Genomlysning av vårdområdet allvarliga hudsjukdomar som nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag
Remissversion

Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för Allvarliga hudsjukdomar 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
Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård 7
Beskrivning av det definierade området 10
Framåtblick 16
Förslag till särskilda villkor 20
Konsekvenser av rekommendationen 22
Uppföljning och utvärdering 26
Referenser 28
Deltagare i sakkunniggrupp 29
Om nationell högspecialiserad vård 30

Ordlista

AI	Artificiell intelligens
ERN-Skin	European Reference Network for rare skin diseases
HS	Hidradenitis suppurativa
MDK	Multidisciplinär konferens
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
NPO	Nationella programområden
PG	Pyoderma gangraenosum
PM	Personalized medicine
SJS	Stevens Johnson syndrom
SKG	Sakkunniggrupp
TEN	Toxisk epidermal nekrolys

Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet allvarliga hudsjukdomar att handläggning av svåra hudsymtom samt handläggning av allvarliga gendermatoser ska utgöra nationell högspecialiserad vård.

De två delområdena bedöms vara vård som är komplex, kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården är multidisciplinär då bland annat specialistkompetens inom dermatologi, dermatopatologi, plastikkirurgi, specialiserad omvårdnad, klinisk genetik, infektionsmedicin, avancerad sårvård och intensivvård behövs.

Sakkunniggruppen föreslår att handläggning av svåra hudsymtom ska bedrivas vid fem vårdenheter. Volymen uppskattas till ca 3000-5000 patienter/år, där merparten av patienterna är vuxna. Att bedriva verksamheten vid färre än fem enheter bedöms vara alltför sårbart och kan ge negativa konsekvenser på tillgängligheten. Vidare innebär färre enheter inte tillräcklig geografisk spridning, vilket skulle påverka äldre multisjuka negativt eftersom långa resor kan medföra allvarliga medicinska konsekvenser för patientgruppen. Då volymerna är relativt höga skulle färre enheter riskera att andra patientgrupper som är i behov av samma resurser, så som slutenvårdsplatser, trängs undan på de nationella vårdenheterna. En koncentration till fem enheter skulle säkra multidisciplinär kompetens och fortsatt utveckling av en kvalitativ handläggning av svåra hudsymtom när oklar diagnos föreligger, sedvanlig behandling ger otillräcklig effekt och/eller slutenvård behövs.

Handläggning av allvarliga gendermatoser har en låg volym, ca 20-40 patienter/år, och bör bedrivas vid endast en enhet. Sakkunniggruppen bedömer att fler enheter kan ge negativa konsekvenser på förutsättningarna att behålla och utveckla kunskap inom området där ett etablerat samarbete redan föreligger. Den geografiska närheten för patienterna förändras därför inte.

Sakkunniggruppen bedömer att konsekvenserna av att koncentrera vården för båda delområdena är övervägande positiva då det bland annat ökar förutsättningarna att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås. Koncentrationen skulle ge bättre förutsättningar för patienten att få adekvat vård i rätt tid, att det blir tydligt var kunskap och erfarenhet finns och vart remitterande ska vända sig. En koncentration skulle även ge bättre förutsättningar för uppföljning och utvärdering av vården och medföra en positiv effekt på erfarenhets- och kunskapsuppbyggnad.

Sakkunniggruppen bedömer vidare att påverkan på akutsjukvården sannolikt blir begränsad för de båda delområdena vid en koncentration. De nationella vårdenheterna kommer dock behöva säkra vårdplatser för inläggningar av personer med svåra hudsymtom, vilket kan orsaka viss undanträngning av andra patientgrupper.

Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Handläggning av svåra hudsymtom samt handläggning av allvarliga gendermatoser, enligt beskrivning nedan, ska utgöra nationell högspecialiserad vård.

Delområde 1 – Handläggning av svåra hudsymtom
Rådgivning, utredning, behandling och uppföljning av personer med svåra hudsymtom, oavsett ålder, orsakade av exempelvis men inte uteslutande; blåsdermatoser, läkemedelsreaktioner, pyoderma gangrenosum och hidradenitis suppurativa. Kontakt med en nationell enhet ska initieras vid uppfyllelse av något av följande kriterier:

- Oklar diagnos
- Sedvanlig behandling ger otillräcklig effekt
- När inneliggande vård kan övervägas

Med svåra hudsymtom avses exempelvis, men inte uteslutande:

- Omfattande hudbarriärskada på grund av blåsbildning, hudavlossning eller pustelbildning med hög risk för sekundär infektion
- Omfattande hudsvullnad och/eller rodnad med eller utan svår klåda, sveda och/eller smärta
- Svårläkta sår och böldbildningar

Delområde 2 – Handläggning av allvarliga gendermatoser
Rådgivning, utredning, behandling och uppföljning av personer med allvarliga gendermatoser, oavsett ålder. Kontakt med en nationell enhet ska initieras vid uppfyllelse av följande kriterium:

- Vid misstanke om gendermatos

Med allvarliga gendermatoser avses exempelvis, men inte uteslutande:

- Kongenital iktyos
- Epidermolysis bullosa
- Pachyonychia congenita
- Dariers sjukdom
- Incontinetia pigmenti
- Svåra keratodermier
- Liknande tillstånd med genetisk orsak

Antal vårdenheter

Delområde	Antal enheter
1. Handläggning av svåra hudsymtom	**Fem**
2. Handläggning av allvarliga gendermatoser	**En**

Avgränsningar

Inneliggande vård för patienter inom definitionen för *delområde 1 svåra hudsymtom* kan bedrivas i patientens hemregion om rätt förutsättningar finns och efter överenskommelse med NHVe. Detta är angeläget för att minimera de negativa medicinska konsekvenser som långa resor kan medföra på exempelvis äldre multisjuka patienter.

I Socialstyrelsens arbete att tillsammans med sakkunniggruppen för allvarliga hudsjukdomar genomlysa vårdområdet har följande område identifierats som inte ska ingå i tillståndet:

- Stora hudavlossningar över 20 % är redan koncentrerat och ska till NHVe Svåra brännskador.
- Inom dermatologi- och venereologi finns flera andra komplexa tillstånd där det krävs multidisciplinära samarbeten för diagnostik och behandling. Huvudsakligen handläggs dessa patienter polikliniskt och därför har de inte inkluderats i denna genomlysning. Exempelvis har arbets-och miljödermatologi utpekats av (NPO) Hud- och könssjukdomar som ett område som behöver en separat genomlysning, men att inkludera även dessa områden i denna utredning har bedömts vara ohanterligt. Emellertid utgör den organisation av främst den inneliggande vården som presenteras i denna rapport för *delområde 1 svåra hudsymtom*, att dessa patienter, om de uppfyller givna kriterier, kommer att ges vård inom föreslagna ramar.

Beskrivning av det definierade området

Det nationella programområdet (NPO) Hud- och könssjukdomar valde att benämna området som skulle genomlysas för Allvarliga blåsdermatoser, pyoderma gangrenosum och läkemedelsreaktioner som kräver multidisciplinärt omhändertagande inom slutenvård. Samtliga föreslagna diagnoser förekommer i olika svårighetsgrader och sakkunniggruppen ansåg därför att symtom bör avgöra remittering och inte diagnos. Således föll även fler diagnoser in under rubriken. Fortsättningsvis rubriceras därför genomlysningen som ”Allvarliga hudsjukdomar” och omfattar två delområden; Handläggning av Svåra hudsymtom samt Handläggning av Allvarliga gendermatoser.

Delområde 1 Svåra hudsymtom

Några av de hudsjukdomar där svåra symptom kan uppstå är bl.a. blåsdermatoser, urtikaria, pyoderma gangraenosum (PG), hidradenitis suppurativa (HS), läkemedelsreaktioner, eksem och psoriasis. Pemfigus är en ovanligare blåsdermatos som inte sällan debuterar i yngre ålder och där behov av vårdplatser ibland föreligger. Urtikaria med svåra angioödem kan också vara svåra att utreda.

Pyoderma gangraenosum (PG) är en ovanlig och svårdiagnosticerad hudsjukdom. Sjukdomsbilden kan likna en svår sårinfektion med utbredd nekrosbildning. Odiagnostiserad sjukdom kan leda till långa sjukhusvistelser. Även trauma mot huden och kirurgi kan utlösa och förvärra symtomen hos patienter med PG.

Hidradenitis suppurativa (HS) är en kronisk svettkörtelinflammation. HS är i hög utsträckning ärftlig och det finns en tydlig koppling till både övervikt och fetma. Tidigare betraktades HS som en hudsjukdom men man går mer och mer över till att se det som en systemsjukdom som kräver ett multidisciplinärt omhändertagande.

Även allvarliga läkemedelreaktioner kan ge svåra hudsymptom och potentiellt orsaka livshotande tillstånd. Förekomsten av de bäst dokumenterade läkemedelsreaktionerna är Stevens Johnson syndrom (SJS) och toxisk epidermal nekrolys (TEN) med en incidens av en till två fall per en miljon invånare och med en mortalitet på 25%. Utredningen kräver dermatopatologisk kompetens för att skilja ut tillstånden från vanlig läkemedelsexantem (maculopaular eruption) men också från mera allvarliga tillstånd som ”drug reaction with eosinophils and systemic symptoms” (DRESS) och ”acute generalised exanthematous pustulosis” (AGEP). Merparten av dessa patienter vårdas inneliggande, oftast på medicinkliniker och i undantagsfall på brännskadeavdelning i Uppsala eller Linköping. Bedömningen av dessa patienter görs av

en dermatolog och klinisk farmakolog med mål att kartlägga bakomliggande läkemedel inklusive varningsmärkning av journalen för att undvika framtida reaktioner. Även nya biologiska läkemedel kan ge upphov till svåra hudsymtom inklusive hudtumörer.

Vid en del av dessa hudsjukdomar har patienterna, efter det akuta skedet, långvariga besvär ibland i flera år, som kan kräva omprövning av tidigare diagnos och behandlingsform. Handläggning av dessa patienter är oftast en utmaning som kräver multidisciplinära samarbeten.

Såväl barn som vuxna kan drabbas av svåra hudsymtom. Svåra symtom där det bedöms vara till nytta med högspecialiserad vård är framförallt omfattande hudbarriärskador, blåsbildningar, hudavlossningar, svullnader och svårläkta sår. Dessa är relativt sällsynta men uppstår oftast akut och kan vara livshotande. Förekomsten beror också på att vi har en allt äldre befolkning med betydande samsjuklighet och en samtidig behandling med flera läkemedel. Hos vuxna patienter dominerar allvarliga läkemedelsreaktioner som orsak till de svåra hudsymtomen. Hos barn är hudsymtomen ofta kopplade till en underliggande infektion, men hos nyfödda bör en underliggande gendermatos utredas. Även handläggningen av kroniska och terapiresistenta hudsjukdomar hos patienter som har andra komplicerande faktorer såsom diabetes och hjärtsvikt är komplex och kräver multidisciplinärt samarbete.

Ett problem idag är att en stor grupp patienter går odiagnostiserade och således obehandlade/felbehandlade. De mest komplexa fallen kräver ibland ett snabbt omhändertagande inom slutenvård. Primärt är det dermatolog, dermatopatolog och specialiserad omvårdnadspersonal som krävs för att handlägga denna patientgrupp. Tillgång till barnklinik (vid inläggning) och barnläkare är viktigt. Det finns även behov av ytterligare kompetens, exempelvis specialister inom öron-, näsa-, hals-, ögon-, gynekologi/urologi, infektion, plastikkirurgi, reumatologi m.fl. För att hitta rätt behandling (biologiska läkemedel etc.) och kunna utvärdera behandlingen krävs oftast multidisciplinära samarbeten med t.ex. internmedicinare, kirurger, barnläkare och/eller anestesiologer.

Sakkunniggruppen bedömer att den definierade patientgruppen som kan vara aktuella för nationell högspecialiserad vård enbart rör sig om ett fåtal patienter per region, jämfört med den stora bulken polikliniska patienter som inte lider av svåra hudsymtom. Detta gör att kompetensen gällande de mest komplexa fallen blir liten på små enheter och sårbarheten stor. Det är viktigt med kompetensförsörjning och återväxt inom området. Korrekt diagnos är avgörande för vidare behandling och prognos kräver dermatopatologisk subspecialiserad kompetens. I dagsläget anlitas ibland pensionerade patologer och prover skickas även till externa konsulter för att kunna uppfylla krav på svarstider. Vårdpersonal är inte heller utbildad i specifikt omhändertagande av svåra hudsymtom.

Dermatologin har de senaste årtiondena genomgått en dramatisk förändring. Tack vare forskningsframsteg har man lyckats behandla och utreda fler i öppenvård. Utvecklingen inom dermatologin har också lett till ett stort antal

effektiva behandlingsmedel för flera svårbehandlade inflammatoriska hudsjukdomar. Detta beror dels på en ökad förståelse för grundläggande patogenetiska förhållanden och på en omfattande forskningsverksamhet inom läkemedelsindustrin. Forskningen har närmast kommit att revolutionera behandlingen för de svårast sjuka patienterna inom flera sjukdomsgrupper. Det finns dock ojämlikheter nationellt och olika synsätt gällande behandling av patienter med svåra hudsymtom. Den generella bilden är att det går att behandla dessa tillstånd på de flesta av regionsjukhusen. Utvecklingen av behandlingsarsenalen inom dermatologi det senaste decenniet har också inneburit att de flesta patienterna kan hanteras polikliniskt. Det finns dock fall som är så svåra och som både kräver multidisciplinärt samarbete och ibland slutenvård. Den genomsnittliga tiden för inneliggande vård för en dermatologisk patient uppskattas vara mellan en till tre veckor. Trots att de flesta patienter vårdas på sjukhus i sina hemregioner/orter sker en viss förflyttning mellan regionerna idag. Exempelvis hade Karolinska universitetssjukhuset 10 vårdtillfällen utomläns inom slutenvården och ca 1000 vårdtillfällen inom öppenvården under 2019.

Omfattningen på den dermatologiska slutenvården har under de senaste åren minskat. På de stora universitetsklinikerna hade man tidigare drygt 100 vårdplatser tillsammans. Idag finns enbart två slutenvårdsavdelningar för hudpatienter, en mindre i Lund vid Skånes universitetssjukhus, och en i Stockholm vid Karolinska universitetssjukhuset, med ca 11 vårdplatser. De övriga regionsjukhusen/universitetssjukhusen har i princip tillgång till vårdplatser, men i konkurrens med andra medicinska tillstånd. Detta kan ibland göra det svårt att hävda hudpatienternas behov av omedelbar slutenvård.

Delområde 2 Allvarliga gendermatoser

Gendermatoser är ett samlingsnamn för sjukdomar som drabbar huden och som har underliggande genetiska orsaker. Bland de allvarliga gendermatoser som avses inkluderas kongenital iktyos, epidermolysis bullosa, pachyonychia congenita, Dariers sjukdom, incontinentia pigmenti, svåra keratodermier samt liknande tillstånd med genetisk orsak. Samtliga dessa sjukdomar är mycket ovanliga med en förekomst om några enstaka fall per 100 000 invånare. De gendermatoser som rör de mer allvarliga varianterna kräver ofta multidisciplinärt omhändertagande och inte sällan livslång kontakt med flera olika medicinska specialiteter. Diagnostiken av samtliga dessa sjukdomar kräver tillgång till erfarna dermatologer, dermatopatologer samt klinisk genetiker och sjukhusgenetiker. Detta då diagnostiken baseras på klinisk bild, undersökning av hudbiopsier med olika mikroskopiska specialundersökningar och DNA-analyser.

Behandlingen av själva grundsjukdomen är i mångt och mycket symtomatisk och sker via hudklinik. Dock ger exempelvis de allvarligare varianterna av epidermolysis bullosa (dystrophica och junctionalis) upphov till mycket svåra avlossningar av hud/slemhinnor. Detta leder till ärrbildningar i hud, munhåla, näshåla, kring ögon, urinvägar och matstrupe. Patienterna får av detta ofta utomordentligt dåligt näringsstatus. Dessa patienter är under sin

uppväxt i behov av kontinuerlig uppföljning av multidisciplinära team innefattande erfarna dermatologer, dietister, arbetsterapeuter, fysioterapeuter, kuratorer, psykologer, barnläkare, barnkirurger, barnurologer, barnortopeder, ögonläkare, öron-näsa-halsläkare, tandläkare/käk-kirurger och handkirurger. Därefter behövs livslång kontakt med ett motsvarande team inom vuxensjukvården.

I ett livsperspektiv har patienterna en mycket hög risk för att utveckla hudcancer. Ofta behövs kirurgiska ingrepp för att säkerställa att patienterna kan få i sig tillräckligt med näring eller rekonstruktiva ingrepp på exempelvis extremiteter. Operativa ingrepp på patienter med epidermolysis bullosa är utomordentligt komplicerade och kräver specialutbildad och van personal i hela vårdkedjan för att undvika katastrofala komplikationer. Med koncentrerad diagnostik och multidisciplinärt omhändertagande av dessa patientgrupper vet man att patienterna dels får tillgång till bättre vård men också möjligheten till genetisk rådgivning. Tillgången till avancerad multidisciplinär vård kan bidra till att identifiera de allvarligare varianterna och minska de medicinska problem som patienterna kan komma att drabbas av.

På de flesta regionkliniker och många länssjukhus finns kliniker som handlägger den löpande vården av patienter med gendermatoser. I dagens läge finns ett nationellt kunskapscentrum rörande gendermatoser vid Akademiska sjukhuset i Uppsala. De flesta patienter med gendermatoser av olika svårighetsgrad har bedömts och handlagts där. Högspecialiserad tandvård för patienter med orala manifestationer finns vid Mun-H-Center vid specialisttandvården inom Folktandvården i Västra Götaland samt vid kompetenscentrum för sällsynta odontologiska tillstånd i Jönköping. Det ovan beskrivna läget fungerar väl för de patienter som får ta del av det nationella kunskapscentrets kompetens. Problemet är att alla patienter inte remitteras dit eller att kunskapscentret inte kontaktas inom rimlig tid.

Barn med dessa diagnoser erhåller oftast en bra och sammanhållen vård under uppväxten. Detta möjliggörs av att de sköts inom en enda barnklinik oavsett var i Sverige som de kommer ifrån och att de oftast tidigt kontaktar det nationella kunskapscentret. Transitionen från barn- till vuxenvård är svår och samordningen brister ofta då det inte längre finns en klinik som ser sig som ansvarig för patienter med multifaktoriell sjukdom. Patienterna får istället gå till olika vårdgivare för varje enskilt problem trots att de är kopplade till hudsjukdomen. Utvecklingen av en tydlig multidisciplinär uppföljning upp i vuxen ålder har försvårats av denna splittrade vård. Komplexiteten av ovan beskrivna vårdinsatser för både delområde 1 och 2 samt vikten av att dessa patientgrupper ska få kompetent handläggning i rätt tid är starka skäl som motiverar en koncentration av vårdområdena.

Vårdvolymer

Delområde 1, Svåra hudsymtom

Sakkunniggruppen bedömer att för det definierade området rör det sig uppskattningsvis om ca 3000-5000 öppenvårdspatienter/år, varav cirka 1000-

1500 patienter/år också skulle vara i behov av slutenvård. De nationella enheterna skulle behöva hantera ca 5000 vårdtillfällen/år i öppenvård och ca 2250 vårdtillfällen/år i slutenvård. Den stora majoriteten av patienterna är vuxna.

Delområden 2, Allvarliga gendermatoser
Sakkunniggruppen bedömer att för det definierade området rör det sig uppskattningsvis om ca 20-40 patienter/år, varav ca 20 operationer/år. Drygt 75 % av patientgruppen består av barn. Uppskattningsvis föds det varje år mellan 10-20 patienter med gendermatos av de typer som beskrivits här. Utöver det har det på senare år kommit enstaka patienter som flyktingar. Det totala antalet patienter som lever med dessa sjukdomar i Sverige uppskattas till mellan 500 och 1000 patienter.

Forskning

Delområde 1 Svåra hudsymtom
Forskning kring hudsjukdomar med svåra symtom sker på samtliga universitetskliniker. Det föreligger ett gott samarbete inom landet och delvis internationellt. Många svenska grupper är internationellt ledande. På flera ställen arbetar man med nya arbetssätt, t.ex. teledermatologi. En koncentration och samverkan mellan nationella enheter skulle möjliggöra en bättre forskning och utveckling av register. En koncentration skulle således kunna möjliggöra att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs, implementeras och utvecklas.

Delområde 2 Allvarliga gendermatoser
Då dessa sjukdomstillstånd är mycket sällsynta är det svårt att bedriva forskning inom området om patienterna inte koncentreras. Dock är området, även vid en koncentration, så pass smalt att det behövs internationella kontakter för kunskapsutbyte och utveckling inom området. Medlemskap i internationella nätverk (t.ex. ERN-Skin) blir därmed centrala. Då diagnoserna är så pass ovanliga är det en mycket god idé att skapa nationella uppföljningsprogram och kvalitetsregister. Detta för att förenkla den kliniska uppföljningen och vidareutvecklingen av densamma.

Internationell utblick

Delområde 1, Svåra hudsymtom
En koncentration av specifikt ”svåra hudsymtom” har inte ägt rum i våra nordiska grannländer. Dock finns en viss koncentration rörande slutenvård. I Norge finns det exempelvis dedikerade slutenvårdsplatser för dermatologiska patienter i Oslo (13 st), Bergen (9 st), Trondheim (5st) och Tromsö (4st). Många av dessa orter har även dedikerade sängplatser på patienthotell.

Delområde 2, Allvarliga gendermatoser

I Storbritannien har man haft en tydlig koncentration av patienter med epidermolysis bullosa till ett fåtal centra. I Frankrike finns fyra centra för gendermatoser. En dylik koncentration på nationell nivå har inte skett i något av de nordiska länderna. Ett framtida scenario skulle kunna vara att NHVe fungerar som ett skandinaviskt centrum för personer med allvarliga gendermatoser.

Framåtblick

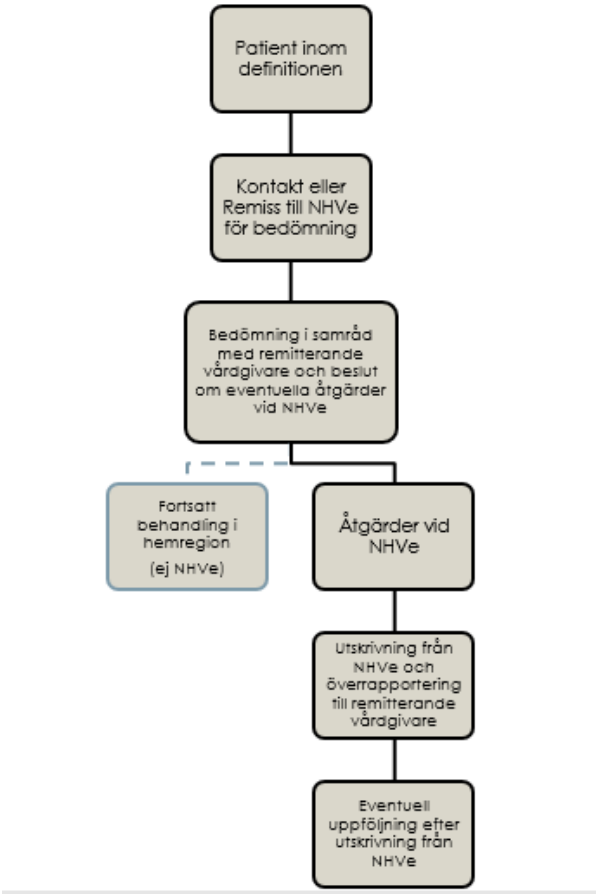
Sakkunniggruppen föreslår att personer med svåra hudsymtom och med allvarliga gendermatoser, ska remitteras till nationella enheter (NHVe). Sakkunniggruppen föreslår vidare att dessa enheter ska ansvara för både barn och vuxna. Vid en NHVe ska rådgivning, utredning, behandling och uppföljning utföras. De framtida nationella enheterna ansvarar för att sprida information om sina verksamheter samt om hur remittering ska ske. Nedan följer sakkunniggruppens förslag på hur vård vid nationella enheter skulle kunna se ut samt hur remittering till dessa enheter ska ske.

När en patient remitteras till ett NHVe sker en bedömning av patientens och hemregionens förutsättningar för fortsatt behandling. Den initiala bedömningen om eventuella åtgärder vid NHVe görs i samråd med remitterande vårdgivare (figur 1). NHVe ska vid kontakt och remittering, om möjligt, kunna erbjuda exempelvis bedömning/ställningstagande till behandling på distans genom exempelvis digitala multidisciplinära konferenser. NHVe ska även tillhandahålla inneliggande behandling och uppföljning vid behov. NHVe bör kunna fungera som konsultativt stöd till andra regioner och/eller kommuner, exempelvis återkoppling i form av rekommendationer avseende utrednings- och behandlingsinsatser. Vid inneliggande vård inom NHVe bör regelbunden återrapportering och planering ske med hemregionen. NHVe avgör när ansvaret och fortsatt behandling därefter kan övertas av patientens hemmaregion. NHVe ansvarar för utskrivning tillbaka till hemmaregionen men planeringen görs i samråd mellan patienter, hemmaregionen och NHV.

För personer med svåra hudsymtom (delområde 1) ska kontakt och eventuell remittering till NHVe initieras när hemortssjukhuset inte klarat av att fastställa en korrekt diagnos, och/eller när sedvanlig behandling ger otillräcklig effekt, och/eller när inneliggande vård kan övervägas. När en patient uppvisar svåra hudsymtom och faller in i något/några av ovanstående kriterier, kontaktar hemortssjukhuset det NHVe som geografiskt ligger närmast patientens hemort, för rådgivning, bedömning eller behandling. Patienterna ska kunna läggas in på en nationell enhet för en inneliggande behandling när behov finns. Det är då upp till NHVe att avgöra vilket NHVe som ska vårda patienten. Om rätt förutsättningar finns kan den inneliggande vården bedrivas i patientens hemregion efter överenskommelse med NHVe. Samtliga NHVe för delområde 1 förväntas utarbeta gemensamma vårdprogram och samarbeta kring slutenvårdsplatser. Det kommer röra sig som om ca 1000 vårdtillfällen/år per enhet inom öppenvård och 450 vårdtillfällen/år per enhet inom slutenvård. Varje NHVe ska ha minst sex slutenvårdsplatser till förfogande för patienter med svåra hudsymtom för att kunna upprätthålla behovet av inneliggande vård för patientgruppen i landet.

För personer med allvarliga gendermatoser (delområde 2) ska kontakt tas med nationell enhet vid misstanke om gendermatos, för rådgivning och vid

behov handläggning. Många personer med gendermatoser kan behandlas inom läns- eller regionsjukvård med rätt stöd och rådgivning från ett NHVe, och behöver således inte alltid remitteras. NHVe ska säkra tillgång till inneliggande vård för personer med allvarliga gendermatoser på specialutbildad avdelning.



Figur 1. Potentiellt vårdflöde från kontakt/remiss till åtgärder vid nationella vårdenheter för delområde 1 och 2.

Hudsjukdomar förekommer i olika svårighetsgrader och därför bör symtom avgöra remittering och inte diagnos för delområde 1. De mest komplexa fallen av svåra hudsymtom är svårbehandlade och kräver multidisciplinärt samarbete och eller snabbt omhändertagande inom slutenvård. Samarbetet med närliggande specialiteter väntas också öka i framtiden. En koncentration av vården skulle öka förutsättningarna för samarbeten och möjliggöra en multidisciplinär vård. Ett stort problem idag är det stora antal patienter som går odiagnostiserade. En koncentration till fem enheter skulle säkerhetsställa att dessa patienter får rätt diagnos och behandling i ett tidigt stadie. En koncentration skulle även ge bättre förutsättningar för uppföljning och utvärdering då vården förväntas bli standardiserad med NHV. Koncentration till fem enheter, och inte färre, är viktigt för tillgänglighet och den geografiska spridningen, speciellt för äldre multisjuka som kan ta skada av allt för långa resor.

Även för yngre patienter, som i regel har ett socialt sammanhang, familj och åtagande på hemorten, kan en allt för liten geografisk spridning vara negativt för vårdförloppet.

Bristen på slutenvårdsplatser föreligger i landet och patienter med mer akuta tillstånd tränger undan hudpatienter. Bildandet av nationell högspecialiserad vård för dermatologiska patienter skulle därmed möjliggöra att de ges en större chans till slutenvård när behov förefaller. Nationell högspecialiserad vård skulle även öka förutsättningarna för att säkra multidisciplinär kompetens och fortsatt utveckling inom området.

