basutredning (i förekommande fall närmsta universitetssjukhus). Om patienten, efter basutredning samt en MDK-rond med NHVe, fortsatt är aktuell för vidare avancerad utredning (enligt definitionen) remitteras patienten till en av tre nationella vårdenheter för fortsatt icke-invasiv utredning, eventuell invasiv utredning och epilepsikirurgisk behandling.

Dokumenterat beslut efter basutredning på universitetssjukhus och gemensam nationell epilepsirond kan vara ett kriterium för att skicka patient vidare till NHVe. Patienter som remitteras till NHVe ska ha en korrekt epilepsidiagnos, det vill säga icke-epileptiska anfall (PNES) omfattas inte av den definierade vården.

Patienter remitteras till NHVe för fortsatt icke-invasiv utredning, eventuell invasiv utredning och epilepsikirurgisk behandling. Svårare och mer komplexa fall diskuteras på NHVe-gemensam MDK och patienter med behov av sällankirurgi remitteras till den NHVe som har tillstånd för detta. Även beslut om VNS, ska tas av en nationell vårdenhet. Inläggning av VNS samt uppföljning och stimulatorbyte kan utföras på samtliga universitetssjukhus men kan vid behov också remitteras till NHVe.

Ett bra flöde mellan barn- och vuxensjukvården är en förutsättning för blivande NHVe som behöver ha en integrerad verksamhet för barn och vuxna.

Genetisk och metabol diagnostik och precisionsmedicin kommer att vara en stor del av den högspecialiserade epilepsivården i framtiden. Den mest avancerade genetiska och neurometabola utredningen behöver inte kunna ske på varje NHVe för svårbehandlad epilepsi men måste då kunna erbjudas ge-

nom samarbete med högspecialiserade genetiska och metabola diagnostikcenter. NHVe har dock det övergripande ansvaret för den avancerade epilepsiutredningen och behandlingen.

Antalet remitterade patienter till avancerad utredning behöver öka. Därför har blivande NHVe ett stort ansvar för kunskapsspridning, information och att upparbeta tydliga strukturer för remittering. Ett sätt kan vara genom att erbjuda auskultationer vid NHVe.

NHVe ska samordna sig och ansvara för att uppföljning (inklusive neuropsykologisk uppföljning) efter vård på NHVe sker enligt överenskomna protokoll. Samarbetet ska underlätta systematisk insamling av denna information i kvalitetsregister, och då även registrering av icke-invasiva utredningar. Patienten ska även få en individuell uppföljningsplan vid överföring/återremiss och NHVe ansvarar för att uppföljning sker på rätt vårdnivå. Remitterande regionala team kan med fördel involveras i uppföljningen av patienterna.

NHVe ansvarar också för forskning och utveckling samt utvärdering och införande av nya behandlingsalternativ, exempelvis nya kommande stimuleringsmetoder.

Särskilda villkor

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till särskilda villkor. Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilka särskilda villkor som ska gälla för tillstånden. De generella villkoren regleras i Socialstyrelsens [föreskrifter](#) (HSLF-FS 2018:48) om nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppen ansvarar för att ta fram förslag till särskilda villkor för respektive område. Förslagen ska återspegla definitionen och i viss mån vara vägledande vid tilldelning av tillstånd. De föreslagna särskilda villkoren för aktuellt tillstånd kan komma att justeras av nämnden när beslut om tillstånd fattas.

Kritisk personalkompetens

Multidisciplinärt team där samtliga har specifik kompetens samt erfarenhet av och kunskap om svårbehandlad epilepsi och den definierade vården:

- specialistläkare i neurologi/barnneurologi med habilitering
- specialistläkare i neurokirurgi
- specialistläkare i neuroradiologi/barnradiologi
- specialistläkare i klinisk neurofysiologi
- neuropsykolog (barn/vuxen)
- epilepsisjuksköterska (barn/vuxen)
- logoped (barn)
- arbetsterapeut (barn)
- fysioterapeut (barn)

För enheter som ska bedriva vård inom sällankirurgi ska utöver ovan även ha följande:

- Barnneurolog, neurolog, neurofysiolog och neurokirurg med dokumenterad kunskap om och erfarenhet av utredning, behandling och uppföljning av patienter med svårbehandlad epilepsi och behov av hemisfärotomi respektive operation av hypothalamushamartom.

Kritisk utrustning, lokaler

- Epilepsimonitoreringsenhet med personell patientövervakning dygnet runt alla dagar, samt teknisk back-up på helger (t.ex. nationell tillgång till neurofysiolog).
- Adekvat utrustning för avancerad utredning och behandling så som MR, video-EEG, PET, neurokirurgiska operationssalar för barn och vuxna samt intensivvårdsavdelningar för barn och vuxna

Andra förutsättningar för att vården inom det definierade området ska kunna bedrivas

- Neurointensivvård inkl. barnintensivvård
- Kompetens för utredning och ställningstagande till ketogen kostbehandling
- Tillgång till expertis inom de metabola sjukdomarnas diagnostik och behandling
- Tillgång till högspecialiserad kompetens inom precisionsdiagnostik och precisionsterapi vid genetisk epilepsi och näraliggande metabola sjukdomar
- Pedagog (barn)
- Logoped (vuxna)

Övrigt

- NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs.
- NHVe ska verka för att etablera ett internationellt samarbete inom tillståndsområdet *sällankirurgi*.
- NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.
- NHVe ska ansvara för uppbyggnad av nationellt nätverk för regelbundna MDK-ronder med epilepsikirurgiska team på universitetssjukhusen (för att diskutera patientfall för vidare utredning).
- NHVe ska ansvara för att bygga upp ett *strukturerat system för samarbete* med icke-NHV och att det ska finnas tekniska lösningar för ett sådant.
- NHVe ska ansvara för att upprätta en individuell uppföljningsplan vid överföring/återremiss och att detta sker på rätt vårdnivå.
- NHVe ska ansvara för att uppföljning (inklusive neuropsykologisk uppföljning) sker enligt överenskomna protokoll och ska arbeta för att systematisk insamling av denna information sker i kvalitetsregister.
- Jourlinjer för neurokirurgi och neurolog/barnläkare. Neurokirurg och neurolog måste finnas dygnet runt vid invasiv utredning på ineliggande patienter på NHVe.
- NHVe ska samverka/samarbeta och dela/sprida kunskap genom exempelvis auskultationer.
- NHVe ska samverka och samordna sig kring utveckling av nya tekniker samt diskutera svårare fall vid gemensam MDK, exempelvis vid eventuell indikation för kallosotomi.
- NHVe ska verka för utvecklat samarbete mellan barn- och vuxensjukvård.

Konsekvensanalys

Nedan följer sakkunniggruppens konsekvensanalys av sitt förslag till att koncentrera definierad vård.

Socialstyrelsens beslut föregås av en bred remiss och beredning för att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet. Beredningsgruppen (B1) utgår från sakkunniggruppernas underlag och remissvaren för att göra en övergripande analys av systemeffekterna, framförallt förmågan att bedriva akut sjukvård.

Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp (B2). Beredningsgruppen ska tillsammans representera följande perspektiv: länssjukvård, akut vård, universitetssjukhusvård och medicinsk fakultet. Systemkonsekvenser t.ex. påverkan på akutsjukvården, patienttransporter samt utbildning och forskning får beaktas vid en fördelning av tillståndet/tillstånden om det är för att säkerställa patientens bästa.

Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)

Genom att koncentrera föreslagen vård kan alla patienter i Sverige få lika stor möjlighet att utredas och behandlas på ett center med en bred och djup kompetens gällande avancerad utredning och behandling. En möjlighet som idag ser mycket olika ut i landet. Den ojämlika geografiska fördelningen av patienter som genomgår epilepsikirurgi talar för att det finns patienter som skulle kunna bli hjälpta, men aldrig kommer till en mer avancerad utredning. Bäst förutsättningar för gott utfall efter en eventuell operation eller annan avancerad behandling är en gedigen utredning baserad på kunskap och erfarenhet i relation till den enskilde patientens situation. En trend mot mer komplexa utredningar och ingrepp talar för en koncentration.

Att koncentrera föreslagen vård bidrar till att kunskapsutvecklingen inom ovanliga eller komplexa epilepsier ökar, vilket också gagnar patienterna. Det är inte möjligt att upprätthålla kompetens och kompletta team för den definierade patientgruppen vid samtliga universitetssjukhus när patientunderlaget är så litet. I nuläget är risken stor att alla patienter inte får bästa möjliga vård om en region inte själv har kompetens och kunskap att erbjuda alla behandlingsmöjligheter.

De patienter med svårbehandlad epilepsi som utreds och behandlas reser redan idag till närmsta universitetssjukhus. För de som är i behov av vård på NHVe kan förslaget innebära ytterligare resväg, men detta vägs upp av att möjligheten till rätt diagnos och behandling ökar samtidigt som risker för komplikationer eller att behandlingar inte får avsedd effekt minskar. Patient-

företrädare lyfter att epilepsipatienter redan idag är vana att resa till ett universitetssjukhus för vård och att ett ökat avstånd från hemorten inte behöver vara en nackdel. Digitala vårdmöten kan till stor del också ersätta fysiska möten, och ger även den lokala behandlande läkaren möjlighet att delta aktivt i patientmötet.

Tillgängligheten till avancerad utredning behöver öka. Det är möjligt att tillgängligheten försämras av koncentration om utredningar (som pågår länge där patienter behöver komma tillbaka flera gånger) sker på färre ställen. Eftersom basutredningar fortsatt ska ske regionalt minskar den risken. Att koncentrera vården kommer också att sätta fokus på tillgängligheten, eftersom tillgänglighet till NHV är en central del av uppföljningen av densamma.

Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring

Personer med epilepsi är en stor och heterogen patientgrupp med omfattande behov av vård på flera olika nivåer. Kompetens för att vårda personer med epilepsi behövs på alla vårdnivåer (NHVe, alla universitetssjukhus samt regionala och lokala vårdgivare). Endast en mindre del av patientgruppen är – även när underremittering räknats in – aktuell för NHV och då kanske också bara under en begränsad tid i sitt liv. Därför kommer NHVe att behöva utöka samarbete med regionala team och vårdaktörer.

Nya remissvägar kan ge nytt och utökat samarbete i form av gemensamma ronder och diskussionsforum. Kompetensen i det multidisciplinära teamet vid NHVe förväntas kunna utvecklas genom en ökad volym och ett större patientunderlag. Kunskap kring svårbehandlade epilepsipatienter måste spridas och finnas i alla regioner och på alla vårdnivåer, annars riskerar vi få en underremittering av epilepsipatienter i behov av avancerad utredning till universitetssjukhusen. En underremittering som till viss del redan förekommer och som har påverkat och påverkar antalet potentiella epilepsikirurgifall. Problemet med låg remittering har dock byggts upp under de senaste trettio åren utan att vården varit nationellt koncentrerad.

Det finns en risk att kunskapen blir ännu sämre om exponering för tillståndet minskar. Samtidigt kan deltagande i gemensamma digitala epilepsikirurgironder öka kompetensen hos icke-NHV-teamet genom exponering av ett större antal fall än i nuvarande organisation. Sakkunniggruppens förslag till multidisciplinära EP-ronder på flera nivåer, inkl. gemensamma och regelbundna EP-ronder mellan NHVe och icke-NHVe, kan i sig generera kunskap.

Vissa specifika kompetenser, som epilepsikirurgi och tolkning av t.ex. invasiv EEG-utredning, kan minska/förloras i det epilepsikirurgiska teamet (ffa neurokirurg och neurofysiolog) på de centra som ej blir NHV.

Att alla regioner följer rekommendationerna i de nationella riktlinjerna för epilepsi och att EP-team på alla universitetssjukhus deltar i EP-ronder är en central del i förslaget till koncentration. NHVe har även ett självklart ansvar att bidra till att sprida kunskap och bibehålla kompetensnivåer nationellt,

t.ex. genom att ta emot auskulterande kollegor från icke-NHVe. Att bidra till och följa epilepsivården i kvalitetsregistren är också avgörande.

Tydlighet om var expertisen finns kan även underlätta för vidareutbildning.

Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)

Att skapa NHVe med ansvar för att underlätta insamling av uppföljningsdata har ett stort forskningsrelaterat värde. En koncentration skulle kunna påverka möjligheterna till forskning exempelvis inom perioperativ och postoperativ uppföljning positivt. En koncentration med tydligt ansvar hos nationella enheter skulle kunna öka förutsättningarna för informationsinsamling på ett mer strukturerat och systematiskt sätt.

Det skulle också kunna öka möjligheterna till strukturerad vidareutbildning inom området avancerad epilepsiutredning/vård. Det skulle bli tydligt var sådan verksamhet finns att lära sig av istället för att det "passerar förbi" någonstans där det blandas med allt annat.

Vid en hög grad av koncentration finns risk för påverkan på utvecklingsmöjligheter i regioner som inte har NHVe. Intresset för registrering (av t.ex. långtidsuppföljning) i SNESUR kan påverkas negativt, men NHV-enheterna kommer att få ett ökat ansvar för registrering.