Inom dermatologi- och venereologi finns flera andra komplexa tillstånd där det krävs multidisciplinära samarbeten för diagnostik och behandling. Huvudsakligen handläggs dessa patienter polikliniskt och därför har de inte inkluderats i denna genomlysning. Exempelvis har arbets-och miljödermatologi utpekats av (NPO) Hud- och könssjukdomar som ett område som behöver en separat genomlysning, men att inkludera även dessa områden i denna utredning har bedömts vara ohanterligt. Emellertid utgör den organisation av främst den inneliggande vården som presenteras i denna rapport för delområde 1, att dessa patienter, om de uppfyller givna kriterier, kommer att ges vård inom föreslagna ramar. NHVe kan också fungera som ett stöd i regionernas arbete med att stärka kompetensen kring dessa patientgrupper.

Sakkunniggruppen bedömer att trots att gendermatosvården i stort sätt redan är koncentrerad, så skapar dock bristen på formalisering att patienter kan undanhållas den vård som skulle kunna förbättra deras tillstånd. En formaliserad koncentration inom ramen för NHV med faktiska skall-krav att patienter skall remitteras till NHV-centra skulle förhoppningsvis lösa det problemet. Vidare bedömer sakkunniggruppen att en formalisering av ett NHV-centrum kan förenkla uppbyggnaden av en livslång uppföljning och vård av de patienter som behöver multidisciplinär vård hela livet. Detta ska ske i samarbete och kommunikation med patientens hemortssjukhus, där huvuddelen av patientens omvårdnad kommer att utföras. Det finns även förutsättningar för att ett svenskt NHV-centra skulle kunna bli ett Skandinaviskt centra för vissa av de mer allvarliga gendermatoserna.

Behovet av multidisciplinär och högspecialiserad handläggning av svåra hudsymtom och gendermatoser (enligt föreslagen definition) är ovanligt och det behövs en kritisk massa för att bygga upp och behålla kunskap om tillstånden inom de multidisciplinära vårdkedjorna. Sakkunniggruppen bedömer att det finns en vinst med att koncentrera dessa på nationell nivå till ett fåtal enheter.

Hudkliniker behöver fortsatt stöd för att välja mest lämplig terapi för den enskilde patienten och i detta sammanhang kan systematiskt insamlade registerdata ha ett tydligt värde. Att understödja forskning och fortbildning kommer fortsatt att vara av stor betydelse för att tillgodose kraven på likvärdig och adekvat terapi som dessutom är kostnadseffektiv. En koncentration av föreslagen vård skulle kunna möjliggöra detta då NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs, implementeras och utvecklas. Data visar att det kan ta uppemot 17 år för vården att implementera

translationell forskning. Att det tar lång tid är synnerligen bekymmersamt och är något som behöver åtgärdas. NHVe ska också verka för att etablera ett internationellt samarbete inom tillståndsområdet. Att dra nytta av internationella erfarenheter och studier är nödvändigt och på nationell nivå måste det således finnas centra med gångbar internationell standard. I uppdraget som nationell vårdenhet ingår att man ska verka för forskning och utveckling. Sakkunniggruppen anser det vara önskvärt att NHVe verkar för forskning och utveckling såväl nationellt (dvs. samarbeten med icke-NHVe) som internationellt.

Personalized medicine (PM) har gjort landvinningar inom dermatologin och har möjliggjort både bättre behandling, tidig upptäckt och prevention av sjukdomarna. För att utveckla PM behövs dock bättre strategier för att utbilda och träna läkare och annan sjukvårdspersonal. Sakkunniggruppen bedömer att en koncentration ger bättre förutsättningar för utveckling av PM eftersom denna form av terapi är dyrbar vilket kräver att handläggningen sker där det finns tillräckligt med både kompetens och patientunderlag.

Artificiell intelligens (AI) förväntas att användas i allt högre grad inom medicinen och inom dermatologin har man redan kommit långt vad gäller diagnostik inom flera områden. Den pågående pandemin har visat att professionen snabbt kan ställa om när det verkligen gäller och här finns en potential att utveckla. Det man nu ser framför sig är ökad användning av AI i nära samverkan med specialiserade kliniker. Emellertid finns också skäl att tro att AI kommer att kunna användas för att underlätta uppföljning av komplicerade och långvariga sjukdomar och för att bedöma rimliga utfall av olika behandlingsstrategier. Dermatologin är i absoluta frontlinjen när det gäller AI och man kan förvänta sig effektiviseringar i vården till följd av detta. Behovet av att skicka patienter till NHVe kan således komma att bli mindre för dermatologiska patienter i framtiden i och med den teknologiska utvecklingen. Dock kommer det fortsatt finnas behov av fysiska NHVe för de mest komplexa fallen som är svårbehandlade och kräver multidisciplinärt omhändertagande inom slutenvård.

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.

Kompetens och resurser	
Kritisk läkarkompetens	**För båda delområdena gäller att personalresurserna ska ha särskild kompetens inom definitionen och kompetens och resurser för både barn och vuxna.** **Båda delområdena:** • Dermatolog • Dermatopatolog **Delområde 1 Svåra hudsymtom:** • Plastikkirurg som är specialiserad mot dermatologi **Delområde 2 Allvarliga gendermatoser:** • Klinisk genetiker
Andra typer av kritisk kompetens (t.ex. sjuksköterska, kurator, psykolog eller fysioterapeut med specialkompetens)	**För båda delområdena gäller att personalresurserna ska ha särskild kompetens inom definitionen och kompetens och resurser för både barn och vuxna.** **Båda delområdena:** • Specialiserad omvårdnadspersonal • Psykosocialt team bestående t.ex. av kurator, psykolog, psykiatriker **Delområde 2 Allvarliga gendermatoser:** • Sjukhusgenetiker • Dietist • Arbetsterapeut • Fysioterapeut
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	**Båda delområdena:** • Klinisk genetiskt laboratorium • Kliniskt patologilaboratorium • Klinisk bild- och funktionsmedicin • Tillgång till slutenvårdsplatser på barnklinik **Delområde 1 Svåra hudsymtom:** • Tillgång till minst 6 slutenvårdsplatser/nationell enhet • Intensivvård **Delområde 2 Allvarliga gendermatoser:** • Barnintensivvård • Tillgång till slutenvårdsplatser på specialutbildad avdelning

Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den föreslagna vården ska kunna bedrivas	**Båda delområdena:** • Infektionsmedicin • ÖNH • Tandvård **Delområde 1 Svåra hudsymtom:** • Klinisk farmakologi **Vid Delområde 2 Allvarliga gendermatoser behövs dessutom under kontorstid planerad tillgång till:** • Barnkirurgi, Barnurologi, Barnortopedi • Ögonklinik • Öron-näsa-halsklinik • Käk-kirurgi • Kärlkirurgi • Handkirurgi • Nefrologi • Neurologi • Endokrinologi • Ortopedi • Gastroenterologi • Gynekologi • Urologi • Reumatologi • Anestesiologi • Smärtklinik
Kritiska diagnostiska metoder	**Delområde 2 Allvarliga gendermatoser:** • Fotodokumentation • DNA-analyser
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	**Båda delområdena:** • Avancerad sårvård **Delområde 2 Allvarliga gendermatoser:** • Tillgång till medicinsk fotvård med Epidermolysis Bullosa specialisering
Rehabilitering som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (särskilt anpassad till behovet)	Inte aktuellt
Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	• NHVe förväntas utarbeta gemensamma vårdprogram. • NHVe förväntas samarbeta gällande slutenvårdsplatser för delområde 1. • 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 teledermatologiska konferenser som är landsomfattande inom definitionen. • NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.

Konsekvenser av rekommendationen

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.)	**Delområde 1 Svåra hudsymtom:** Från ett patientperspektiv förväntas tillgången till NHV leda till förbättrad vårdkvalitet. Nuläget är dock okänd, svårt att jämföra. Ökad trygghet för patienten eftersom de snabbare får träffa den specialkompetens de har störst behov av. Positiv vårdupplevelse eftersom patienten får rätt vård i rätt tid. Det kommer dock att påverka den geografiska närheten till vård med ev. långa resor som följd, samt begränsad möjlighet att få anhörigstöd under vårdtiden. För äldre multisjuka är transporten i sig ett praktiskt problem och en potentiell medicinsk risk. Utmanande att få hela kedjan att hänga ihop runt patienten (Insjuknande, utredning, behandling, hem). Vården kring dessa patienter förväntas att standardiseras med NHV vilket ger bättre förutsättningar för uppföljning och utvärdering. **Delområde 2 Allvarliga gendermatoser:** Formalisering av det sedan tidigare föreliggande nationella kompetenscentrumet. Detta tydliggör patientens rättigheter att få NHV-centrats resurser sig tillgodo.

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	Förbättrad vårdkvalitet och prognos när sällsynta och avancerade ingrepp koncentreras. Ökad trygghet (och minskad rädsla) för patienten med vetskap att erfarenhet finns – ökad livskvalitet. Tydligt för patienter var kunskap/erfarenhet finns och vart den lokala vården ska vända sig. Närheten påverkas inte då ingen förändring görs mot hur det föreliggande nationella kompetenscentrumet fungerat. Sakkunniggruppen ser ingen risk för negativ påverkan på tillgänglighet. Snabbare och säkrare remissvägar
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	**Delområde 1 Svåra hudsymtom:** Ökad spetskompetens hos utförare på NHV enheter. Utmaning i utbildnings-och forskningsuppdrag när patienturvalet begränsas vid vissa kliniker. ST-utbildning kan påverkas negativt utanför NHV enheter. Användning av distansöverbryggande teknik till kompetensöverföring och fortbildning bör säkerställas mellan NHV enheter och övriga kliniker runt i landet för att behålla kvar kompetensen regionalt. **Delområde 2 Allvarliga gendermatoser:** Tydligare ansvar för kompetensöverföring och kompetensförsörjning och kontinuitet. Möjlighet att bygga upp en stående organisation även för vuxna patienter med behov av inneliggande vård.
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	**Båda delområdena:** Koncentration och samverkan mellan nationella enheter möjliggör betydligt bättre forskning och utveckling av register. Sakkunniggruppen ser inga nackdelar.
Påverkan på närliggande områden	**Delområde 1 Svåra hudsymtom:** Det finns en viss risk för undanträngning av andra patientgrupper (som är i behov av samma resurser) på de enheter som blir NHV, t ex. gällande slutenvårdsplatser. **Delområde 2 Allvarliga gendermatoser:** Ingen sådan problematik finns.

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.	**Delområde 1 Svåra hudsymtom:** Inga stora risker **Delområde 2 Allvarliga gendermatoser:** Antalet fall är så begränsat att ingen ökad belastning torde ske på akutsjukvården på det centra som blir NHV-centra. Ingen negativ påverkan på övriga sjukhus kommer att förekomma. Istället ökar möjligheterna att veta vem man som vårdgivare kontaktar i en akutsituation.
Påverkan på vårdkedjan	**Delområde 1 Svåra hudsymtom:** Det finns en risk att den vårdkedja som finns idag påverkas. Länssjukhuset kommer kunna remittera en patient direkt till en NHV-enhet istället för till respektive Regionsjukhus om den inte utgör en NHV-enhet. Därför krävs en tydlig kommunikation/överrapportering med hemregionen och regionsjukhuset där NHVe tar ett stort ansvar. **Delområde 2 Allvarliga gendermatoser:** NHV-förslaget är en formalisering och fördjupning av det samarbete som redan föreligger. Vårdkedjan kommer således att stärkas. Enklare för enskilda vårdgivare att få hjälp med bedömningar.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	**Delområde 1 Svåra hudsymtom:** Att ansvara för NHV enheter kan medföra ökade personalkostnader, behov av bemanning 24/7, tillgång till ett ökat antal vårdplatser, ökade kostnader för lab. och bildmedicin. Samtidigt kan verksamheten eventuellt planeras bättre, ge bättre förutsägbarhet och trygghet. **Delområde 2 Allvarliga gendermatoser:** En multidisciplinär organisation för att ta hand om allvarliga gendermatoser måste byggas upp på det centra som får NHV-uppdraget. Detta kommer att öka kostnaderna marginellt.
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	**Delområde 1 Svåra hudsymtom:** I regel planerade transporter, sällan akuta. **Delområde 2 Allvarliga gendermatoser:** Dessa patienter är i regel inte i behov av särskilda transporter.
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	**Delområde 1 Svåra hudsymtom:**

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	Dermatologin i absoluta frontlinjen när det gäller artificiell intelligens och man kan förvänta sig effektiviseringar i vården till följd av detta. Behovet av att skicka patienter till NHVe kan således komma att bli mindre för dermatologiska patienter i framtiden i och med den teknologiska utvecklingen. **Delområde 2 Allvarliga gendermatoser:** Det finns förutsättningar för att ett svenskt NHV-centra skulle kunna bli ett Skandinaviskt centra för vissa av de mer allvarliga gendermatoserna.
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). Uppföljningsmåtten ska utgå från nedan mall. Uppföljningsmåtten kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Förslag till uppföljningsmått

Uppföljningsmått*	**Beskrivning**
Bakgrundsmått	Antal remisser till NHVe
Bakgrundsmått	Antal behandlade vid NHVe
Bakgrundsmått	Andel behandlade vid NHVe Täljare: Antal behandlade Nämnare: Antal remisser
Bakgrundsmått	Vårdtid Datum för utskrivning minus datum för inskrivning
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss till bedömning Datum för bedömning minus datum för remiss
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss (alt bedömning) till behandling/åtgärd Datum för behandling/åtgärd minus datum för remiss (alt bedömning)
Medicinska resultat	Överlevnad
Medicinska resultat	Komplikation
*För alla indikatorer följs demografisk data upp: • Ålder • Kön	

- Remitterande region?
- Patientens folkbokföringsregion?

Referenser

Detta underlag är ett förslag på vilken vård som bör koncentreras till nationella vårdenheter.

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

Deltagare i sakkunniggrupp

Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Britta Krynitz, specialist i klinisk patologi och specialist i hud- och könssjukdomar
Sydöstra sjukvårdsregionen: Moustafa Elmasry, specialist i plastikkirurgi
Norra sjukvårdsregionen: Virginia Zazo, specialist i hud- och könssjukdomar
Södra sjukvårdsregionen: Åke Svensson, specialist i hud- och könssjukdomar
Västra sjukvårdsregionen: Olle Larkö, specialist i hud- och könssjukdomar
Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Johan Danielsson, specialist i barn- och ungdomskirurgi

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

Malin Netz, Ordförande, Svenska Epidermolysis Bullosa-föreningen
Iwona Höglund, Vice ordförande, Svenska Epidermolysis Bullosa-föreningen

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).

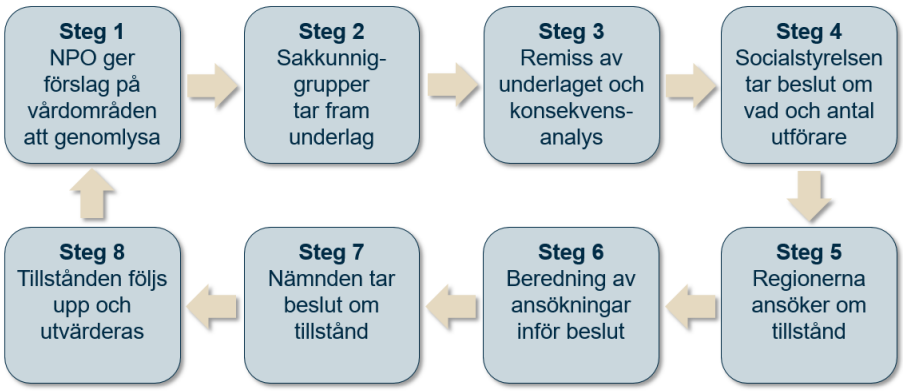
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

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.

Genomlysning av vårdområdet brachyterapi vid huvud- och halscancer som nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag
Remissversion

Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för huvud- och halstumörer vårdområdet brachyterapi vid huvud- och halscancer 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 ställen 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
Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård 7
Avgränsningar 8
Bakgrund 9
Framåtblick 11
Förslag till särskilda villkor 12
Konsekvenser av rekommendationen 14
Uppföljning och utvärdering 16
Referenser 18
Deltagare i sakkunniggrupp 19
Om nationell högspecialiserad vård 20

Ordlista

NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
Brachyterapi	Strålbehandling som ges i direkt kontakt med cancertumören

Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet brachyterapi vid huvud- och halscancer att brachyterapi med efterladdningsteknik vid huvud- och halscancer ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid två vårdenheter.

Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art samt att det krävs en viss volym för att upprätthålla kompetensen och bedriva högkvalitativ forskningen. Vidare krävs speciell utrustning anpassade för ändamålet.

Brachyterapi kan tillföra ett värde för patienten och det är därför en metod där det är betydelsefullt att bibehålla kompetensen inom landet.

Volymen beräknas till cirka 35 patienter per år och fördelat på två enheter ges förutsättningar att systematiskt utvärdera metoden för att stärka det vetenskapliga underlaget.

Konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva då metoden, genom att säkra kompetens, kan bevaras och utvecklas. Sakkunniggruppen bedömer att akutsjukvården inom detta område inte kommer påverkas samt att inte heller omkringliggande områden kommer påverkas.

Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Brachyterapi med efterladdningsteknik vid huvud- och halscancer ska utgöra nationell högspecialiserad vård.

Antal enheter

Två enheter.

Avgränsningar

Området är välavgränsat.

Bakgrund

Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

Brachyterapi med efterladdningsteknik är en form av närbestrålning där radioaktiva preparat placeras i eller i omedelbar närhet till tumören. I motsats till yttre strålbehandling behöver denna strålning inte passera friska vävnader för att nå tumören. Det innebär unika möjligheter att öka stråldosen till tumören och minska bieffekterna till omkringliggande frisk vävnad. Behandlingstiden vid brachyterapi är kort i jämförelse med yttre strålbehandling (behandlingstid på 6-7 dygn jämfört med 6-7 veckor).

Det krävs speciell efterladdningsutrustning, liksom dosplaneringssystem, anpassade för ändamålet. Verksamheten behöver även speciellt strålskydd enligt Strålsäkerhetsmyndighetens krav. Brachyterapikunskap och utrustning finns i olika former vid samtliga universitetssjukhus, men rör då ofta i huvudsak andra indikationer (framförallt gynekologisk- och prostatacancer).

Brachyterapi av huvud- och halstumörer har en mycket lång historia, men ersattes till övervägande del av extern strålbehandling då moderna acceleratorer kom i bruk i mitten av 1900-talet. Verksamheten saknades i princip under decennier men återkom på 90-talet till följd bland annat av förbättrad teknik. Metoden är således en etablerad metod inom huvud- och halsområdet, men har inte systematiskt utvärderats med avseende på effektivitet i jämförelse med den mer allmänt förekommande externa strålbehandlingen. Dess plats som del av rutinbehandling för huvud- och halscancer är därmed inte utredd, men den kan ibland anses utgöra ett alternativ eller komplement till extern strålbehandling.

I Sverige har metoden använts för behandling av huvud- och halscancer sedan åtskilliga år, i huvudsak vid tre universitetssjukhus. Hos dessa har frekvensen och indikationerna fluktuerat. I vissa situationer, som till exempel vid bestrålning av tumör i tidigare strålbehandlat område, kan det vara uppenbart att brachyterapi ger en dosfördelning som minskar risken för allvarliga komplikationer. Metoden kan således tillföra ett värde för patienten och det är därför en metod där det finns ett värde i att bibehålla kompetensen inom landet.

Vårdvolymer

Enligt huvud- och halscancerregistret behandlades år 2015-2018 totalt 140 patienter med brachyterapi fördelade på följande universitetssjukhus; Karolinska 71, Örebro 53, Sahlgrenska 9 och Lund 6. Volymen är alltså cirka 35 patienter per år.

Forskning

Forskningen rörande brachyterapins plats i behandlingsarsenalen rör i huvudsak rapportering av retrospektiva data och icke-kontrollerade studier med låg

evidens. En icke-kontrollerad studie pågår nationellt inom onkologin för att kartlägga effekterna av strålbehandling av tidigare behandlade volymer och de effekter och biverkningar denna ger. I den studien (ARTSCAN V) används den metod som bedöms ge den mest gynnsamma dosfördelningen för patienter genom att använda konventionell strålbehandling, protoner eller brachyterapi. I dagsläget finns inga randomiserade studier avseende effekten av brachyterapi.

Då det i dagsläget varierar i hur stor utsträckning brachyterapi ingår i behandlingen för huvud- och halstumörer är det svårt att bedriva prospektiva högkvalitativa studier. En nationell koncentration av brachyterapin skulle möjliggöra detta.

Internationell utblick

Brachyterapi vid huvud- och halscancer förekommer i många länder och tycks ofta, som i Sverige, ha koncentrerats till sjukhus där man av olika skäl intresserat sig för metoden. Däremot är det ovanligt att brachyterapin formellt är centraliserad, då det i Europa varierar i vilken utsträckning brachyterapin används vid huvud- och halscancer. I Storbritannien, Danmark och Norge ingår inte brachyterapi i de områden som centraliserats. I Finland har all behandling av huvud- och halscancer centraliserats till de fem universitetssjukhusen.

Framåtblick

Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

Eftersom brachyterapi med efterladdningsteknik vid huvud- och halscancer har vissa fördelar i utvalda fall, är det av stort värde att kompetens på denna teknik upprätthålls och att forskningen utvecklas. NHVe får ansvar för metodens utveckling och fortlevnad.

I de fall metoden används i speciella situationer, såsom behandling inom tidigare strålbehandlat område, är det viktigt att en prospektiv uppföljning görs av såväl tumörkontroll som bieffekter. I dessa fall kan åtgärden ofta ses som en palliativ åtgärd, men med förhoppning om längre tids tumörfrihet.

Samma mått som används i Svenskt kvalitetsregister för huvud- och halscancer bör användas också för dessa fall. Dock innehåller detta register sparsamt med data rörande genomförd strålbehandling, komplikationer och patientrapporterade biverkningar. Registret bör kompletteras för att kunna göra meningsfulla tolkningar.

Patienter med relevant diagnos och situation som kan vara aktuella för brachyterapi ska först diskuteras på en nationell multidisciplinär konferens (som kan samordnas med konferens för huvud- och halstumörer). Vårdprocessen från utredning till uppföljning ska samordnas och koordineras av kontaktsjuksköterska och koordinator. Individuella vård- och rehabiliteringsplaner ska upprättas tillsammans med patienten och följa patienten mellan NHVe och hemortssjukhuset.

Förslag till särskilda villkor

Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilka särskilda villkor som ska gälla för tillstånden. Generella villkor regleras i föreskriften för 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 läkarkompetens	• Onkolog med vana att genomföra brachyterapi i huvud- och halsområdet
Andra typer av kritisk kompetens	• Kirurg med specialisering på öron- näsa- och halssjukvård med intresse för metoden • Brachyterapiinriktad sjukhusfysiker • Radiolog • Sjuksköterska med särskild kompetens inom omvårdnad vid onkologi och huvud- och halscancer • Koordinator för standardiserade vårdförlopp
Kritiska medicinska resurser	• Strålskyddade lokaler lämpliga för verksamheten • Efterladdningsutrustning • Dosplaneringssystem
Andra områden som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas	• Tillgång till kurator • Tillgång till dietist • Tillgång till smärtenhet
Kritiska diagnostiska metoder	Inte aktuellt
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV	Inte aktuellt
Rehabilitering	Inte aktuellt
Övrigt	• NHVe ska diskutera patienter aktuella för brachyterapi på en MDK, vilket med fördel kan samorganiseras med resterande tillstånd för huvud- och halstumörer • NHVe ska ansvara för att bedriva aktiv forskning och vårdutveckling samt utveckla vårdprogram inom området • NHVe ska koordinera vårdprocessen och tillsammans med patienten upprätta individuell vård- och rehabiliteringsplan

	• 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.

Konsekvenser av rekommendationen

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 landstingen 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.)	Säkerställa att metoden även framgent kan erbjudas utvalda patienter tack vare att metoden bevaras och utvecklas. Ingen skillnad på patienternas resor då detta till stor del redan är koncentrerat idag.
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	Större möjligheter att bibehålla kompetens på metoden. Ingen annan effekt på utbildningen då metoden redan är koncentrerad.
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	Möjligheterna tros öka att bedriva högkvalitativ forskning om det blir mer formaliserat vem som har uppdraget.
Påverkan på närliggande områden	Ingen
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.	Ingen
Påverkan på vårdkedjan	Ingen eller helt obetydlig då dessa patienter remitteras redan idag.

Forts. Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	NHVe behöver strålskyddade lokaler och utrustning för verksamheten. Det är lättare att investera i en verksamhet som man vet att man kommer att kunna bibehålla om man tilldelas ett nationellt uppdrag.
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	Försumbar
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	Idag finns inte tydliga tecken på att verksamheten skulle öka. Snarare viktigt att behålla viss kunskap och kompetens för detta i landet. Vid ett oförutsett paradigmskifte med en kraftigt ökande verksamhet behöver metoden spridas. Finns den då i Sverige underlättas en sådan process.

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). Uppföljningsmåtten ska utgå från nedan mall. Uppföljningsmåtten kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Förslag till uppföljningsmått

Uppföljningsmått*	**Beskrivning**
Bakgrundsmått	Antal remisser till NHV
Bakgrundsmått	Antal behandlade vid NHVe
Bakgrundsmått	Andel behandlade vid NHVe Täljare: Antal behandlade Nämnare: Antal remisser
Bakgrundsmått	Vårdtid Datum för utskrivning minus datum för inskrivning
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss till bedömning Datum för bedömning minus datum för remiss
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss (alt bedömning) till behandling/åtgärd Datum för behandling/åtgärd minus datum för remiss (alt bedömning)
Medicinska resultat	Överlevnad
Medicinska resultat	Komplikation
	*För alla indikatorer följs demografisk data upp: • Ålder

	• Kön • Remitterande region • Patientens folkbokföringsregion

Referenser

Sakkunniggruppen har inte identifierat några vetenskapliga artiklar eller annan relevant evidens som undersöker frågeställningen om koncentration av viss vård inom området ” Brachyterapi med efterladdningsteknik vid huvud- och halscancer”. Deras bedömning utgår från internationell utblick, klinisk erfarenhet och kunskap om den svenska sjukvårdens struktur inom området.

Deltagare i sakkunniggrupp

Region	Representant
Uppsala-Örebro samverkansregion	Tomas Ekberg, specialist i otorhinolaryngologi, huvud- och halskirurgi Ylva Tiblom Ehrsson, kontaktsjuksköterska och forskare (även verksam i Södra sjukvårdsregionen)
Norra samverkansregionen	Katarina Zborayova, specialist i otorhinolaryngologi, huvud- och halskirurgi (avslutat sitt uppdrag i gruppen 200827) Björn Zackrisson, specialist i onkologi
Stockholm-Gotland samverkansregion	Ulf Hedin, specialist i kärlkirurgi samt allmän kirurgi Lalle Hammarstedt Nordenvall, specialist i otorhinolaryngologi, huvud- och halskirurgi
Sydöstra samverkansregionen	Beatrix Kovacsovics, specialist i neuroradiologi Jahan Abtahi, specialist i otorhinolaryngologi samt käkkirurgi
Södra samverkansregionen	Anna Hafström, specialist i otorhinolaryngologi, huvud och halskirurgi Stina Klasson, specialist i ortopedi samt plastikkirurgi
Västra samverkansregionen	Lisa Tuomi, logoped Eva Sanderoth Hammerlid, specialist i otorhinolaryngologi, huvud- och halskirurgi
Patientföreträdare	Owe Persson, Mun- och halscancerförbundet

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).

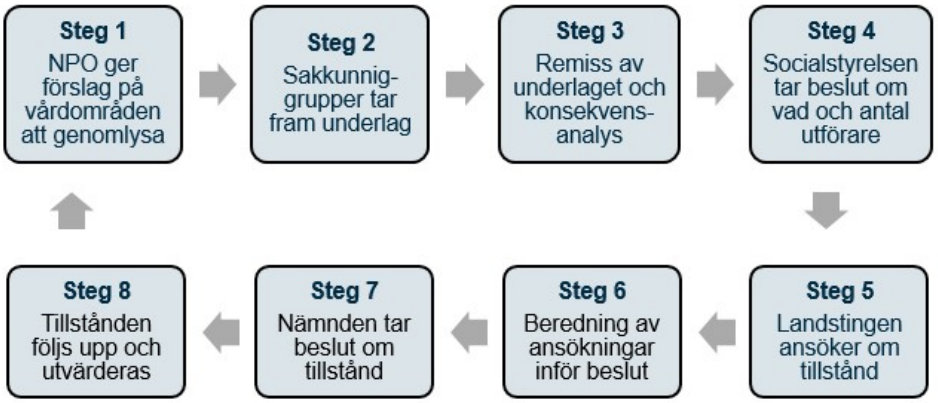
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

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 landstingens struktur för kunskapsstyrning 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 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 för 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.

Socialstyrelsen sammanställer inkomna synpunkter på sakkunniggruppernas underlag efter att de har varit ute på remiss och därefter tas ett slutgiltigt underlag fram. Underlagen lämnas över till de nationella programområdena för granskning. Målsättningen är att det nationella programområdet ställer sig bakom förslagen till nationell högspecialiserad vård.

Slutligen beskriver propositionen att Socialstyrelsen beslutar vilka åtgärder som ska nivåstruktureras samt antalet vårdenheter i landet som får utföra åtgärderna.

Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilket eller vilka landsting som ska få bedriva definierad vård på nationell nivå.

Genomlysning av vårdområde hypertrofisk obstruktiv kardiomyopati som nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag
Remissversion

Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för Vissa kateteringrepp hjärta vårdområdet hypertrofisk obstruktiv kardiomyopati (HOCM) 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 ställen 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
Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård 7
Beskrivning av det definierade området 8
Förslag till särskilda villkor 12
Konsekvenser av rekommendationen 14
Uppföljning och utvärdering 17
Deltagare i sakkunniggrupp 18
Referenser 19

Ordlista

ACE	angiotensin converting enzyme
EKG	elektrokardiogram
ICD	implantable cardioverter defibrillator
HOCM	hypertrofisk obstruktiv kardiomyopati
MDK	multidisciplinär konferens
NHV	nationell högspecialiserad vård
NHVe	nationell högspecialiserad vårdenhet

Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet isolerad hypertrofisk obstruktiv kardiomyopati (HOCM) att det som framgår av tabellen nedan ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid två vårdenheter.

Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art, kräva en viss volym, multidisciplinär kompetens och stora investeringar och medför höga kostnader. Vården är multidisciplinär då bland annat kateterinterventionist, ekokardiograför, thoraxkirurg och thoraxanestesiolog (samtliga med erfarenhet av denna patientgrupp) behövs.

Sakkunniggruppen anser att vårdvolymerna talar för 1 eller 2 enheter men att 2 enheter skapar förutsättningar för utveckling av området och utvärdering av behandlingsmetoder då forskningen idag är begränsad på detta område. Dessutom ökar förutsättningarna för gemensamma diskussioner gällande patienter och val av behandlingsmetod. 2 enheter är också mindre sårbart än 1 enhet.

Konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva eftersom de skapar förutsättningar för bättre vårdresultat och utveckling av området. Sakkunniggruppen bedömer att akutsjukvården inom detta område inte kommer att påverkas.

Sakkunniggruppen ser inga omkringliggande områden som kan påverkas av en koncentration.

Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Patienter med isolerad hypertrofisk obstruktiv kardiomyopati (HOCM) ska bedömas inför eventuell behandling samt behandlas med exempelvis, men inte uteslutande, alkoholablation eller kirurgisk åtgärd på en nationell högspecialiserad vårdenhet (NHVe).

Vård att koncentrera (vårdåtgärd/åtgärder)	**Avgränsning** (hälsotillstånd)
- Bedömning inför behandling - Behandling med exempelvis septal alkoholablation alternativt kirurgisk myektomi	Patienter med isolerad HOCM (hypertrofisk obstruktiv kardiomyopati) med uttalad symptomatologi till följd av klinisk signifikant utflödesobstruktion trots optimal medicinsk behandling

Antal enheter

2 enheter

Beskrivning av det definierade området

Nuläge

Sammanfattning

Hypertrofisk kardiomyopati med uttalad symptomatologi till följd av signifikant utflödesobstruktion (> 50 mm Hg i vila eller med fysiologisk belastning) trots optimal medicinsk behandling kan behandlas med septal alkoholablation alternativt kirurgisk myektomi. Val av metod beror på anatomiska förhållanden, patientens ålder och samsjuklighet, där man oftare väljer alkoholablation till äldre patienter.

I dagsläget utförs ca 40–50 ablationer per år i landet. Kirurgiska isolerade ablationer är betydligt färre där en uppskattning bör ligga kring 10–15 per år utifrån tidigare statistik. Båda ingreppen är behäftade med en viss komplikationsrisk. Metoderna förefaller ha likvärdig symptomlindrande effekt men risken för pacemakerbehov är något större vid alkoholablation.

Prevalens, symtom och diagnostik

Hypertrofisk kardiomyopati är den vanligaste ärftliga hjärtsjukdomen. Förekomsten är cirka 1/500–1/1000. Sjukdomen uppvisar en heterogen klinisk bild bland annat beroende på stor variation av genuttrycken där man identifierat ett mycket stort antal genetiska varianter associerade till sjukdomen. Till detta är penetransen variabel. De flesta drabbade har endast lindriga symptom men för vissa kan allvarliga och livshotande symptom förekomma. Sjukdomen innebär att patienterna drabbas av en förtjockning av hjärtmuskeln, i vissa fall med en betydande obstruktion av vänster kammares utflödesdel. Symptomen kan variera från andfåddhet vid ansträngning till allvarliga rytmrubbningar, svimning, hjärtsvikt och plötslig död.

Sjukdomen upptäcks ibland vid hälsoundersökning där man kan finna EKG-förändringar som vid hypertrofi eller blåsljud vilket leder till att ultraljudsundersökning av hjärtat görs. Vid ultraljud kan man finna i princip hypertrofi av alla delar av hjärtat medan septal hypertrofi med ökade hastigheter över vänsterkammares utflödesdel ses hos en tredjedel under viloförhållanden. En ökad gradient kan provoceras vid fysisk belastning hos ytterligare en tredjedel.

Förutom ultraljudsdiagnostik rekommenderas fysiologisk belastning på arbetsprov, i vissa fall magnetkamera för att utesluta alternativa diagnoser. Genetisk utredning erbjuds i dagsläget vid alla universitetssjukhus. Strukturerad uppföljning av patienter och släktingar rekommenderas.

Behandling
I dagsläget finns ingen säkert dokumenterad medicinsk behandling som påverkar progress av sjukdomen. Behandlingen inriktas på symptomlindring och kan utgöras av bland annat betablockerare, verapamil eller disopyramid. Vid systolisk svikt kompletterat med ACE-hämmare, angiotensinreceptorblockerare eller i vissa fall även biventrikulär pacemakerbehandling. För en mindre grupp av patienter föreligger en ökad risk för plötslig död där en implanterad defibrillator är av avgörande värde. Det finns dokumenterade riskfaktorer som stöd vid beslut om primärprofylaktisk ICD.

Septal myektomi eller alkoholablation
Vid uttalad symptomatologi till följd av signifikant utflödesobstruktion (> 50 mm Hg i vila eller med fysiologisk belastning) trots optimal medicinsk behandling övervägs alkoholablation eller septal myektomi. Alkoholablation innebär att 1–3 ml etanol injiceras i en septalgren av hjärtats kranskärl som försörjer septum. Under ingreppet kontrolleras att utbredningen av påverkan på hjärtmuskeln är adekvat med ultraljud. Etanolen ger en nekros av hjärtmuskeln som succesivt skrumpnar. Full bedömning av (eventuell) effekt kan ses först efter ca tre månader. Risk finns för skada av hjärtats retledningssystem med pacemakerbehov som följd.

Myektomi, så kallad Morrow plastik innebär att, efter sternotomi och i hjärtlungmaskin, en ca 3–7 cm lång resektion av kammarseptum utförs. Detta sker ibland med samtidig mitralisklaffplastik.

Val av metod beror på anatomiska förhållande och patientens ålder och samsjuklighet, där man oftare väljer alkoholablation till äldre patienter.

Prognos
Det är oklart i vad utsträckning de respektive ingreppen skiljer sig åt avseende påverkan på patientens prognos, randomiserade studier saknas. Emellertid finns det väl dokumenterat att ingreppen kan ge så väl symptomatisk lindring som förbättrad hemodynamik. Metoderna förefaller ha likvärdig symptomlindrande effekt men risken för pacemakerbehov är något större vid alkoholablation.

Vårdvolymer och enheter som bedriver vården idag
I dagsläget utförs alkoholablationer vid Karolinska sjukhuset (ca 25-30/år), Södersjukhuset (ca 5/år) och Sahlgrenska sjukhuset (ca 15/år) (egenrapporterade siffror). Enstaka ablationer har tidigare utförts även i Lund och Linköping men numera remitteras patienterna till Sahlgrenska sjukhuset.

Myektomi utförs i liten omfattning vid alla thoraxkirurgiska kliniker i landet, enstaka fall per år i de flesta fall.

Risker för komplikationer
Risken för arytmier och akut behov av pacemaker vid alkoholablation beror oftast på den myocardskada som induceras vid behandlingen. Även akut

hjärtsvikt, tamponad, coronarkärlsdissektion och perforation samt felaktig alkoholinjektion kan förekomma. Dödligheten är låg, i en skandinavisk multicenterstudie på 313 patienter låg den på 0,3 procent.

Vid myektomi kan sedvanliga komplikationer till öppen thoraxkirurgi såsom bland annat blödning och postoperativ infektion inträffa.

Aktuella vårdresultat och förutsättningar att följa dessa

I dagsläget finns inget nationellt kvalitetsregister dedikerat till hypertrofisk kardiomyopati. Ett register är under utveckling i samarbete med Uppsala Clinical Research Center men lär inte vara sjösatt de närmaste åren. Det finns en gemensam skandinavisk databas där en mängd variabler registreras och som torde vara till fyllest som register i väntan på ett nationellt register. Patienter som genomgår alkoholablation bör också registreras i Svenska koronarangiografi- och angioplastikregistret (SCAAR) under PCI, indikation kardiomyopati, segment 20, annan terapi. Det är oklart om så görs konsekvent i dagsläget men det skulle skapa en möjlighet att lätt identifiera patienterna i den mån man inte anslutit sig till den skandinaviska databasen.

Vårdvolymer

Intervention mot hypertrofisk kardiomyopati med uttalad symptomatologi till följd av signifikant utflödesobstruktion är ett relativt ovanligt ingrepp.

I dagsläget utförs ca 40–50 ablationer per år i landet. Kirurgiska ablationer är betydligt färre där en uppskattning bör ligga kring 10–15 per år utifrån tidigare statistik.

Forskning

Forskningen i Sverige är framför allt inriktad på den genetiska bakgrunden till sjukdomen och håller en hög internationell klass. En koncentration av behandlingen till två center torde ge en bättre möjlighet till konsekvent uppföljning av patienterna och analys av behandlingsresultat.

Internationell utblick

Sakkunniggruppen har tittat på de nordiska grannländerna genom kontakt med kolleger i Norge, Danmark och Finland.

I Norge finns inget centralt beslut om koncentration.

I Danmark är kateterbehandling (septal alkoholablation) centraliserad till två ställen; Rigshospitalet och Skejby. Den kirurgiska delen förefaller dock inte vara koncentrerad. Den absoluta majoriteten av patienter behandlas med alkoholablation i Danmark. Precis som i Sverige finns inga exakta siffror, men varje center behandlar sannolik 10-20 patienter per år.

Det finns ingen fastställd ordning för hur man hanterar myektomi och alkoholablation vid HOCM i Finland, men i praktiken så remitteras de flesta fallen till universitetsklinik för behandling. Enstaka alkoholablationer kan dock förekomma på mer perifera centra.

Framåtblick

Patienter med isolerad HOCM, och som har en uttalad symptomatologi trots optimal medicinsk behandling, remitteras till en av två nationellt högspecialiserades vårdenheter (NHVe) för bedömning och eventuell behandling. Patienterna bedöms på en MDK för att välja behandlingsmetod. Enheterna kan ha gemensamma MDK:er. På en NHVe finns kompetens för att kunna utföra både alkoholablation och myektomi. NHVe ansvarar också för utveckling och införande av eventuella nya behandlingsmetoder.

NHVe registrerar alla ingrepp, oavsett behandlingsmetod, i kvalitetsregister eller patientadministrativt system och följer upp dessa på ett strukturerat sätt. NHVe följer samma uppföljnings- och rapporteringsrutiner och tar fram ett gemensamt vårdprogram där också strukturerad uppföljning, struktur för överrapportering och indikationskriterier beskrivs. Det finns upparbetade kommunikationsvägar med remittenter och NHVe återkopplar sina patienter till remittenter på ett strukturerat sätt.

NHVe samverkar för att bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs och för att etablera internationellt samarbete inom området

Förslag till särskilda villkor

Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilka särskilda villkor som ska gälla för tillstånden. Generella villkor regleras i föreskriften för 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)	Multidisciplinärt team (operativt) med - Kateterinterventionist eller interventionell kardiolog med erfarenhet av HOCM och alkoholablation och PCI - Ekokardiograför med erfarenhet av HOCM - Thoraxkirurg med erfarenhet av HOCM - Thoraxanestesiolog
Andra typer av kritisk kompetens (t.ex. sjuksköterska, kurator, psykolog eller fysioterapeut med specialkompetens)	Teamet ska även bestå av: - Tekniker/ssk/lab ass/personal tränad för aktuellt ingrepp
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	- PCI-lab/operationssal
Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas	Multidisciplinärt team (preoperativt) för MDK av samtliga patienter där båda NHVe ska representeras: - Kateterinterventionist eller interventionell kardiolog med erfarenhet av HOCM och alkoholablation och PCI - Klinisk kardiolog - Thoraxkirurg - Klinisk fysiolog (ekokardiografi) - Imaging-specialist (radiolog/klinisk fysiolog etc) - Anestesiolog - Hjärtkateteriseringskompetens (hemodynamisk kompetens) Thorax-IVA
Kritiska diagnostiska metoder	- CT och MR-imaging - Ekokardiografi
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	Tillgång till operationspersonal Möjlighet att lägga pacemaker

Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	- Ta fram gemensam nationell vårdplan/vårdprogram (inkl. strukturerad uppföljning, struktur för överrapportering, indikationskriterier) - 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.

Konsekvenser av rekommendationen

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.) Överväger möjligheten och tillgången till NHVe nackdelen med ökat avstånd/resor?	- Fler patienter och mer erfarenhet ger bättre vårdkvalitet (både utförande och bedömning inför behandling, samt kvalitetsuppföljning) - Samverkan och eventuella gemensamma MDK:er mellan nationella enheter kan driva utvecklig och förbättra vårdkvalitet - Tillgänglighet kan bli bättre om ansvar tydliggörs - Fler patienter, viss ökning av patientvolym kan vara problem för ett enstaka centrum och längre avstånd kan vara negativt Fördelarna med koncentration överväger nackdelarna med längre avstånd.
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring Vad händer med de enheter som ev. blir av med viss vård? Finns det några negativa konsekvenser för de enheter som kommer att bedriva nationell vård?	- Ökad förutsättning för bättre utbildning, kunskaps- och kompetensförsörjning för de center som får tillstånd. - Risk för tappad kompetens för center som inte får tillstånd
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	- Bättre förutsättningar för forskning med större patientvolymer - Bättre förutsättningar att utvärdera de olika metoderna (alkoholablation/ki-

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	rurgiskt ingrepp). Idag finns ingen systematisk uppföljning/forskning gällande dessa patienter. Ser inga risker för befintlig forskning
Påverkan på närliggande områden Är det något som trängs undan om detta område blir NHVe?	- På grund av små patientvolymer ser sakkunniggruppen ingen stor risk för påverkan på närliggande områden.
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort. Blir en ökad volym en ökad belastning för akutsjukvården på NHVe? Beskriv också konsekvenserna för akutverksamheterna om denna vård försvinner från sjukhusen.	- Akutsjukvården på sjukhus med tillstånd kommer inte att påverkas markant. - Komplikationer efter ingrepp som får långtgående konsekvenser kan påverka platstillgången på IVA Verksamheter utan tillstånd kommer att kunna fortsätta bedriva akutsjukvård
Påverkan på vårdkedjan Kommer den vårdkedja som finns idag att påverkas? T.ex. att länssjukhuset hoppar över regionsjukhuset när en diagnos ska konfirmeras och remitterar direkt till NHVe?	De här patienterna ska diskuteras på MDK-rond på respektive regionsjukhus. Kommer inte blir stor skillnad mot dagens vårdkedja.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.) Påverkan på planering, ledning och kontroll av verksamheten på ett sätt som leder till att kraven på god vård i HSL upprätthålls. Inkludera även ett resonemang som gäller påverkan för remittenten. Behöver vårdgivaren investera i något som inte finns idag? Medför det ökade kostnader att ansvara för NHVe? Observera att samverkan mellan tillståndsinnehavare och remittenter regleras i föreskrifterna.	Viss utbyggnad av vårdplatser och personal, fler ingrepp kommer innebära behov ökade resurser
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter Är patienterna i behov av särskilda sjuktransporter? Akuta eller planerade?	- Detta är inte akuttransporter. Patienter tar sig på egen hand till och från behandling. - Ingen skillnad mot idag
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner Finns det anledning att tro att vårdvolymerna kommer att förändras över åren med tanke på medicinsk utveckling på området. Paradigmskifte på gång? Kan en tidsaspekt läggas in? Om man har skäl att tro att det inom snar framtid kommer att	- Förutsättningar för interventionen blir bättre om vi får mer solida data (lyckade ingrepp/mindre komplikationsfrekvenser) Svårt att utvärdera detta område idag. Koncentration ökar förutsättning för utvärdering av metoderna.

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
behövas fler centra än dagens rekommenderade antal.	

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 de uppföljningsmått som de anser relevanta för den vård som föreslås ska koncentreras (definitionen). Uppföljningsmåtten kommer sedan att arbetas fram och fastställas av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Förslag till uppföljningsmått

Uppföljningsmått	**Beskrivning**
Bakgrundsmått – Antal patienter*	Antal patienter inom definitionen*
Bakgrundsmått – Antal behandlingar	Antal behandlingar vid NHVe
Bakgrundsmått - Vårdtid	Vårdtid (i dygn) inneliggande patienter Datum för utskrivning minus datum för inskrivning
Tillgänglighetsmått – tid till bedömning	Tid (i dagar) från remiss till bedömning på NHVe (medel/median, 10 och 90 percentil) Datum för bedömning minus datum för remiss
Tillgänglighetsmått – behandling	Andel patienter (i procent) som behandlats inom vårdgarantin (rekommenderad tid)
Medicinska resultat	Överlevnad inom 30 dagar efter behandling (andel patienter)
Medicinska resultat	Komplikationer inom 30 dagar efter behandling (andel patienter)
Medicinska resultat	Patientrapporterade mått/PROMs

*För patienter inom NHV följs demografisk data upp:
- Ålder (om relevant)
- Kön
- Patientens hemregion (folkbokföringsadress)

Deltagare i sakkunniggrupp

Norra sjukvårdsregionen: Johan Nilsson, specialistkompetens inom kardiologi
Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Jonas Schwieler, specialistkompetens inom kardiologi
Sydöstra sjukvårdsregionen: Niels Erik Nielsen, specialistkompetens inom kardiologi
Södra sjukvårdsregionen: Ole Kongstad, specialistkompetens inom kardiologi
Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Anders Jönsson, specialistkompetens inom thoraxkirurgi
Västra sjukvårdsregionen: Jacob Odenstedt, specialistkompetens inom kardiologi
Patientföreträdare: Pelle Johansson, Riksförbundet HjärtLung

Referenser

Detta underlag är ett förslag på vilken vård som bör koncentreras till nationella vårdenheter. 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.

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

Genomlysning av vårdområdet bedömning och kirurgi vid huvud- och halscancer som nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag
Remissversion

Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för huvud- och halstumörer vårdområdet bedömning och kirurgi vid huvud- och halscancer och lämnar sitt förslag till nationell högspecialiserad vård. Vårdområdet består av fyra delområden;

1. Avancerad cancer i hörselgången
2. Avancerad sinonasal cancer och nasopharynxcancer
3. Hypopharynxcancer
4. Avancerade lokoregionala återfall eller avancerad ny tumör inom samma primärtumörsområde

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 ställen 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
Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård 7
Avgränsningar 9
Bakgrund 10
Framåtblick 17
Förslag till särskilda villkor 19
Konsekvenser av rekommendationen 21
Uppföljning och utvärdering 24
Referenser 25
Deltagare i sakkunniggrupp 26
Om nationell högspecialiserad vård 27

Ordlista

DT	Datortomografi
Esofagus	Matstrupe
Hypopharynx	Nedre delen av svalget
Larynx	Struphuvud
Lokoregional	Som hör till en lokal och dess närmaste omgivning, t ex återfall av tumör på platsen för eller i närheten av tidigare tumör
MRT	Magnetresonanstomografi
Nasopharynx	Nässvalget
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
Oropharynx	Mellansvalget
Oto	Öra
PET	Positronemissionstomografi, undersökningsmetod inom funktionell bildmedicin
PET-CT	Positronemissionstomografi (PET) kombinerad med datortomografi (CT)
Salvage	Kirurgi som utförs i anslutning till den primära behandlingen då denna inte haft avsedd effekt
Sinonasal	Näs- och bihåla
SVF	Standardiserade vårdförlopp
SweHNCR	Swedish Head and Neck Cancer Register, Svenskt kvalitetsregister för huvud- och halscancer

Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår att det som beskrivs i tabell 1 ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid nationella enheter. Beskrivna delområden bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art då de kräver viss volym för att upprätthålla kompetens samt ett multidisciplinärt omhändertagande.

Vården är multidisciplinär då bland annat specialistkompetens inom öron, näsa och hals, plastikkirurgi och patologi behövs.

Beskrivna fyra delområden (Avancerad cancer i hörselgången, Avancerad sinonasal cancer och nasopharynxcancer, Hypopharynxcancer samt Avancerade lokoregionala återfall eller avancerad ny tumör inom samma primärtumörsområde) har alla en begränsad volym vilket gör dem lämpliga att koncentrera till färre enheter än idag. Delområde 1-3 föreslår sakkunniggruppen ska bedrivas vid två enheter då sårbarheten att bedriva dem vid färre kan bli för hög.

Avancerade lokoregionala återfall (delområde 4) har en relativt hög patientvolym i förhållande till övriga delområden och bör bedrivas vid fyra enheter. Sakkunniggruppen bedömer att tre enheter kan ge negativa konsekvenser på tillgängligheten, men att fem eventuellt är för många och kan ge negativa konsekvenser på förutsättningarna för erfarenhets- och kunskapsuppbyggnad per enhet. Vidare anser sakkunniggruppen att två av dessa enheter också ska inneha tillstånd för Hypopharynxcancer (delområde 3).

Sakkunniggruppen bedömer, för alla fyra delområden, att konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva då det bland annat medför att patientunderlaget samlas. En koncentration av beskriven vård ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås.

Sakkunniggruppen bedömer vidare för alla delområden att påverkan på akutsjukvården sannolikt blir begränsad samt att omkringliggande områden kan påverkas i viss utsträckning så som radiologi då vårdkedjor kan ändras av en nivåstrukturering inom dessa områden.

Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Bedömning och behandlingsrekommendationer samt i förekommande fall kirurgi, för samtliga delområden enligt tabell nedan oavsett patientens ålder, ska utgöra nationell högspecialiserad vård.

Del-område	Diagnos/medicinskt tillstånd	Åtgärd	Antal enheter
1	Avancerad cancer i hörselgången inkluderande primär skivepitelcancer och andra diagnoser (t.ex. aggressiv basalcellscancer, malignt melanom, sarkom, skivepitelcancer på ytteröra och spottkörtelcancer med överväxt till hörselgången) som kräver motsvarande kirurgi.	• Kirurgisk behandling vid NHVe. • Resektabla recidiv på operabla patienter och residualtumörer inom tillståndet ska behandlas kirurgiskt vid NHVe.	Två
2	Avancerad resektabel sinonasal cancer med tumörstadium T3 och T4. Nasofarynxcancer: Lokala recidiv eller residualtumör av skivepitel- eller odifferentierad typ samt primär-/recidivtumörer av andra sällsynta histologiska typer där kirurgi kan erbjudas som botande behandling.	• Kirurgisk behandling vid NHVe. • Resektabla recidiv på operabla patienter och residualtumörer inom tillståndet ska behandlas kirurgiskt vid NHVe.	Två
3	Hypopharynxcancer	• Kirurgisk behandling av primärtumör vid NHVe. • Alla recidiv och residualtumörer där intentionen är kurativt syftande kirurgi inom tillståndet ska opereras vid NHVe.	Två
4	Avancerade lokoregionala återfall eller avancerad ny tumör inom samma primärtumörsområde exempelvis: - där avancerad plastikkirurgisk rekonstruktion krävs (tidigare lambårekonstruerad patient, perifer kärlsjukdom, flera lambåer, svåra resttillstånd av tidigare behandling). - lokalt recidiv/ residualtumör av strålbehandlad oropharyngeal cancer. - då tumören är tveksamt resektabel.	• Kirurgisk behandling vid NHVe.	Fyra

* Patienter inom definitionen som har generaliserad sjukdom och/eller sjukdomstillstånd med hög samsjuklighet eller annan kontraindikation måste inte bedömas av nationell enhet.

Antal enheter

Se tabell ovan.

Delområde 3 ”Hypopharynxcancer” och delområde 4 ”Avancerade lokoregionala återfall” hör ihop på det viset att de fåtal patienter som behöver kirurgi för sin hypopharynxcancer har ett lokoregionalt återfall. Detta innebär att de två enheter som kommer att bedriva vård för hypopharynxcancer inom definitionen också måste bedriva vård för avancerade lokoregionala återfall.

Avgränsningar

I Socialstyrelsens arbete att tillsammans med sakkunniggrupper genomlysa vård som ska bedrivas som nationell högspecialiserad vård kan sakkunniggruppen också identifiera områden som inte bör ingå i tillståndet men bör nivåstruktureras inom varje samverkansregion. Nedan följer de områden som sakkunniggruppen för huvud- och halstumörer identifierat:

1. Den onkologiska behandlingen (radioterapi och kemoterapi) bör inte ingå i tillståndet, men bör nivåstruktureras inom varje samverkansregion.
2. Palliativ behandling av patienterna ska ske i hemregionen.

Inom vårdområdet Juvenila angiofibrom har sakkunniggruppen inte kunnat identifiera var dessa patienter omhändertas idag och i vilken utsträckning patienter behandlas för detta. Området bedöms behöva kartläggas bättre för att kunna ta ställning till eventuell nivåstrukturering.

Lymfom ingår inte i detta underlag.

Bakgrund

Beskrivning av definierade områden och vårdkedja

Svenska kvalitetsregistret för huvud- och halscancer (SweHNCR) startade 2008 och det första nationella vårdprogrammet publicerades 2015. Standardiserat vårdförlopp för huvud- och halscancer infördes 2015. Vid misstänkt cancer inom huvud- och halsområdet ska patienten omgående remitteras till en öron- näs- och halsklinik eller specialist för utredning. Utredningen bör följa vårdprogrammet, när utredningen är klar diskuteras patienten vid en multidisciplinär konferens som hålls på respektive universitetssjukhus.

Kirurgi och strålbehandling utgör basen för att behandla maligna tumörer i huvud- och halsområdet. Oftast är behandlingen kurativt syftande. Primär behandling och behandling vid recidiv skiljer sig åt. Behandlingsvalet styrs av flera faktorer som t ex lokalisation och tumörstorlek. Den kirurgiska behandlingen är i princip centraliserad till landets universitetssjukhus, medan den onkologiska behandlingen ibland även sker på andra sjukhus med motsvarande kompetens.

Huvud- och halscancer är ett samlingsbegrepp för tumörer i läpp, munhåla, svalg, struphuvud, näsa och bihålor, spottkörtlar samt lymfkörtelmetastas på halsen med okänd primärtumör. Inom varje grupp finns det undergrupper som skiljer sig åt i växtsätt, risk för spridning, prognos och behandling. Ålder och andel män respektive kvinnor varierar mellan grupperna.

Tumörerna indelas i nio diagnosgrupper enligt klassifikationen ICD-10 och samma indelning gäller både i Nationella Vårdprogrammet för huvud-halscancer och i SweHNCR:

1. Läppcancer
2. Munhålecancer
3. Oropharynxcancer (cancer i mellansvalget)
4. Nasopharynxcancer (cancer i nässvalget)
5. Hypopharynxcancer (cancer i nedre svalget)
6. Larynxcancer (cancer i struphuvudet)
7. Spottkörtelcancer
8. Sinonasal cancer (näs- och bihålecancer inklusive cancer i mellanörat)
9. Lymfkörtelmetastas på halsen med okänd primärtumör (cancer unknown primary, CUP)

Sista åren har cirka 1600 fall per år diagnostiserats. Incidensen av huvud- och halscancer har ökat med 25 % sedan 2008. Det är humant papillomvirusinducerade tumörer i oropharynx som ökar snabbast. Den vanligaste tumörlokalen är munhåla, tätt följd av oropharynxcancer, dessa står tillsammans för 66 % av tumörerna. Ovanligast är nasopharynxcancer (2 %), följt av hypopharynxcancer och malign körtel på halsen (4 %) samt sinonasal cancer (5 %).