Påverkan på närliggande områden

Närliggande vårdområden kan påverkas i viss utsträckning. Fler epilepsipatienter i behov av neurofysiologiska undersökningar på blivande NHVe kan exempelvis tränga undan andra patienter i behov av polysomnografier vid sömnutredningar. Begränsat antal monitoreringsplatser vid NHVe innebär att man antingen behöver öka kapaciteten eller omprioritera patienter. Viss regional omfördelning eller nivåstrukturering av patienter kan därför behövas.

Ur neurokirurgisk synvinkel handlar det om relativt få epilepsiingrepp som inte borde påverka neurokirurgin i övrigt. En minskad volym av epilepsikirurgi och neurofysiologiska epilepsiutredningar på icke-NHV kan till viss del vägas upp av att tillgängligheten inom neurokirurgi och neurofysiologi ökar för andra diagnosgrupper på dessa enheter.

Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort

NHV innefattar elektiva utredningar och ingrepp och patienterna kommer inte att belasta akutsjukvården. Epilepsipatienter i behov av akut sjukvård kommer fortsatt söka på närmaste sjukhus.

Påverkan på vårdkedjan

Förslaget till koncentration innebär ett tydligt flöde och en struktur för nationella enheter, remitterter och patienter. Patienter med svårbehandlad epilepsi ska fortsatt remitteras till närmsta universitetssjukhus för basutredning. Fortsatta icke-invasiva och invasiva utredningar kan till och med bli mer effektiva om basutredningarna ökar sjukvårdsregionalt eftersom patienter med PNES då inte kommer till NHVe för utredning. Koncentration kan också ha en positiv påverkan genom att det blir tydligt för remitterter var dessa patienter ska skickas, till exempel genom att definiera regionala vårdkedjor från länessjukhus till universitetssjukhus och vidare till NHVe. Ansvaret för patientgruppen tydliggörs.

Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)

Koncentration minskar risken för att resurser felutnyttjas, dåliga epilepsiutredningar är bortslösade resurser. Utifrån nuläget, att antalet utredningar/operationer varierar stort från år till år på de epilepsikirurgiska enheterna, kan koncentration ha en positiv effekt. Systemet blir mer förutsägbart när det gäller personal och resursbehov om patientvolymerna blir kända och variationen minskar. Vid NHVe kan den neurokirurgiska operationskapaciteteten och resurser för postoperativ vård behöva ökas något. Då epilepsikirurgi kommer att förbli en liten andel av den totala operationsvolymen bör dock inte övrig neurokirurgi påverkas väsentligt.

Det finns risk för att kompetensförsörjning på enheter/regioner som inte är NHVe påverkas vid en hög grad av koncentration. Regioner som inte bedriver NHVe kan få svårt att upprätthålla ett komplett epilepsikirurgiskt team, vilket på sikt kan ge en sämre samlad kompetens än den som finns idag.

Genom att samla kompetensen på färre ställen kan dyrbara resurser användas mer ändamålsenligt, ex högspecialiserade kompetenser, och investeringar i monitoreringsenheter och dyr utrustning behöver inte göras i alla regioner.

Större enheter har också bättre förutsättningar att driva utveckling och ta till sig nya metoder för diagnostik och behandling.

Eventuella konsekvenser för sjuktransporter

Sakkunniggruppen ser ingen större påverkan på sjuktransporter, det handlar om en marginell ökning då antalet patienter är lågt. Dessa patienter reser redan idag (men då inte med någon särskild sjuktransport som kräver medicinsk utrustning eller kompetens) till närmsta universitetssjukhus, och för en andel av dessa blir det ytterligare en resa till NHVe.

Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsplanering

Sakkunniggruppen anser att volymerna (avancerade utredningar och epilepsikirurgiska ingrepp) behöver öka. Dessa utredningar och behandlingar är underutnyttjade idag och förhoppningsvis kan NHV-uppdraget, där ansvaret för denna vård tydliggörs, öka remitterandet. Den absolut viktigaste förutsättningen för att utöka aktuell verksamhet är dock att kunskapsläget kring remittering förbättras i hela landet.

Övriga kommentarer

Vårdresultaten vad gäller epilepsikirurgi i Sverige står sig ur ett internationellt perspektiv, vilket skulle kunna tala för att koncentration inte är nödvändigt. Sakkunniggruppen anser dock att nivån/kvaliteten på den definierade vården kan lyftas ytterligare med koncentration och att betydligt fler patienter skulle kunna få tillgång till denna vård.

Uppföljning och utvärdering

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till uppföljningsmått för årlig rapportering av den definierade vården. Uppföljningsmåttena genomarbetas och fastställs av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Tillståndsinnehavarna av nationell högspecialiserad vård ansvarar för inlämning av årsrapporter till Socialstyrelsen samt uppföljning av sina verksamheter (egenkontroller). Socialstyrelsen ansvarar för fördjupad utvärdering av tillstånden för nationell högspecialiserad vård.

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått – Antal patienter*	Antal patienter vid NHVe
Bakgrundsmått – Antal utredningar/behandlingar	Antal utredningar resp. behandlingar vid NHVe
Bakgrundsmått – Vårdtid	Längd på utredning som påbörjats på NHVe (tid i dagar)
Tillgänglighetsmått – tid till bedömning	Tid (i dagar) från remiss till bedömning vid MDK-rond Datum för bedömning minus datum för remiss
Tillgänglighetsmått – tid till utredningsstart	Tid (i dagar) från beslut om utredning till att utredning påbörjas Datum för utredningsstart minus datum för beslut
Tillgänglighetsmått – tid till behandling	Tid (i dagar) från beslut till behandling/åtgärd/operation Datum för behandling/åtgärd minus datum för beslut Alternativt: Andel patienter (i procent) som opererats inom 90 dagar (enligt vårdgarantin)
Medicinska resultat	Överlevnad efter operation (30-dagarsmortalitet) 2-årsöverlevnad (NHV-patienter som ej genomgått EP-kirurgi)?
Medicinska resultat	Komplikationer efter operation (utefter komplikationsgrad 0, 1 och 2 i enlighet med registrering i SNESUR)
Medicinska resultat	Anfallsfrihet efter operation (2 år, 5 år)
*För patienter inom NHV följs demografisk data upp: <ul style="list-style-type: none"> • Ålder – uppdelat på barn och vuxna • Kön • Patientens hemregion (folkbokföringsadress) 	

Referenser

Detta underlag är ett förslag på vilken vård som bör koncentreras till nationella enheter. Referenser som beskriver fördelar eller nackdelar med att koncentrera viss vård är relevanta att hänvisa till i underlaget. Referenser till forskningsstudier som beskriver patientgrupper, vårdformer, behandlingsmetoder och liknande är ej relevanta för frågeställningen.

1. Nationella riktlinjer för vård vid epilepsi. Socialstyrelsen; 2019.
2. Årsrapporter samt datauttag från det nationella registret för kirurgisk behandling av epilepsi (SNESUR). från: <https://www.epilepsisallskapet.se/epkir>
3. Holm, E, et al.. Efficacy of the Danish epilepsy surgery programme. *Acta Neurol Scand.* 2018; 137:245–251
4. Binnie, C, Polkey, C. Commission on Neurosurgery of the International League Against Epilepsy (ILAE) 1993-1997: Recommended Standards. *Epilepsia.* 2000; 41(10):1346-1349.
5. Cukiert, A, et al.. Technical aspects of pediatric epilepsy surgery: Report of a multicenter, multinational web-based survey by the ILAE Task Force on Pediatric Epilepsy Surgery. *Epilepsia.* 2016.
6. Gaillard, W, et al.. Establishing criteria for pediatric epilepsy surgery center levels of care: Report from the ILAE Pediatric Epilepsy Surgery Task Force. *Epilepsia.* 2020; 61:2629–2642.
7. Rosenow, F, et al.. Revised version of quality guidelines for presurgical epilepsy evaluation and surgical epilepsy therapy issued by the Austrian, German, and Swiss working group on presurgical epilepsy diagnosis and operative epilepsy treatment. *Epilepsia.* 2016; 57(8):1215–1220.
8. Minimum thresholds from The European Reference Network for rare and complex epilepsies ERN EpiCARE. https://epi-care.eu/wp-content/uploads/2019/10/EpiCARE-HCP-criteria-and-indicators_To-Steering-Committee.pdf

Deltagare i sakkunniggrupp

Samverkansregion Göteborg: Daniel Nilsson, specialist i neurokirurgi

Samverkansregion Linköping: Tom Eek, neuropsykolog

Samverkansregion Lund/Malmö: Maria Strandberg, specialist i neurologi

Samverkansregion Stockholm: Tommy Stödberg, specialist i barnneurologi med habilitering

Samverkansregion Umeå: Måns Berglund, specialist i neurologi

Samverkansregion Uppsala/Örebro: Roland Flink, specialist i klinisk neurofysiologi

Patientföreträdare: Berndt Ohlin, Svenska epilepsiförbundet

Om nationell högspecialiserad vård

Den 1 juli 2018 genomfördes ändringar i hälso- och sjukvårdslagen (2017:30), HSL, som innebär en ny beslutsprocess för den nationella högspecialiserade vården. I 2 kap. 7 § HSL definieras nationell högspecialiserad vård som offentligt finansierad hälso- och sjukvård som behöver koncentreras till en eller flera enheter men inte till varje sjukvårdsregion för att kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen ska kunna upprätthållas och ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser ska kunna uppnås.

Vid bedömningen av om en åtgärd ska utgöra nationell högspecialiserad vård ska hänsyn särskilt tas till om vården är komplex eller sällan förekommande och om den kräver en viss volym, multidisciplinär kompetens eller stora investeringar eller medför höga kostnader (se 7 kap. 5 § HSL).

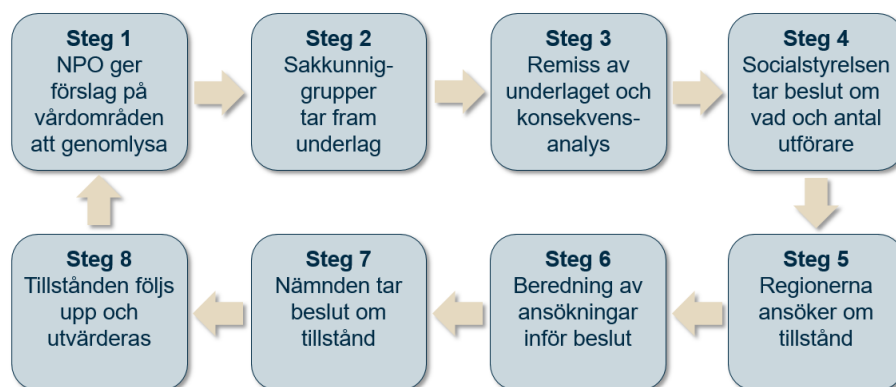
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

För vården innebär denna nivåstrukturering en möjlighet att profilera sig inom olika områden och bygga upp olika specialistcentra. Ett större patientunderlag för en högspecialiserad verksamhet skapar nödvändiga förutsättningar för att bedriva hög-kvalitativ forskning, utbildning och rekrytera spetskompetens.

Socialstyrelsen samarbetar med regionernas system för kunskapsstyrning i hälso- och sjukvård och engagerar profession och patientrepresentanter i arbetet med att definiera vilken vård som ska anses vara av nationell karaktär.

Hänsyn ska tas till hela vårdkedjan. Riktlinjer, vårdprogram, vårdresultat och register-data ska beaktas i definition av vårdområden och framtagande av kunskapsunderlag för nationell högspecialiserad vård.

Arbetsprocessen för att nivåstrukturera vården på nationell nivå består av åtta steg:



Representanterna i nationella programområdet (NPO) förväntas ha särskilt god kunskap inom sitt vårdområde för att kunna ge underlag till steg 1 i arbetsprocessen. NPO ansvarar för uppgiften att ta fram förslag på vårdområden som ska genomlysas samt att ge förslag på personer till de sakkunniggrupper som i steg 2 tar fram underlag inför beslut om nationell högspecialiserad vård.

NPO ska inhämta kunskapsläget nationellt och internationellt och därefter föreslå områden som skulle kunna utgöra nationell högspecialiserad vård. För att stödja arbetet med att ta fram förslag på områden (t.ex. en diagnostisk metod, ett kirurgiskt ingrepp, en avancerad medicinsk behandling, en rehabiliterande insats) vid ett visst hälso- eller sjukdomstillstånd har Socialstyrelsen tagit fram kriterier som arbetet ska utgå ifrån.

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den del i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

Sakkunniggruppernas underlag skickas ut på en bred remiss. Socialstyrelsen sammanställer inkomna synpunkter och därefter kan sakkunniggruppen komplettera sitt underlag eller göra eventuella förtydliganden.

Sakkunniggruppens underlag och remissvar lämnas över till en beredningsgrupp vars uppdrag är att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet.