Den relativa 5-årsöverlevnaden för de patienter som diagnosticerades med huvud- och halscancer har ökat från 65 % år 2008 till 68 % år 2016 (läppcancer 92 %, spottkörtel 75 %, nasopharynx 71 %, oropharynx 70 %, larynx 68 %, malign körtel på halsen 63 %, munhålecancer 62 %, näs- och bihålecancer 52 %, hypopharynx 26 %).

Totalt sett är huvud- halscancer en relativt ovanlig cancerform i Sverige varför behandlingen, framförallt kirurgin, är koncentrerad till ett mindre antal centra. Sakkunniggruppen är eniga om att det för tre av ovan nio områden skulle vara till nytta med nationell högspecialiserad vård samt för avancerad cancer i hörselgången och lokoregionala återfall.

Delområde 1. Avancerad cancer i hörselgången

Primär cancer i hörselgången är ovanligt. Incidensen brukar anges till 1:1 miljon. Definitionsmässigt är hörselgångscancer skivepitelcancer som utgår från hörselgångens hud, och därmed klassificeras den som hudcancer snarare än huvud- och halscancer. Diagnosen berörs därför inte i det svenska Nationella Vårdprogrammet för huvud- och halscancer och registreras inte i Svenskt Kvalitetsregister för huvud- och halscancer.

Symtomen på hörselgångscancer är ofta diffusa och kan misstas för en långvarig och svårbehandlad hörselgångsinflammation. Detta sammantaget med att hörselgångscancer är ovanligt bidrar till att diagnosen ofta ställs i ett sent skede då patienten redan befinner sig i ett avancerat tumörstadium. Korrekt radiologisk diagnostik är avgörande för klassificering och planering av kirurgi.

Diagnosen ställs oftast på en öron- näs och halsklinik på patientens hemort. Vanligen rekommenderas kirurgi för tumörer i tidigt stadium, och kirurgi i kombination med radioterapi eller radiokemoterapi vid mer avancerade tumörstadier. Vid inoperabel tumör kan radioterapi eller radiokemoterapi komma i fråga. Andra tumörformer t.ex. aggressiv basalcellscancer, malignt melanom, sarkom, skivepitelcancer på ytteröra och spottkörtelcancer med överväxt som påverkar hörselgången kan kräva samma typ av kirurgiskt ingrepp som hörselgångscancer.

Kirurgi i ett område nära skallbasen med vitala strukturer och närhet till funktionellt viktiga områden som hörsel- och ibland även balansorgan, ansiktsnerv och käkled kräver stort kunnande och även möjlighet till plastikkirurgisk rekonstruktion av bland annat mjukdelsdefekter, käkled och ansiktsmotorik.

Förutom att den avancerade kirurgiska behandlingen av cancer i hörselgången kräver särskild kompetens med subspecialister så som otokirurger med erfarenhet av skallbaskirurgi, tumörkirurger och plastikkirurger ställer

även diagnostik, preoperativ utredning och eftervård särskilda krav, t.ex. huvud- och halsradiologisk kompetens och postoperativ intensivvård.

Idag utförs avancerad kirurgisk behandling av cancer i hörselgången i samtliga sjukvårdsregioner vid sex av sju universitetssjukhus i Sverige.

Delområde 2. Avancerad sinonasal cancer samt nasopharynxcancer

Sinonasal cancer är en komplex grupp av tumörer i sex olika lokaler och flera histologiska typer. I Sverige diagnostiseras drygt 60 fall per år varav cirka 15 % behandlas palliativt. Ungefär hälften av de patienter som diagnostiseras har en avancerad cancer (tumörstadium T3 och T4).

Den relativa 5-årsöverlevnaden, oberoende typ av histopatologi, i Sverige är 52 % (SweHNCR). Patienter med sinonasala mukosala melanom har särskilt dålig prognos med en relativ 5-årsöverlevnad på < 25 %.

Primär radiologisk utredning sker ofta på hemorten medan den avancerade behandlingen sker på något av landets sju universitetssjukhus. Bedömning av vilka patienter som ska erbjudas kirurgi respektive strålning görs inte lika i Sverige i nuläget. Behandlingen skiljer sig för olika typer av tumörer och mellan olika kliniker och kan bestå av enbart av kirurgi (18 %), enbart strålning (19 %), kirurgi i kombination med strålbehandling (25 %), kemoterapi i kombination med strålbehandling (12 %) eller kemoterapi i kombination med strålbehandling samt kirurgi (12 %). För vissa patienter kan onkologisk medicinsk behandling såsom immunologisk eller målriktad terapi (targeted therapy) behövas.

Efter en mer avancerad resektion av mellanansiktet är det viktigt att patienterna kan behålla så många funktioner som möjligt avseende andning, syn, att kunna svälja och tugga samt inte minst förhålla sig till sitt nya utseende. De olika universitetssjukhusen har olika kunskap och erfarenheter när det gäller primär eller sekundär plastikkirurgisk rekonstruktion efter mer avancerade resektioner av mellanansiktet. Svårigheterna med en sekundär rekonstruktion är bland annat ärrig vävnad som läker sämre och inflammerade kärl med sämre blodflöde. Många patienter kan vara medtagna efter den postoperativa onkologiska behandlingen. En sekundär rekonstruktion kan vara mycket påfrestande för patienten eftersom det är ytterligare en lång operation där postoperativ intensivvård och sjukhusvård krävs.

Det finns ett stort behov av rehabilitering efter maxillektomier om ingen primär rekonstruktion har gjorts. Patienterna behöver en typ av protes (obturator) som dels kan vara komplex att få att fungera optimalt och dels svår för patienten att tolerera på grund av skav, blödning och läckage.

Drygt 30 patienter diagnosticeras varje år med nasopharynxcancer. Det är en ovanlig diagnos som ofta kan kopplas till Epstein-Barr virus, men den exakta rollen som detta virus spelar i cancerutvecklingen är inte känd. Incidensen i väst ligger under 1 nytt fall per 100 000 invånare och år. Den relativa 5-årsöverlevnaden i Sverige är 71,5 % enligt SweHNCR. Den primära behandlingen är oftast strålbehandling inte sällan i kombination med medicinsk onkologisk behandling (cytostatika). Vid recidiv av primärtumören bör man i vissa fall diskutera rebestrålning, fotodynamisk terapi eller salvage kirurgi.

Tumörlokalisationen vid nasopharynxcancer är kirurgiskt svåråtkomlig och omgiven av vitala strukturer. Den låga volymen av patienter med mycket små primära tumörer eller med behov av salvagekirurgi för skivepitelcancer samt de med histopatologi som inte svarar på gängse behandling med kemoradioterapi (CRT) innebär att den kirurgiska erfarenheten för exempelvis maxillary swing hos operatörerna i landet är relativt begränsad. Liksom vid kirurgi av avancerad sinonasal cancer krävs multidisciplinär medverkan.

Delområde 3. Hypopharynxcancer

Cancer i hypofarynx är tumörer som uppstår i den nedre delen av svalget, där matstrupen och luftstrupen ansluter till svalget. I Sverige diagnostiseras cirka 60 nya fall årligen (SweHNCR). Majoriteten av fallen diagnostiseras i ett avancerat tumörstadium. Palliativ behandling föreslås i högre utsträckning vid hypopharynxcancer jämfört med övriga typer av huvud- och halscancer (25 %).

Många patienter har haft diffusa besvär från svalget under en längre tid, men det som framkallar vårdbesök kan vara en regional spridning på halsen. Viktnedgång vid diagnos på grund av sväljningssvårigheter och/eller smärtor i halsen är vanligt och en betydande andel är undernärda. Likaså är samsjuklighet ofta förekommande. Dessa faktorer, liksom tumörsjukdomen i sig, påverkar allmäntillståndet negativt. Allmäntillståndet har stor betydelse för vilken behandling som är möjlig att genomföra. Patienten behöver ett multidisciplinärt omhändertagande för att exempelvis optimera hjärt- och lungfunktion, förbättra nutrition, smärtlindring och kondition innan behandlingen startar.

Skivepitelcancer är den vanligaste histopatologiska diagnosen även om andra diagnoser förekommer. Det finns idag inga kända tumörmarkörer som kan användas i prognostiskt syfte eller för val av behandlingsmetod. Utredningen görs på närmsta ÖNH-klinik varefter utredningsresultaten eftergranskas på regional multidisciplinär konferens, och behandlingen diskuteras och rekommenderas enligt det nationella vårdprogrammet för huvud- och halscancer.

Cirka 75 % behandlas med kurativt syftande behandling. Trots det är den totala 5-årsöverlevnaden enbart 26 % vilket är betydligt sämre jämfört med de övriga huvud- och halscancerdiagnoserna. Den låga överlevnaden beror på att tumörerna upptäcks sent samt att patienterna då ofta har påverkat allmäntillstånd. De fåtal fall som upptäcks i tidigt stadium har bättre 5-årsöverlevnad (SweHNCR).

I vissa fall bedöms primärtumören operabel, där mindre primärtumörer kan opereras endoskopiskt och de mer avancerade öppet. Om mer avancerade primärtumörer bedöms som möjliga att operera och patientens allmäntillstånd tillåter kan en kombinerad behandling med primär kirurgi med laryngo- hypopharyngektomi med rekonstruktion samt halslymfkörtelutrymning och postoperativ strålbehandling erbjudas. Det kan även vara aktuellt som salvagekirurgi i utvalda fall.

Sakkunniggruppen bedömer att prognosen skulle förbättras om tumören upptäcktes tidigare genom ökad medvetenhet om denna ovanliga tumörsjukdom som primärt ofta ger diffusa symptom. Även snabbare diagnostik, tidigt insatt behandling och rehabilitering kan bidra till en bättre prognos. Eftersom volymen av denna patientgrupp är mycket ringa är erfarenhet av den kirurgiska behandlingsmöjligheten begränsad. Volymerna där operation är ett möjligt alternativ kan dock vara underskattade.

Delområde 4. Avancerade lokoregionala återfall eller avancerad ny tumör inom samma primärtumörsområde

Återfall av huvud- och halscancer, benämns med begreppet lokoregionalt återfall av huvud- och halscancer. Behandlingen av avancerade lokoregionala återfall är en utmaning för både kirurger och onkologer. Trots förbättrad diagnostik och behandlingsmöjligheter är frekvensen av lokoregionala återfall hög, framförallt hos patienter med avancerad primär sjukdom. Beroende på lokalisation varierar det mellan 25 % och 50 %. Dessutom får 25-50 % av de som fått återfall ytterligare ett återfall efter behandling av det första. Bedömningen inför behandling vid lokoregionalt återfall utgår från bland annat typen av primär tumörbehandling. Rekommenderad behandling enligt nationellt vårdprogram består av ett brett spektrum av olika kirurgiska och onkologiska behandlingar. Idag utförs avancerad kirurgisk behandling inom detta område vid sju universitetssjukhus i Sverige och kräver ett erfaret kirurgiskt team med kompetens inom rekonstruktion.

Kirurgi betraktas som förstahandsalternativ för patienter som är möjliga att operera, vilket gör att kirurger konfronteras alltmer med att överväga operation hos patienter med betydande resttillstånd efter tidigare primärbehandling. Ofta är det svårt att bedöma hur stor kirurgi som krävs för att avlägsna tumören med tillräckligt vida marginaler vid återfallstumörer då dessa ofta har en diffus avgränsning. Kombinationen av behandlingstoxicitet och patientens samsjuklighet leder till högre frekvens av postoperativa komplikationer. Det är därför viktigt att identifiera de mest lämpade kandidaterna för kirurgisk behandling. Salvagekirurgi kan vara avgörande för denna patientgrupp då det ofta är det enda kvarvarande behandlingsalternativet med botande avsikt. Salvagemöjligheterna är dock ofta begränsade på grund av tidigare behandling.

Trots omfattande framsteg inom huvud- och halscancerbehandlingen är återfall den avgörande faktorn för prognosen. Salvagekirurgi är därför associerad med hög morbiditet. Med nuvarande behandlingsmöjligheter, inklusive onkologisk behandling, är det avgörande med en individuellt anpassad behandlingsplan för att uppnå inte bara överlevnad utan också bevara funktion och livskvalitet.

Vårdvolymer

Definierade delområden för NHV	Uppskattad volym/år
1. Avancerad cancer i hörselgången	Cirka 10 patienter/år

2. Avancerad sinonasal cancer samt nasopharynxcancer	Cirka 50 patienter/år
3. Hypopharynxcancer	Cirka 30-60 patienter/år
4. Lokoregionala återfall	Cirka 40-60 patienter/år

1. Kirurgi vid cancer i hörselgången är ovanligt.
2. I det svenska kvalitetsregistret för huvud- och halscancer, SweHNCR, kan man utläsa att 36 patienter varje år under åren 2015 och 2016 genomgick kirurgi vid sinonasal- och nasopharynxcancer. Av de sinoasala hade cirka 20 patienter T3 eller T4 tumörer. Förutom dessa tillkommer varje år patienter med mer ovanliga tumörer med annan histopatologi samt operationer och onkologisk behandling vid recidiv eller vid residualtumör efter onkologisk behandling. Antalet patienter som behöver detta varje år i Sverige är dock osäkert. Sammanlagt är det således cirka 40-50 patienter med sinonasal eller nasopharynxcancer per år som kan vara aktuella för kirurgisk behandling.
3. Årligen behandlas mellan 28-56 patienter med hypopharynxcancer. Operation av primärtumören genomförs enbart i enstaka fall. De senaste åren har i genomsnitt endast 4 patienter per år opererats (<10 % av de som behandlas kurativt). Eftersom volymen av denna patientgrupp är mycket ringa är erfarenhet av den kirurgiska behandlingsmöjligheten begränsad. Volymerna där operation är ett alternativ kan vara underskattade. Om de patienter som bedöms kunna behandlas kurativt diskuteras på nationell multidisciplinär konferens är det möjligt att fler kan komma att genomgå kurativt syftande kirurgi som del av behandlingen då erfarenheten av kirurgi skulle samlas på färre enheter och därmed stärkas.
4. Lokoregionala återfall och behandling registreras i kvalitetsregistret, men siffrorna är osäkra. Enligt registret har ca 200 patienter diagnosticerats med recidiv per år i Sverige; 45 % lokala, 25 % regionala, 15 % lokoregionala och 15 % fjärrecidiv. Majoriteten av recidiven drabbar patienter med munhåletumörer och i mindre utsträckning drabbas patienter med oropharynx, larynx, spottkörtlar och hypopharynx. Av de registrerade recidiven behandlas knappt 70 % med kurativ intention. Det första recidivet behandlas i knappt 50 % av fallen med kirurgi, drygt 30 % med strålning och/eller kemoterapi och knappt 10 % med en kombination kirurgi och strålning. Volymerna av antalet komplicerade fall som kräver multidisciplinärt omhändertagande och avancerad kirurgi är förnärvarande inte helt överblickbara, men uppskattningsvis 40-60 fall/år.

Forskning

Forskningen inom de fyra delområdena ser delvis olika ut och förutsättningarna skiljer sig åt. Det finns en nationell IT-plattform för hantering av register kring patienter med cancer avseende vård och forskning. Detta informationsnätverk (INCA) utgör en mycket god bas för klinisk och patientnära

forskning. I kvalitetsregistret för huvud- och halscancer registreras nationella data som har potential att användas i forskning för de fyra delområdena. Samlade patientvolymer kan ge större möjlighet att utveckla vården och bedriva attraktiv forskning. Nationellt samarbete är nödvändigt med hänsyn till den låga incidensen i en jämförelsevis liten befolkning.

Någon specifik uppföljning av patientgruppen med avancerad cancer i hörselgången finns inte i dagsläget, men en nationell kartläggning och insamling av data har påbörjats.

Inom området sinonasal cancer samt nasopharynxcancer pågår både grundforskning och klinisk forskning i Sverige. Minst fem av universitetssjukhusen har någon pågående forskning.

Hypopharynxcancer utgör så liten del (3-4 %) av huvud- och halscancer i Sverige varför det är svårt för de enskilda sjukvårdsregionerna att på rimlig tid samla tillräckligt stora patientmaterial för resultat och analys specifikt avseende denna cancer.

Även inom området avancerade lokoregionala återfall eller ny tumör är forskningen i Sverige sparsam. Det råder en osäkerhet om validiteten för utfallsmåtten recidiv och recidivbehandling i det nationella kvalitetsregistret och här skulle en omfattande journalgenomgång behövas.

Sammanfattningsvis kan konstateras att om dessa fyra grupper med svårare tumörer och avancerad kirurgi skulle koncentreras till färre enheter, så skulle möjligheten att utveckla och validera data i kvalitetsregister samt bedriva forskning öka.

Internationell utblick

I Danmark bedrivs tumörkirurgi inom huvud- och halsområdet vid samtliga universitetssjukhus, men bara tre utför salvagekirurgi. Det finns en särskild kommitté som planerar recidivbehandlingen och tar fram behandlingsriktlinjer gällande exempelvis kirurgisk behandling, immunterapi och rebestrålning.

I Storbritannien är cancer i huvud- och halsområdet inte definierat som högspecialiserad vård och subgruppen hörselgångscancer är inte separerad från övrig tumörkirurgi i huvud- och halsområdet.

I Finland har all behandling av huvud- och halscancer centraliserats till de fem universitetssjukhusen, där viss krävande behandling har centraliserats ytterligare och bedrivs på färre än fem sjukhus.

Framåtblick

Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

Tiden från välgrundad misstanke till diagnos och behandling är en tid av stark oro för patient och närstående. Det finns ett tydligt samband mellan tumörstadium och överlevnad. Både ur patientens synvinkel och av tumörbiologiska skäl är det därför önskvärt att göra denna tid så kort som möjligt. I nuläget varierar ledtiderna till start av behandling för de olika regionerna i landet.

De nationella enheterna med ansvar för den vård som föreslås här ska följa det standardiserade vårdförloppet för huvud- och halscancer som infördes 2015 som en av de fem första cancerdiagnoserna. Målet är att 80 % av patienterna ska kunna få primär kirurgisk behandling inom 12 kalenderdagar och onkologisk behandling inom 20 kalenderdagar efter beslut om rekommenderad behandling.

Patienten ska erbjudas en snabb och standardiserad utredning även vid en nationell enhet. Vårdprocessen från utredning till uppföljning ska samordnas och koordineras av kontaktsjuksköterska och koordinator. Förflyttningar mellan olika vårdgivare ska ske med patientens bästa i fokus. Individuella vård- och rehabiliteringsplaner ska upprättas tillsammans med patienten och följa patienten mellan hemortssjukhuset och den nationella vårdenheten.

Mycket av den kirurgi som är aktuell kommer att vara avancerad och ställa stora krav på rehabiliteringen i efterförloppet. Därför behövs ett nära samarbete med patientens hemort och ett nära samarbete med alla inblandade kollegor i det multidisciplinära teamet på den nationella enheten.

Alla patienter, oavsett ålder, inom de definierade delområdena ska diskuteras på en nationell multidisciplinär konferens för bedömning och behandlingsrekommendation samt i förekommande fall ska kirurgin utföras på en nationell enhet. En koncentration av dessa ovanliga fall medför större erfarenhet att välja ut rätt metod till varje patient. Det är väsentligt att den nationella konferensen inte medför en fördröjning av behandlingsstart.

Det är små volymer av kirurgin och om all bedömning av dessa patienter samt all kirurgi koncentreras till färre enheter kommer det att finnas större möjligheter att utvärdera och bedriva studier inom områdena. Det är viktigt att som nationell enhet kunna erbjuda alla behandlingsmetoder för att alltid kunna välja ut den mest lämpliga. Därför är det viktigt att vid kirurgi kunna erbjuda både primär och sekundär rekonstruktion utifrån patientens behov. Det är patienten själv som efter information om alternativen accepterar eller avböjer behandlingsförslag.

Verksamheten bör ha en väl uppbyggd struktur för multidisciplinärt samarbete för att optimera behandling och rehabilitering. Patientrapporterade mått bör användas. Största delen av patientens rehabilitering och i förekommande

fall strålbehandling, kommer att ske på hemorten. Nationella enheten ska ha en utbildande, stödjande och rådgivande funktion vad det gäller omhändertagandet av patienten.

De nationella enheterna bör använda sig av den uppbyggda struktur för kunskapsutbyte som finns via den nationella styrgruppen för huvud- och halscancer där varje region har två representanter (ÖNH-kirurg och onkolog) samt omvårdnads- och patientrepresentant. Denna grupp kan användas så att de enheter som är nationella lättare kan uppnå sin kunskapsspridande funktion samt kunna vara drivande i den kirurgiska metodutvecklingen samt rehabiliterings- och vårdutveckling.

Avancerad cancer i hörselgången (delområde 1) utgör ett mycket ringa antal kirurgiska ingrepp och precis som för övriga delområden ställer det höga krav på kompetensen i det multidisciplinära teamet vilket motiverar koncentration på nationell nivå. Vidare anser sakkunniggruppen att bedömning och kirurgi vid sinonasal cancer samt nasopharynxcancer (delområde 2) är mycket komplicerad. Bedömning av vilka patienter som ska erbjudas kirurgi respektive strålning görs inte lika i Sverige i nuläget. En nationell koncentration till färre enheter skulle öka erfarenheterna och utifrån detta vidareutveckla vården avseende bedömning och kirurgi samt avseende omvårdnad, hjälpmedel och rehabilitering.

Sakkunniggruppen bedömer även att en koncentration av den kirurgiska behandlingen ökar förutsättningarna till kunskapsutveckling avseende hypopharynxcancer (delområde 3). Detta kan innebära att något fler patienter i framtiden kommer kunna erbjudas kirurgisk behandling som en del av den rekommenderade behandlingen. Förslaget innebär att alla patienter med kurativt syftande behandling av hypopharynxcancer bör diskuteras på en nationell multidisciplinär konferens för att optimera utredning, tidig start av rehabilitering samt rekommenderad behandling i syfte att göra vården mer jämlik inom landet. En nationell koncentration ökar möjligheten att bedriva forskning på området och ökad kunskap kan inverka positivt på prognosen.

Även för avancerade lokoregionala återfall eller ny tumör (delområde 4) bedömer sakkunniggruppen att en nationell koncentration av kirurgin skulle gagna patienten. Kirurgen behöver utveckla en teknisk kunnighet genom att operera fler patienter. Det behövs även här ett multidisciplinärt team för att kunna ta till tillvara allas kunskap och erfarenhet och på det sättet tillsammans med patienten fatta rätt beslut. Det multidisciplinära teamet måste hela tiden värdera fördelarna med att bota jämte risken för morbiditet. Bedömningen av behandlingens konsekvenser måste omfatta påverkan på livskvalitet och förväntad livstidsförlängning även vid resektabla tumörer.

Sammanfattningsvis så bedömer sakkunniggruppen att en nationell koncentration ökar förutsättningarna för lika vård och att implementering av nya behandlingsmetoder sker på ett strukturerat sätt. Dessutom ökar en nationell koncentration möjligheten för forskning, utveckling av vård och rehabilitering.

Förslag till särskilda villkor

Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilka särskilda villkor som ska gälla för tillstånden. Generella villkor regleras i föreskriften för 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 läkarkompetens	***Alla fyra områden*** • ÖNH-specialist med tumörkirurgisk kompetens • Plastikkirurg med mikrokirurgisk kompetens • Radiolog med Huvud- och halskompetens • Käkkirurg • Patolog • Radiolog/nuklearmedicinare med vana att tolka PET-CT vid huvud- och halscancer ***Cancer i hörselgången*** • ÖNH-specialist med otokirurgisk inriktning • Neurokirurg ***Sinonasal cancer och nasopharynxcancer*** • ÖNH-specialist med tumörkirurgisk och främre skallbaskompetens • ÖNH-specialist med kompetens inom endoskopisk onkologisk behandling • Neurokirurg med skallbaskompetens ***Hypopharynxcancer*** • Gastrokirurg med erfarenhet av esofaguscancerkirurgi • Thoraxkirurg
Andra typer av kritisk kompetens	***Alla fyra områden*** • Sjuksköterska med särskild kompetens inom omvårdnad vid huvud- och halscancer • Kontaktsjuksköterska med särskild kompetens inom omvårdnad vid huvud- och halscancer • SVF-koordinator • Kurator • Fysioterapeut • Dietist ***Sinonasal cancer och nasopharynxcancer, hypopharynxcancer, lokoregionalt återfall*** • Logoped med särskild erfarenhet och kunskap inom huvud- och halscancer
Kritiska medicinska resurser	***Alla fyra områden*** • MRT • DT

	• PET-CT ***Hypopharynxcancer*** • Transoral endoskopisk teknik (TOUSS) exempelvis Co2-laser och/eller robotteknik (TORS)
Andra områden som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas	***Alla fyra områden*** • Onkologisk behandling • Intensivvård • Postoperativ vård • Tandprotetik • Vårdavdelning med särskild kompetens inom huvud- och halscancer ***Sinonasal cancer och lokoregionalt återfall*** • Tillgång till tandprotetiker • Tillgång till anaplastolog ***Hypopharynxcancer*** • De enheter som utför hypopharynxkirurgi ska också har tillgång till övre gastrokirurgi och då företrädesvis esofaguskirurgi
Kritiska diagnostiska metoder	Inte aktuellt
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV	***Alla fyra områden*** • Om det är indicerat ska primär rekonstruktion kunna erbjudas
Rehabilitering som behöver finnas men som inte är definierat som NHV	Inte aktuellt
Övrigt	***Alla fyra områden*** • NHVe ansvarar tillsammans för multidisciplinär konferens. • NHVe ansvarar för att individuell vård- och rehabiliteringsplan upprättas. • 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. ***Cancer i hörselgången*** • Framtagande av ett nationellt vårdprogram inom området företrädesvis tillägg i gällande Huvud- och halscancervårdprogram

Konsekvenser av rekommendationen

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 landstingen 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	Genom koncentration på nationell nivå ges en jämlik tillgång till högkvalitativ vård för huvud- och halscancer oavsett var man bor i landet. Det kan innebära fler resor för patienterna, men kan också ge en mer sammanhållen vård med bättre diagnostik och behandling och därmed sannolikt bättre vårdkvalitet och ökad patientsäkerhet. De patienter som rekommenderas kirurgi kommer i de flesta fall få större avstånd till behandlande enhet, men redan nu behandlas patienterna enbart på universitetssjukhus vilket innebär att en stor andel i nuläget inte får sin behandling på hemorten. Nationell multidisciplinär konferens kan leda till mer likvärdig vård och behandling i Sverige med målsättning att förbättra omvårdnad och överlevnad. Majoriteten av patienterna med huvud- och halscancer som får lokoregionala återfall kan vara äldre som i vissa fall kan behöva upprepade samtal i trygg miljö med patientansvarig läkare, ofta med närstående närvarande. Denna patientgrupp har generellt dålig prognos och det är osäkert om en koncentration kommer leda till förbättring. Remitteringsvägarna blir tydligare med möjlighet till en högspecialiserad rådgiv-

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	ning. Efter att ha vårdats vid NHVe får patienten med sig en vård- och rehabiliteringsplan för fortsatt vård vid hemortssjukhuset. En potentiell nackdel vore att det kan ta tid att utföra vissa diagnostiska undersökningar och bedömningar på NHVe, vilket medför ett behov av att bo på patienthotell, möjligen även för närstående.
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	Minimal kompetensförlust då antalet utförda ingrepp i landet redan är få och görs på få platser. Antal fall per år som kommer att behandlas med kirurgi kommer sannolikt även i framtiden vara ett fåtal, varför denna kirurgi behöver samlas på färre ställen i syfte att generera kompetens. En möjlig risk är att kunskapen om vissa begränsade undergrupper inom huvud- och halscancer minskar vid öron- näs- och halsenheter som inte är NHVe. Detta kan kompenseras genom att NHVe får ett tydligt utbildningsansvar såväl inom som utanför NHVe. Ett ökat samarbete med konsultationer och kunskapsöverföring mellan NHVe och regionerna kommer kunna leda till bättre vård för hela patientgruppen med huvud- och halscancer.
Påverkan på forskning	Nationella högspecialiserade vårdenheter med ansvar för datainsamling kring denna patientgrupp kan öka förutsättningarna att bedriva forskning och utveckling. Forskning kan främjas genom ett tydligt samverkansansvar och genom att inte sprida den kirurgiska vården ytterligare. Vidare ges möjlighet till ett större, mer komplett forskningsunderlag och ökad möjlighet till biobankning. Sannolikt bidrar uppdraget även till bättre kvalitet i det nationella kvalitetsregistret.
Påverkan på närliggande områden	Koncentration av cancerkirurgi till nationella enheter kan ha undanträngningseffekter på annan benign kirurgi. Viss kapacitet kan friställas på enheter som inte fortsätter med definierade områden till förmån för enklare kirurgiska åtgärder. Viss risk för minskad kompetens på öron-näs- och halskliniker som inte innehar tillstånd för NHV.

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort	Ingen eller liten påverkan på akutsjukvården och intensivvården på grund av fåtal patienter. Vid akuta komplikationer kan det vara svårt för hemortssjukhuset att hantera detta om den kirurgiska kompetensen saknas, vilket i vissa fall kan innebära att patienten behöver vård antingen på närmaste universitetssjukhus eller en nationell enhet.
Påverkan på vårdkedjan	Det finns förutsättningar för optimerade ledtider och en effektivare vårdkedja. För att nationell multidisciplinär konferens ska bli optimal behövs en kritisk massa, vilket talar för en nationell koncentration. Remitteringsvägarna blir tydligare för både läkare och patient, vilket sannolikt bidrar till en snabbare remitteringsgång. Möjligheten till konsultation blir även tydligare för remittenter.
Verksamhetsperspektiv	Det finns en övergripande risk att multidisciplinära konferenser inom många områden konsumerar mycket resurser. Något ökad volym på de enheter som berörs, men eftersom antalet fall är få kommer påverkan på nationella enheter sannolikt bli liten. Ett tydligt uppdrag för NHVe medför sannolikt att det blir lättare att attrahera specialister inom samtliga yrkesgrupper. Samarbete mellan NHVe kan minska sårbarheten vid t.ex. tillfälliga problem med kompetensförsörjning. Risk att förlora kompetens för kliniker som inte är NHVe. Detta behöver kompenseras med utbildning.
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	Minimala
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	Antalet fall av huvud- och halscancer ökar med ca 3 procent per år vilket innebär en liten ökad vårdvolym inom området. I framtiden kan fler patienter behöva avancerad utredning och nationell multidisciplinär konferens kan leda till att något fler patienter rekommenderas kirurgisk behandling.

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 de uppföljningsmått som de anser relevanta för den vård som föreslås ska koncentreras (definitionen). Uppföljningsmåtten ska utgå från nedan mall. Uppföljningsmåtten kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Förslag till uppföljningsmått

Uppföljningsmått*	**Beskrivning**
Bakgrundsmått	Antal remisser till NHV
Bakgrundsmått	Antal behandlade vid NHVe
Bakgrundsmått	Andel behandlade vid NHVe Täljare: Antal behandlade Nämnare: Antal remisser
Bakgrundsmått	Vårdtid Datum för utskrivning minus datum för inskrivning
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss till bedömning Datum för bedömning minus datum för remiss
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss (alt bedömning) till behandling/åtgärd Datum för behandling/åtgärd minus datum för remiss (alt bedömning)
Medicinska resultat	Överlevnad
Medicinska resultat	Komplikation
	*För alla indikatorer följs demografiska data upp: • Ålder • Kön • Remitterande region? • Patientens folkbokföringsregion?

Referenser

Sakkunniggruppen har inte identifierat några vetenskapliga artiklar eller annan relevant evidens som undersöker frågeställningen om koncentration av viss vård inom området bedömning och kirurgi vid huvud- och halstumörer. Deras bedömning utgår från internationell utblick, klinisk erfarenhet och kunskap om den svenska sjukvårdens struktur inom området.

Huvud- och halscancer. Nationellt vårdprogram. https://www.cancercentrum.se/samverkan/cancerdiagnoser/huvud-och-hals/vardprogram/

Svenskt kvalitetsregister för huvud- och halscancer register, SweHNCR (Swedish head and neck cancer): https://www.cancercentrum.se/globalassets/cancerdiagnoser/huvud-och-hals/kvalitetsregister/arsrapport_2018_swehncr_slutversion.pdf

Hemsida för Regionala cancercentrum i samverkan (RCC): https://www.cancercentrum.se/samverkan/cancerdiagnoser/huvud-och-hals/kvalitetsregister/

Deltagare i sakkunniggrupp

Region	Representant
Uppsala-Örebro samverkansregion	Tomas Ekberg, specialist i otorhinolaryngologi, huvud- och halskirurgi Ylva Tiblom Ehrsson, kontaktsjuksköterska och forskare (även verksam i Södra sjukvårdsregionen)
Norra samverkansregionen	Katarina Zborayova, specialist i otorhinolaryngologi, huvud- och halskirurgi (avslutat sitt uppdrag i gruppen 200827) Björn Zackrisson, specialist i onkologi
Stockholm-Gotland samverkansregion	Ulf Hedin, specialist i kärlkirurgi samt allmän kirurgi Lalle Hammarstedt Nordenvall, specialist i otorhinolaryngologi, huvud- och halskirurgi
Sydöstra samverkansregionen	Beatrix Kovacsovics, specialist i neuroradiologi Jahan Abtahi, specialist i otorhinolaryngologi samt käkkirurgi
Södra samverkansregionen	Anna Hafström, specialist i otorhinolaryngologi, huvud och halskirurgi Stina Klasson, specialist i ortopedi samt plastikkirurgi
Västra samverkansregionen	Lisa Tuomi, logoped Eva Sanderoth Hammerlid, specialist i otorhinolaryngologi, huvud- och halskirurgi
Patientföreträdare	Owe Persson, Mun- och halscancerförbundet

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).

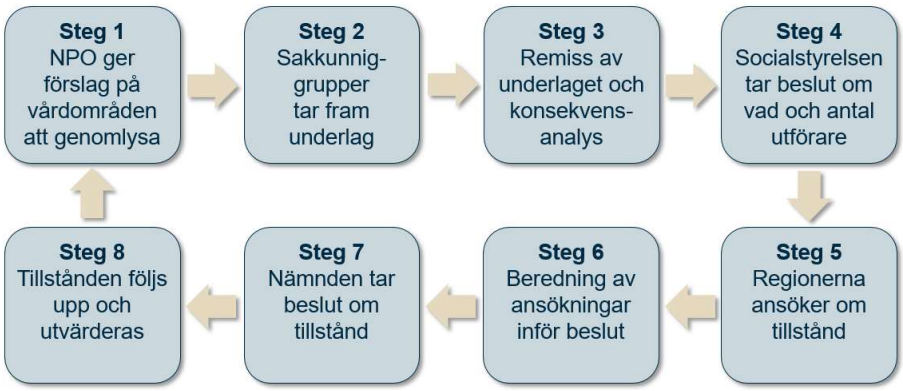
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

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.

Genomlysning av vårdområdet prematuritetsretinopati (ROP) som nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag
Remissversion

Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för prematuritetsretinopati (ROP) 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 5
Sammanvägd bedömning 6
Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård 7
Avgränsningar 8
Beskrivning av det definierade området 9
Framåtblick 15
Förslag till särskilda villkor 17
Konsekvenser av rekommendationen 19
Uppföljning och utvärdering 23
Referenser 24
Deltagare i sakkunniggrupp 25

Ordlista

AP-ROP	Aggressive posterior ROP, allvarlig och snabbt progredierande ROP
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
Plus disease	Tillkomst av slingriga och vidgade blodkärl vid svår ROP
ROP	Retinopathy of Prematurity, på svenska Prematuritetsretinopati
SKG	Sakkunniggrupp
Zon I-sjukdom	Allvarlig form av ROP med lokalisation i den mest centrala delen av näthinnan (zon 1, ögats bakre pol)

Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet prematuritetsretinopati (ROP) att det som framgår i definitionen nedan ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid tre nationella vårdenheter. Av dessa tre enheter ska minst en enhet utföra vitreoretional kirurgi

Detta bedöms vara vård som är komplex, sällan förekommande, kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården är multidisciplinär då bland annat neonatologi, barnanestesi och ögonsjukvård behövs.

Sakkunniggruppen finner att en koncentration av aktuell vård till tre enheter ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås. Även om patientvolymen är liten motiveras antal enheter av att det behövs en geografisk spridning och att färre enheter kan vara mer sårbart avseende tillgänglighet av specialistkompetens.

Konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva eftersom kompetensen kommer att öka när varje nationell vårdenhet får ett större antal patienter. Detta ger förbättrad vårdkvalitet genom att risken för komplikationer som svår synskada och blindhet minskar. Sakkunniggruppen bedömer att påverkan på akutsjukvården inom detta område är mycket liten.

Sakkunniggruppen bedömer inte att det blir någon stor undanträngning av omkringliggande områden vid de nationella enheterna. Det kan dock bli en ökad belastning på neonatalvården då vårdplatser för inkommande som ska behandlas akut kommer att behövas. Även belastningen på barnanestesin kan komma att påverkas.

Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Nationella vårdenheter ska ansvara för diagnostik/bedömning, ställningstagande till behandlingsmetod samt utförande av komplicerad behandling (primär/re-behandling) vid svår ROP.

Med svår ROP avses exempelvis men inte uteslutande
- AP-ROP
- svår zon I-sjukdom
- näthinneavlossning

Antal vårdenheter

För det definierade området bedömer sakkunniggruppen att bedömning och behandling bör bedrivas vid **tre** enheter.

Av dessa tre enheter ska **minst en** enhet utföra vitreoretional kirurgi.

Avgränsningar

I Socialstyrelsens arbete att tillsammans med sakkunniggrupper (SKG) genomlysa vård som ska bedrivas som nationell högspecialiserad vård kan SKG också identifiera områden som inte bör ingå i definitionen/tillståndet men bör nivåstruktureras inom varje samverkansregion. Nedan följer de områden som SKG för prematuritetsretinopati identifierat:

1. Barn med dåligt allmäntillstånd som inte går att transportera och söva, men som behöver komplicerad behandling, avgränsas bort från definitionen. Dessa barn kan bedömas tillsammans med NHVe för att välja en optimal behandling på befintlig plats.

2. Screening vid ROP behöver ske i varje sjukvårdsregion, på samtliga neonatalkliniker, och avgränsas bort från definitionen. Dessa screeningenheter bör ha tillgång till vidvinkelfotodokumentation av näthinnan för spädbarn. Vid svårbedömda fall kan dock NHVe bistå med bedömning av näthinnebilder för att optimera diagnostik samt tidpunkt och metod för behandling.

Beskrivning av det definierade området

Nuläge

Överlevnaden av för tidigt födda barn har ökat dramatiskt under de senaste decennierna, vilket innebär en ökad andel barn som föds omogna med ökad risk för sjuklighet i flera viktiga organ t.ex. hjärnan, lungorna, tarmarna, ögonen och synsystemet både på kort och långt sikt. Prematuritetsretinopati (ROP) är ett tillstånd som drabbar omogna kärl och neuronala komponenter i näthinnan i ögat hos för tidigt födda barn, och som i värsta fall kan leda till näthinneavlossning och blindhet. Cirka 70 behandlingar utförs i Sverige per år på grund av ROP, i den siffran ingår både primärbehandling och re-behandling.

Populationsbaserade registerstudier i Sverige har visat att ca 40 procent av barn födda före gestationsvecka 30 har någon form av ROP. Bland barn födda före vecka 27 drabbas ca 73 procent. ROP orsakar svår synskada eller blindhet hos 1–2 för tidigt födda barn per år i Sverige. Sakkunniggruppen bedömer att allvarlig synnedsättning på grund av ROP skulle kunna förebyggas hos en betydande andel av barnen.

I de flesta fall går ROP-sjukdomen tillbaka spontant, medan en mindre del (totalt ca 8 procent av för tidigt födda barn i Sverige) utvecklas till mer avancerad ROP som kräver behandling. Denna behandling som består av laser och/eller anti-VEGF-injektion i ögat ges för att förhindra näthinneavlossning och bestående synhandikapp. Sannolikheten att behöva behandling stiger med ökande omognadsgrad dvs. ju mer för tidigt född man är.

ROP indelas i fem olika stadier. Stadium 1 och 2 går oftast över spontant. Vid stadium 3 växer blodkärlen onormalt och okontrollerat och kan behöva behandlas för att näthinnan inte ska lossna. Denna behandling bör genomföras inom 72 timmar från diagnos. I stadium 4 har en del av näthinnan lossnat från sitt underlag och i stadium 5 har hela näthinnan lossnat. I Sverige drabbas ca 1-2 barn per år av ROP stadium 4-5.

Utöver de fem stadierna av ROP talar man också om s.k. “plus disease”, som är ett illavarslande tecken och innebär tillkomst av slingriga och vidgade blodkärl. Man talar också om s.k. ”aggressiv posterior ROP”, AP-ROP, som är en mycket allvarlig och snabbt progredierande ROP i fr.a. ögats bakre, centrala del och som kan leda till näthinneavlossning om man inte utför en snabb behandling (helst inom 48 h).

Pers ändring: Idag screenas alla barn med en gestationsålder vid födelsen på mindre än 30 veckor (≤29 veckor + 6 dagar).

Den första undersökningen görs vid 6 veckors ålder, men hos barn födda före vecka 26 skjuts denna undersökning upp till postmenstruell vecka 31 (31+0 –

31+6), men inte senare. Vid ROP-screening är ögonläkarens viktigaste uppgift att identifiera barn med ROP, som är av sådan grad att behandling behövs. Det måste därför finnas ett välfungerande screeningsystem och ett etablerat samarbete mellan ögon- och barnklinik på alla sjukhus där det finns neonatalavdelningar. Om ingen ROP ses bör barnet undersökas med en till två veckors mellanrum tills hela näthinnan är vaskulariserad vilket vanligen sker kring postmenstruell vecka 40.

Vid Typ 1 ROP, d.v.s. svår form av ROP, krävs behandling inom 72 timmar för att förhindra att ROP-sjukdomen går vidare och leder till näthinneavlossning.
Typ 1 ROP, innebär ROP i:

- Zon I, alla stadier av ROP med plus disease
- Zon I, stadium 3 med eller utan plus disease
- Zon II, stadium 2 eller 3 med plus disease

Zonen beskriver ROP-förändringarnas lokalisation på näthinnan i tre zoner. Zon I är mest central och innefattar ögats bakre pol, d.v.s. finns förändringar i zon 1 har kärlen vuxit endast en liten bit jämfört med om förändringarna finns i zon 3.

Behandlingen innebär oftast laserbehandling av den perifera icke färdigutvecklade delen av näthinnan och sker vanligtvis i narkos. Även injektioner med anti-VEGF är en förekommande behandlingsmetod. Om ROP-sjukdomen, trots behandling, går vidare till stadium 4 eller mer, kan det bli aktuellt med glaskropps- och näthinnekirurgi (vitrektomi eller cerklage).

Området är komplext och det krävs stor erfarenhet av sjukdomen och dess olika stadier för goda vårdresultat. Även om antalet screenade barn är relativt stort så är antalet behandlingar som utförs i Sverige litet. De två existerande behandlingsmetoderna har olika risk för re-behandlingar. Det handlar dessutom om mycket små och sköra patienter, där behandlingen oftast sker under narkos. Kompetens hos behandlande läkare är viktig för att undvika komplikationer vid laserbehandling av barn med ROP. ROP-vården kräver multidisciplinär kompetens och det måste finnas ett väl fungerande samarbete mellan bland annat barnögonläkare som screenar barnen, behandlande ögonläkare, neonatolog som vårdar barnen och barnanestesiologer som söver barnen.

Vid screening och bedömning av ROP krävs viss utrustning, exempelvis vidvinkelkamerautrustning för ögonbottenfotografering till en kostnad på cirka 900 000 kr. Idag varierar det i landet hur investeringar och användning av sådan utrustning ser ut.

ROP orsakar svår synskada/blindhet hos 1–2 för tidigt födda barn per år i Sverige. Enligt forskning skulle allvarlig synnedsättning pga. ROP kunna förebyggas hos 65 % av barnen (Norman et al JAMA Network Open 2019).

Idag utförs screening för ROP på samtliga sjukhus som vårdar prematurfödda barn. Antalet behandlingar av svår ROP skiljer sig mycket mellan de olika universitetssjukhusen, se tabell nedan. Behandling sker på de 7 universitetssjukhusen; antalet behandlingar per behandlande ögonläkare varierade mellan 1-37 under åren 2008-2012 (SWEDROP, BrJO 2016). Andelen barn som behandlas med anti-VEGF skiljer sig också nationellt och varierade under åren 2015–2019 mellan 0–4 injektioner på fem kliniker samt mellan 17–27 på två kliniker. Under samma period utfördes vitrektomi på 6 barn (7 ögon) på tre kliniker, varav merparten på en klinik (4 barn/5 ögon). Operation med cerklage utfördes på en klinik (5 barn/7 ögon).

Antalet re-behandlingar i landet varierar stort och uppgifter från det nationella kvalitetsregistret SWEDROP visar att det finns en stor spridning av frekvensen re-behandlingar mellan universitetssjukhus från 6 till 50 procent. Antalet remitteringar mellan regioner varierar också, se tabell 1. Det saknas en tydlig struktur för hur svårare ROP-fall ska remitteras.

Barn som bedöms vara i behov av behandling och som inte befinner sig på behandlande sjukhus behöver transporteras. Transporten till behandlande sjukhus är halvakut eftersom behandling bör ske inom 48–72 timmar efter beslut om behandling (beroende på allvarlighetsgraden av ROP). Beroende på barnets hälsotillstånd kan det behövas specialfordon och hög medicinsk kompetens på medföljande personal. Ett fåtal barn kommer trots detta inte att vara flyttbara och måste tas omhand och behandlas på befintligt sjukhus.

Tabell 1. Data från 2015-2019 (2019 ej komplett)

Universitetsklinik	Totalt antal behandlingar (inkl. re-behandlingar)	Antal barn remitterade från annan region
1	88	10/88=11 %
2	16	0/16=0 %
3	37	4/37=11 %
4	127	19/127=15 %
5	52	22/52=42 %
6	11	0/11=0 %
7	8	3/8=38 %
Totalt	339	58/339=17 %

Screening utförs olika i olika delar av landet, vidvinkelkamera-utrustning (t.ex. RetCam) används vid vissa kliniker och i vissa regioner. Bristande diagnostik eller behandling leder till försenad eller suboptimal behandling. Typ av behandling varierar och idag ser vi omotiverat stora skillnader vad gäller antal re-behandlingar mellan olika behandlande kliniker, både efter laserbehandling och anti-VEGF-injektion (se tabell 2).

Sverige följer internationellt vedertagen klassifikation av ROP samt en internationellt vedertagen definition av behandlingskriterier för ROP. Upplägg av screening, behandling och uppföljning av för tidigt födda barns ögon och synfunktion i Sverige tar också hänsyn till internationella studier samt nationella riktlinjer. De svenska nationella riktlinjerna för ROP och screening och behandling samt för syn- och ögonuppföljning hos prematurfödda barn har uppdaterats och finns färdigställda sedan november 2020 (finns att tillgå på svenska ögonläkarföreningens samt barnläkarföreningen/neonatalföreningens respektive webbplatser). Efterlevnaden till riktlinjerna har historiskt sett olika ut i landet, vilket till viss del kan förklara varför behandlingsmetoder och antalet re-behandlingar skiljt sig åt.

Vårdvolymer

Sakkunniggruppen uppskattar att det rör sig om cirka 30 barn per år inom definitionen, vilket innefattar både bedömningar av svåra ROP-fall och komplicerade behandlingar. Volymen konsultationstillfällen är dock svår att bedöma, för vissa barn kan det handla om flertalet konsultationer, men det skulle kunna röra sig om minst 100 tillfällen per år i landet.

Antalet behandlingar kan röra sig om cirka 15 behandlingstillfällen per år med anledning av AP-ROP eller Zon I-sjukdom. Utöver dessa tillkommer även ett antal avancerade re-behandlingar, cirka 10-15 per år. Dessa barn har från början en mindre uttalad sjukdom än AP-ROP/Zon I-sjukdom men remitteras för re-behandling när sjukdomen progredierat till svår ROP som kräver särskild kompetens för behandling. Dessa uppskattningar utgår ifrån antalet ROP-fall per år samt att antalet extremt prematurfödda barn ökar. Konsultationer med framtida nationella enheter kan leda till att färre barn kommer att behöva komplicerad behandling i framtiden.

Enligt data från SWEDROP har 3831 barn screenats varav 240 har behandlats under 2015-2019 (2019 ej komplett), se Tabell 2 nedan. Av dessa 240 barn har 72 barn behövt mer än en behandling (49 barn behandlades 2 gånger, 19 barn behandlades 3 gånger och 4 barn behandlades 4 gånger). Totalt genomfördes 339 behandlingstillfällen, varav 66 procent re-behandlades efter primär anti-VEGF-injektion och 20 procent efter primär laserbehandling.

Tabell 2. Data från 2015-2019 (2019 ej komplett)

Universitets-klinik	Totalt antal barn Primärbehandling	Primär-behand-ling anti-VEGF	Re-behandling efter primär anti-VEGF	Primär laserbehandling	Re-behandling efter primär laserbehandling	Cerclage	Vitrektomi
1	78	4	2 (50 %)	74	7 (9 %)	0	0
2	13	0		13	5 (38 %)	0	0
3	34	0		34	2 (6 %)	0	0
4	69	27	21 (78 %)	42	21 (50 %)	5 barn (7 ögon)	1 barn (1 öga)
5	31	17	9 (53 %)	14	1 (7 %)	0	4 barn (5 ögon)
6	9	1	0	8	2 (25 %)	0	0
7	6	1	1 (100 %)	5	1 (20 %)	0	1 barn (1 öga)
Totalt	240	50	33 (66 %)	190	39 (20,5 %)	5 barn (7 ögon)	6 barn (7 ögon)

Forskning

Sverige har under flera decennier bidragit med internationellt uppmärksammade studier kring patogenes, riskfaktorer och epidemiologiska aspekter av ROP samt av för tidigt födda barns ögon- och synproblem under uppväxten. Preventionsstudier har fokuserat kring betydelsen av tillväxtfaktorer, blodkomponenter och fettsyror för att minska risken för patologisk ROP utveckling. Forskningen har även varit föregångare inom utvecklingsområdet prediktionsmodeller för ROP där man möjliggjort fritt tillgängliga algoritmer för att prediktera barnen med högst risk att utveckla behandlingskrävande ROP (www.winrop.com, www.digirop.com).

Sverige har en lång tradition av populationsbaserade studier kring olika aspekter av ROP, dess förlopp och behandling, vilka lett till en kontinuerlig modifiering och förbättring av screening och behandlingsrutiner för ROP, bl.a. en internationellt uppmärksammad nationell studie av extremt tidigt födda barn (< 27 veckor vid födelsen) år 2004-2007. År 2007 startades ett nationellt kvalitetsregister för ROP (SWEDROP), vilket har lett till successiv förbättring och förändring av ögon-screeningen av för tidigt födda barn i Sverige. Registret har idag en täckningsgrad på 97 procent.

Vid en nationell centralisering av svår ROP-behandling skulle kvalitetsregistret ge en utmärkt möjlighet att göra uppföljningar av olika variabler, såsom förekomst av ROP över tid, olika aspekter kring behandling av ROP och även av regionala aspekter.

Genom att koncentrera vården möjliggör man också att utredningar och behandlingar blir mer standardiserade då de ligger på färre centra, vilket underlättar och optimerar klinisk forskning. Detta kan i sin tur leda till en högre reliabilitet av kliniska data t.ex. i SWEDROP. Högspecialiserad vård inom ROP-området skulle även kunna stärka FoU genom en koncentrerad hög klinisk kompetens i en etablerad forskningsmiljö och utgöra en viktig faktor för forskningssamarbete och jämlik utveckling av vården. Förutsättningarna att effektivt implementera och utvärdera nya forskningsresultat torde öka med en centralisering av svåra ROP-fall.

Internationell utblick

Sakkunniggruppen har genomfört en internationell utblick genom att gå igenom aktuell forskningslitteratur samt att ta kontakt med ansvariga kollegor i samtliga nordiska och ett flertal europeiska länder. Endast Sverige har ett heltäckande nationellt kvalitetsregister för ROP (ca 97 % täckningsgrad). De flesta länder har ett stort antal behandlande sjukhus/enheter (se tabell n edan). I England beskrivs en klar tendens till ökad centralisering. I Nederländerna har man centraliserat bedömningen av vidvinkelögonbottenfotografier inför all anti-VEGF-injektion i landet med hjälp av en digital expert-panel (Siilo app). I Norge har man också planer på ett centralt digitalt bedömningscenter inför behandling.

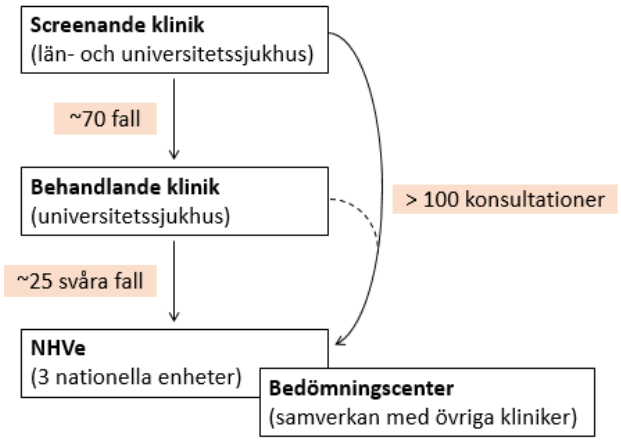
Danmark är det enda land som har centraliserat all ROP-behandling till ett sjukhus, Rigshospitalet i Köpenhamn. Screening görs vid samtliga universitetssjukhus i Danmark (sju stycken), som dessutom sänder runt screenande doktorer till omgivande mindre sjukhus. Alla universitetssjukhusen har vidvinkelögonbottenkamera och skickar bilder för bedömning och ställningstagande till eventuell behandling. Transporterna av barnen sker oftast med ambulans, enstaka gånger med helikopter och ibland transporteras barnet av vårdnadshavare om barnets tillstånd tillåter.

Land	Population (miljoner)	Antal behandlade (barn/år)	Antal behandlade (barn/miljon invånare)	Antal screenande sjukhus	Antal behandlande sjukhus	Antal behandlingar per sjukhus (genomsnitt)
NOR	5,4	12	2,2	19	5	2,4
DNK	5,8	≈20	3,4	7 + konsulter	1	20
FIN	5,5	≈20	3,4	?	5	4
ISL	0,36	1-2	4	1	1	1-2
NL	17,3	40	2,3	80	7	5,7
ENG	66	≈320	4,8	180	55	1,2
BEL	11,5	38	3,3	?	7-8	7,7
CHE	8,5	≈15	1,8	9	9	≈ 1
SVE	10	45	4,5	31	7	6,4

Framåtblick

För tidigt födda barn screenas för ROP på lokalt sjukhus och när det finns indikation för behandling skickas barn till behandlande universitetssjukhus. Svåra ROP-fall och komplicerade behandlingar sker på NHVe (se Figur 1 nedan). Screenande kliniker och behandlande universitetssjukhus vänder sig till NHVe för konsultation angående svårbedömda fall. I de fall screenande kliniker har vidvinkelfototeknik skickas näthinnebilder till NHVe för bedömning. NHVe bedömer och diagnosticerar dessa svåra fall, och tar beslut om det är dags att behandla patienten samt val av behandlingsmetod. När det gäller komplicerade behandlingar (både primära behandlingar och re-behandlingar) transporteras patienten till NHVe för behandling. Det kan till exempel gälla primär behandling vid svår zon 1-sjukdom, AP-ROP och/eller näthinneavlossning, samt avancerade re-behandlingar.

Figur 1: Samverkan och flöde till NHVe inkl. ungefärliga volymer



Barn med dåligt allmäntillstånd, som inte går att transportera och söva men behöver komplicerad behandling, kan bedömas tillsammans med NHVe för att välja en optimal behandling av patienten på befintligt sjukhus. Vid behov och om det finns möjlighet kan NHVe skicka team med NHV-kompetens till hemsjukhus.

Det allra viktigaste är att screeningen fungerar och utförs av kompetenta ögonläkare med god kunskap om ROP-sjukdomen. Tillgång till vidvinkelkamera för möjlighet till objektiv dokumentation av ögonbottenmorfologin, samt konsultation, är att föredra. God samverkan mellan screenande enheter, behandlande enheter och NHV är central. Det ligger i NHV-enheters uppdrag att kunskapssprida samt informera och kommunicera med behandlande och screenande enheter i Sverige.

Ändamålsenliga volymer för blivande NHVe är åtminstone 5-10 behandlingar med extern laser per läkare per år, för att uppnå goda behandlingsresultat. Behandlande läkare måste också ha god erfarenhet av ROP-sjukdomen. Kompetens och erfarenhet av både sjukdomsbild och ingreppen (extern laser samt anti-VEGF-injektion) ska finnas på blivande NHVe. För detta krävs tillräcklig bemanning och kompetensförsörjning av behandlande läkare. Det ska också finnas vidvinkelfototeknik under operation, och behandling ska dokumenteras med denna för att kunna utvärdera adekvat laserbehandling. Det behövs också gott samarbete med avancerad barnnarkos för prematurfödda barn samt platstillgång på högspecialiserad neonatalavdelning i anslutning till NHVe.

Blivande NHVe bör samverka och knyta till sig screenande kliniker och behandlande kliniker för att upprätta ett digitalt bedömningscenter där kunskap om diagnostik och bedömningar kan utvecklas och spridas på fler platser än bara NHVe (se Figur 1).