Efter beredning beslutar Socialstyrelsen vilken vård som ska nivåstruktureras samt antalet enheter i landet som får bedriva den tillståndspliktiga vården.

Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilken/vilka region/regioner som ska få bedriva definierad vård på nationell nivå. Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp.

Systemisk amyloidos

Sakkunniggruppens förslag på nationell
högspecialiserad vård
Remissversion

Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för systemisk amyloidos vårdområdet med samma namn och lämnar sitt förslag till nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppens förslag remitteras öppet för synpunkter från alla intresserade. Genom att få in synpunkter på sakkunniggruppens förslag i processen, möjliggörs en bredare konsekvensanalys.

Inför Socialstyrelsens beslut om vad som ska utgöra nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter vården ska bedrivas, kommer även en beredningsgrupp att lämna ett yttrande utifrån underlaget, inkomna synpunkter och konsekvensanalysen.

Socialstyrelsen leder arbetet med att koncentrera mer av den högspecialiserade vården på nationell nivå och ansvarar för arbetsprocessen för detta arbete. Socialstyrelsen vill tacka alla som har deltagit i arbetet med att ta fram detta underlag.

Thomas Lindén
Avdelningschef

Sakkunniggruppens uppdrag

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den eller de delar i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

Innehåll

Förord	2
Sakkunniggruppens uppdrag	3
Ordlista.....	5
Sammanvägd bedömning.....	6
Definition	7
Vårdområde	10
Särskilda villkor	16
Konsekvensanalys.....	19
Uppföljning och utvärdering	23
Referenser	25
Deltagare i sakkunniggrupp	26
Om nationell högspecialiserad vård	27

Ordlista

AA	Amyloidos relaterad till kronisk inflammation
AL	Amyloidos av lätta immunglobulinkedjor
ATTRv	Ärftlig transtyretinamyloidos
ATTRwt	Förvärvad/åldersrelaterad transtyretinamyloidos
FAP	Familjär amyloidos med polyneuropati (äldre benämning av ATTRv)
MDK	Multidisciplinär konferens
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad enhet
PET-DT	Positronemissionstomografi (PET) kombinerad med datortomografi (DT)
SKG	Sakkunniggrupp

Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet systemisk amyloidos att det som framgår nedan ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra enheter.

Detta bedöms vara vård som är komplex, sällan förekommande, kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården är multidisciplinär då bland annat kardiologer, neurologer, gastroenterologer, hematologer, neurofysiologer, patologer, kliniska genetiker och nefrologer behövs.

Sakkunniggruppen finner att en koncentration av aktuell vård till fyra enheter ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås.

Konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva. Internationella studier visar entydigt att en koncentration av vården kraftigt förbättrat överlevnaden vid amyloidos av lätta immunglobulinkedjor (AL-amyloidos). Försenad eller felaktig diagnos kan få katastrofala följder för den enskilda patienten. Kunskapen om adekvat behandling av dessa ovanliga tillstånd blir större vid koncentration, vilket bör leda till en bättre vårdkvalitet.

Utifrån patientunderlag, geografisk spridning och kunskapsläget anser sakkunniggruppen att fyra enheter behövs för ett adekvat omhändertagande av patienter med ärftlig transtyretinamyloidos (ATTRv-amyloidos) samt patienter med oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidossjukdomar. Vården för patienter med ATTRv-amyloidos kan begränsas till färre enheter än fyra utifrån inbördes överenskommelse mellan nationella högspecialiserade vårdenheter (NHVe). Att inte särskilja och koncentrera vården för ATTRv-amyloidospatienter på färre enheter än fyra syftar till att möjliggöra geografisk spridning och eventuella framtida samarbeten mellan samtliga fyra NHVe. Två av dessa totalt fyra enheter ska även ansvara för avancerad analys av vävnadsmaterial. Att bedriva vävnadsanalys på enbart en enhet bedöms vara sårbart och riskerar att medföra negativa konsekvenser på tillgängligheten.

Sakkunniggruppen bedömer att akutsjukvården inom detta område inte kommer påverkas nämnvärt av en koncentration då det rör sig om kroniska sjukdomar som sällan försämras akut.

Omkringliggande områden som kan påverkas är exempelvis andra neurologiska sjukdomar, mag-tarmsjukdomar eller hjärtsjukdomar. Dock bedömer sakkunniggruppen att undanträngningseffekterna inte blir särskilt stora.

Definition

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till definition av nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter den ska bedrivas.

Viss vård vid systemisk amyloidosis ska utgöra nationell högspecialiserad.

Den vård som ska bedrivas nationellt är:

- 1) Avancerad analys/utvärdering av vävnadsmaterial av misstänkt *alternativt* diagnosticerad sjukdom, oavsett komplikationsgrad
- 2) Utredning inför och ställningstagande till behandling, samt eventuellt genomförande av behandling och uppföljning av patienter med;
 - a) ärftlig transtyretinamyloidosis (ATTRv-amyloidosis), oavsett komplikationsgrad
 - b) oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidosisjukdomar.

Med systemisk amyloidosis avses exempelvis:

- ATTRv-amyloidosis (inkl. dominolevertransplanterade)
- ATTRwt-amyloidosis
- AL-amyloidosis
- AA-amyloidosis

Med oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidosisjukdomar menas:

- Diagnos som inte går att säkert fastställa (antingen amyloidosen i sig eller typen av amyloidosis)
- Atypisk sjukdom (exempelvis ung patient, ovanligt aggressiv eller svårbehandlad sjukdom eller avvikande sjukdomsutveckling trots behandling)
- Misstanke om mer än en samtidig amyloidosis (exempelvis AL och ATTR).

Antal enheter

Fyra enheter, varav två enheter även ska utföra avancerad analys/utvärdering av vävnadsmaterial.

Tabell 1. Antal enheter

Åtgärd	Antal enheter
Utredning inför och ställningstagande till behandling samt behandling och uppföljning av patienter med; a) *ärfvlig transtyretinamyloidos (ATTRv-amyloidos), oavsett komplikationsgrad b) oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloid sjukdomar.	Fyra
Avancerad analys/utvärdering av vävnadsmaterial	Två

*Vården för patienter med ATTRv-amyloidos kan begränsas till något eller några NHVe utifrån inbördes överenskommelse mellan NHVe.

Avgränsningar

Sakkunniggruppen har i sin genomlysning gjort följande avgränsningar till området.

Följande områden, med stark koppling till definitionen, ingår ej i definitionen och ska ej koncentreras på nationell nivå:

1. Utöver analys av vävnadsmaterial kan all form av vård av patienter med icke komplex systemisk amyloidos, förutom ATTRv-amyloidos, utföras regionalt.
2. Behandling och uppföljning av patienter med ATTRv-amyloidos och oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidossjukdomar kan utföras i patientens hemregion efter överenskommelse med NHVe.

Vårdområde

Nuläge

Det vårdområde som sakkunniggruppen genomlyst, för att utreda vad inom området som bör koncentreras nationellt, är systemisk amyloidos. Till de systemiska amyloidoserna räknas främst amyloidos relaterad till kronisk inflammation (AA), amyloidos av lätta immunglobulinkedjor (AL) och transthyretin (ATTR)-amyloidos, varav AL- och ATTR-amyloidos är vanligast förekommande. ATTR-amyloidos förekommer i två varianter, dels som en ärftlig sjukdom (ATTRv) och dels som en förvärvad/åldersrelaterad sjukdom (ATTRwt). Vården är sällan förekommande då antalet nya patienter inom ramen för definitionen uppskattas till 66-160 patienter per år i Sverige. Cirka 280-600 patienter genomgår en analys/utvärdering av vävnadsmaterial årligen i landet. Samtliga systemiska amyloidoser drabbar vuxna individer och endast i undantagsfall ungdomar. Den största andelen patienter (75 %) med ATTRv-amyloidos behandlas i Västerbotten och Norrbotten, medan patienter med AL-, AA- och ATTRwt-amyloidos är mer jämnt fördelade över hela landet.

Diagnostik och behandling

Diagnostiken av amyloidossjukdomarna är komplex eftersom de är svåra att skilja från varandra och diagnostiska misstag kan få katastrofala följder för den enskilda patienten. Särskilt viktigt är detta vid AL-amyloidos då tidig diagnos är avgörande för prognosen vid hjärtinlagringar. En stor del av diagnostiken vilar på en pålitlig analys av vävnad (oftast fettvävnad) avseende förekomst av amyloid och dess typ. Sjukdomarna är systemiska med varierande organengagemang och sjukdomsförlopp samt att debutsymtomen ofta är diffusa och ospecifika. Då patienterna ofta är äldre kan det också vara svårt att urskilja vilka komplikationer som orsakas av amyloidos och vilka som orsakas av andra sjukdomar. Komplexiteten ligger även i val av terapi med dyrbara särläkemedel mot ATTRv-amyloidos och uppföljningsprocedurer av patienter. Tidigare utfördes även så kallade dominolevertransplantationer då levern från patienter med ATTRv-amyloidos transplanterades till patienter med svår leversjukdom. Totalt har 83 patienter genomgått detta ingrepp i Sverige och majoriteten av cirka 40 nu levande patienterna riskerar att för eller senare utveckla ATTR-amyloidos.

Antal nya fall av ATTRv-amyloidos i Sverige uppskattas till 2-3 fall per miljon invånare och antal patienter i Sverige med ATTRv-amyloidos beräknas till 400. Antalet anlagsbärare är omkring tjugo gånger fler på grund av den låga penetransen. Många av dessa patienter kan behöva utredas när kliniska tecken till sjukdomen börjar uppträda. Prevalensen är omkring 1-2/100 000 personer i Europa och möjligen i icke-endemiska områden i Sverige.

Prevalens i Västerbotten och Norrbotten är omkring 50-100/100 000 personer. Den sanna incidensen och prevalensen för ATTRwt-amyloidos är inte känd, men en prevalens på 1:6000 har rapporterats (1:800 för individer över 70 år).

Behandling av AL-amyloidos är i nuläget i princip densamma som vid myelom men monitorering är annorlunda och mer krävande, särskilt vid hjärtengagemang. I enstaka fall kan två typer av amyloidos (exempelvis AL- och ATTR-amyloidos) förekomma samtidigt hos en individ, vilket naturligtvis ökar komplexiteten ytterligare. Den årliga incidensen för AL amyloidos uppskattas till omkring 8-10 fall per miljon invånare och det totala antalet patienter med AL-amyloidos i Sverige är uppskattat till 300-400 stycken. Förekomsten av AA-amyloidos har minskat på senare år tack vare effektiva antiinflammatoriska behandlingar. Incidensen för AA-amyloidos uppskattas till cirka 2 nya fall per miljon invånare och år medan prevalensen uppskattas till cirka 20 fall per miljon invånare i västvärlden.

Dagens effektiva behandlingar i form av läkemedel som stabiliserar transtyretin eller minskar produktionen av transtyretin (genterapi) är mycket kostsamma. Dessa behandlingar har främst indikation för ATTRv-amyloidos men vissa kan också användas vid ATTRwt-amyloidos. Vid diagnos av ATTRv-amyloidos krävs en utförlig initial utredning av vilka organ som drabbats av sjukdomen vilket i vissa fall kräver specialutrustning för utvärdering av exempelvis autonom nervfunktion och mag-tarmmotilitet. Detta gäller inte AA-, AL- och ATTRwt-amyloidos i samma utsträckning, men också för dessa systemiska amyloidoser krävs omfattande initial utredning eftersom behandling kan variera beroende på organmanifestation.

Idag fungerar diagnostik, behandling och uppföljning för patienter med ATTRv-amyloidos som får kontakt med en kunnig vårdgivare bra. På vissa enheter finns goda kunskaper och resurser för att ta hand om denna patientgrupp. Det finns dock ojämlikheter nationellt eftersom tiden till diagnos varierar kraftigt och kunskapen om korrekt utredning och behandling skiljer sig mellan regioner, sjukhus och enskilda läkare. Med tanke på de höga kostnaderna för behandling skiljer sig också tillgången till effektiv behandling efter diagnos mellan olika sjukhus och regioner. Diagnostik och behandling vid AA-, AL- och ATTRwt-amyloidos skiljer sig till viss del från den vid ATTRv-amyloidos men även här finns det fördelar med en koncentration för de komplexa fallen då kunskapen om dessa, förhållandevis ovanliga sjukdomar, också varierar kraftigt över landet. För såväl AL- som ATTRwt-amyloidos är det ett problem att sjukdomen mycket ofta diagnostiseras sent i sjukdomsförloppet.