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.

Kompetens och resurser	
Kritisk läkarkompetens	Samtliga med specifik erfarenhet inom ROP-behandling: • Barnögonläkare screening • Ögonläkare med kompetens för extern laser och intravitreal injektion • Neonatolog • Barnanestesiolog För enhet med ansvar för vitreoretinalkirurgi ska även finnas: • Retinalkirurg
Andra typer av kritisk kompetens (t.ex. sjuksköterska, kurator, psykolog eller fysioterapeut med specialkompetens)	• Koordinator (inkl. logistik)
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	• Vidvinkelögonbottenkamera för bl.a dokumentation av behandlingsresultat • NHVe ska verka för digital kommunikationsutrustning/plattform, system för att skicka bilder (effektivt/lagligt) • Postoperativa vårdplatser neonatal-avdelning och neonatal-IVA
Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	• 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. • Ska samråda kring och bidra till kvalitetsregistret (SWEDROP). • NHVe ska gemensamt ta fram rutiner och verktyg för att kommunicera med vårdnadshavare. • NHVe ska ha ett tydligt vårdnadshavarperspektiv och skapa förutsättningar för vårdnadshavare att vara en naturlig del i vårdförloppet.

	• NHVe ska samverka för att ha en beredskap för att bedöma svåra fall från ROP-screenande neonatal-enheter.

Konsekvenser av rekommendationen

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.)	Med tre NHV-enheter med lämplig lokalisation i landet anser sakkunniggruppen att fördelarna med NHV är större än nackdelarna med transporttid. En koncentration av behandling av svår ROP innebär ökade förutsättningar till ett gott behandlingsresultat i form av bättre synutfall och färre komplikationer i form av svår synskada/blindhet hos dessa barn. Organisationen kring dessa behandlingar kommer också att förtydligas, vilket underlättar för remitterande läkare och kliniker. Möjligheten till en central bedömning av svåra fall med hjälp av vidvinkelfotografering är också en mycket stor vinst och bidrar till ökad återkoppling och kompetens hos inremitterande läkare. Konsultationer med NHVe vid svårbedömda fall kan potentiellt innebära tidigare och säkrare diagnos. På längre sikt kan man förvänta sig att kompetensnivån i alla regioner höjs. Detta i kombination med NHVe skulle kunna medföra en relativ minskning av transportbehov pga. förbättrat omhändertagande av barn med ROP. Koncentration av den mest komplicerade ROP-vården, och tillgång till denna vård oavsett var i Sverige man bor, bidrar till jämlik vård och är en stark fördel. Patientföreträdare lyfter dock vikten av en strukturell integrering av NHVe med befintlig vårdkedja.

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	Koncentration kan medföra ökad trygghet för familjer, men förutsätter boendemöjligheter på NHVe vid behandlingstillfället. För familjen kräver varje överlämning mellan enheter tillräckliga resurser för information före, under och efter behandlingstillfället. Detta gäller särskilt om det handlar om stora geografiska avstånd. Suboptimal informationsöverföring medför onödig psykosocial belastning på familjen.
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	Generell kompetenshöjning med NHV. Risken för kompetensförlust vid läns- och universitetssjukhus uppskattas vara liten eftersom huvuddelen av diagnostik och behandling blir oförändrad. Enbart komplicerade fall ska remitteras till NHVe. NHV-enheterna måste bygga upp en personal-redundans som är hållbar året om. Detta är en utmaning men genomförbart om resurser tillförs, och kan ske i samverkan mellan NHVe. En stor fördel med detta är att det finns ett tydligt ansvar för att säkra upp vården långsiktigt och under hela året. Om det sker en ”indikationsglidning” så att fler patienter än de med svår ROP skickas till NHVe kan detta leda till att kunskap kring behandling i regionerna dräneras. Skapandet av NHVe och samverkan mellan NHVe och screenande enheter när det gäller screening och diagnostik kan leda till en kunskapsökning i hela landet. Detta förutsätter dock investeringar i vidvinkelkamera på fler platser i landet.
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	Positiv påverkan på forskning. Förutsättningarna att effektivt implementera och utvärdera nya forskningsresultat kommer att öka vid en koncentration.
Påverkan på närliggande områden	Det rör sig om ett litet antal patienter årligen som är aktuellt för NHV. Sakkunniggruppen bedömer inte att det blir någon stor undanträngning av omkringliggande områden vid de nationella enheterna. Viss påverkan då konkurrens om vårdplats på neonatalenhet vid NHVe kan uppkomma. Även viss belastning på barnanestesin kan komma att uppstå.
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.	Det blir en ökad belastning på NHVe och på neonatalvården (neonatal-IVA, anestesi, vårdavdelning). Vårdbehovet för dessa barn är akut och det måste alltid finnas beredskap på NHVe för inkommande barn som ska behandlas för ROP. NHVe

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	måste alltså kunna frigöra vårdplats vid behov. Akut omhändertagande av barn med ROP försvinner inte från nuvarande behandlande sjukhus eftersom enbart komplicerade fall remitteras till NHVe.
Påverkan på vårdkedjan	Med kommunicerade riktlinjer och god remisshantering kommer endast komplicerade fall att remitteras till NHV. Viss påverkan på vårdkedjan i de fall en patient skickas direkt till NHVe från screenande klinik och inte via det närmsta behandlande universitetssjukhuset. Detta kommer dock vara ovanligt då de flesta barn med svår ROP redan befinner sig på universitetssjukhus. Viktigt med en fungerande kommunikation mellan NHVe, vårdnadshavare samt oftalmolog och neonatolog på hemortssjukhus under hela sjukdomsförloppet för att säkerställa vad som händer efter behandling.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	Se ovan. Remittenter får bättre tillgång till hög kompetens med tre NHVe i landet. Fler med specialistkompetens måste utbildas för att uppnå en säker högkvalitativ vård i framtiden. Koncentration kan underlätta detta genom att det åläggs NHVe att planera för utbildning. Även fler patienter och mer data (i form av en bildbank för undervisning) kan vara en fördel i utbildningssyfte. NHV innebär ökade kostnader pga. att administrationsaktiviteterna ökar. Det finns ett behov av ett nationellt system för enkel men säker bildöverföring. För att ROP-vården i landet ska fungera optimalt behöver även icke NHVe, både screenande/behandlande vårdenheter, investera i teknik för objektiv bilddokumentering och bildöverföring till NHVe. Omställning till nationell högspecialiserad vård innebär potentiellt en processförändring som innefattar nya strukturer i arbetsgrupper, ny teknik samt förändring i olika arbetskulturer, det vill säga att det finns en risk för friktion och bakslag.
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	Beroende på barnets hälsotillstånd kan det behövas specialfordon och hög medicinsk kompetens på medföljande personal. Transporter av dessa barn kommer fortsätta att ske med nuvarande transportorganisationer. Alla barn är trots detta inte

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	flyttbara på indikationen synbevarande behandling. Det rör sig om cirka 20-30 transporter per år. Många av dessa barn transporteras redan idag för behandling. Med NHV kan förbättrad screening och primärbehandling leda till minskat antal transporter till NHVe för komplicerad behandling.
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	Under det senaste decenniet har en generellt förbättrad neonatalvård lett till en minskad risk för ROP hos de äldre prematurfödda barnen. Samtidigt har man fått fler överlevande extremprematura barn med ett åtföljande ökat behov av avancerad ROP-vård. Detta medför att totalantalet barn som undersöks kan minska men antalet barn med behandlingskrävande ROP har därmed ökat. Förbättrad screening och samverkan mellan screenande enheter och NHVe kan leda till bättre omhändertagande och därmed färre komplicerade behandlingar/rebehandlingar i framtiden. Vi förutser ingen kraftig förändring i vårdvolymer som skulle förändra behovet av antal NHVe närmaste åren.
Övriga kommentarer:	Ovanstående konsekvensanalys förutsätter ett väl utarbetat nationellt vårdprogram med god följsamhet. Förutsätter också en ROP-screening på samtliga neonatalenheter av hög kvalitet med möjlighet att dokumentera förändringar i bildform. Dessa bilder skall vara möjliga att överföra till NHVe för bedömningshjälp.

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). Uppföljningsmåtten ska utgå från nedan mall. Uppföljningsmåtten kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Förslag till uppföljningsmått

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal patienter* inom NHV-området alt. remisser till NHVe
Bakgrundsmått	Antal behandlade vid NHVe Typ av behandling (laser, anti-VEGF, övrigt)
Bakgrundsmått	Vårdtid
Tillgänglighetsmått	Tid till bedömning/behandling/åtgärd Alternativt andel patienter som fått behandling inom medicinskt rekommenderad tid, d.v.s. 72 timmar respektive 48 timmar
Medicinska resultat	Komplikationer som kräver vitreoretinal kirurgi per NHVe Blindhet och svår synnedsättning ROP stadium >3 och AP-ROP per NHVe Antal re-behandlingar per NHVe, uppdelat på typ av behandling (laser resp. anti-VEGF) Skillnader i re-behandlingsfrekvens mellan NHVe
*För patienter inom NHV följs demografisk data upp: • Ålder • Kön • Hemregion (folkbokföringsadress)	

Referenser

Sakkunniggruppen har identifierat ett antal referenser till forskningsstudier som beskriver patientgrupper, vårdformer och behandlingsmetoder. Artiklarna undersöker inte frågeställningen om koncentration av vård inom området prematuritetsretinopati. Sakkunniggruppens bedömning utgår från kvalitetsregisterdata, internationell utblick, klinisk erfarenhet och kunskap om den svenska sjukvårdens struktur inom området prematuritetsretinopati.

Deltagare i sakkunniggrupp

Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Stefan Löfgren, Barnoftalmolog
Sydöstra sjukvårdsregionen: Per Odelberg-Johnson, Neonatolog/barnspec
Norra sjukvårdsregionen: Daniel Kjellgren, Ögonläkare
Södra sjukvårdsregionen: Lotta Gränse, Barnoftalmolog
Västra sjukvårdsregionen: Ann Hellström, Barnoftalmolog
Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Gerd Holmström, Barnoftalmolog
Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Ulrich Spandau, Ögonläkare
Patientföreträdare: Karl Rombo, ordförande Prematurförbundet

Genomlysning av vårdområdet stamcellstransplantation vid särskilda tillstånd

Sakkunniggruppens underlag
Remissversion

Förord

I detta underlag genomlyser en sakkunniggrupp vårdområdet stamcellstransplantation vid särskilda tillstånd, t.ex. autoimmun sjukdom 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
Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård 7
Avgränsningar 8
Beskrivning av det definierade området 9
Förslag till särskilda villkor 14
Konsekvenser av rekommendationen 16
Uppföljning och utvärdering 19
Referenser 20
Deltagare i sakkunniggrupp 21
Om nationell högspecialiserad vård 22

Ordlista

EBMT	European Soceity for Blood and Marrow Transplantation
dcSSc	Diffus kutan systemisk skleros
HSCT	Hematopoetisk stamcellstransplantation
MDK	Multidisciplinär konferens
MS	Multipel skleros
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
NPO	Nationellt programområde
PAH	Pulmonell arteriell hypertension
RCC	Regionala cancercentrum
SSc	Systemisk skleros
SKG	Sakkunniggrupp

Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet att blodstamcellstransplantation vid systemisk skleros ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid tre vårdenheter i Sverige.

Detta bedöms vara vård som är komplex, sällan förekommande, kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården är multidisciplinär då reumatologer och hematologer, med stöd av radiologer, lungmedicinare och kardiologer behövs i bedömningen av vilka patienter som har bäst nytta av stamcellstransplantation och där fördelarna överväger riskerna för patienten.

Sakkunniggruppen bedömer att med rätt urval av patienter för transplantation kan behandlingen signifikant förbättra överlevnad och livskvalitet för en grupp av patienter med systemisk skleros. För att få mer kunskap och erfarenhet behöver denna vård därför koncentreras. Sakkunniggruppen finner att en koncentration av aktuell vård till tre enheter ökar förutsättningarna för att förbättra vårdkvaliteten, 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 det idag saknas ett strukturerat vårdflöde för patienter med systemisk skleros där stamcellstransplantation kan vara ett behandlingsalternativ. Sakkunniggruppen bedömer att akutsjukvården inte kommer påverkas av förslaget.

Omkringliggande områden, som annan hematologisk transplantationsverksamhet, förväntas inte påverkas nämnvärt om tre vårdenheter delar på ansvaret nationellt.

Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Autolog blodstamcellstransplantation vid systemisk skleros ska utgöra nationell högspecialiserad vård.

Patienter med tidig diagnosticerad systemisk skleros, där prognosen bedöms vara allvarlig på grund av inre organpåverkan, ska remitteras till en nationell enhet för bedömning, vidare utredning och eventuell blodstamcellstransplantation.

Antal vårdenheter

Tre vårdenheter.

Avgränsningar

Innan sakkunniggruppen (SKG) sattes samman lyfte Socialstyrelsen frågan om stamcellstransplantation av vissa maligna tillstånd och om stamcellstransplantation på barn skulle ingå i uppdraget att genomlysa stamcellstransplantation vid särskilda tillstånd som NHV. Efter samråd med Nationellt programområde (NPO) cancer, dvs. regionala cancercentrum (RCC) i samverkan, NPO barn och ungas hälsa samt nominerade sakkunniga beslöts att i föreliggande SKG inte genomlysa stamcellstransplantation vid malignitet och stamcellstransplantation på barn.

I Socialstyrelsens arbete att tillsammans med sakkunniggrupper genomlysa vård som ska bedrivas som nationell högspecialiserad vård kan SKG också identifiera områden som istället bör nivåstruktureras inom varje samverkansregion. Nedan följer de områden som SKG identifierat:

1. SKG avser inte att vidare genomlysa autolog hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT) vid inflammatoriskt aktiv multipel skleros (MS) av följande skäl:
    a. Den geografiska ojämlikhet som finns avseende tillgång till avancerade behandlingar vid MS gäller egentligen alla behandlingar och inte enbart HSCT. NHV förväntas inte avhjälpa detta.
    b. Själva proceduren (HSCT) vid MS är relativt okomplicerad och är i princip inte annorlunda än autologtransplantationer vid maligna sjukdomar. SKG bedömer därför att behandling med HSCT kan ges på ett säkert sätt vid samtliga universitetssjukhus.
    c. Fördelarna med att behålla möjligheten att behandla MS med HSCT på nuvarande sju enheter bedöms vara stora. Särskilt beaktades geografisk närhet till vården och möjlighet till lokal multidisciplinär samverkan.

2. SKG avser inte att gå vidare med att föreslå NHV för autolog HSCT vid andra inflammatoriska neurologiska sjukdomar, inklusive myastenia gravis, kronisk inflammatorisk demyeliniserande polyneuropati och neuromyelitis optica-spektrumsjukdomar då åtgärden är ovanlig vid de angivna tillstånden och evidensen är förhållandevis svag.

Beskrivning av det definierade området

Nuläge

Förslaget berör patienter som diagnosticerats med systemisk skleros (SSc) som kan vara aktuella för autolog HSCT pga. allvarliga organmanifestationer. Hittills har i Sverige ett fåtal (<10) patienter med SSc behandlats med HSCT. Autolog HSCT med immunoablativ konditionering är dock en effektiv behandling för patienter med progredierande diffus kutan systemisk skleros (dcSSc) som kan åstadkomma en långvarig förbättring av organfunktion, framförallt lungor och hud, samt ökad överlevnad. För närvarande finns det inte någon annan behandling som verkar ge likvärdig förbättring, dock är antalet studier få och i Sverige behöver vi bygga mer kunskap och erfarenhet för att kunna ge fler en mer rättvis och kompetent bedömning inför eventuell behandling med HSCT.

För att välja ut patienter med störst nytta och minst risk av behandlingen behövs ett multidisciplinärt team bestående av i första hand reumatologer och hematologer, med stöd av radiologer, lungmedicinare och kardiologer. Behovet av tätt samarbete mellan olika professioner bidrar till komplexiteten.

Systemisk skleros är en sjukdom med mångfacetterad symptombild där många organsystem kan vara engagerade i olika grad redan från sjukdomsdebut, vilket gör det är svårt att välja patienter som skulle ha bästa nytta av behandlingen. Den bästa tidpunkten för när HSCT ska genomföras är svår att avgöra och i det tidiga sjukdomsskedet (när patienten fortfarande är relativt frisk) prövas företrädesvis andra behandlingsmetoder, t.ex. metotrexat, cyklofosfamid eller mycophenolate mofetil i monoterapi eller i kombination med tocilizumab, rituximab eller nintedanib, vilket kan leda till att tid går förlorad. Patienten kan då hinna utveckla sjukdomsmanifestationer som ökar risken för procedur-relaterad mortalitet vid HSCT. Till skillnad från andra autologa blodstamcellstransplantationer har transplantation av patienter med systemisk skleros en relativt hög transplantationsrelaterad mortalitet, ca 3-10 %. Mortaliteten har framförallt kardiella orsaker och flera svåra hjärttillstånd utgör därför en kontraindikation för transplantation. Hjärtpåverkan är också ofta dold och inte detekterbar genom sedvanliga pretransplantationsutredningar. För att minska transplantationsrelaterad mortalitet behöver därför alla patienter genomgå noggrann utredning där det krävs både specialutrustning och kunnig och engagerad personal inom flera discipliner (reumatologer, transplantationsläkare, kardiologer, lungläkare och radiologer).

Även om autolog HSCT vid systemisk skleros har visat sig signifikant förbättra organfunktion och överlevnad får ett antal patienter återfall i sin sjukdom och biverkningar. Det är därför mycket viktigt med systematisk uppföljning av patienter med systemisk skleros som genomgått autolog HSCT.

Autolog stamcellstransplantation, alla indikationer, är en väletablerad metod generellt. Det utförs idag ca 600 autologa stamcellstransplantationen årligen i Sverige och proceduren erbjuds vid samtliga sju universitetssjukhus. Kring hundra eller fler utförs i Uppsala, Stockholm, Göteborg och Lund och 60-70 i Linköping samt 30-40 stycken i Örebro och Umeå. Användning av HSCT som behandlingsmetod skiljer sig på grund av utvecklingen av andra behandlingar för olika sjukdomstillstånd, framför allt med nya läkemedel men även på grund av skilda behandlingstraditioner inom olika professioner och regionala variationer. Behovet av HSCT kommer inom vissa sjukdomsområden (framförallt cancer) eventuellt minska i framtiden tack vare att läkemedelsbehandling ger allt bättre resultat.

Antalet HSCT av patienter med systemisk skleros i världen ökar årligen enligt rapport från European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT). Ett par randomiserade studier har gjorts, vilka stödjer transplantationsindikationerna. Internationellt är indikationerna för högdosbehandling aggressivt förlöpande systemisk skleros som är refraktär mot minst en behandling. Internationella riktlinjer för urval av patienter, pretransplantationsutredningar samt optimalt genomförande av transplantation har publicerats[1]. Med andra ord har kunskapsnivån och erfarenheten ökat successivt med åren.

Varje år diagnosticeras ca 100-200 personer med systemisk skleros i Sverige. Systemisk skleros är en ovanlig sjukdom som det också i stort saknas en organisation kring i Sverige. Det saknas utarbetade remitteringsvägar för systemisk skleros och därmed också för HSCT vid systemisk skleros. I en patientenkät till riksföreningen för systemisk skleros visade det sig att ca 30 % av patienterna i diagnosgruppen inte behandlas av en specialiserad reumatolog. Detta kan orsaka suboptimalt omhändertagande och bidra till att patienterna inkommer för sent till specialkunnig reumatolog som kan göra rätt bedömning och ta beslut om rätt behandlingsmetod. Alla patienter med systemisk skleros är dock inte aktuella för autolog HSCT men sakkunniggruppen anser att behandlingsmetoden är underanvänd då den idag endast används sporadiskt på enstaka universitetssjukhus och det hittills i Sverige bara genomförts nio autologa blodstamcellstransplantationer vid systemisk skleros. I Nederländerna har det jämförelsevis fram till år 2017 genomförts 92 HSCT vid systemisk skleros. Orsaken till det låga antalet i Sverige kan vara avsaknad av tillräckligt vetenskapligt stöd, brist på rutin, medvetenhet om risker för denna patientgrupp, samt avsaknad av strukturerade vårdflöden.

[1] Walker UA, et al. RMD Open 2018;4:e000533. doi:10.1136/rmdopen-2017-000533

Vårdvolymer

Hittills har det genomförts nio autologa blodstamcellstransplantationer vid systemisk skleros i Sverige. Antalet patienter med systemisk skleros som kan vara aktuella för utredning uppskattas till ca 40 patienter om året varav högst 10-20 per år kommer att bli aktuella för stamcellstransplantation. Bedömningen har gjorts utifrån befolkningsvolym i landet jämfört med hur många behandlingar som utförs i länder där proceduren är mer förekommande och där man valt att utföra den vid ett fåtal center, som exempelvis Nederländerna.

Forskning

För närvarande finns ingen forskning om HSCT vid systemisk skleros i Sverige. Volymer av aktuella patienter förväntas inte vara tillräckliga för att driva egna studier, däremot skulle koncentration av vården göra det möjligt att delta i multinationella europeiska studier och därmed stärka forskningen i Sverige.

Det finns ett register, svensk reumatologis kvalitetsregister (SRQ) som möjliggör uppföljning av patienter med systemisk skleros. Därtill finns EBMTs patientregister som samlar in resultaten av HSCT vid olika sjukdomar. Dock så är volymerna fortfarande för små för att kunna utgöra tillförlitliga resultat för denna patientgrupp.

Internationell utblick

Sakkunniggruppen har undersökt organisationen i tre västeuropeiska länder; Norge, Nederländerna och Storbritannien.

I Norge är all verksamhet koncentrerad till Rikshospitalet vilket utgör ett center per drygt 5 miljoner invånare. I Nederländerna finns fyra centra som utför dessa behandlingar. Detta innebär ett centrum per 4,2 miljoner invånare. Om vi översätter Norges och Nederländernas organisation till Sveriges befolkning skulle det innebära två till tre centra i landet. I Storbritannien finns ett okänt antal centra som gör enstaka eller få transplantationer men två större centra i Sheffield och London som gör ett större antal, framför allt på de patienter som har hjärt- eller lungpåverkan. Det gör att det inte riktigt går att beräkna antal centra i förhållande till befolkningsstorlek i Storbritannien.

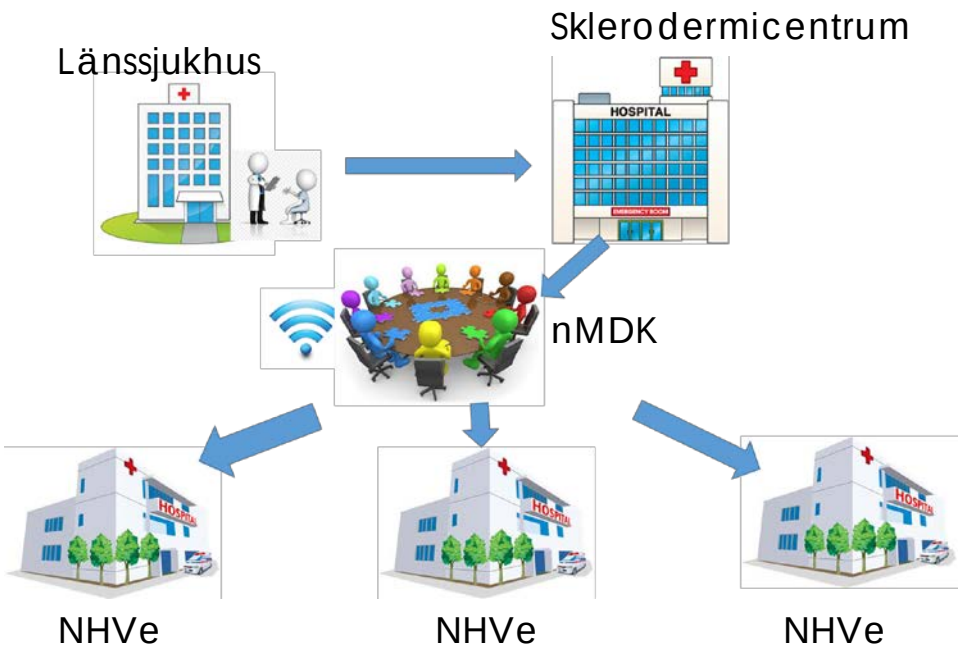
Framåtblick

Sakkunniggruppen anser att det generellt finns stora ojämlikheter gällande omhändertagandet av denna patientgrupp i Sverige. Volymen är för liten för att varje sjukvårdsregion ska kunna skaffa sig erfarenhet och god praxis, vilket är en anledning till att det är gynnsamt att koncentrera transplantationerna till färre enheter än idag. En koncentration av denna vård skulle tydliggöra för remittenter vart patienterna skall remitteras och öka erfarenheten av HSCT vid systemisk skleros vid NHVe. Med högre volymer kan NHVe ta fram rutiner/riktlinjer för att välja ”rätt” patient och standardisera vården,

som då sannolikt skulle bli tillgänglig för fler samt ge en reducerad mortalitet av proceduren. Sakkunniggruppen bedömer att ca 40 patienter/år skulle utredas för lämplighet för HSCT och ca 20 patienter/år skulle behöva genomgå HSCT. Förslagsvis koncentreras HSCT vid systemisk skleros till tre nationella enheter. Med tre enheter blir vården mindre sårbar och det kan bli en rimlig spridning i landet med en sund konkurrens mellan enheterna med möjlighet att lära av varandra. Sakkunniggruppen föreslår att alla tre NHVe samarbetar och utarbetar gemensamma rutiner/riktlinjer för bedömning av patienter.

Regionernas system för kunskapsstyrning (NPO Reumatologiska sjukdomar) har initierat en nationell arbetsgrupp (NAG) som bland annat ska ta fram vårdprogram för att åstadkomma likvärdig vård för patienter med systemisk skleros. Arbetsgruppen ska även verka för en övergripande nivåstrukturering för att förbättra omhändertagandet av patienten på olika vårdnivåer.

Förhoppningen med arbetet inom systemet för NHV och pågående NAG är att Sverige får en tydlig struktur och organisation kring patienten med systemisk skleros. Sakkunniggruppen ser framför sig att alla patienter med systemisk skleros skall bedömas vid framtida sklerodermicentra (expertteam). Patienter ska även kunna skriva egenremisser till ett sklerodermicentrum för bedömning. Liknande struktur finns exempelvis i Norge och inom andra sjukdomsområden, t.ex. centra för pulmonell arteriell hypertension (PAH) som finns på flera platser i Sverige. Ett sklerodermicentrum ska kunna ställa diagnos och avgöra rätt vårdnivå för vidare åtgärder. Om HSCT bedöms som aktuellt, remitteras patienten till MDK med alla NHVe där beslut om vidare utredning och behandling tas. Lämplighet för HSCT bedöms och därefter remitteras patienten till en av de tre NHVe för HSCT. Oavsett vilka åtgärder som beslutas så ska patienten kunna följas i sin hemregion med stöd från sklerodermicentrum och/eller NHVe. Eftersom sklerodermicentrum ännu ej implementerats i landet rekommenderar sakkunniggruppen att om HSCT genomförts, bör NHVe ta ansvar för uppföljning i nära dialog med patientens regionsjukhus och/eller hemregion. Sakkunniggruppen föreslår vårdflöde för HSCT vid systemisk skleros enligt figur 1.



Figur 1. Förslag på vårdflöde för patienter med systemisk skleros, där autolog hematopoetisk stamcellstransplantation kan vara ett behandlingsalternativ. Sklerodermicentrum syftar på eventuellt framtida expertteam vid t.ex. regionsjukhusen (se ovan angående nationell arbetsgrupp för systemisk skleros). NHVe, nationell högspecialiserad vårdenhet, nMDK, nationell multidisciplinär konferens.

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.

Kompetens och resurser	
Kritisk medicinsk kompetens (läkare)	Team för nationell högspecialiserad vård inom aktuellt område. Följande kompetenser ska ha särskild kunskap och erfarenhet om patientgruppen: • Reumatolog • Hematolog med stor erfarenhet av högdosterapi med autologt stamcellstöd och bred internmedicinsk kompetens • Kardiolog • Lungläkare med kompetens att handlägga patienter med lungfibros • Radiologer med erfarenhet att bedöma och skatta parenkymförändringar i lungor
Andra typer av kritisk kompetens (t.ex. sjuksköterska, kurator, psykolog eller fysioterapeut med specialkompetens)	
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	• Kapillärmikroskop • Avdelning för blodstamcellstransplantation med skyddsisoleringsmöjligheter • Stamcellslaboratorium med erfarenhet och kunskap att skörda och under GMP ta fram och bedöma, och hantera positivt selekterade stamceller. • Enhet för handhavande av insamlade blodstamceller, resurser för kryopreservering och blodcentral för försörjning med blodprodukter.
Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den föreslagna vården ska kunna bedrivas	• Blodsstamcellstransplantationsteam med internationell ackreditering • Hjärtkateteriseringsslab (PAH-centra) för kateterisering med belastning • Infektionsklinik • Njurmedicinsk klinik

	• Klinisk immunologi och transfusionsmedicin
Kritiska diagnostiska metoder	• HRCT (High resolution computed tomography) thorax • MRT hjärta • Hjärtkateterisering med volymbelastning
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)	
Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	• 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 ska verka för att patienterna ska få en likvärdig bedömning

Konsekvenser av rekommendationen

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.) Överväger möjligheten och tillgången till NHVe nackdelen med ökat avstånd/resor?	Fler patienter ges tillgång till bästa kompetens, säkrare behandling och möjligheten ökar att få bedömning tidigare. Med ökad kunskap om patientgruppens risker kan det reducera den transplantationsrelaterade mortaliteten (TRM). Patienter behöver resa för att genomföra utredningar och få behandling redan idag. Det handlar mer om hur långt man får resa beroende på hur många enheter som fastslås. Även om patienten får resa så har detta en underordnad betydelse i perspektivet god vård. Huvudsaken att man vet att man får träffa bästa kompetens och vård av bästa kvalitet. Oavsett införande av HSCT vid systemisk skleros som NHV så är det övergripande för hela patientgruppen med systemisk skleros viktigare vad NAG (se sid. 13) tar fram gällande vårdprogram inkl. behandlingsrekommendationer, uppföljning, etc. Detta ger effekt på omhändertagandet under resten av livet. Idag omhändertas exempelvis ca 30 % av medlemmarna i riksföreningen för systemisk skleros ej på reumatologisk klinik.
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	Med mer erfarenhet vid NHVe ökar förutsättningarna för att sprida kunskap om behandlingen som idag är i låg (bara 9 patienter har fått behandlingen hittills).

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
Vad händer med de enheter som ev. blir av med viss vård? Finns det några negativa konsekvenser för de enheter som kommer att bedriva nationell vård?	Transplantationsverksamheten påverkas inte men kunskapen om patientgruppen får möjlighet att utvecklas. Färre enheter än tre ökar sårbarheten kring kompetensförsörjning.
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	En koncentration ökar förutsättningar/möjligheter att vara del av multinationella studier. Patienterna kan få delta i fler forskningssammanhang.
Påverkan på närliggande områden Är det något som trängs undan om detta område blir NHVe?	En koncentration och skapandet av NHVe kan ge bättre struktur och organisation för reuma-patienten, om föreslag på vårdflöde (figur 1, sid. 13) implementeras och följs. Reumatologer kommer bli bättre på att remittera patienter till rätt behandling och vårdnivå. Om antalet NHVe för HSCT vid systemisk skleros görs till fler än tre blir detta svårt (då kvarstår problemet som finns idag). Reumatologisk verksamhet i övrigt påverkas inte nämnbart, även om de tre föreslagna NHVe kommer att handha något fler allvarligt sjuka patienter. De tre NHVe som får tillstånd kommer att kunna hantera patientvolymer för både utredning och HSCT-behandling. Patienter med mindre allvarlig reumatologisk sjukdom kommer eventuellt flyttas till andra läkare. På ett transplantationscentrum med höga volymer (alla indikationer) kommer de ökade volymerna av HSCT vid systemisk skleros inte påverka närliggande områden, förutsatt att det inrättas tre NHVe, men på små centra med lägre volymer kan denna eventuella ökning påverka verksamheten.
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort. Blir en ökad volym en ökad belastning för akutsjukvården på NHVe? Beskriv också konsekvenserna för akutverksamheterna om denna vård försvinner från sjukhusen.	Inte relevant
Påverkan på vårdkedjan Kommer den vårdkedja som finns idag att påverkas? T.ex. att länssjukhuset hoppar över regionsjukhuset när en diagnos ska konfirmeras och remitterar direkt till NHVe?	Vårdkedjan kan bli tydligare än den är idag vilket gynnar patienten. Om förslag på vårdflöde enligt figur på sid 13 implementeras kan patientens möjlighet att få god vård, i flera sammanhang, öka.

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	Till exempel har de patienter som remitterats till NHVe men inte går vidare till stamcellsbehandling ändå fått en expertbedömning som kan påverka vården för patienter på ett positivt sätt.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.) Påverkan på planering, ledning och kontroll av verksamheten på ett sätt som leder till att kraven på god vård i HSL upprätthålls. Inkludera även ett resonemang som gäller påverkan för remittenten. Behöver vårdgivaren investera i något som inte finns idag? Medför det ökade kostnader att ansvara för NHVe? Observera att samverkan mellan tillståndsinnehavare och remittenter regleras i föreskrifterna.	Annan hematologisk transplantationsverksamhet kan påverkas om antalet NHV enheter koncentreras till färre än tre enheter. Se också ovan gällande små och stora transplantationsverksamheter. En tydlig uppdelning på tre NHVe ger större förutsägbarhet kring patientvolym
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter Är patienterna i behov av särskilda sjuktransporter? Akuta eller planerade?	Ej relevant Transportbehov vid eventuell komplikation efter HSCT handlar mest om infektion, vilken ska omhändertas i hemregionen.
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner Finns det anledning att tro att vårdvolymerna kommer att förändras över åren med tanke på medicinsk utveckling på området. Paradigmskifte på gång? Kan en tidsaspekt läggas in? Om man har skäl att tro att det inom snar framtid kommer att behövas fler centra än dagens rekommenderade antal.	Antalet patienter med systemisk skleros förväntas inte öka nämnvärt. Andra behandlingsalternativ kan utvecklas som på sikt kan minska behovet men det kan också vara så att resultat av pågående eller planerade studier kan göra att indikationen vidgas.
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). Uppföljningsmåtten ska utgå från nedan mall. Uppföljningsmåtten kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Förslag till uppföljningsmått

Uppföljningsmått*	**Beskrivning**
Bakgrundsmått	Antal remisser till NHVe (samt medel/medianålder, antal män/kvinnor och antal från varje region)
Bakgrundsmått	Antal behandlade vid NHVe
Bakgrundsmått	Andel behandlade vid NHVe Täljare: Antal behandlade Nämnare: Antal remisser
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss till bedömning Datum för bedömning minus datum för remiss
Tillgänglighetsmått	Tid från beslut om behandling till erbjuden behandling (datum för erbjuden behandling minus datum för beslut om behandling) Alternativt: andel som erbjuds behandling inom rekommenderad tid.
Medicinska resultat	Överlevnad (t.ex. sjukdomsassocierad mortalitet inom en 10 års period)
Medicinska resultat	Komplikation, TRM inom sex månader och ett år

Referenser

Sakkunniggruppen har identifierat ett antal referenser till forskningsstudier som beskriver patientgrupper, riktlinjer, vårdformer och behandlingsmetoder inom det genomlysta området. Artiklarna undersöker inte frågeställningen om koncentration av vård inom området stamcellstransplantation vid särskilda tillstånd, t.ex. autoimmun sjukdom. Sakkunniggruppens bedömning utgår framförallt från internationell utblick, klinisk erfarenhet och kunskap om den svenska sjukvårdens struktur inom området.

Deltagare i sakkunniggrupp

Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Per Ljungman, hematolog
Sydöstra sjukvårdsregionen: Arta Dreimane, hematolog
Norra sjukvårdsregionen: Jonatan Salzer, neurolog
Södra sjukvårdsregionen: Roger Hesselstrand, reumatolog
Västra sjukvårdsregionen: Egidija Sakiniene, reumatolog
Sjukvårdsregion Mellansverige (f.d. Uppsala-Örebro): Kristina Carlson, hematolog och Joachim Burman, neurolog
Patientföreträdare: Monica Holmner, Riksföreningen för systemisk skleros

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.

Genomlysning av vårdområdet Svåra kroniska lungsjukdomar hos barn som nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag
Remissversion

Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för Svåra kroniska lungsjukdomar hos barn vårdområdet Svåra kroniska lungsjukdomar hos barn 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
Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård 7
Förslag till särskilda villkor 20
Konsekvenser av rekommendationen 22
Uppföljning och utvärdering 26
Referenser 28
Deltagare i sakkunniggrupp 29
Om nationell högspecialiserad vård 30

Ordlista

BAL	Bronkoalveolärt lavage
BIVA	Barnintensivvårdsavdelning
CCHS	Kongenitalt centralt hypoventilationssyndrom
CF	Cystisk fibros
CPAP	Continuous positive airway pressure, behandling vid sömnapné
DSBUS	Drottning Silvias barn- och ungdomssjukhus
DT	Datortomografi, en medicinsk avbildningsteknik, förkortas i dagligt tal ofta CT
ECMO	Extracorporeal Membran Oxygenering, syresättning av blodet utanför kroppen via ett membran
ILD	Interstitiella lungsjukdomar
IOS	Impulse oscillometry, en metod för att mäta lungfunktion
MBW	Multiple breath washout, en metod för att mäta lungfunktion
MDK	Multidisciplinär konferens
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
NIV	Non-invasiv ventilatorbehandling
PCD	Primär ciliär dyskinesi
RI	Respiratorisk insufficiens
ROHHAD	Rapid-onset Obesity with Hypothalamic dysregulation, Hypo-ventilation, and Autonomic Dysregulation
sBPD	Svår bronkopulmonell dysplasi
SKG	Sakkunniggrupp
SVF	Standardiserat vårdförlopp
ÖNH	Öron-, näsa- och hals, specialistinriktning inom medicin

Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet Svåra kroniska lungsjukdomar hos barn att det som framgår i listan nedan ska utgöra nationell högspecialiserad vård. Viss vård vid (1) primär ciliär dyskinesi (PCD), (2) kroniskt obstruktiva lungsjukdomar av oklar genes och/eller som är behandlingsresistenta samt (3) bronkiektasier eller andra sekundära lungskador ska bedrivas vid fyra vårdenheter. Viss vård vid (4) interstitiella lungsjukdomar (ILD), (5) lung- eller thoraxmissbildningar och (6) kongenitalt centralt hypoventilationssyndrom (CCHS) inklusive andra kroniska andningsregleringsstörningar, ska koncentreras ytterligare och bedrivas vid två av de fyra enheterna.

Detta bedöms vara vård som är komplex, sällan förekommande och kräver en viss volym för att generera erfarenhetsvinster. Vården är multidisciplinär då bland annat högspecialiserad kompetens inom barnpulmonologi, klinisk barnfysiologi, barnradiologi, barnkardiologi, öron- näsa och halssjukdomar (ÖNH) och klinisk genetik krävs, samt för flera av tillstånden tillgång till barnintensivvård (BIVA) och barnanestesi med erfarenhet av att söva svårt lungsjuka barn, särskilt inriktade kirurger och högspecialiserad barnneurologi.

Sakkunniggruppen finner att en koncentration av vårdområdena 1-3 i listan till fyra enheter ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås. Volymerna för vissa av dessa grupper kan komma att öka i framtiden och av geografiska skäl är fyra rimligt eftersom framförallt barnen med PCD kommer att behöva årskontroller. För vårdområdena 4-6 är volymerna betydligt mindre och kräver kirurgisk erfarenhet av att utföra öppen lungbiopsi och att operera lung- och thoraxmissbildningar. I vissa fall behövs tillgång till neurokirurg med erfarenhet av att implantera diafragmal pacemaker. Dessa kirurgiska åtgärder är så ovanliga och komplexa att sakkunniggruppen bedömer att denna grupp bör koncentreras ytterligare.

Konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva. Sakkunniggruppen bedömer att akutsjukvården inom detta område inte kommer att påverkas mer än idag. Vid försämring behöver barnen även i fortsättningen vård nära sin hemort och vid behov av högspecialiserad akut vård behövs samma typ av transporter som idag.

Angränsande vårdområden kommer sannolikt inte att påverkas nämnvärt då det rör sig om små vårdvolymer.

Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Viss vård för barn med misstänkt eller diagnosticerad svår eller oklar kronisk lungsjukdom ska utgöra nationell högspecialiserad vård.

Följande, men inte uteslutande, patientgrupper ska remitteras till nationella enheter för konsultation, bedömning, eventuell utredning samt ställningstagande till vidare handläggning och behandlingsstrategi:

1. Primär ciliär dyskinesi (PCD)
2. Kroniskt obstruktiva lungsjukdomar av oklar genes och/eller som är behandlingsresistenta.
3. Bronkiektasier eller andra sekundära lungskador
4. Interstitiella lungsjukdomar (ILD)
5. Lung- eller thoraxmissbildningar
6. Kongenitalt centralt hypoventilationssyndrom (CCHS) och andra kroniska andningsregleringsstörningar

Antal vårdenheter

Fyra enheter för område 1-3 varav **två** enheter dessutom ska bedriva vård för område 4-6.

Avgränsningar

I Socialstyrelsens arbete att tillsammans med sakkunniggrupper (SKG) genomlysa vård som ska bedrivas som nationell högspecialiserad vård kan SKG också identifiera områden som inte bör ingå i tillståndet men bör nivåstruktureras inom varje samverkansregion. Nedan följer de områden som SKG för Svåra kroniska lungsjukdomar hos barn identifierat:

- Vård för prematurt födda barn med kvarstående svårt sviktande lungfunktion vid fullgången ålder (barn med svår bronkopulmonell dysplasi, sBPD)

  Dessa barn behöver högspecialiserad vård men SKG bedömer att nackdelarna med att vårdas längre perioder långt från hemmet väger tyngre. Därtill skulle den redan idag hårt belastade neonatalvården belastas ytterligare på de tillståndsgivna enheterna, samt att dessa patienter är identifierade som en patientgrupp på ett tidigt stadium inom respektive region och därmed har en naturlig uppföljning och fortsatt behandling.

- Barn med respiratorisk insufficiens (RI) och sömnrelaterade andningsproblem, exempelvis små barn i behov av mekaniskt eller invasivt andningsstöd i hemmet, barn med syrgasbehov av oklar anledning samt äldre barn i behov av CPAP eller NIV.

  Dessa barn behöver högspecialiserad vård men även här bedömer SKG att nackdelarna med att vårdas längre perioder långt från hemmet väger tyngre samt att insatser bör stödjas i nära anslutning till barnets hemvist med konsultationsinsatser. Undantaget är barn med kongenitalt centralt hypoventilationssyndrom (CCHS) och andra kroniska andningsregleringsstörningar som behöver en punktinsats vid NHVe.

Följande område har SKG för Svåra kroniska lungsjukdomar hos barn identifierat, som redan är koncentrerat till färre än sex enheter i landet och bedöms fungera väl. Ytterligare genomlysning är således inte nödvändigt:

- Vård vid cystisk fibros (CF).

Följande områden har SKG för Svåra kroniska lungsjukdomar hos barn identifierat för eventuell framtida nationell nivåstrukturering:

- Ansiktsmissbildningar, kirurgisk behandling - dessa tillstånd påverkar sömnen hos barn, men behöver genomlysas av en SKG med kirurgisk kompetens.

Följande område hanteras parallellt av en annan sakkunniggrupp:

- Avancerad barnanestesi och barnintensivvård
- Vård av extremt prematura barn

- Vitreoretinal kirurgi vid ROP (Retinopathy of prematurity)
- Avancerad endoskopisk diagnostik och behandling i övre och nedre luftvägarna
- Viss vård vid neuromuskulära sjukdomar är genomlyst och beslutat enligt Socialstyrelsens process för nationell högspecialiserad vård.

Beskrivning av det definierade området

Nuläge

I texten nedan förekommer ofta volymsuppskattningar som nationellt extrapolerats utifrån data härstammande från Drottning Silvias barn- och ungdomssjukhus (DSBUS). Motsvarande data saknas från andra samverkansregioner.

Delområde 1: Primär Ciliär Dyskinesi (PCD)

Enligt Socialstyrelsen är uppskattad incidens 3-10 barn/100 000 nyfödda vilket innebär att det borde finnas mellan 250-800 personer med sjukdomen i Sverige. Av dessa bör ca 125 vara barn (se rubrik”Volymer” nedan). Detta antal kan komma att öka genom bättre genetisk diagnosticering av fall där den kliniska bilden inte är klassisk.

Det finns inget centralt register för PCD i Sverige, varför det är svårt att uttala sig om resultat för den befintliga vården av dessa barn. Ett Europeiskt register är under uppbyggnad, till vilket vissa centra i Sverige har börjat rapportera. Sjukdomen förväntas inte förkorta livslängden även om många kan få betydande lungskador och hörselnedsättning. Tidig och korrekt diagnos är viktig då rätt behandling minskar risken för dessa följder. Svårighetsgraden varierar betydligt mellan olika individer, men i princip alla vuxna med PCD har bronkiektasier och några behöver lungtransplantation.

Även om behandlingen är krävande så är det framförallt diagnostiken som är komplicerad då det inte finns någon enkel och otvetydig diagnostisk metod. Vanligtvis behöver resultaten från flera diagnosmetoder och genetiska analyser vägas samman, där kunskaperna och erfarenheten hos behandlande team har stor betydelse för tolkningen av dessa och avgränsningen mot andra tillstånd som kan ge liknande symtom. Även om behandlingen ofta kan genomföras i samarbete med hemsjukhus så brukar diagnostiken vara bunden till de stora universitetssjukhusen, dels då de mer avancerade diagnostiska metoderna finns på universitetssjukhusen men också då behandlande läkare behöver ha träffat många patienter med PCD för att rätt kunna tolka klinik och provsvar. Årskontroller brukar också ske på de stora universitetskliniken, ofta på de kliniker som också har en särskilt enhet för cystisk fibros (CF).

I behandlingsteamet runt patienterna ingår vanligen barnlungläkare och sjuksköterska med barnlungkompetens, fysioterapeut med inriktning mot lungsjukdomar (ofta den/de fysioterapeuter som sköter CF-patienter), ÖNH-läkare och ev. hörselvårdsteam, samt psykolog/kurator.

Delområde 2: Kroniskt obstruktiva lungsjukdomar av oklar genes och/eller som är behandlingsresistenta

Då detta inte är något definierat tillstånd är det svårt att mäta förekomsten, men en grov skattning skulle kunna vara att gruppen utgörs av maximalt 800 barn (se rubrik ”Volymer” nedan). Många av dessa 800 barn kan sannolikt utredas på länssjukhus, eventuellt i samråd med regionsjukhus. Det finns

dock en mindre grupp av särskilt svårutredda fall, som kräver samlad erfarenhet och kompetens. En gissning är att den senare gruppen utgörs av cirka 100-200 barn. Efter utredning och diagnos kan sannolikt merparten av barnen skötas i sin hemregion, såvida inte diagnosen blir någon av de sjukdomar som normalt sköts på eller tillsammans med universitetssjukhusen.

Resultatet av den befintliga vården kan definieras på olika sätt, men i detta fall borde resultatet baseras på möjligheterna att ställa rätt diagnos och utifrån denna en behandlingsplan. Ser man till de studier som publicerats angående t ex kronisk hosta, som ofta felaktigt uppfattas som astma, så är resultaten goda men det kräver ofta hög kompetens och avancerade diagnosmetoder för att nå dit. En felaktig eller utebliven diagnos innebär däremot att patienten inte sällan får onödig och ofta felaktig behandling med risk för kortisonbiverkningar såsom påverkad tillväxt eller binjurebarkssvikt, samt ökad risk för sekundära lungskador när inte rätt behandling ges i tid. En felaktig eller utebliven diagnos med felaktig behandling kan också innebära ökad risk för sekundära lungskador.

Diagnostiken är således essentiell för dessa barn och innefattar lungfunktionslab med avancerade lungfysiologiska metoder (även för småbarn), möjlighet till bronkoskopi med bronkoalveolärt lavage (BAL) och biopsier, radiologisk spetskompetens, samt barnlungläkare med kunskap om ovanliga lungsjukdomar och tillstånd. Till organisationen bör även finnas hjärtspecialister och möjlighet till shuntdiagnostik och kateterisering. Ovanstående innebär att de svårare fallen nästan alltid utreds på, eller i samarbete med de stora universitetssjukhusen.

Delområde 3: Bronkiektasier eller andra sekundära lungskador.

Till de sekundära lungskadorna räknas infektionsorsakade skador på bronkerna (bronkiektasier), men också skador i lungparenkymet. De senare kan i lungfunktionsundersökningar ge en bild av interstitiella lungsjukdomar (ILD) eller kroniskt obstruktiv lungsjukdom, varför de fortsättningsvis behandlas under punkt 2 och 4 och detta avsnitt begränsas till bronkiektasier. Baserat på underlag från DSBUS uppskattar sakkunniggruppen att det i Sverige rör sig om cirka 15-17 nya fall av bronkiektasier per år som inte är relaterade till CF, PCD eller annan känd bakomliggande sjukdom.

Syftet med att utreda bronkiektasier är dels att få en diagnos, dvs. om det är ett isolerat problem eller om de är en del av annan sjukdom (såsom CF, PCD eller immunbrist), dels att utifrån detta ta fram en behandlingsplan. Det betyder också att betydligt fler barn med bronkiektasier (minst det dubbla) behöver utredas innan man kunnat fastställa att dessa inte beror på CF, PCD eller immunbrist. Team- och utredningsresurser är därför desamma som vid utredning av PCD och astmaliknande tillstånd enligt ovan, dvs det krävs bred barnlungkompetens samt omfattande diagnostiska resurser enligt ovan.

Om bronkiektasin visar sig vara ett isolerat tillstånd, t ex postinfektiöst, kan behandlingen vanligtvis ske i samarbete mellan universitetskliniken och patientens hemsjukhus. Om bronkiektasin däremot är led i annan sjukdom organiseras behandling och uppföljning utifrån respektive diagnos.

Delområde 4: Interstitiella lungsjukdomar (ILD)

Det är mycket svårt att uppskatta prevalensen av ILD då gruppen innefattar många olika tillstånd och då diagnostiken är svår, men sannolikt har ungefär 40 barn sjukdomen i Sverige, med tillkomst av cirka 10 nya fall varje år (se rubrik ”Volymer” nedan).

Några entydiga eller enkla resultat av den befintliga vården går inte att ge då vissa av dessa sjukdomar, utan behandling, blir lindrigare under förskoleåren. Andra kräver livslång tung antiinflammatorisk medicinering, en del barn behöver till och med lungtransplanteras och vissa tillstånd leder till döden redan under de första levnadsåren. Samtliga interstitiella lungsjukdomar behöver hittas och diagnosticeras i tid så att sjukdomar med självläkande naturalförlopp inte får onödig behandling och den stora merparten av behandlingskrävande interstitiella sjukdomar upptäcks utan onödig fördröjning för att minimera risken för lungskador.

Vid diagnostik av interstitiella lungsjukdomar krävs vanligen avancerade lungfunktionsmetoder, radiologisk spetskompetens och barnlungläkare med kunskap om dessa ovanliga sjukdomar. Sjukhusen behöver också ha barnintensivvårdsavdelning (BIVA) och barnoperationsavdelningar som klarar att söva ofta svårt lungsjuka barn, barnkirurger som kan göra öppna lungbiopsier och barnlungläkare som hanterar mer avancerade bronkoskopiska undersökningsmetoder. Därtill behövs patologer med kunskap om ovanliga lungsjukdomar (och ett internationellt nätverk då preparat inte sällan skickas till andra länder för second opinion).

Behandlingen kan i många fall skötas i samråd med hemsjukhuset, särskilt vid de mildare formerna, men de svårare formerna sköts som regel på de 2-3 största universitetssjukhusen då de kräver specifikt multidiciplinärt samarbete, inte minst mellan barnlungläkare och barnimmunolog/reumatolog, samt barnsjuksköterska med lungkompetens. Vid de mer komplicerade formerna ingår därutöver alltid psykolog/kurator då sjukdomarna inte sällan påverkar både livskvalitet och livslängd, fysioterapeut, nutritionsteam och för en del även team för andningsstöd vid hemventilation.

Delområde 5: Lung- eller thoraxmissbildningar

Det finns inga säkra siffror på förekomsten av lung- och bronkmissbildningar eftersom dessa kan vara isolerade eller ingå i andra missbildningssyndrom där också luftvägarna är involverade. I Sverige kan det röra sig om 20-30 fall per år som behöver utredas (se rubrik ”Volymer” nedan).

För hela patientgruppen behövs i första hand en helhetsbedömning av missbildningen, oavsett om den visar sig vara isolerad eller ingå i ett missbildningssyndrom, och utifrån denna en behandlingsplan. En sådan är oftast möjlig att skapa men då krävs inte sällan ett brett teamarbete.

Utredningarna görs oftast på universitetssjukhus där det också finns barnkirurgisk/barnthoraxkirurgisk kompetens tillsammans med barnlungläkare som kan bronkoskopera, barnradiologisk kompetens och möjlighet att mäta

lungfunktion på småbarn, eventuellt också ÖNH-läkare ifall trakea eller larynxområdet är involverat, inte sällan barnanestesiolog och vid samtidig hjärtsjukdom även barnkardiolog. I fall då lung- och bronkmissbildningar ingår i missbildningssyndrom behövs även klinisk genetik och barnneurologisk kompetens. Behandling och uppföljning varierar beroende på typ av missbildning, där vissa missbildningar kan åtgärdas kirurgiskt medan andra kräver annan behandling och långvarig uppföljning. I de senare fallen sker detta ofta i samarbete med hemsjukhuset. Kirurgisk behandling behöver som regel utföras på centra där det finns kompetens och erfarenhet av att operera missbildningar i lungor, thorax och stora luftvägar hos barn.

Det är troligen inte många lung- och thoraxmissbildningar som missas i nuvarande organisation. De fall som missas eller diagnosticeras sent har som regel inte varit så svåra att det skulle påverka slutresultatet negativt. Dock saknar barnen i denna patientgrupp i många fall en bra helhetsbedömning, eftersom tillstånden är ovanliga och flera olika specialister ofta behöver samverka i bedömningen.

Delområde 6: Centralt Kongenitalt Hypoventilationssyndrom (CCHS) och andra kroniska andningsregleringsstörningar

Barn med CCHS har som regel symtom redan under nyföddhetsperioden. Vid sömn fungerar inte andningsregleringen; antingen slutar de andas eller så blir andningen mycket försvagad. Orsaken är oftast en mutation i genen PHOX2B, en gen som har betydelse för andningsreglering, hjärtrytm och tarmmotorik. Tillståndet är livslångt och mycket ovanligt, det föds ungefär ett barn varje till vartannat år i Sverige med denna störning. Cirka 25 personer i Sverige har sjukdomen. Även om orsaken till sjukdomen är neurologisk och inte organspecifikt kopplad till lungorna, så bedömer SKG att tillståndet ändå hör hemma i gruppen Svåra kroniska lungsjukdomar hos barn då uttrycket för sjukdomen är andningssvikt och då såväl diagnostik som behandling kräver lungmedicinsk kompetens och specifikt lungmedicinska diagnosmetoder och behandlingar.

Diagnostiken görs med hjälp av gentester och andningsregistrering (polygrafi/polysomnografi) där såväl syresättning som andningsrörelser och koldioxid mäts. I utredningsarbetet ingår förutom barnlungläkare även barnneurolog, barnkardiolog, barngastroenterolog, ÖNH-specialist och klinisk genetiker. Behandling sker med ventilator under sömn, oftast med s.k. noninvasivt ventilationsstöd. Vid 3-4 års ålder kan barn bli hjälpta av diafragmapacer, varvid mellanansiktsdeformationer kan undvikas och patienten kan bli mer mobil, men samtliga barn kräver trots detta livslång övervakning nattetid, dvs en assistent som under natten övervakar andning och syrsättning. Idag görs utredningen och initieringen av behandlingen vanligen på de universitetssjukhus som har de nödvändiga polysomnografiska metoderna och som har vana vid att behandla nyfödda och småbarn med hemventilatorer.

Till övriga tillstånd med avvikande andningsreglering hör t ex ROHHAD (Rapid-onset Obesity with Hypothalamic dysregulation, Hypoventilation, and Autonomic Dysregulation), Retts syndrom, Familjär dysautonomi och

Prader Willi. Även sjukdomar som lett till skador på andningscenter till följd av infektioner (meningit), trauma (tetraplegier), och neuralrörsmissbildningar såsom myelomeningocele (MMC) kan ingå i denna grupp. Ser man till hela gruppen med störd eller misstänkt störd andningsreglering som behöver en enstaka insats på en nationell enhet kan antalet uppskattas till 40 nya fall per år.

Vårdvolymer

I texten nedan förekommer ofta volymsuppskattningar som extrapolerats utifrån data härstammande från Drottning Silvias barn- och ungdomssjukhus (DSBUS). Motsvarande data saknas från andra samverkansregioner.