Organisation

För att möjliggöra en god vård för patientgruppen med ATTRv-amyloidos krävs specialkompetens inom såväl diagnostiskt som kliniskt orienterade specialiteter. Exempelvis behövs kardiologer, neurologer, gastroenterologer, hematologer, neurofysiologer, patologer, kliniska genetiker och nefrologer, vilket gör vården multidisciplinär. Vid AL-amyloidos sköts utredning och

behandling av hematolog och vid ATTRwt-amyloidos i första hand av kardiolog. Vid AL-amyloidos krävs även en multidisciplinär insats eftersom att denna sjukdom också är systemisk med växlande manifestationer, även om kardiella och nefrologiska symtom ofta dominerar. Detsamma gäller för AA-amyloidos som dock främst ger njurpåverkan.

Vävnadsdiagnostik vid amyloidos sker i princip vid alla enheter för klinisk patologi i landet, men specifik diagnostik för systemisk amyloidos med typbestämning är koncentrerat till Akademiska sjukhuset i Uppsala där också utvecklingsarbete pågår. Det finns dock idag en ambition att bygga upp en verksamhet för vävnadsdiagnostik för amyloidospatienter vid Norrlands universitetssjukhus i Umeå.

Behandling och uppföljning av AL-amyloidos sköts idag vid kliniker för hematologi regionalt och vid Universitetssjukhusen närmast patientens hemort, men ibland sker konsultationer mellan sjukhus och över regiongränser angående val av behandling. AA-amyloidospatienter omhändertas regionalt och vid universitetssjukhusen främst av reumatologer och nefrologer.

För ATTRv-amyloidos finns tre-fyra vårdgivare – diagnostik och vård bedrivs främst vid universitetssjukhusen i Umeå, Uppsala, Stockholm och Göteborg. Idag remitteras de flesta patienter med ATTRv-amyloidos från Stockholmsområdet och en andel av patienter från Uppsala-Örebro-regionerna till Karolinska Universitetssjukhuset för att genomgå den kliniska utvärderingen som behövs som underlag för diagnos, samt ställningstagande till lämplig terapi och uppföljning på Karolinska Universitetssjukhuset enligt nationella riktlinjer.

En majoritet av patienterna med ATTRv-amyloidos finns i de endemiska områdena Västerbotten och Norrbotten. Patienter med ATTRv-amyloidos från Norrbotten och Västerbotten sköts idag av FAP-teamet på Piteå Älvdals sjukhus och av Amyloidoscentrum vid Norrlands universitetssjukhus i Umeå. Amyloidoscentrum i Umeå tar också emot patienter från övriga Sverige och till viss del från andra länder för second opinion och ibland för fortsatt uppföljning. Amyloidoscentrum i Umeå tar också emot patienter med ATTRwt-amyloidos från hela landet för bedömning och hjälper till med diagnostik av AL-amyloidos i Västerbotten.

Patienter med ATTRwt amyloidos omhändertas oftast av kardiologer i hela landet med koncentration företrädesvis till Universitetssjukhusen. Det handlar då främst om äldre patienter, över 70 års ålder, med vanliga symptom på hjärtsjukdom såsom hjärtsvikt och/eller förmaksflimmer. Behandlingen vid de amyloidosorsakade tillstånden skiljer sig en del från standardbehandlingen vid hjärtsvikt och/eller förmaksflimmer. Både erfarenhet och kompetens finns idag vid Universitetssjukhusens kardiologiska kliniker.

Vårdvolymer

Uppemot 600 patienter i Sverige genomgår årligen en avancerad analys/utvärdering av vävnadsmaterial, varav omkring 40 % har påvisbara amyloidinlagringar som sedan ska typbestämmas. Utifrån detta uppskattar sakkunniggruppen att som mest 160 nya patienter tillkommer årligen (se tabell 2) och

som är i behov av NHV enligt definitionen, se sida 7 (2a-b). Totalt lever cirka 570-750 patienter i Sverige med en systemisk amyloidos där det finns behov av fortsatt behandling samt uppföljning via NHVe enligt definitionen.

Tabell 2. Uppskattade vårdvolymer år 2021 i enlighet med definitionen

	Antal nya patienter/år	Totalt antal patienter	Antalet vävnadsprover/år
ATTRv	20-30	400	75-150
Oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidossjukdomar	46-130	170-350	205-450
<i>ATTRwt</i>	<i>10-50</i>	<i>100-200</i>	<i>75-150</i>
<i>AL</i>	<i>30-60</i>	<i>50-100</i>	<i>100-200</i>
<i>AA</i>	<i>5-10</i>	<i>10-30</i>	<i>20-50</i>
<i>Annan*</i>	<i>1-10</i>	<i>10-20</i>	<i>10-50</i>
Totalt	66-160	570-750	280-600

*Ovanliga former som inte omnämns i rapporten.

Forskning

Idag bedrivs intensiv klinisk och preklinisk forskning inom vårdområdet systemisk amyloidos. Den idag mest använda diagnostiska metoden, bukfettsbiopsi, liksom den första effektiva behandlingsmetoden vid ATTRv-amyloidos, levertransplantation, är svenska "uppfinningar" som utvecklats genom framgångsrik klinisk forskning. Mellan de olika forskargrupperna i Sverige förekommer mycket väl utvecklade forskningssamarbeten. De svenska grupperna är även väl etablerade internationellt och flera har rikliga internationella samarbeten med europeiska och amerikanska centra, inte minst genom engagemang i 'International Society of Amyloidosis'. En koncentration skulle dock gynna forskning och leda till än mer utvecklade samarbeten med andra etablerade amyloidoscentra internationellt.

Idag finns ett kvalitetsregister för ATTR-amyloidos som omfattar båda sjukdomsformerna (regionvasterbotten.se/sveattr). En koncentration skulle öka förutsättningarna att utveckla uppföljningssystem för vårdområdet.

Internationell utblick

Idag har i ett ökande antal europeiska länder, bland annat Storbritannien, Italien, Tyskland, Holland, Frankrike, liksom Japan, Australien och USA, koncentrerat utredning och vård av patienter med systemisk amyloidos till särskilda "amyloidoscentra". Organisationen varierar mellan länder. Mest utvecklat i fråga om amyloidoscentra är troligen Italien med 25 centra som koordineras från Pavia. Det motsvarar 2.4 miljoner invånare per enhet. Gemensamt för de olika internationella centra är hög forskningsaktivitet och samarbeten dem emellan. De nordiska länderna har varit senfärdiga men, förutom centrat vid Norrlands universitetssjukhus för ATTRv-amyloidos, har det i Danmark nu startats ett amyloidoscenter i Odense.

Framåtblick

Varför nationell högspecialiserad vård?

Kunskapen om systemisk amyloidos ökar snabbt och nya behandlingsprinciper likaså. Det utvecklas nya specifika behandlingar mot enskilda tillstånd som, för att vara effektiva, måste sättas in tidigt i sjukdomsförloppet. Förse-nad eller felaktig diagnos kan därför få en för den enskilde förödande konsekvenser. Ett starkt fragmenterat omhändertagande av patienter försvårar möjligheten att ge patienter med systemisk amyloidos modern behandling. Därför är koncentration en förutsättning för att kunna hålla sig i frontlinjen för diagnostik och terapi. Flera studier i andra länder har också visat att en multidisciplinär vård vid amyloidoscentra kan reducera dödligheten signifi-kant.

Komplexiteten i diagnostiken nödvändiggör koncentrerad av vården till några fåtal enheter. Sakkunniggruppen förespråkar därför att verksamheterna som redan idag arbetar multidisciplinärt med sjukdomsgruppen ATTRv-amyloidos ska få fortsätta att utvecklas.

Ytterligare ett skäl till koncentrerad av vården är komplexiteten av val av terapi med dyrbara säriläkemedel mot ATTRv-amyloidos och uppföljnings-procedurer av patienter enligt etablerade nationella riktlinjer. Kraven på specialkunskap inom området kommer att öka i och med att nya terapier utvecklas, inte endast mot ATTR utan också mot AL-amyloidos. Dessutom är koncentration en förutsättning för att delta i kliniska prövningar, som med stor sannolikhet kommer att öka i omfattning inom vårdområdet.

Kontinuerliga kontakter mellan nationella enheter och amyloidocentra, fr.a. i Europa, kommer att utveckla vården vid mer oklara/komplexa fall. Deltagande i internationella amyloidosmöten kommer att vara nödvändigt.

Resonemang kring antal enheter

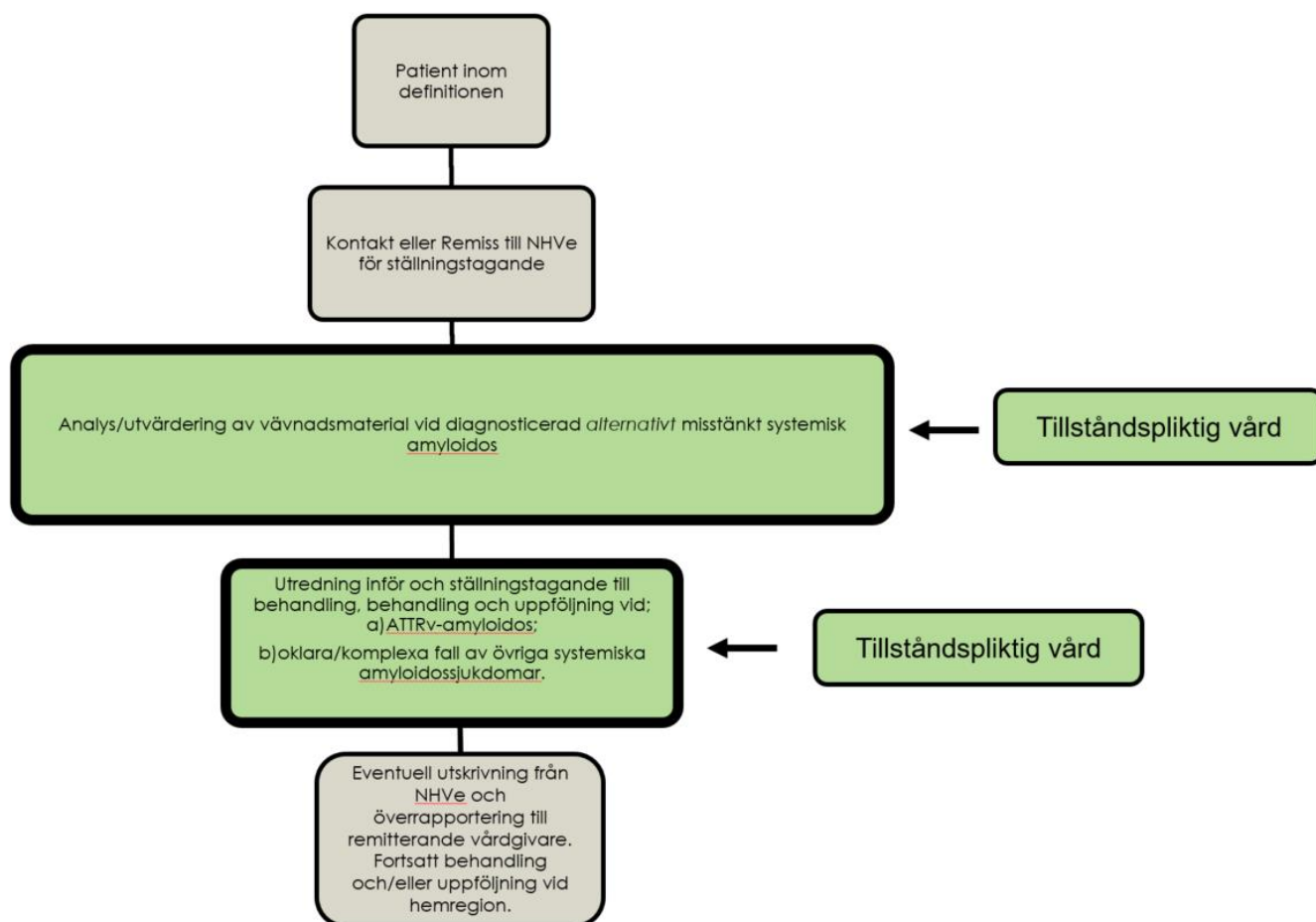
Gällande förslaget att koncentrera vården för patienter med ATTRv-amyloidos och oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidosjukdomar till fyra enheter, baseras på patientunderlag, geografisk spridning och kunskaps-läget för dessa relativt ovanliga tillstånd. Vårdvolymerna för de icke ärftliga amyloidoserna kommer sannolikt öka i framtiden i och med en ökad medvetenhet och utökad diagnostik.

Kompetens kring ATTRv-amyloidos är idag, som ovan beskrivits, koncentrerad till ett fåtal enheter och sakkunniggruppens avsikt är inte att sprida den kompetens som finns på fler enheter än vad som är ändamålsenligt. Vården för patienter med ATTRv-amyloidos kan således begränsas till något eller några NHVe utifrån inbördes överenskommelse mellan NHVe. Syftet med att inte särskilja och koncentrera vården för ATTRv-amyloidospatienter på färre enheter än de NHVe som ska handlägga oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidosjukdomar, är för att möjliggöra geografisk spridning som bidrar till ökad tillgänglighet för patienterna samt undvika en inlåsnings-effekt som skulle motverka eventuella framtida samarbeten mellan de fyra NHVe kring denna patientgrupp.

Sakkunniggruppen anser att två av dessa fyra enheter även ska ansvara för analys/utvärdering av vävnadsmaterial. Idag görs specifik diagnostik för systemisk amyloidos med typbestämning endast vid Akademiska sjukhuset i Uppsala. En ambition att bygga upp en sådan verksamhet finns vid Norrlands universitetssjukhus i Umeå, och sakkunniggruppen anser att den sårbarhet som uppstår med endast en enhet motiverar att två enheter i landet bör samarbeta och ansvara för vävnadsdiagnostik för amyloidospatienter.

Förslag till vårdflöde/vårdkedja

Behandling och uppföljning av patienter med ATTRv-amyloidos och oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidossjukdomar kommer att kunna utföras i patientens hemregion, efter överenskommelse med NHVe. Detta syftar till att möjliggöra en närhet till vården, i de fall behandlingen och uppföljningen kan genomföras säkert vid hemortssjukhusen. Figur 1 illustrerar ett potentiellt vårdflöde från remiss till utskrivning från NHVe.



Figur 1. Vårdflöde: Systemisk amyloidos

Särskilda villkor

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till särskilda villkor. Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilka särskilda villkor som ska gälla för tillstånden. De generella villkoren regleras i Socialstyrelsens föreskrifter (HSLF-FS 2018:48) om nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppen ansvarar för att ta fram förslag till särskilda villkor för respektive område. Förslagen ska återspegla definitionen och i viss mån vara vägledande vid tilldelning av tillstånd. De föreslagna särskilda villkoren för aktuellt tillstånd kan komma att justeras av nämnden när beslut om tillstånd fattas.

De villkor som anges under respektive rubrik ska vara unika saker som det definierade området kräver. Vård som kan ges på alla sjukhus i Sverige behöver inte framgå som ett särskilt villkor.

Kritisk personalkompetens

Här ska det framgå vilken typ av personal som är specifik för detta område. Samtliga specialister/professioner i det multidisciplinära teamet ska ha specifik erfarenhet/kunskap/kompetens inom det definierade området.

- Specialist inom kardiologi
- Specialist inom neurologi
- Specialist inom gastroenterologi
- Specialist inom hematologi
- Specialist inom nefrologi
- Specialist inom klinisk fysiologi
- Specialist inom klinisk neurofysiologi
- Specialist inom klinisk genetik
- Specialist inom radiologi/nuklearmedicin med PET-DT kompetens
- Specialist inom oftalmologi
- Specialist inom dermatologi-venereologi
- Specialist inom reumatologi

För de enheter som ska utföra avancerad analys/utvärdering av vävnadsmaterial ska utöver ovan även ha följande:

- Specialist inom klinisk patologi med för området särskild metodologisk kompetens

Kritisk utrustning, lokaler

Här ska det framgå om det är någon typ av utrustning som inte tillhör standardutbudet på ett sjukhus som behövs för att diagnosticera och/eller vårda patienter inom definitionen. Endast om utrustningen/lokalen är ovanlig eller starkt kopplad till definitionen ska den anges.

- Skintigrafi med amyloidmarkör, PET-DT, MRI
- Kliniskt fysiologiska diagnosinstrument för utvärdering av autonom nervfunktion och mag-tarmmotilitet

För de enheter som ska utföra avancerad analys/utvärdering av vävnadsmaterial ska utöver ovan även ha följande:

- Tillgång till masspektrometri
- Adekvat utrustning och material, t.ex. specialframställda antikroppar,
- för att genomföra specifika diagnostiska metoder

Andra förutsättningar för att vården inom det definierade området ska kunna bedrivas

Här beskrivs behov av andra medicinska områden eller vårdåtgärder som inte är definierade som NHV, men som måste finnas för att vård inom definitionen ska kunna bedrivas. Det kan exempelvis gälla tillgång till akuta konsultationer inom något område, någon särskild behandling som behöver finnas eller tillgång till annan resurs (lekterapi etc.). Dessa behöver ej finnas att tillgå fysiskt på samma sjukhus som NHVe, men en ansökande enhet behöver kunna visa hur de ska säkra att dessa områden finns tillgängliga för en överskådlig tid.

- Rehabiliteringsenhet
- Ortopedtekniska hjälpmedel
- Dietist med för området särskild kompetens

Övrigt

- NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs.
- NHVe ska verka för att etablera ett internationellt samarbete inom tillståndsområdet.
- NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.
- NHVe har ansvaret för att kommunicera med patientorganisationer och allmänhet om tillståndet. Sprida information till närstående (utbildningar till patient och närstående).

- Kompetensöverföring, kunskapsspridning, utbildning/vidareutbildning inkl. till primärvård samt aktivt identifiera områden där det saknas kunskap.
- NHVe ska ansvar för att utveckla och bidra till kvalitetsregister. Ansvara för att registrering i kvalitetsregister sker. Först och främst kvalitetsregistret SveATTR och eventuellt andra relevanta register.
- NHVe ska verka för en koncentration och fördelning av patientgrupper inom respektive område i enlighet med den kompetens och erfarenhet som finns vid enheterna.

Konsekvensanalys

Nedan följer sakkunniggruppens konsekvensanalys av sitt förslag till att koncentrera definierad vård.

Socialstyrelsens beslut föregås av en bred remiss och beredning för att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet. Beredningsgruppen (B1) utgår från sakkunniggruppernas underlag och remissvaren för att göra en övergripande analys av systemeffekterna, framförallt förmågan att bedriva akut sjukvård.

Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp (B2). Beredningsgruppen ska tillsammans representera följande perspektiv: länssjukvård, akut vård, universitetssjukhusvård och medicinsk fakultet. Systemkonsekvenser t.ex. påverkan på akutsjukvården, patienttransporter samt utbildning och forskning får beaktas vid en fördelning av tillståndet/tillstånden om det är för att säkerställa patientens bästa.

Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)

Redan idag reser många patienter till universitetssjukhusen eftersom vården, särskilt av ATTRv-amyloidosis, till stor del redan är koncentrerad till dessa sjukhus. Avstånden för patienterna riskerar förvisso att öka med ytterligare koncentration av vården, åtminstone för dem med systemisk amyloidosis annan än ATTRv, men fördelarna bedöms överväga eventuella nackdelar. Detta eftersom kunskapen om adekvat utredning och behandling av dessa relativt ovanliga tillstånd bedöms bli större vid högspecialiserade centra, vilket också leder till en bättre vårdkvalitet. I många fall kan behandling och grundläggande uppföljning också ske närmare patientens hem efter konsultation med NHVe. Sammantaget gör detta att tillgängligheten till god vård snarast borde öka med NHV.

Kunskapen och medvetenheten om amyloidsjukdomar har ökat under senare år och flödet av patienter med systemisk amyloidosis till universitetskliniker har därför också tilltagit. Eftersom patientunderlaget är begränsat i många delar av landet är dock expertkunskapen i regionerna inte sällan begränsad till enstaka läkare. Med en centralisering av vården enligt NHV riskerar dessa läkare med expertkunskap att försvinna. Det kan leda till att patienter som skulle kunna skötas regionalt nu får resa längre sträckor. Den nära vårdtillgängligheten och kunskapsresurserna riskerar alltså att minska. Uppföljningen av patienterna på hemsjukhusen, vilket kan förmodas bli regel efter återremittering från NHVe, riskerar också att försämrats med en minskad medicinsk kunskap.

Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring

Ett fåtal enheter kan komma att bli av med vård, men eftersom basal utredning, viss behandling och grundläggande uppföljning fortsatt kan ske vid hemsjukhusen, efter konsultation av NHVe, bedöms detta vara ett mindre problem. För de enheter som kommer att bedriva nationell vård kommer inflödet av patienter att öka vilket kräver mer vårdresurser. Dock borde detta inte påverka utbildning samt kunskaps- och kompetensöverföring negativt. NHVe har ett formellt ansvar för utbildning och kunskapsöverföring och en koncentrerad och standardisering av vården torde snarast kunna underlätta detta. Samordnade utbildningsinsatser och uppföljning i kvalitetsregister kan bidra till en bättre kompetensöverföring.

Viljan till fortbildning bland läkare som är verksamma utanför NHVe riskerar dock att avta, eftersom man inte har samma medicinska ansvar för utredning och behandling av patienterna, vilket i sin tur kan minska kompetensen regionalt.

Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?

Även forskningen kring dessa sjukdomar bedöms påverkas positivt av en koncentrerad av vården av dessa relativt ovanliga tillstånd eftersom vården lättare kan standardiseras. Datainsamling och deltagande i kliniska prövningar underlättas också med en koncentrerad av patienterna till NHVe. Detta kan i sin tur öka intresset för forskning och öka andelen forskningsmeriterade medarbetare.

Påverkan på närliggande områden

Eftersom patientunderlaget för dessa sjukdomar inte är så stort bedöms inte heller undanträngningseffekterna bli särskilt stora. Dock har de medarbetare som vårdar patienter med amyloidos inte detta som sin enda arbetsuppgift. Så om andelen patienter med amyloidos ökar på en enhet kan deras tid för vård av andra patientgrupper komma att minska. Detta kan exempelvis gälla patienter med andra neurologiska sjukdomar, mag-tarmsjukdomar eller hjärtsjukdomar. Dock torde andra medarbetare på respektive enhet kunna täcka upp för detta. Fördelen med att koncentrera vården av systemisk amyloidos är att kunskapsbredden för denna grupp av ganska heterogena sjukdomar blir större.

Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort

Akutsjukvården bedöms inte påverkas nämnvärt då det rör sig om kroniska sjukdomar som sällan försämras akut. Den akuta vården kommer som tidigare att ske på patientens ordinarie sjukhus i första hand.

Påverkan på vårdkedjan

Ja, remittering till NHVe kommer att ske i större utsträckning och andelen patienter som följs upp på NHVe kan komma att öka. Kontinuiteten behöver

inte påverkas nämnvärt men kan möjligen förbättras med en tydligare samordning och styrning av vården.

Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)

Att bedriva NHV kommer att innebära en utökad verksamhet för de flesta NHVe vilket kan medföra ökade kostnader och resursförbrukning. Nödvändig utrustning för utredning av systemisk amyloidosis finns på alla universitetssjukhus och några nya investeringar bedöms inte behövas. Dock kan utökade personella resurser behövas för att säkerställa god vård. För remitterter kan kostnaderna för utomlänsvård komma att öka. Med tanke på de nya (och dyra) medicinska behandlingarna för ATTR-amyloidosis kommer sannolikt läkemedelskostnaderna för både NHVe och remitterter att öka, men detta oberoende av NHV. En förbättrad diagnostik och uppföljning via NHVe kan dock komma att bidra ytterligare till kostnadsökningen för medicinsk behandling. Å andra sidan kommer förbättrad och för snabbad diagnostik att leda till minskade kostnader för onödiga eller rentav felaktiga utredningar och, ännu viktigare, till att felaktig behandling undviks. Om sjukdomsförloppet bromsas tidigt kan kostnader för rehabilitering och sjukhusvård också komma att minska.

Eventuella konsekvenser för sjuktransporter

Patienter med avancerad sjukdom kan vara i behov av planerade särskilda sjuktransporter. Behovet akuta sjuktransporter till NHVe föreligger ej. Detta skiljer sig inte från dagens situation.

Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsplanering

Kunskapen om och vården av systemisk amyloidosis utvecklas ständigt. Antalet nydiagnostiserade patienter har ökat kraftigt de senaste 10-20 åren, särskilt vad gäller ATTR-amyloidosis. Mörkertalet för patienter med ATTRwt-amyloidosis bedöms dock fortfarande vara stort. För ATTRv-amyloidosis har det de senaste 10 åren skett en enorm utveckling av behandlingsmöjligheterna. Tidigare har endast symptomatisk behandling och levertransplantation funnits tillgängligt men idag finns fyra effektiva medicinska behandlingar, vilket gör tidig och säker diagnostik av sjukdomen extra viktig. Detta har också gjort att medvetenheten om amyloidosis i allmänhet och ATTRv-amyloidosis i synnerhet har ökat, vilket innebär att fler patienter kommer att diagnostiseras i framtiden. Vårdvolymerna kommer därmed att öka men med tanke på att sjukdomarna är relativt ovanliga och att viss behandling och uppföljning kan ske utanför NHVe bedöms dagens rekommenderade antal enheter vara tillräckligt för en överskådlig framtid. En likartad situation gäller även för ATTRwt-amyloidosis där den nya grundläggande behandlingen är densamma som vid ATTRv-amyloidosis. Som påpekats ovan ökar f.n. antalet

diagnostiserade fall med denna sjukdom kraftigt. I vilken mån dessa patienter kommer att behandlas vid NHVe är dock svårbedömt.