Volymer för respektive vårdområde	Nya fall/år
Primär Ciliär Dyskinesi (PCD)	10-15
Kroniskt obstruktiva lungsjukdomar av oklar genes	10
Bronkiektasier eller andra sekundära lungskador	30
Interstitiella lungsjukdomar (ILD)	10
Lung- eller thoraxmissbildningar	20-30
Andningsregleringsstörningar (CCHS mfl)	40

Tabell 1 Uppskattade volymer av nya patientfall för respektive vårdområde

Primär Ciliär Dyskinesi (PCD)

Enligt Socialstyrelsen är uppskattad incidens 3-10 barn/100 000 nyfödda vilket innebär att det borde finnas mellan 250-800 personer med sjukdomen i Sverige. Cirka 20% av befolkningen är barn vilket innebär att det borde finnas 50-160 barn i Sverige med sjukdomen. Vid DSBUS fanns 21 barn med PCD registrerade år 2019. Omräknat till ett genomsnittsvärde för Sverige så skulle det innebära att det borde finnas cirka 124 barn med PCD i Sverige (21/1,7*10 = 124). Baserat på siffrorna från DSBUS förefaller incidensen snarast ligga närmare 10/100 000 nyfödda och år, vilket med viss inflyttning till Sverige gör att vi uppskattar antalet till 10-15 nya fall per år. Antalet kan också komma att öka med bättre diagnostik, och genom ändrade demografiska förhållanden med inflyttning från länder med ökad risk för genetiska sjukdomar.

Kroniskt obstruktiva lungsjukdomar av oklar genes.

Då detta inte är något definierat tillstånd är det svårt att skatta förekomsten, men man skulle kunna göra en grov skattning att förekomsten är max 10 % av barn med svår astma. Prevalensen astma är 8-10 % beroende på ålder, vilket innebär att ca 200 000 barn har astma. Om 4 % har svår astma så blir det ca 8 000 barn. Om 10 % av dessa skulle tillhöra gruppen “kroniskt obstruktiv lungsjukdom av oklar genes” så skulle det innebära max 800 barn. Av dessa

800 kan 100-200 utgörs av svårare fall som bör utredas på NHVe, medan övriga 600-700 sannolikt kan utredas regionalt. Därtill tillkommer ca 10 nya fall per år. Initialt kommer det således vara en något högre andel barn som behöver bedömas vid NHVe än vad som sedan kommer att inremitteras årligen.

Bronkiektasier eller andra sekundära lungskador

Vid DSBUS ses ungefär 3 nya fall av bronkiektasier per år som inte är relaterade till CF eller PCD (motsvarar ca 15-17 per år i Sverige). Det kommer dock att vara ungefär dubbelt så många som kommer att behöva utredas under samma frågeställning, där bakomliggande CF, PCD eller immundefekt ännu inte gett diagnos, vilket skulle ge ungefär 30 nybesök/år aktuella för NHV. Till detta kommer sekundära lungskador/lungpåverkan vid immunbrist, samt vid stamcells- och organtransplantation. De senare utreds och behandlas på lungmottagningarna på de universitetssjukhus som handlägger svår immunbrist och genomför stamcells- respektive organtransplantationer.

Interstitiella lungsjukdomar (ILD)

Det är mycket svårt att uppskatta prevalensen av ILD då gruppen innefattar många olika tillstånd och diagnostiken är svår. I Storbritannien (inklusive Irland) beräknar man att det skall finnas 3,6 barn (0-16 år) med ILD per miljon invånare. Det skulle motsvara ca 36-40 barn med ILD i Sverige. En sammanställning vid DSBUS år 2019 visade att man då kunde identifiera 21 barn med ILD och att ca 4-6 nya diagnosticeras varje år (vilket borde motsvara ca 10 barn nationellt). Detta stämmer således relativt bra med uppskattad prevalens utifrån siffrorna från Storbritannien, men troligen är det en viss underskattning då bara de mest uppenbara fallen hittas vid genomgång av journaldata och mottagningsstatistik.

Lung- eller thoraxmissbildningar

Det finns inga säkra siffror på förekomsten av lung- och bronkmissbildningar eftersom dessa kan vara isolerade eller ingå i andra missbildningssyndrom där också luftvägarna är involverade. Vid DSBUS visade en sammanställning hösten 2019 en tillkomst av ca 10 nya fall per år, men detta då räknat på ett större upptagningsområde än Västra Götalandsregionen. I Sverige kan det således röra sig om 20-30 fall per år som behöver utredas.

Kongenitalt Centralt Hypoventilations-syndrom (CCHS) och andra kroniska andningsregleringsstörningar

Det föds ungefär ett barn varje till vartannat år i Sverige med CCHS, vilket betyder att just denna diagnos är extremt ovanlig. Däremot är de övriga tillstånden med störd andningsreglering som grupp betydligt större. Flera av dessa kan också kan behöva utredas vid en NHVe, eller att NHV-enheten behöver konsulteras. Någon nationell statistik finns inte att tillgå, men vid

DSBUS görs ungefär 15-20 andningsregistreringar per år där andningsregleringsstörning misstänks. Extrapolerat för riket kan det röra sig om maximalt 40 barn med dessa tillstånd.

Forskning

I dag bedrivs i princip ingen forskning i Sverige som innefattar de ovanliga sjukdomar och tillstånd som listats i denna sammanställning. Det är till och med så att vi saknar uppgifter om hur vanliga tillstånden är, vilka diagnosnummer som används och hur det går för patienterna. Inte heller finns det någon nationell rapportering från Sverige till de Europeiska kvalitetsregister som finns för några av tillstånden. Att koncentrera diagnostik och behandling av vissa ovanliga sjukdomar och tillstånd till ett avgränsat antal centra innebär inte bara kliniska fördelar utan det kan också innebära att forskning och kvalitetsuppföljning av de olika tillstånden underlättas. Att forskning underlättas när diagnostik, behandling och uppföljning av ovanliga sjukdomar koncentreras är kanske en förväntad konsekvens, men också NHV-uppdraget som sådant.

Internationell utblick

Primär Ciliär Dyskinesi (PCD)

I Danmark, med drygt halva Sveriges population, har vård av PCD centraliserats till två centra, Skejby och Rigshospitalet. I Storbritannien har man koncentrerat diagnostik och behandling för sjukdomen på nationell nivå. I Finland finns officiellt ingen centralisering av behandling av sällsynta lungsjukdomar, men i praktiken har alla barn som har kronisk lungsjukdom utanför vanlig astma uppföljning vid ett av de fem universitetssjukhusen. I Tyskland är vården för barn med PCD decentraliserad. Utöver dessa länder har SKG inte kännedom om eventuell nivåstrukturering inom det aktuella vårdområdet.

Kroniskt obstruktiva lungsjukdomar av oklar genes.

I Danmark finns inget nationellt vårdprogram för barn med kroniska obstruktiva besvär, men dessa remitteras ofta till högt specialiserade allergimottagningar eller till barnlungläkare. Allergimottagningar med möjlighet för helkroppspletysmografimätning finns på de flesta barnkliniker i Danmark. Avseende Finland, se rubriken ”Primär Ciliär Dyskinesi”. Utöver dessa länder har SKG inte kännedom om eventuell nivåstrukturering inom det aktuella vårdområdet.

Bronkiektasier eller andra sekundära lungskador.

I Danmark följs barn med immunbrist hos barnimmunolog och det finns inget nationellt uppföljningsprogram avseende lungorna. Avseende Finland, se rubriken ”Primär Ciliär Dyskinesi”. Utöver dessa länder har SKG inte kännedom om eventuell nivåstrukturering inom de aktuella vårdområdena.

Interstitiella lungsjukdomar (ILD)

I Danmark följs barn med interstitiella lungsjukdomar på två ”Børnelungecentre”; ett på Skejby och ett på Rigshospitalet. Avseende Finland, se rubriken ”Primär Ciliär Dyskinesi”. Utöver dessa länder har SKG inte kännedom om eventuell nivåstrukturering inom de aktuella vårdområdena.

Lung- eller thoraxmissbildningar

I Storbritannien är vården vid komplex trakeal sjukdom hos barn koncentrerad på nationell nivå. Avseende Finland, se rubriken ”Primär Ciliär Dyskinesi”. Utöver dessa länder har SKG inte kännedom om eventuell nivåstrukturering inom de aktuella vårdområdena.

Kongenitalt centralt hypoventilationssyndrom (CCHS) och andra kroniska andningsregleringsstörningar

I Norge finns s.k. nasjonale kompetansetjenester för vården vid hemrespiratorbehandling. Avseende Finland, se rubriken ”Primär Ciliär Dyskinesi”. Utöver detta har SKG inte kännedom om eventuell nivåstrukturering inom de aktuella vårdområdena.

Framåtblick

Syftet med att koncentrera diagnostik och behandling av de utvalda ovanliga sjukdomarna som beskrivs i detta underlag är primärt att patienten skall erbjudas bästa tänkbara vård, och då behövs inte sällan en koncentrering av patientpopulationerna så att de utvalda NHV-enheterna träffar en tillräcklig patientvolym med den specifika sjukdomen. Samtidigt får organisatoriska begränsningar inte försvåra för patienten genom onödigt långa geografiska avstånd eller sviktande kringresurser. Varje sådan koncentration måste därför värderas utifrån vad den kan tillföra, och i varje sådan koncentration måste också riktlinjer och strukturer finnas för hur den centrala NHV-enheten skall samarbeta med hemsjukhus och de kringresurser som finns på hemorten.

Ett andra syfte, inte sällan bortglömt, är att varje NHV-enhet har ett ansvar att kunna erbjuda den bästa kunskapen på området, den bästa diagnostiken och den bästa behandlingen. Det är således NHV-enhetens ansvar att säkerställa den egna kompetensförsörjningen och vidareutbildningen, samt att tillse att kunskap, riktlinjer och rutiner når övriga sjukhus och regioner i landet. I uppbyggandet av strukturer för NHV-enheter behöver det därför vara tydligt att NHV-enheten har ett ansvar i att vara ett stöd och en resurs för både patient och sjukvården på hemorten.

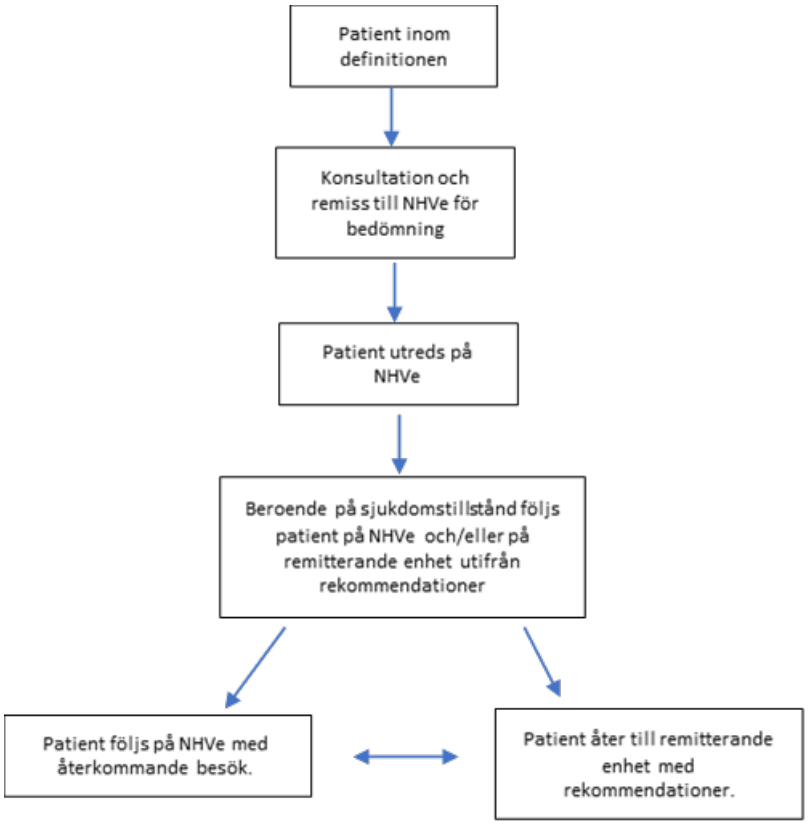
Sakkunniggruppen har i denna genomlysning valt att fokusera på vårdområden där NHVe kan bidra med en multidisciplinär bedömning och ställningstagande till vidare handläggning, varefter patienten i många fall kan få fortsatt vård vid sitt hemsjukhus. NHV kan genom ökad kunskap, bättre diagnostik och förbättrade behandlingsstrategier bidra till att förebygga försämringsepisoder samt förutse och ibland förebygga förväntad successiv försämring på lång sikt. Därmed kan NHV minska behovet av akutvård för den aktuella patientgruppen.

Sakkunniggruppen föreslår fyra enheter för vårdområdena 1-3, bland annat eftersom barn med Primär Ciliär Dyskinesi (PCD) sannolikt kommer att behöva årliga kontroller och det därför behövs ta hänsyn till såväl volym av denna grupp som till geografin. Fyra enheter bör kunna omhänderta denna volym och samtidigt uppnå erfarenhetsvinster av koncentration, vilket är lämpligt eftersom varje NHVe bör ha en volym på minst 20 unika patienter per år. För barn med PCD skulle det kunna finnas ett värde i ett väl utarbetat samarbete, och i vissa fall kanske till och med en samlokalisering, med de enheter som idag bedriver vård för cystisk fibros eftersom dessa sjukdomar har flera beröringspunkter. Spirometri inklusive spädbarnsspirometri ska kunna göras på alla fyra enheter och sakkunniggruppen föreslår att det införs rutin för en second-opinion bedömning på en till två centra av dessa. Detta föreslår sakkunniggruppen att tillståndsinnehavarna kommer överens om. Det är önskvärt att NHVe som utreder barn med PCD investerar i High speed video (HSV)-mikroskopi och avancerad lungfunktionsdiagnostik såsom multiple breath washout (MBW).

Lungbiopsi och operation av lung-, luftvägs- och thoraxmissbildningar bör göras på centra med kirurgisk kompetens och vana att operera missbildningar i lungor och thorax hos barn. Därför har SKG föreslagit att vården för vårdområdena 4-6 (ILD, lung- eller thoraxmissbildningar samt CCHS och andra sällsynta andningsregleringsstörningar) koncentreras ytterligare och bedrivs vid två av de fyra enheterna.

Fördelen med att koncentrera diagnostik och den initiala bedömningen av CCHS till NHV är att tillståndet är mycket ovanligt, att flera organsystem förutom andningsregleringen kan vara drabbade, och att det kan vara en fördel att samla kompetens om ett så ovanligt tillstånd till få centra, inklusive neurokirurgisk kompetens för implantat av diafragmapacer. Även övriga andningsstörningar är ovanliga vilket gör att kunskapen kan behöva samlas till få centra. Alla dessa behöver dock utredas vid en NHVe även om sannolikt NHV kan behöva konsulteras i många av fallen.

Vidare föreslår SKG att vårdkedjan för alla NHVe ser ut enligt följande: kontakt mellan remittent och NHVe tas och om överenskommelse nås om fortsatt utredning och handläggning på NHVe skriver remitterande läkare en konsultremiss till NHVe. Beslut om vård på NHVe ska vara skriftligt från NHVe till remitterande läkare. Överrapportering sker muntligen och skriftligen från sjuksköterska och eventuellt läkare på remitterande sjukhus till ansvarig sjuksköterska och eventuellt läkare på NHV-enheten. Den fortsatta behandlingen av många av tillstånden kan sedan vanligtvis ske i samarbete med hemsjukhuset med endast årliga kontroller på NHV.



Figur 1 Förslag på vårdflöde mellan remitterande enhet och NHVe.

NHVe ska samverka med varandra och ska leva upp till samma kvalitetskrav. Det är också önskvärt att de nationella enheterna utvecklar gemensamma verktyg för kvalitetssäkring och förbättring. De förväntas rapportera till nationella och Europeiska kvalitetsregister där sådana finns (t ex ILD, PCD och CCHS). Genom att NHVe bedriver forskning, utveckling och kunskapsspridning, kommer dessa att utgöra kompetenscentrum inom området.

NHVe kommer att kunna bidra aktivt till att utarbeta nationella vårdprogram för handläggning (utredning och behandling) av kroniska lungsjukdomar hos barn i samråd med de nationella programområdena inom regionernas struktur för kunskapsstyrning.

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.

Kompetens och resurser	
Kritisk medicinsk kompetens (läkare)	**Läkare med särskild kompetens inom de tillståndsgivna områdena:** • Specialist inom barn- och ungdomsmedicin med kompetens inom barnpulmonologi och lungfysiologiska mätmetoder även för spädbarn • Specialist inom anestesi och intensivvård med inriktning mot barnintensivvård (BIVA-läkare) • Öron- näsa och halsspecialist • Barnradiolog • Barnkardiolog • Klinisk genetiker • Klinisk fysiolog **Vid enheter som dessutom erbjuder vård vid ILD, missbildningar och kroniska andningsregleringsstörningar (område 4-6) ska utöver ovanstående även nedan angivna kompetenser finnas:** • Kirurger med kunnande och vana att operera missbildningar i trakea, stora luftvägar, lungor och thorax • Barnimmunolog/reumatolog • Patolog med särskild kompetens inom lungsjukdomar • Neonatolog • Neurolog och neurokirurg
Andra typer av kritisk kompetens (t.ex. sjuksköterska, kurator, psykolog eller fysioterapeut med specialkompetens)	**Andra yrkesgrupper med särskild kompetens inom de tillståndsgivna områdena:** • Specialistsjuksköterska inom barn- och ungdomsmedicin • Andningsvårdsteam • Fysioterapeut med inriktning på lungsjukdomar • Kurator • Psykolog • Logoped • Dietist • Arbetsterapeut • Lekterapeut

Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	• Relevant medicinteknisk utrustning anpassat till patientgruppens behov
Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den föreslagna vården ska kunna bedrivas	**Alla NHVe ska ha tillgång till:** • Barnintensivvård och neonatal intensivvård • Kompetens inom barn- och ungdomsmedicin med subspecialisering inom barngastroenterologi, barnneurologi, barnendokrinologi, barnonkologi/hematologi, neonatologi och barnnefrologi • Kompetens inom smärtbehandling **Enhet som dessutom erbjuder vård vid kroniska andningsregleringsstörningar (område 6) ska utöver ovanstående även ha tillgång till:** • Neurokirurg med erfarenhet av implantat för phrenicusstimulering • Neurofysiologi med möjlighet att mäta nervledningshastighet
Kritiska diagnostiska metoder	**Följande metoder ska finnas på alla NHVe:** • Lungfysiologiskt laboratorium, även för spädbarn • Diagnostisk bronkoskopi (BAL, biopsier) • Metod att mäta kväveoxid nasalt • CT • Polysomnografisk andningsregistrering • Angiografi • Bedside lungröntgen • Ekokardiografi
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	**Enheter som erbjuder vård vid ILD och missbildningar (område 4-5) ska ha tillgång till**: • ECMO-behandling, behöver inte finnas på enheten.
Rehabilitering som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (särskilt anpassad till behovet)	Ej aktuellt
Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	• NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs. • NHVe ska verka för att etablera ett internationellt samarbete inom tillståndsområdet. • NHVe ska verka för fungerande kvalitetsregister. • NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.

Konsekvenser av rekommendationen

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.)	De tillstånd som beskrivs i detta underlag kräver högspecialiserad utredning och ofta även behandling. En nationell koncentration ger en jämlik tillgång till högkvalitativ vård för dessa tillstånd oavsett var i landet man bor. Remitteringsvägarna blir nationellt tydligare och mer enhetliga med möjlighet även till rådgivning via NHVe. Inför vård vid NHVe behöver hänsyn tas till behovet av närhet till hemort samt kontinuerlig behandling och uppföljning av kroniska tillstånd för att tillse att fördelarna med de beskrivna punktinsatserna på NHVe överväger nackdelarna med resor och avstånd. Genom att samla multidisciplinär kompetens vid NHVe och göra en sammanvägd bedömning under en riktad period, kan förhoppningsvis utredningstiden kortas. För vissa av åtgärderna, t.ex. thorakal kirurgi och invasiva implantat (frenikusstimulering) där det råder särskilt stort behov av centralisering, finns redan uppbyggda vårdkedjor etablerade.
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	En nationell koncentration ger möjlighet att säkra rätt kompetens. Det blir NHVes ansvar att säkerställa den egna kompetensförsörjningen och vidareutbildningen, samt att tillse att kunskap, riktlinjer och rutiner når övriga sjukhus och regioner i landet. Men fortsatt lokal kompetens lbehövs för att

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	uppmärksamma ett ovanligt och/eller terapiresistent tillstånd som kräver utökad utredning och eventuell ny behandlingsstrategi på högspecialiserad enhet. De kroniska tillstånden kan även kräva relativ tät uppföljning och återkoppling runt olika behandlingsregimer, samt kontinuerlig tillsyn, vilket bör ske vid ett regionsjukhus, men förstärkas från NHVe. Vårdkedjan lokal – regional enhet – NHVe bör därför bibehållas.
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	NHV skapar en möjlighet till ett större och mer komplett forskningsunderlag och förhoppningsvis bidrar uppdraget även till en bättre kvalitet och deltagande i nationella och internationella kvalitetsregister. Forskningen kan även främjas genom ett tydligt samverkansansvar mellan NHVe. Kompetensen vid regionala högspecialiserade enheter bör dock bibehållas för att även fortsättningsvis bidra till samordning, inhämtning och uppföljning av data. Fortsatt koppling till regionala enheter är också värdefullt då dessa ofta kommer att stå för den långsiktiga uppföljningen.
Påverkan på närliggande områden	Den aktuella vården berör få patienter varför inga undanträngningseffekter väntas. De ansökande enheterna behöver dock ta höjd för behovet av resurser som delas med andra vårdområden. Liksom ovan beskrivits bör vårdkedjan lokal – regional enhet – NHVe bevaras för att bibehålla lokal och regional kompetens. De regionala sjukhusen kommer fortsatt att få exponering för sjukdomsgrupperna eftersom de bör handlägga de mer frekventa återbesöken. Sannolikt kan kvaliteten vid dessa återbesök öka tack vare ett nära samspel mellan regionenheter och NHVe.
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.	NHV kan genom förbättrade diagnos- och behandlingsstrategier bidra till att förebygga försämringsepisoder och behov av akutvård för den aktuella patientgruppen. Genom ökad kunskap och bättre diagnostik kan också förväntad successiv försämring på lång sikt förutses och ibland förebyggas, vilket kan minska risken för framtida akuta tillstånd. Vid eventuellt behov av akut vård kan barnet behöva flyttas till en mer högspecialiserad enhet och i vissa fall kan BIVA-vård bli nödvändig, men detta sker redan idag.
Påverkan på vårdkedjan	De flesta av de utvalda tillstånden kräver en initial kort men intensiv utredning och

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	ett utformande av en vårdplan, men i övrigt väntas barnen vårdas i den ordinarie vårdkedjan. Andra barn kan på grund av sjukdomenskronicitet och naturalförlopp kräva en upptrappad vård vid försämring, där NHV inte nödvändigtvis behöver tillgripas men konsulteras.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	Grundstommen för utredning och uppföljning är olika typer av lungfunktionsmätningar, diagnostisk bronkoskopi och andningsregistrering. De mer enklare utredningarna kan fortsatt ske i hemregionen. För de mer komplexa fallen behöver dock sannolikt verksamheten vid NHVe byggas upp och utökas, eftersom tolkningarna är komplexa, tidskrävande och kräver viss personaltäthet. Ibland behövs även utökad utredning i form av genetik och/eller biopsi med patologisk analys. Det är också önskvärt att NHVe investerar i teknologi som exempelvis High speed video (HSV)-mikroskopi och lungfunktionsmetoder som också kan användas till spädoch småbarn (såsom baby body boxes, rapid thoraco-abdominal compression technique, impulse oscillometry (IOS) och multiple breath washout (MBW)) om denna utrustning inte redan finns. I övrigt utgörs resurskostnader främst av upprätthållande av kompetens inom de multidisciplinärt kopplade specialiteterna. Behov av avancerad barnfysiologi och och tillgång till barnkirurgi, barnnarkos och BIVA bedöms nödvändigt. BIVA är redan idag koncentrerat till fyra enheter. Störst koncentrering och investering rör thorakala ingrepp vid lung- eller thoraxmissbildningar, där man dock kan vänta sig att samma resurser används redan idag till andra ingrepp i samma kroppsdel.
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	Flera av de missbildningar som nämns i detta underlag upptäcks redan intrauterint och modern förflyttas därmed redan idag för planerad förlossningsvård regionalt. För samtliga aktuella sjukdomstillstånd behövs ibland sjuktransport av barnen vid försämring. Samma typ av transporter sker redan idag. Dessa transporter behöver även ha samma resurser tillgängliga som idag, exempelvis ventilator och i sällsynta fall ECMO.
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	Förbättrad behandling och nya behandlingsstrategier kommer leda till förbättrad överlevnad och förlängt liv för vissa av patientgrupperna, varför patientkohorterna kan öka över tid. Genom ändrad demografi kan även antalet nyupptäckta fall öka nationellt, då några av tillstånden är

Sakkunniggruppens konsekvensanalys	
	vanligare i vissa länder och kan komma att diagnosticeras först när en familj migrerat till Sverige. Intensifierad behandling av andra sjukdomar såsom stamcellstransplantationer, lungtransplantationer och reumatiska tillstånd kan drabba lungorna som bieffekt och göra att vissa av dessa barn faller in i de aktuella sjukdomsgrupperna.
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). Uppföljningsmåtten ska utgå från nedan mall. Uppföljningsmåtten kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Förslag till uppföljningsmått

Uppföljningsmått*	**Beskrivning**
Bakgrundsmått	Antal remisser till NHVe
Bakgrundsmått	Antal behandlade vid NHVe
Bakgrundsmått	Andel behandlade vid NHVe Täljare: Antal behandlade Nämnare: Antal remisser
Bakgrundsmått	Vårdtid Datum för utskrivning minus datum för inskrivning
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss till bedömning Datum för bedömning minus datum för remiss
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss (alt bedömning) till behandling/åtgärd Datum för behandling/åtgärd minus datum för remiss (alt bedömning)
Medicinska resultat	Överlevnad Komplikation
Medicinska resultat	Relevanta utfallsindikatorer så som de definieras i nationella eller Europeiska kvalitetsregister - där sådana finns

*För alla indikatorer följs demografisk data upp: • Ålder • Kön • Remitterande region? • Patientens folkbokföringsregion?	

Referenser

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

Deltagare i sakkunniggrupp

Samverkansregion Stockholm: Wilhelm Zetterquist, specialist inom Barn- och ungdomsmedicin med inriktning barnpulmunologi
Samverkansregion Linköping: Fredrik Ingemansson, specialist inom Barn- och ungdomsmedicin och neonatologi
Samverkansregion Umeå: Jolanta Wroblewska, specialist inom Barn- och ungdomsmedicin och neonatologi
Samverkansregion Lund/Malmö: Christine Rönne Hansen, specialist inom Barn- och ungdomsmedicin med inriktning barnpulmunologi
Samverkansregion Göteborg: Bill Hesselmar, specialist inom Barn- och ungdomsmedicin med inriktning barnpulmunologi
Samverkansregion Uppsala/Örebro: Richard Sindelar, specialist inom Barn- och ungdomsmedicin och neonatologi
Patientföreträdare: En patientföreträdare från patientföreningen Alfa-1 Sverige har deltagit vid ett möte initialt. Under senare delar av sakkunniggruppsarbetet har sakkunniggruppen tyvärr inte haft en aktiv patient- och närståendeföreträdare. Istället har Socialstyrelsen lyft patientnyttan aktivt, utifrån sitt uppdrag att denna ska genomsyra arbetet, med hjälp av samlad erfarenhet från andra vårdområden och övergripande nätverk med patientorganisationer.

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).

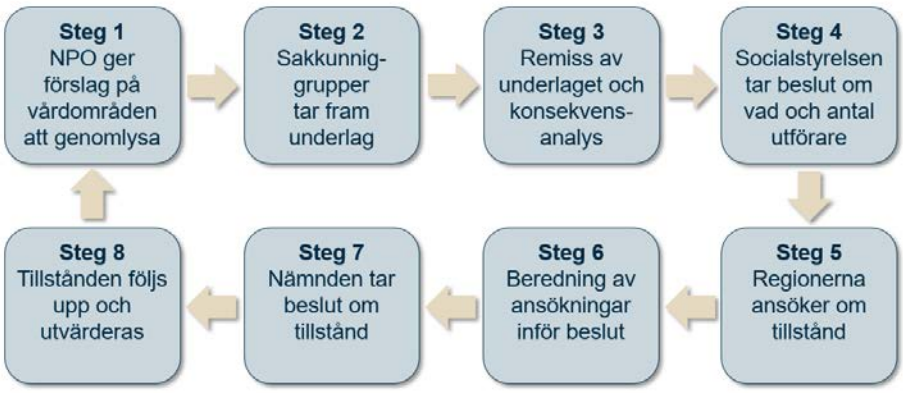
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

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.