Övriga kommentarer

Koncentration av diagnostik, utredning och behandling av systemisk amyloidos sker internationellt, i form av amyloidoscentra, världen över och antalet enheter ökar. Sådana centra har i allmänhet initierats av specialister, ofta hematologer, som sett behovet av multidisciplinärt omhändertagande av patienter med dessa sällsynta men svåra sjukdomstillstånd. Erfarenheterna av dessa centra är mycket goda. Det har rapporterats att tidig hjärtdöd kraftigt reducerats vid behandling på sådana centra och att överlevnaden hos patienter med AL-amyloidos i stadium III av hjärtsjukdom ökat signifikant. I Sverige har inrättandet av centrum för omhändertagande av patienter med ATTRv-amyloidos varit av stor betydelse. Med stor sannolikhet kommer den ökande kunskaperna hos befolkningen liksom tillgängligheten av information via internet att göra att patienter i större utsträckning kommer att kräva att få behandling vid sådana centra, utomlands om dessa inte finns i Sverige.

Uppföljning och utvärdering

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till uppföljningsmått för årlig rapportering av den definierade vården. Uppföljningsmått genomarbetas och fastställs av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Tillståndsinnehavarna av nationell högspecialiserad vård ansvarar för inlämning av årsrapporter till Socialstyrelsen samt uppföljning av sina verksamheter (egenkontroller). Socialstyrelsen ansvarar för fördjupad utvärdering av tillstånden för nationell högspecialiserad vård.

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått – Antal patienter*	Antal patienter/bedömningar/remisser till NHVe Ev även uppdelat på diagnos eller behandling om det finns behov
Bakgrundsmått – Antal behandlingar	Antal operationer/behandlingar vid NHVe Ev även uppdelat på diagnos eller behandling om det finns behov
Bakgrundsmått - Vårdtid	Vårdtid (i dygn) ineliggande patienter Datum för utskrivning minus datum för inskrivning
Tillgänglighetsmått – tid till bedömning	Tid (i dagar) från remiss till bedömning Datum för bedömning minus datum för remiss
Tillgänglighetsmått – tid till behandling	Tid (i dagar) från remiss (alt bedömning) till behandling/åtgärd Datum för behandling/åtgärd minus datum för remiss (alt bedömning) Alternativt: Andel patienter (i procent) som behandlats inom vårdgarantin (rekommenderad tid)
Medicinska resultat	Överlevnad
Medicinska resultat	Komplikation
*För patienter inom NHV följs demografisk data upp: <ul style="list-style-type: none"> • Ålder (om relevant) 	

- Kön
- Patientens hemregion (folkbokföringsadress)

Referenser

Sakkunniggruppen har inte genomfört någon strukturerad litteratursökning som undersöker frågeställningen om koncentration av viss vård inom området systemisk amyloidos. Deras bedömning utgår från internationell utblick, klinisk erfarenhet och kunskap om den svenska sjukvårdens struktur inom området.

Deltagare i sakkunniggrupp

Samverkansregion Göteborg: Pontus Wasling, specialist inom neurologi

Samverkansregion Linköping: Kjell Jansson, specialist inom kardiologi

Samverkansregion Lund/Malmö: Gustav Smith, specialist inom kardiologi

Samverkansregion Stockholm: Rayomand Press, specialist inom neurologi och invärtesmedicin

Samverkansregion Umeå: Jonas Wixner, specialist inom internmedicin och medicinsk gastroenterologi och hepatologi

Samverkansregion Uppsala/Örebro: Per Westermark, specialist inom klinisk patologi

Patientföreträdare: Nils Lundgren, ordförande, Föreningen Mot Familjär Amyloidosis (FAMY)

Om nationell högspecialiserad vård

Den 1 juli 2018 genomfördes ändringar i hälso- och sjukvårdslagen (2017:30), HSL, som innebär en ny beslutsprocess för den nationella högspecialiserade vården. I 2 kap. 7 § HSL definieras nationell högspecialiserad vård som offentligt finansierad hälso- och sjukvård som behöver koncentreras till en eller flera enheter men inte till varje sjukvårdsregion för att kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen ska kunna upprätthållas och ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser ska kunna uppnås.

Vid bedömningen av om en åtgärd ska utgöra nationell högspecialiserad vård ska hänsyn särskilt tas till om vården är komplex eller sällan förekommande och om den kräver en viss volym, multidisciplinär kompetens eller stora investeringar eller medför höga kostnader (se 7 kap. 5 § HSL).

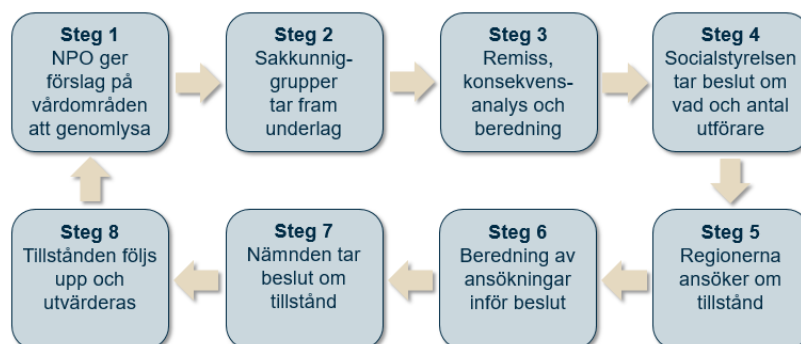
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

För vården innebär denna nivåstrukturering en möjlighet att profilera sig inom olika områden och bygga upp olika specialistcentra. Ett större patientunderlag för en högspecialiserad verksamhet skapar nödvändiga förutsättningar för att bedriva hög-kvalitativ forskning, utbildning och rekrytera spetskompetens.

Socialstyrelsen samarbetar med regionernas system för kunskapsstyrning i hälso- och sjukvård och engagerar profession och patientrepresentanter i arbetet med att definiera vilken vård som ska anses vara av nationell karaktär.

Hänsyn ska tas till hela vårdkedjan. Riktlinjer, vårdprogram, vårdresultat och register-data ska beaktas i definition av vårdområden och framtagande av kunskapsunderlag för nationell högspecialiserad vård.

Arbetsprocessen för att nivåstrukturera vården på nationell nivå består av åtta steg:



Representanterna i nationella programområdet (NPO) förväntas ha särskilt god kunskap inom sitt vårdområde för att kunna ge underlag till steg 1 i arbetsprocessen. NPO ansvarar för uppgiften att ta fram förslag på vårdområden som ska genomlysas samt att ge förslag på personer till de sakkunniggrupper som i steg 2 tar fram underlag inför beslut om nationell högspecialiserad vård.

NPO ska inhämta kunskapsläget nationellt och internationellt och därefter föreslå områden som skulle kunna utgöra nationell högspecialiserad vård. För att stödja arbetet med att ta fram förslag på områden (t.ex. en diagnostisk metod, ett kirurgiskt ingrepp, en avancerad medicinsk behandling, en rehabiliterande insats) vid ett visst hälso- eller sjukdomstillstånd har Socialstyrelsen tagit fram kriterier som arbetet ska utgå ifrån.

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den del i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

Sakkunniggruppernas underlag skickas ut på en bred remiss. Socialstyrelsen sammanställer inkomna synpunkter och därefter kan sakkunniggruppen komplettera sitt underlag eller göra eventuella förtydliganden.

Sakkunniggruppens underlag och remissvar lämnas över till en beredningsgrupp vars uppdrag är att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet.

Efter beredning beslutar Socialstyrelsen vilken vård som ska nivåstruktureras samt antalet enheter i landet som får bedriva den tillståndspliktiga vården.

Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilken/vilka region/regioner som ska få bedriva definierad vård på nationell nivå. Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp.

Transbronkiell subpleural lungbiopsi med kryoteknik

Sakkunniggruppens underlag
Remissversion

Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för Avancerad endoskopisk diagnostik och behandling i övre och nedre luftvägarna vårdområdet Transbronkiell subpleural lungbiopsi med kryoteknik och lämnar sitt förslag till nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppens förslag remitteras öppet för synpunkter från alla intresserade, för en bredare konsekvensanalys.

Inför Socialstyrelsens beslut om vad som ska utgöra nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter vården ska bedrivas, kommer även en beredningsgrupp att lämna ett yttrande utifrån underlaget, inkomna synpunkter och konsekvensanalysen.

Socialstyrelsen leder arbetet med att koncentrera mer av den högspecialiserade vården på nationell nivå och ansvarar för arbetsprocessen för detta arbete. Socialstyrelsen vill tacka alla som har deltagit i arbetet med att ta fram detta underlag.

Thomas Lindén
Avdelningschef

Sakkunniggruppens uppdrag

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den eller de delar i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

Innehåll

Förord	2
Sakkunniggruppens uppdrag	3
Ordlista.....	5
Sammanvägd bedömning.....	6
Definition	7
Avgränsningar	8
Vårdområde	10
Särskilda villkor	13
Konsekvensanalys.....	15
Uppföljning och utvärdering	19
Deltagare i sakkunniggrupp	20
Om nationell högspecialiserad vård	21

Ordlista

ANOPIVA	Anestesi operation intensivvård
DT	Datortomografi, en medicinsk avbildningsteknik, kallas i dagligt tal ofta CT eller skiktröntgen
ECMO	Extracorporeal Membran Oxygenering, syresättning av blodet utanför kroppen via ett membran, liknande ”hjärtlungmaskin”
MRT	Magnetresonanstomografi, en medicinsk avbildningsteknik med s.k. magnetkamera
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
PET	Positronemissionstomografi, en medicinsk avbildningsteknik som bygger på användning av isotopmärkta preparat
UVA/IVA	Uppvakningsavdelning/intensivvårdsavdelning
ÖNH	Öron- näsa- och halssjukdomar

Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet att Transbronkiell subpleural lungbiopsi med kryoteknik ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fem vårdenheter.

Detta bedöms vara vård som är komplex, sällan förekommande, teknik- och utrustningskrävande och dyr. Vården kräver en multidisciplinär flexibilitet och högspecialiserad kompetens inom lungsjukdomar, öron-, näs- och halssjukdomar (ÖNH), anestesi och intensivvård, thoraxkirurgi och thoraxanestesiologi. Tillgång till ämnesprofilerad radiolog och patolog är fundamental för adekvat diagnostik och behandling.

Sakkunniggruppen finner att en koncentration av aktuell vård till fem enheter ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås. Att koncentrera vården ytterligare bedöms inte ändamålsenligt då det kan ge negativa konsekvenser ur tillgänglighetsperspektiv och medföra negativa konsekvenser för bibehållen erfarenhet och kunskapsupbyggnad för varje enskild enhet. Därtill förväntas en ökning av diagnostiska biopsier.

Konsekvenserna av en koncentrerad vård är övervägande positiva, då det medför ett samlat patientunderlag för sällandiagnostik och en resurseffektiv, säker vård. Genom att klart definiera enheter som utför diagnostiken blir en konsekvens att fler patienter blir riktigt diagnosticerade och därigenom ökar möjligheterna för lika vård. Koncentrationen av beskriven vård ökar också förutsättningarna för undervisning, utveckling och forskning.

Sakkunniggruppen bedömer att påverkan på akutsjukvården sannolikt blir försumbar. Omkringliggande områden i vården kan påverkas i viss utsträckning genom exempelvis ändrade vårdkedjor och viss risk för undanträngningseffekt på de utvalda enheterna. I viss mån kan det leda till förlängd utredningstid vid mindre prioriterade tillstånd som kräver transbronkiell diagnostik (exempelvis sarkoidos). Fördelarna med nationell koncentration överväger genom bland annat ovannämnda vinster samt ett förväntat ökat attraktionsvärde för specialister inom vårdområdet och forskning knuten därtill. Därutöver kan de nationella enheterna samarbeta för att avlasta varandra.

Definition

Sakkunniggruppen för Avancerad endoskopisk diagnostik och behandling i övre och nedre luftvägarna bedömer att nedanstående ska utgöra nationell högspecialiserad vård.

Vuxna patienter med oklar interstitiell lungsjukdom som uppfyller indikation för transbronkiell subpleural lungbiopsi med kryoteknik ska remitteras till en nationell högspecialiserad vårdenhet för bedömning och provtagning.

Antal vårdenheter

Fem vårdenheter.

Avgränsningar

Sakkunniggruppen har genomlyst följande områden i ett separat sakkunniggruppsunderlag:

1. Planerade endoskopiska kirurgiska åtgärder vid centrala luftvägshinder (distalt om larynx) med risk för andningsstopp, exempelvis, men inte uteslutande:
 - a) Debulking (exempelvis mha laser, shaver, diatermi, kryo)
 - b) Dilatationer av stenoser
 - c) Stentbehandling
2. Avancerad behandling av komplicerade fistlar till och från luftvägarna.
3. Endobronkiell lungvolymsreducerande behandling vid emfysem, exempelvis, men inte uteslutande, ventilbehandling
4. Hellunglavage
5. Avancerad endobronkiell medicinsk behandling av tumörer och förträngningar i luftvägar, exempelvis, men inte uteslutande, brachyterapi.

Sakkunniggruppen har också identifierat områden som inte bör ingå i tillståndet men bör nivåstruktureras inom varje samverkansregion:

1. Endoskopiska åtgärder som utgör stor volym och/eller utgör rutindagnostik, exempelvis:
 - Kryobehandling vid andra indikationer än den som definierats ovan
 - Endoskopiska rutinåtgärder vid andra indikationer, som vidare exemplifierats under rubriken ”Avgränsningar” i underlaget för Avancerade endoskopiska åtgärder i nedre luftvägarna.
2. Terminalvård, d.v.s. det sista skedet i palliativ vård, bör ske i hemregionen

Följande områden är redan genomlysta eller genomlyses parallellt av en annan sakkunniggrupp:

1. Brachyterapi vid huvud- och halscancer
2. Huvud- och halstumörer
3. Matstrupskirurgi

4. Svåra kroniska lungsjukdomar hos barn. Gällande ILD i denna definition ingår konsultation, bedömning, eventuell utredning samt ställningstagande till vidare handläggning och behandlingsstrategi hos barn med misstänkt eller diagnosticerad ILD.

Sakkunniggruppen har även identifierat några områden för eventuell framtida genomlysning, se underlaget för Avancerade endoskopiska åtgärder i nedre luftvägarna.

Vårdområde

Nuläge

Årligen utförs ca 110 transbronkiella subpleurala lungbiopsier med kryoteknik med frågeställningen oklar interstitiell lungsjukdom (ILD). Metoden kallas ibland perifera pleurala kryobiopsier och kommer benämnas så fortsättningsvis i detta underlag.

ILD är en heterogen grupp tillstånd som i första hand drabbar lungparenkymet och som typiskt ger en restriktiv lungfunktionsnedsättning och försämrad diffusionskapacitet. Vissa ILD är ofta självbegränsande, som organiserande pneumoni, medan andra har hög dödlighet, som idiopatisk lungfibros. Inom området är varje subgrupp av ILD relativt sällsynt, men som helhet betraktade är ILD inte ovanliga sjukdomstillstånd. Farhågor finns också att denna grupp kommer att öka efter pandemin av covid-19. Det är viktigt att differentiera fenotyp, då detta kan påverka val av behandling så väl som prognos. Många läkemedel vid ILD är dyra och behäftade med en rad biverkningar, vilket också medför ett stort behov av korrekt diagnos. Både ur ett psykosocialt perspektiv men också av sjukdomsbiologiska orsaker bör tiden mellan välgrundad misstanke, diagnos och behandling vara så kort som möjligt.

För diagnostik av ILD har kirurgiska biopsier via öppet eller videoassisterat ingrepp (VATS) traditionellt varit standard för morfologisk diagnostik, men perifera pleurala kryobiopsier får en allt större roll i diagnostiken. Dessa biopsier tas transbronkiellt med medföljande pleural/subpleural vävnad, vilket behövs för att bedöma typ av fibros och i bästa fall genes. Man har i en genomgång av kirurgiska lungbiopsier sett att det behövs minst en biopsistorlek på 5 mm för diagnos. Kryobiopsierna har därmed en fördel jämfört med andra endoskopiska biopsier eftersom de möjliggör en större biopsi.

Vid ingreppet finns risk för pneumothorax och blödningar. Komplikationsrisken kräver stort kunnande och tillgång till teamverksamhet med hög personaltäthet, specifik samordning och planering. Utrustningen är kostsam och komplicerad. De operativa salar som nyttjas är specialanpassade för uppdraget. För att kontrollera behandlingsutfall och tidigt upptäcka eventuella komplikationer, kontrolleras patienten postoperativt med röntgen och träffar sin patientansvariga läkare eller motsvarande innan hemgång.

Idag utförs perifera pleurala kryobiopsier med frågeställning ILD i huvudsak på fem av Sveriges universitetssjukhus. De olika sjukhusen har dock olika erfarenhet och kunskap när det gäller själva utförandet av kryobiopsi och av hantering av komplikationer. Det kan finnas ett mörkertal avseende de förväntade vårdvolymerna, då vissa patienter idag sannolikt inte blir remitterade till denna undersökning, bl.a. beroende på tradition och begränsad tillgång till teknik och kompetens.

Vårdvolym

Uppskattningsvis görs ca 110 perifera pleurala kryobiopsier med frågeställning ILD per år nationellt. Såväl det faktiska antalet som antalet i relation till befolkning varierar i de olika samverkansregionerna. Som ovan nämnts kan det finnas ett mörkertal då vissa patienter sannolikt inte blir remitterade. Sakkunniggruppen uppskattar att volymerna även kan komma att öka i och med tydligare remitteringsvägar och en ökad efterfrågan på denna typ av diagnostik, vilket kan motivera förslaget att inte koncentrera vården ytterligare än de föreslagna fem enheterna.

Forskning

För närvarande finns inte några pågående nationella forskningsprojekt inom kryobiopsier men ett par doktorandprojekt är under uppstart. Ett exempel på samarbetsprojekt är en tvärsnittsstudie för biomarksforskning hos bl.a. astmatiker och patienter med interstitiell lungsjukdom. Dylika samarbetsprojekt skulle underlättas i alla aspekter genom ett samlat patientunderlag. Ett annat exempel på tvärvetenskaplig forskning med klinisk tillämpbarhet är en studie där tyrosinkinashämmare används för behandling av såväl idiopatisk lungfibros som ILD.

En nationell koncentration skulle öka förutsättningarna för datainsamling, forskning och utveckling genom ett tydligt samverkansansvar inom det aktuella området. Det finns idag ett nationellt fibrosregister, som hittills innehåller relativt få patienter. Sannolikt bidrar nationell koncentration till att kvaliteten i dylika nationella register förbättras och en nationell utvärdering av metodik och resultat initieras. Forskningen underlättas av systematisering och skulle vinna på centralisering av ovanliga metoder.

Internationell utblick

I Norge är vården vid perifera pleurala kryobiopsier koncentrerad till två enheter, men i förekommande fall flyttar sig undersökande läkare till annan enhet för att utföra undersökningen.

I Danmark har man koncentrerat vården vid denna diagnostik på tre centra.

I Storbritannien hanteras kritisk vård av svår luftväg med förväntat behov av extra corporeal membrane oxygenation (ECMO) på nationell högspecialiserad vårdnivå. Sakkunniggruppens genomlysta förslag inkluderar krav på beredskap för ECMO vid komplikation till en transbronkiell subpleural lungbiopsi på NHVe.

Framåtblick

En koncentration av perifera pleurala kryobiopsier förväntas medföra ett samlat patientunderlag samt mer likvärdig, säker och resurseffektiv vård och forskning. Vidare förväntas en koncentrerad vård öka förutsättningarna för kvalitetsförbättring och ökad patientsäkerhet, i och med att antalet utövare

begränsas så att de som innehar tillstånd får goda chanser att bygga upp metoderfarenhet. En formalisering av den aktuella vården bidrar sannolikt även till enhetlighet, tydliga remissvägar, kunskapsutveckling och strukturerad implementering av nya behandlingsmetoder vilket medför en kvalitetssäkring för likvärdighet. Sakkunniggruppen finner att fem enheter för aktuell vård skulle gynna dessa förutsättningar och samtidigt omhänderta en prospektiv förväntad ökning av diagnostiska biopsier utan att påverka tillgängligheten. Fler enheter än vad som föreslagits kan ge negativa konsekvenser för möjligheterna till erfarenhets- och kunskapsuppbyggnad per enhet. De fem nationella enheterna bör spridas geografiskt för hantering av akuta komplikationer till den nationella vården. Att koncentrera vården ytterligare skulle ha negativa effekter på tillgänglighet och försvåra transporterna för dessa patienter, som inte sällan behöver marktransport.

Patienter med frågeställning ILD bör diskuteras på medicinsk multidisciplinär konferens inkluderande kompetens inom lungmedicin, patologi, radiologi, klinisk fysiologi, anestesi och intensivvård samt thoraxkirurgi/perfusion. Inför ingreppet behöver risken för komplikationer övervägas ställt mot den förväntade effekten, i samråd med patient och anhöriga.

Inom det aktuella vårdområdet behövs hög, snabb och flexibel teknisk och icke-teknisk kompetens, liksom välfungerande och korta beslutsvägar för att säkerställa kvaliteten vid sällan förekommande vård, utveckling och forskning. Det multidisciplinära teamet behöver vara dynamiskt och kräver återkommande teamövningar, standardiserad kommunikation och klok struktur för arbetet. Det innebär ett förändrat arbetssätt kring sällanförekommande vård. Det är önskvärt att de nationella enheterna samverkar såväl med varandra som med internationella motsvarigheter för att öka erfarenhets- och kunskapsutbyte.

Vid en Nationell högspecialiserad vårdenhet (NHVe) ska patienten erbjudas effektiv standardiserad utredning. Vårdprocessen från utredning till behandling skall samordnas och koordineras. Tillgängligheten säkerställs genom kontaktsjuksköterska för snabb och effektiv ämneskunskap som ett tryggt komplement till patientansvarig läkare. Den interhospitala transporten skall ske med patientens bästa i fokus. Det genomlysta vårdområdet omfattar specifika krav på eftervård. Därför behövs ett nära samarbete mellan NHVe och hemsjukhuset. Individuella vård- och rehabiliteringsplaner skall upprättas tillsammans med patienten och följas med patienten mellan hemsjukhuset och NHVe.

Särskilda villkor

Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilka särskilda villkor som ska gälla för tillstånden. De generella villkoren regleras i Socialstyrelsens föreskrifter (HSLF-FS 2018:48 om nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppen ansvarar för att ta fram förslag till särskilda villkor för respektive område. Förslagen ska återspegla definitionen och i viss mån vara vägledande vid tilldelning av tillstånd. De föreslagna särskilda villkoren för aktuellt tillstånd kan komma att justeras av nämnden när beslut om tillstånd fattas.

Kompetens och resurser	
Kritisk medicinsk kompetens (läkare)	<p>Vid samtliga enheter ska det finnas läkare med särskild kompetens inom transbronkiella subpleurala lungbiopsier med kryoteknik (perifera pleurala kryobiopsier):</p> <ul style="list-style-type: none"> • Specialist i lungsjukdomar • Anestesiolog/thoraxanestesiolog, van vid specialventilation ex jet • Thoraxkirurg • Radiolog med thoraxkompetens (tillgänglig fysiskt eller digitalt) • Patolog med inriktning motILD (tillgänglig fysiskt eller digitalt) • Klinisk fysiolog
Andra typer av kritisk kompetens (t.ex. sjuksköterska, kurator, psykolog eller fysioterapeut med specialkompetens)	<p>Vid samtliga enheter ska det finnas personal med särskild kompetens inom transbronkiella subpleurala lungbiopsier med kryoteknik (perifera pleurala kryobiopsier):</p> <ul style="list-style-type: none"> • Anestesisjuksköterska med erfarenhet av avancerad luftväg • Endoskopisköterska/operationssköterska • Sjuksköterska med särskild kompetens inom omvårdnad vid svår luftväg
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	<ul style="list-style-type: none"> • Metod att hålla fri luftväg ex stelt bronkoskop/stelt laryngoskop eller motsvarande under ingreppet • Flexibla videobronkoskop med adekvata tillbehör för det tillståndsgivna området
Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den föreslagna vården ska kunna bedrivas	<ul style="list-style-type: none"> • Thoraxintensivvård med möjlighet till ECMO-behandling • UVA/IVA och vårdavdelning med kunskap om vårdområdet

	<ul style="list-style-type: none"> • Klinisk fysiologisk verksamhet inkluderat personal och utrustning • Kliniskt patologiskt laboratorium med lungmedicinsk kompetens
Kritiska diagnostiska metoder	<ul style="list-style-type: none"> • Radiologi passande för ingreppet, exempelvis för genomlysning • MRT/DT/PET-CT • Klinisk fysiologiska diagnosinstrument
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	
Rehabilitering som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (särskilt anpassad till behovet)	<ul style="list-style-type: none"> • Funktionell andningsterapi; logoped och/eller fysioterapeut med specialkompetens • Kontaktsjuksköterska med särskild kompetens inom vårdområdet • Kurator med kompetens knuten till lungmedicinska specialiteter • Dietist
Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	<ul style="list-style-type: none"> • NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs. • NHVe ska verka för att etablera ett starkt nationellt nätverk och internationella samarbeten inom tillståndsområdet. • NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.

Konsekvensanalys

Socialstyrelsens beslut föregås av en bred remiss och beredning för att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet. Beredningsgruppen (B1) utgår från sakkunniggruppernas underlag och remissvaren för att göra en övergripande analys av systemeffekterna, framförallt förmågan att bedriva akut sjukvård.

Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp (B2). Beredningsgruppen ska tillsammans representera följande perspektiv: länssjukvård, akut vård, universitetssjukhusvård och medicinsk fakultet. Systemkonsekvenser t.ex. påverkan på akutsjukvården, patienttransporter samt utbildning och forskning får beaktas vid en fördelning av tillståndet/tillstånden om det är för att säkerställa patientens bästa.

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)	<p>Nationell koncentration ger en jämlik tillgång till högkvalitativ vård för perifera pleurala kryobiopsier oavsett var i landet man bor. Remitteringsvägarna blir nationellt tydligare och mer enhetliga med möjlighet även till rådgivning via NHVe.</p> <p>Nationell koncentration kan innebära fler/längre resor för vårdtagaren men till priset av en mer sammanhållen, resurseffektiv och jämlik vård, vilket även bör kunna påverka överlevnaden positivt. Förbättrad diagnostik och behandling ger en förväntad bättre vårdkvalitet och ökad patientsäkerhet. Redan idag innebär vården vanligen en resa från sin hemort eftersom dessa patienter i nuläget undersöks/diagnosticeras på universitetssjukhus.</p> <p>Efter att ha vårdats vid NHVe får patienten med sig en vård och rehabiliteringsplan för fortsatt vård på hemorten. En överflyttning av patient från NHVe till hemsjukhuset stimulerar till kunskapsutveckling och samarbete.</p> <p>Sakkunniggruppen väntar små eller inga problem med försening av diagnostiska undersökningar och bedömningar på NHVe, då patientgruppen hanteras skyndsamt pga andningssvårigheter. Patientgruppen hanteras inom slutenvårdsramar.</p>
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	En nationell koncentration av aktuell vård medför sannolikt en minimal kompetensförlust då antalet utförda ingrepp i landet redan är få och centraliserade.

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	<p>Antalet fall per år som kommer att behandlas/diagnostiseras inom det föreslagna sjukvårdsområdet kommer sannolikt även i framtiden att vara ett fåtal, varför denna åtgärd behöver koncentreras till fem NHVe i syfte att generera individ- och gruppkompetens.</p> <p>En möjlig risk är att kunskapen om vissa begränsande undergrupper inom det definierade sjukvårdsområdet minskar vid lungmedicinska enheter som inte faller inom NHV. Detta kan kompenseras genom att NHVe får ett tydligt utbildningsansvar såväl inom som utanför NHVe och att patienterna i många fall behöver förberedande ingrepp för transportabilitet till NHVe.</p> <p>Ett ökat samarbete genom konsultationer, utbildning och kunskapsöverföring mellan NHVe och regioner kommer att leda till ökad vårdssäkerhet och resurseffektivitet för hela patientgruppen inom det föreslagna sjukvårdsområdet.</p>
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	<p>Förutsättningarna att bedriva forskning och utveckling kan öka eftersom nationell koncentration skapar en möjlighet till ett större, mer komplext forskningsunderlag inte minst ur en biobanksaspekt. Sannolikt bidrar uppdraget även till en bättre kvalitet i det nationella kvalitetsregistret.</p> <p>Forskningen kan även främjas genom ett tydligt samverkansansvar mellan NHVe.</p>
Påverkan på närliggande områden	<p>Koncentration av perifera pleurala kryobiopsier kan ha viss undanträngningseffekt på annan benign kirurgi men denna förväntas vara liten i och med att antalet ingrepp är få.</p> <p>Viss kapacitet kan sannolikt friställas för ingrepp av mindre högspecialiserad karaktär på enheter som inte tilldelas tillstånd för NHV.</p> <p>Viss risk identifieras för kompetensförlust inom regionvård avseende de specialiteter som inte tilldelas tillstånd för NHV. Den risken bedöms som liten i och med att antalet patienter är få.</p>
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.	<p>Ingen påverkan på akutsjukvården men en liten påverkan på intensivvården på sjukhus med NHV-uppdrag i och med att patientantalet är lågt. Övergående IVA-vård kan förväntas utifrån förutbestämd vårdnivå för den aktuella vårdtagaren.</p> <p>Vid akuta komplikationer kan det vara svårt för hemsjukhuset att hantera detta om den avancerade endoskopiska kompetensen saknas. Det kan innebära att pa-</p>

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	<p>patienten behöver vård på närmaste universitetssjukhus alternativt NHVe. Antalet tilldelade NHVe måste ha en geografisk täckning för hantering av ev. komplikationer. För de vanligaste komplikationerna finns dock beredskap kvar regionalt genom att det definierade området utgör en mindre del av de luftvägsendoskopiska ingreppen.</p>
Påverkan på vårdkedjan	<p>Med nationell koncentration finns förutsättningar för en effektivare vårdkedja och kortare ledtider.</p> <p>För att få till en nationell multidisciplinär enhetlighet kring avancerad endoskopisk perifer kryobiopsi och optimal vård behövs en viss vårdvolym, vilket underlättas av vilket underlättas av en nationell koncentration.</p>
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av ökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	<p>Multidisciplinära möten för diskussion om perifer kryobiopsi är delvis planerade men relativt kort framförhållning kan ändå behövas inom lungmedicin. Dessa MDK förväntas inte konsumera resurser, mer än inom lungmedicin och ANOPIVA, även om beredskap för en mer omfattande vårdinsats med ovan beskriven specialistläkar- och vårdpersonalkompetens snabbt behöver kunna mobiliseras.</p> <p>Något ökad volym kan väntas på de enheter som berörs men eftersom antalet patienter är få väntas påverkan på NHVe bli liten</p> <p>Ett tydligt uppdrag för NHVe kommer sannolikt att utgöra ett attraktionsmoment för specialister inom berörda områden</p> <p>Samarbete mellan NHVe kan minska sårbarhet vid tillfälliga problem med kompetensförsörjning inom berörda specialiteter</p> <p>Det finns en identifierad risk att förlora kompetens för kliniker som inte tilldelas tillstånd för NHVe. Detta måste kompenseras med utbildning från NHVe.</p>
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	<p>Patienter är i specifika fall i behov av speciella transporter med hög vårdkompetens. Exempelvis är flygtransport inte aktuellt för vissa patienter även om det är den snabbaste transportmetoden. För dessa patienter krävs marktransport som har en hög kompetens för vårdområdet och som pågår under längre tid.</p>
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	<p>I framtiden kommer tillgången och efterfrågan på perifera pleurala kryobiopsier att öka ur en diagnostisk synvinkel i och med att sjukdomsprevalensen av ILD ökar.</p>

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
Övriga kommentarer:	

Uppföljning och utvärdering

Tillståndsinnehavarna av nationell högspecialiserad vård ansvarar för uppföljning av sina verksamheter (egenkontroller) samt för inlämning av årsrapporter till Socialstyrelsen. Årsrapporterna ska utgå från verksamhetens egenkontroll. Socialstyrelsen ansvarar för fördjupad utvärdering av tillstånden för nationell högspecialiserad vård.

Sakkunniggruppen ansvarar för att ta fram förslag till de uppföljningsmått som de anser relevanta för den vård som föreslås ska koncentreras (definitionen). Uppföljningsmått ska utgå från nedan mall. Uppföljningsmått kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Förslag till uppföljningsmått

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått – Antal patienter*	Antal patienter/bedömningar/remisser till NHVe Ev även uppdelat på diagnos eller typ av ingrepp om relevant
Bakgrundsmått – Antal behandlingar	Antal ingrepp vid NHVe Ev även uppdelat på diagnos eller typ av ingrepp om relevant
Bakgrundsmått - Vårdtid	Vårdtid (i dygn) ineliggande patienter Datum för utskrivning minus datum för inskrivning
Tillgänglighetsmått – tid till bedömning	Tid (i dagar) från remissankomst till bedömning Datum för bedömning minus datum för remiss
Tillgänglighetsmått – tid till behandling	Tid (i dagar) från remissankomst till åtgärd Datum för åtgärd minus datum för remissankomst
Medicinska resultat	Komplikation (ex pneumothorax, grad av blödning)
*För patienter inom NHV följs demografisk data upp: <ul style="list-style-type: none"> • Ålder (om relevant) • Kön – noteras att ILD är vanligare hos män än kvinnor • Patientens hemregion (folkbokföringsadress) 	

Deltagare i sakkunniggrupp

Samverkansregion Stockholm: Ranjh Hamed, specialist inom lungsjukdomar

Samverkansregion Linköping: Maria Öhman, specialist inom lungsjukdomar
samt internmedicin och intensivvård

Samverkansregion Umeå: Katarina Olofsson, specialist inom öron-, näs- och
halssjukdomar med grenspecialitet inom röst och talrubbningar

Samverkansregion Lund/Malmö: Stefan Barath, specialist inom lungsjukdo-
mar

Samverkansregion Göteborg: Margaretha Smith Wallhede, specialist inom
lungsjukdomar och internmedicin

Samverkansregion Uppsala/Örebro: Leif Nordang, specialist inom öron-,
näs- och halssjukdomar

Patientföreträdare: Tommy Björk, Lungcancerföreningen

Om nationell högspecialiserad vård

Den 1 juli 2018 genomfördes ändringar i hälso- och sjukvårdslagen (2017:30), HSL, som innebär en ny beslutsprocess för den nationella högspecialiserade vården. I 2 kap. 7 § HSL definieras nationell högspecialiserad vård som offentligt finansierad hälso- och sjukvård som behöver koncentreras till en eller flera enheter men inte till varje sjukvårdsregion för att kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen ska kunna upprätthållas och ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser ska kunna uppnås.

Vid bedömningen av om en åtgärd ska utgöra nationell högspecialiserad vård ska hänsyn särskilt tas till om vården är komplex eller sällan förekommande och om den kräver en viss volym, multidisciplinär kompetens eller stora investeringar eller medför höga kostnader (se 7 kap. 5 § HSL).

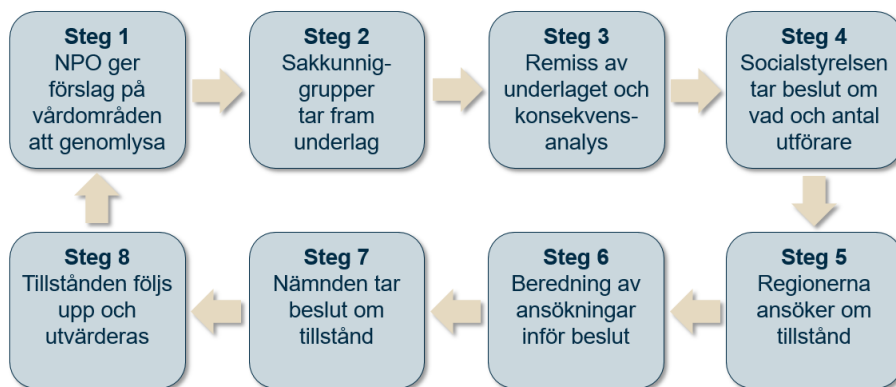
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

För vården innebär denna nivåstrukturering en möjlighet att profilera sig inom olika områden och bygga upp olika specialistcentra. Ett större patientunderlag för en högspecialiserad verksamhet skapar nödvändiga förutsättningar för att bedriva hög-kvalitativ forskning, utbildning och rekrytera spetskompetens.

Socialstyrelsen samarbetar med regionernas system för kunskapsstyrning i hälso- och sjukvård och engagerar profession och patientrepresentanter i arbetet med att definiera vilken vård som ska anses vara av nationell karaktär.

Hänsyn ska tas till hela vårdkedjan. Riktlinjer, vårdprogram, vårdresultat och register-data ska beaktas i definition av vårdområden och framtagande av kunskapsunderlag för nationell högspecialiserad vård.

Arbetsprocessen för att nivåstrukturera vården på nationell nivå består av åtta steg:



Representanterna i nationella programområdet (NPO) förväntas ha särskilt god kunskap inom sitt vårdområde för att kunna ge underlag till steg 1 i arbetsprocessen. NPO ansvarar för uppgiften att ta fram förslag på vårdområden som ska genomlysas samt att ge förslag på personer till de sakkunniggrupper som i steg 2 tar fram underlag inför beslut om nationell högspecialiserad vård.

NPO ska inhämta kunskapsläget nationellt och internationellt och därefter föreslå områden som skulle kunna utgöra nationell högspecialiserad vård. För att stödja arbetet med att ta fram förslag på områden (t.ex. en diagnostisk metod, ett kirurgiskt ingrepp, en avancerad medicinsk behandling, en rehabiliterande insats) vid ett visst hälso- eller sjukdomstillstånd har Socialstyrelsen tagit fram kriterier som arbetet ska utgå ifrån.

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den del i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

Sakkunniggruppernas underlag skickas ut på en bred remiss. Socialstyrelsen sammanställer inkomna synpunkter och därefter kan sakkunniggruppen komplettera sitt underlag eller göra eventuella förtydliganden.

Sakkunniggruppens underlag och remissvar lämnas över till en beredningsgrupp vars uppdrag är att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet.

Efter beredning beslutar Socialstyrelsen vilken vård som ska nivåstruktureras samt antalet vårdenheter i landet som får bedriva den tillståndspliktiga vården.

Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilken/vilka region/regioner som ska få bedriva definierad vård på nationell nivå. Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp.