

# Genomlysning av vårdområdet "patienter med leversvikt i behov av intensivvård där levertransplantation kan vara indicerat" som nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för ”omhändertagande av svåra komplikationer vid leversjukdom” vårdområdet ”patienter med leversvikt i behov av intensivvård där levertransplantation kan vara indicerat” 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

Berörda nationella programområden valde att benämna området som skulle genomlysas för ”svår leversvikt”. Detta är ett livshotande tillstånd som kan uppstå akut eller i slutstadiet av samtliga progressiva leversjukdom och begreppet saknas i internationella riktlinjer. Sakkunniggruppen har därför pragmatiskt justerat rubriken till ”omhändertaganden av svåra komplikationer vid leversjukdom” och identifierat tre tillstånd för genomlysning; Patienter med leversvikt i behov av intensivvård där levertransplantation kan vara indicerat, Avancerad invasiv diagnostik och behandling av patienter med primär skleroserande kolangit samt Transjugulär intrahepatisk portosystemisk shunt (TIPS) oavsett orsak och indikation.

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 .....	12
Förslag till särskilda villkor .....	14
Konsekvenser av rekommendationen .....	16
Uppföljning och utvärdering .....	18
Referenser .....	21
Deltagare i sakkunniggrupp .....	22
Om nationell högspecialiserad vård .....	23

## Ordlista

ACLF	Acute on chronic liver failure, akut-på-kronisk leversvikt
DILI	Drug induced liver injury
NASH	Non Alcoholic Steatohepatitis
NHS	National Health Service
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
PSC	Primär skleroserande kolangit
PHLF	Post-hepatectomy liver failure

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet ”patienter med leversvikt i behov av intensivvård där levertransplantation kan vara indicerat” att det ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid två vårdenheter. Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art, som kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens.

Vården är komplex eftersom det handlar om mycket svårt sjuka patienter inom intensivvården, i behov av kontinuerlig bedömning och behandlingsoptimering inför en eventuell levertransplantation. Vården kräver ett högkompetent multiprofessionellt team som består av bland annat levertransplantationskirurg, specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi, patolog och anestesilog med särskild kompetens inom leversjukdomar och intensivvård.

Sakkunniggruppen bedömer att cirka 70 patienter per år behöver den aktuella vården. Det innebär att cirka 35 patienter per år kommer att intensivvårdas vid varje nationell högspecialiserad vårdenhet. Två enheter, och inte färre, minskar sårbarheten i vården. Risken minskar också för att andra patientgrupper som behöver intensivvård trängs undan.

Vården behöver finnas där levertransplantationer utförs i dag. På så sätt kan patienterna få ett optimalt omhändertagande, med bästa möjliga förutsättningar för transplantation.

Konsekvenserna av att koncentrera vården är övervägande positiva. Fler patienter skulle kunna bli bedömda och få en optimerad behandling i ett tidigare skede inför en eventuell levertransplantation, anser sakkunniggruppen. Dessutom skulle kunskaperna om de aktuella hälsotillstånden utvecklas och förutsättningarna för forskning förbättras. Detta skulle i sin tur förbättra och effektivisera behandlingen, även för patienter som inte får en levertransplantation. Sakkunniggruppen bedömer vidare att akutsjukvården inte kommer att påverkas av vårdkoncentrationen. Omkringliggande områden kan dock påverkas, på grund av risken för undanträngning av andra patienter som behöver intensivvård vid de två nationella högspecialiserade vårdenheterna.

# Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Patienter med leversvikt i behov av intensivvård, där levertransplantation kan vara indicerat, ska bedömas av en nationell vårdenhet som därefter kan ta över patienten för intensivvård och behandlingsoptimering.

Detta gäller patienter med akut leversvikt, inklusive akut-på-kronisk leversvikt (acute on chronic liver failure, ACLF), exempelvis alkoholhepatit, akut eller subakut viral hepatit, intoxication, läkemedelsinducerad leversvikt (drug induced liver injury, DILI), patienter med sällsynt leversjukdom (t.ex. Wilsons sjukdom, autoimmun hepatit och levervenstrombos).

## Antal enheter

Två nationella vårdenheter.

## 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 eventuellt bör nivåstruktureras inom varje sjukvårdsregion. Nedan följer de områden som enligt sakkunniggruppen för ”Omhändertaganden av svåra komplikationer vid leversjukdom” bör nivåstruktureras regionalt:

1. Leversvikt vid absoluta kontraindikationer för levertransplantation.
2. Postoperativ leversvikt efter leverkirurgi (PHLF).
3. Patienter med känd nedsatt leverfunktion, dekompenenserad cirros, med behov av stor elektiv kirurgi.

## Bakgrund

### Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

Svår leversvikt är ett kliniskt tillstånd med uttalad nedsättning av leverns funktioner, såväl syntes (t.ex. koagulationsfaktorer och albumin) som detoxifiering och elimination av både kroppsegna (t.ex. bilirubin) och tillförda substanser (t.ex. vissa läkemedel). Tillståndet kan uppkomma vid akut lever-skada eller sjukdom, som en akut försämring av diagnostiserad eller odiagnostiserad kronisk leversjukdom (så kallad acute on chronic liver failure, ACLF) eller som resultat av en mer långsam progressiv försämring av en kronisk leversjukdom, ofta med cirros.

Vanliga orsaker till akut leversvikt är intoxicationer (paracetamol, vit flugsvamp), biverkningar av läkemedel (Drug Induced Liver Injury, DILI), alkoholhepatit, ovanliga tillstånd så som levervenstrombos, vissa virusinfektioner med mera. Vid ACLF kan man ibland påvisa en utlösande orsak till den akuta försämringen i form av en komplikation till den kroniska leversjukdomen. Patienten kan ha drabbats av portatrombos, spontan bakteriell peritonit eller annan infektion, blödning från esofagusvaricer eller annan gastrointestinal blödning. Levercirros är det gemensamma slutstadiet av många olika kroniska leversjukdomar, t.ex. alkoholrelaterad leversjukdom, icke alkoholrelaterad fettleverhepatit (NASH), primär biliär cirros (PBC), primär skleroserande kolangit (PSC), autoimmun hepatit, kronisk hepatit B och C infektion och hemokromatos.

En patient med svår leversvikt söker ofta sjukvård akut med endast några dagars anamnes på symtom som t.ex. ikterus (guldfärgade ögonvitor och/eller hud, mörk urin, avfärgad avföring), ökad vikt och bukomfång, allmän trötthetskänsla och nedsatt aptit. Om patienten söker via en vårdcentral remitteras hen oftast direkt vidare till en akutmottagning när man konstaterat att det föreligger nydebuterad ikterus. På akutmottagningen kan man efter en basal utredning avgöra om det föreligger "kirurgisk ikterus" (gallstenssjukdom, tumör), infektiös genes (hepatit) eller "internmedicinsk ikterus". Fortsatt handläggning kommer därefter ske på respektive klinik. Beroende på genes kan olika kausala behandlingar eller symtomatiska behandlingar initieras och fördjupad diagnostik genomföras.

En del av dessa patienter kommer behöva vårdas på en intensivvårdsavdelning, eventuellt med behov av dialys och respiratorbehandling. Beroende på prognos (relaterat till genes till leversvikten och svar på insatt behandling) kommer man för en del av dessa patienter överväga levertransplantation. I dessa fall flyttas patienten, efter initial stabilisering och eventuellt med pågående respiratorbehandling, till sjukhus med levertransplantationsverksamhet.

I en behandlingskonferens med bland annat hepatolog, transplantationskirurg och anesthesiolog bedöms om patienten är en lämplig kandidat för levertransplantation. Om så är fallet sätts patienten upp på levertransplantationsväntelistan. Under vissa omständigheter kan patienten erhålla status som "urgent call" på väntelistan. Då har patienten företräde till alla lämpliga donerade lever inom Scandiatransplant (Danmark, Estland, Finland, Island, Norge, Sverige) under 72 timmar. Det är särskilt viktigt vid eventuellt organerbjudande att patienten redan vårdas på "rätt" ställe så att beslut om levertransplantation kan fattas snabbt inom gällande tidsramar.

Eftersom det kliniska tillståndet vid svår leversvikt kan vara mycket dynamiskt med snabba förändringar i patientens tillstånd, så måste en fortlöpande bedömning kunna göras av patienten av ansvarig hepatolog, anesthesiolog och levertransplantationskirurg. Detta för att avgöra om patienten är transplantabel vid ett eventuellt organerbjudande.

I dagsläget kan denna patientkategori inkomma till landets alla akutmottagningar. Efter initial stabilisering och bedömning av tillståndet kommer dessa mycket svårt sjuka patienter remitteras till sjukhus med adekvat kompetens, i allmänhet regions- eller universitetssjukhus. Om Levertransplantation bedöms vara en behandlingsmöjlighet överflyttats patienten, efter telefonkontakt, med ambulans eller ambulansflyg till enhet med levertransplantationsverksamhet (Karolinska Universitetssjukhuset/Huddinge eller Sahlgrenska Universitetssjukhuset/Göteborg).

Att fortlöpande bedöma och behandla dessa svårt sjuka patienter kräver mycket erfarenhet och god kännedom om sjukdomsförlopp. Det krävs dessutom en kontinuerlig bedömning huruvida patienterna kan vara aktuella för transplantation, vilket gör att detta bör definieras som nationell högspecialiserad vård. Det är av stor vikt att de patienter som vårdas inom intensivvården i väntan på levertransplantation får ett optimalt omhändertagande så att förutsättningarna att transplantera dem är de bästa.

Sakkunniggruppen bedömer att det sannolikt finns en grupp patienter som i dag inte remitteras till sjukhus med levertransplantationsprogram eller som remitteras för sent i förloppet. Genom att införa nationella enheter för denna patientgrupp anser därför sakkunniggruppen att fler patienter skulle kunna bli bedömda och aktuella för Levertransplantation som behandling av svår leversvikt. Dessutom skulle en koncentration av denna vård leda till ökad erfarenhet och kunskap om dessa tillstånd, bättre möjlighet till forskning, utveckling och utbildning vilket kommer leda till bättre och effektivare behandling av dessa mycket svårt sjuka patienter även i de fall då transplantation inte genomförs.

## Vårdvolym

Det är en mycket liten del av de som behandlas för akut leversvikt i landet som behöver eller kan transplanteras. Av cirka 200 patienter som levertransplanteras i Sverige per år är det, enligt sakkunniggruppens bedömning, cirka 10 % det vill säga 20 patienter per år, som levertransplanteras på grund av akut eller akut-på-kronisk leversvikt.

Förutom ovan beskrivna patienter tillkommer också de med svår leversvikt som inte accepteras för levertransplantation, de som förbättras samt de som avlider. Inkluderas dessa patientgrupper uppgår det totala antalet patienter till cirka 70 per år i Sverige, som kan komma att omfattas av den föreslagna definitionen.

## Forskning

Forskningen på den i underlaget föreslagna definitionen är begränsad med tanke på att det har varit svårt att samla tillräckligt många patienter och att de utgör en mycket heterogen grupp. Befintlig forskning inom området är i huvudsak kopplat till de universitetssjukhus som genomför levertransplantationer och behandlar leversvikt efter stor leverkirurgi.

Sakkunniggruppen anser att klinisk forskning inom området akut och akut-på-kronisk leversvikt behöver stärkas. Koncentration av denna vård kan skapa bättre förutsättningar för forskningen beträffande patientunderlag och nödvändiga resurser. Sakkunniggruppen bedömer att relevant forskning förutsätter samarbete mellan nationella och internationella enheter.

## Internationell utblick

EASL (The European Association for the Study of the Liver) publicerade 2017 guidelines för patienter med akut leversvikt. Guidelines rekommenderar att dessa patienter flyttas till specialiserad enhet med samlad expertis för bedömning, vård och vid behov för levertransplantation.

I Skandinavien har Norge, Danmark och Finland endast en transplantationsenhet vilket i praktiken innebär att vården av de patienter som behöver levertransplantation är koncentrerad i större utsträckning i dessa länder än i Sverige.

I England är levertransplantation centraliserad till enstaka centra godkända av National Health Service (NHS) och dessutom finns ett flertal centra, också godkända av NHS som har "lever intensivvård (IVA)". Liknande koncept finns i Spanien med dedikerat hepatologisk IVA i Barcelona. Frankrike har en liknande struktur med nätverk för behandling av olika sjukdomar och ett visst antal godkända levertransplantationscentra.

De flesta länder, liksom Sverige, vårdar troligen patienterna initialt på IVA lokalt/regionalt.

## Framåtblick

### Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

När en patient med akut leversvikt i behov av intensivvård, där levertransplantation kan vara indicerat, identifieras ska kontakt tas med en NHVe för ställningstagande till förflyttning av patienten. Innan kontakt tas med NHVe kan scorevärden användas för risk- och prognosbedömning om eventuell levertransplantation. Detta kan även vara aktuellt för patienter som för stunden inte har indikation för intensivvård, men där risk föreligger att detta inom kort kan behövas. Patienter i palliativ vård samt patienter där det föreligger en kontraindikation mot levertransplantation omfattas inte av detta förslag, men kan vid behov ändå vårdas på sådan enhet.

Enheter som utses till NHVe ska ha erfarenhet av svårt sjuka leverpatienter och bedriva vården i ett multiprofessionellt team. Detta team behöver bland annat bestå av intensivvårdsläkare, intensivvårdssjuksköterska, hepatolog, levertransplantationskirurg, endoskopist, beroendeläkare, fysioterapeut och kurator. På en NHVe kan patienterna vårdas på specialiserad leveravdelning eller inom intensivvården beroende på patientens aktuella behov. NHVe ska kunna ge/erbjuda bland annat sedvanlig leversviktsbehandling, infektionsbehandling och stödjande av vitala funktioner. Parallellt genomförs kompletterande diagnostik och utredning inför eventuellt beslut om transplantation.

Det slutliga beslutet om patienten skall listas för levertransplantation tas vid en multidisciplinär, eventuellt akut sammankallad, transplantationskonferens. Patienter som bedöms vara kandidater för levertransplantation kvarstannar på NHVe för fortsatt vård och löpande bedömning av transplantabilitet och prognos. Detta är särskilt viktigt vid eventuellt organerbjudande så att beslut om levertransplantation kan fattas snabbt inom gällande tidsramar. Patienter som förbättras under vården och inte längre bedöms ha indikation för vård vid NHVe överflyttas till hemortssjukhuset som då återtar patientansvaret. Detsamma gäller patienter som försämras och där ytterligare vård vid NHVe inte längre bedöms förbättra patientens prognos. Det är viktigt att planeringen för dessa patienter i behov av palliativ vård görs i samråd med hemortssjukhuset då det ibland kan vara olämpligt att flytta en sådan patient.

Uppskattningsvis vårdas idag cirka 50 patienter per år på denna indikation vid något av de två befintliga transplantationscentra. Av dessa genomgår cirka 20 patienter en levertransplantation i akutskedet. Med detta förslag till nivåstrukturering förväntas antalet patienter som vårdas vid NHVe att öka till cirka 70 patienter per år. Det skulle innebära drygt 30 patienter per år och NHVe, vilket bedöms vara ett tillräckligt antal för att behålla och bygga upp erfarenhet och kompetens att ta hand om denna komplicerade patientgrupp.

Varje NHVe har ansvar att delta i och bedriva forskning och utveckling av vården samt vara uppdaterad i senaste tekniken. Kunskapsöverföring ska ske

till inremitterande enheter kring varje enskilt fall, men också genom återkommande utbildningstillfällen.

De båda NHVe ska ha ett nära samarbete och bör skriva ett gemensamt nationellt vårdprogram som anpassas till redan befintligt vårdprogram för levertransplantation. Patienterna som vårdas vid NHVe ska omfattas av ett kvalitetsregister. Det är i framtiden önskvärt att alla patienter med akut leversvikt omfattas av ett nationellt kvalitetsregister så att man kan följa upp vilka patienter som remitteras till NHVe och hur prognosen utvecklas över tid för denna patientgrupp.

## 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.

<b>Kompetens och resurser</b>	
Kritisk medicinsk kompetens (läkare)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Levertransplantationskirurg</li> <li>• Specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi</li> </ul> <p>Specialister, samtliga med erfarenhet av leversjukdomar:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Anestesiolog</li> <li>• Radiolog med interventionell kompetens</li> <li>• Radiolog med kompetens inom bilddiagnostik</li> <li>• Patolog</li> <li>• Specialist inom infektionssjukdomar</li> <li>• Endoskopisk interventionell kompetens</li> <li>• Patolog/Cytolog</li> </ul> <p>Hepatologisk, endoskopisk, anestesiologisk, levertransplantationskirurgisk och radiologisk kompetens ska finnas tillgänglig via jour/beredskap 24 tim/dygn.</p>
Andra typer av kompetens (t.ex. specialkompetent sjuksköterska, kurator, psykolog, fysioterapeut)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Dietist med erfarenhet av leversjukdomar</li> <li>• Kurator</li> <li>• Fysioterapeut med erfarenhet av rehabilitering av svårt sjuka/IVA-vårdade patienter i första hand för att delta i bedömning om förutsättningar för Levertransplantation</li> </ul>
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Operationssal med avancerad utrustning för hjärtövervakning så som PA-kateter och hjärt-EKO och för snabb vätsketillförsel</li> <li>• Gastroenterologisk vårdavdelning</li> <li>• IVA-platser</li> </ul>

Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Levertransplantationsverksamhet</li> <li>• Tillgång till koagulationsexpertis</li> <li>• Tillgång till psykiatrisk verksamhet med möjlighet att göra akuta bedömningar (24 tim jourverksamhet)</li> </ul>
Kritiska diagnostiska metoder	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Percutan och transjugulär biopsitagning av levern, med patolog-beredskapsjour 7 dagar i veckan.</li> <li>• Bilddiagnostik: angiografi/genomlysning</li> <li>• Trombelastografi/tromboelastometri (koagulationsanalyser)</li> <li>• Endoskopi</li> <li>• Immunologisk och virologisk hepatitdiagnostik</li> </ul>
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	Inte aktuellt
Rehabilitering (särskilt anpassad till behovet)	Inte aktuellt
Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Videokonferens på nationell nivå med NHVe</li> <li>• NHVe ska kunna ta emot ST-läkare från andra kliniker så att de kan lära sig denna specialistvård</li> <li>• NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter vid utskrivning</li> <li>• Uppföljning av patientrapporterade mått</li> </ul>

## 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.

<b>Sakkunniggruppens konsekvensanalys</b>	
Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)	<p>Effektivare och säkrare vårdförlopp.</p> <p>Bättre överlevnad.</p> <p>Standardisering av vården, ger bättre förutsättningar för utvärdering (följa bland annat överlevnad).</p>
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	<p>Tydligare ansvar för kompetensöverföring och kompetensförsörjning och kontinuitet.</p> <p>Svårare att bevara kompetens för dessa patienter regionalt, men ett tydligt NHVe-ansvar för överrapportering kan minska denna risk.</p> <p>Svårare att få till randning för blivande specialister.</p>
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	Koncentration möjliggör bättre forskning.
Påverkan på närliggande områden	<p>Finns risk för undanträngning av andra IVA-patienter på de sjukhus som blir NHVe.</p> <p>Det kommer troligtvis att leda till ökat resursbehov i form av IVA-platser vid NHVe. Idag föreligger brist på IVA-platser.</p>

<b>Sakkunniggruppens konsekvensanalys</b>	
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.	<p>Patienterna inom definitionen kommer även fortsättningsvis inkomma till alla akut-mottagningar varför det akuta omhändertagandet inte påverkas.</p> <p>Alla patienter med svår leversvikt kommer inte vara aktuella för transport till NHVe varför erfarenhet på regional nivå att handlägga dessa patienter kommer behövas även i framtiden.</p> <p>De kommer inte heller att förlora denna kompetens ute i landet då patienter även fortsättningsvis kommer att vårdas med leversvikt utanför NHVe.</p> <p>Ett ökat samarbete med konsultationer och kunskapsöverföring mellan NHVe och regionerna kommer kunna leda till bättre vård för hela patientgruppen med svår leversvikt.</p>
Påverkan på vårdkedjan	En större andel av patienterna med svår leversvikt kommer remitteras för bedömning och vård på NHVe.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	<p>Relativt få patienter kommer remitteras från varje enskild klinik vilket kommer leda till försumbar påverkan på resursförbrukning per klinik.</p> <p>En koncentration av patienter i behov av IVA kommer att leda till ökat behov av resurser i form av IVA-platser och ökad tjänstgöring på jourtid för vissa specialister på NHVe.</p> <p>Antalet Levertransplantation till denna patientgrupp kommer knappast öka då de som behöver denna behandling redan i dag till största delen redan erhåller den och den begränsande faktorn i dag, såväl som i framtiden, är tillgången på donerade organ.</p>
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	<p>Med viss undanträngning av andra IVA-patienter kan detta leda till behov av fler transporter av IVA-patienter mellan sjukhus.</p> <p>Fler patienter med svår leversvikt kommer behöva transporteras till och från NHVe. Ibland med pågående respiratorbehandling. Vid kortare transporter med ambulans, vid längre med ambulansflyg eller helikopter.</p>
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	Det är troligt och önskvärt med en mindre ökning så att volymen blir tillräckligt för att behålla och bygga upp erfarenhet och kompetens att ta hand om denna komplicerade patientgrupp.

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

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal patienter som remitteras för bedömning <ul style="list-style-type: none"> <li>• Ålder</li> <li>• Kön</li> <li>• Remitterande region</li> <li>• Diagnos</li> </ul>
Bakgrundsmått	Antal patienter som går vidare från bedömning till inläggning (NHVe) <ul style="list-style-type: none"> <li>• Ålder</li> <li>• Kön</li> <li>• Remitterande region</li> <li>• Diagnos</li> <li>• Vårdtid NHVe (IVA/Avd)</li> </ul>
Bakgrundsmått	Vårdtid Datum för utskrivning minus datum för inläggning.
Bakgrundsmått	Andel patienter som går till Levertransplantation Täljare: Antal patienter som går vidare till Levertransplantation Nämnare: Antal patienter som skrivs in vid NHVe
Tillgänglighetsmått	Tid i timmar från beslut om övertag till när transport påbörjas.
Tillgänglighetsmått	Andel patienter som inte kan tas över till NHVe inom 12 alt 24 tim (pga logistikproblem med t.ex. transport eller brist på vårdplats/IVA på NHVe). Täljare: Antal patienter som inte kunnat tas över till aktuell NHVe inom angiven tid trots att behov finns. Nämnare: Totalt antal patienter med behov av övertag enligt denna definition.

Medicinska resultat	<p>Andel patienter som (med eller utan Levertransplantation)</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. förbättras och kan utskrivas från NHVe</li> <li>2. försämras och återremitteras till hemortssjukhuset för palliativ vård</li> <li>3. avlider under vårdtid på NHVe.</li> </ol> <p>Täljare: Antal patienter i respektive grupp Nämnare: Antal patienter som omhändertagits på NHVe.</p>
Medicinska resultat	<p>3-månaders och 1-årsöverlevnad av samtliga patienter vårdade på NHVe.</p>
Överrapportering	<p>Andel vårdtillfällen med överrapportering till ansvarig hemortsläkare (genom telefonsamtal, brev, kopia på epikris, fysiskt möte) i samband med utskrivning från NHVe.</p> <p>Täljare: Antal överrapporteringar Nämnare: Antal patienter som skrivs in vid NHVe</p>

## Referenser

Sakkunniggruppen har inte identifierat några vetenskapliga artiklar eller annan relevant evidens som undersöker frågeställningen om koncentration av viss vård inom området ”Omhändertaganden av svåra komplikationer vid leversjukdom”. Sakkunniggruppens bedömning utgår från internationell utblick, klinisk erfarenhet och kunskap om den svenska sjukvårdens struktur inom området.

## Deltagare i sakkunniggrupp

Sjukvårdsregion	Namn
Uppsala-Örebro sjukvårdsregion	Rickard Nyman, specialist i radiologi
Norra sjukvårdsregionen	Ole B Suhr, specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi
Stockholm-Gotland sjukvårdsregion	Anna Januszkiewicz, specialist i anesthesiologi och intensivvård Stefan Gilg, specialist i kirurgi
Sydöstra sjukvårdsregionen	Mattias Ekstedt, specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi samt internmedicin
Södra sjukvårdsregionen	Daniel Klintman, specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi samt internmedicin
Västra sjukvårdsregionen	Christian Cahlin, specialist i kirurgi Hanns-Ulrich Marschall, specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi samt allmän internmedicin
Patientföreträdare	Ewa Westerlund, PSC - föreningen (primär skleroserande kolangit)

## 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 "avancerad invasiv diagnostik och behandling av patienter med primär skleroserande kolangit" som nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för ”omhändertaganden av svåra komplikationer vid leversjukdom” vårdområdet ”avancerad invasiv diagnostik och behandling av patienter med primär skleroserande kolangit” 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

Berörda nationella programområden valde att benämna området som skulle genomlysas för ”svår leversvikt”. Detta är ett livshotande tillstånd som kan uppstå akut eller i slutstadiet av samtliga progressiva leversjukdom och begreppet saknas i internationella riktlinjer. Sakkunniggruppen har därför pragmatiskt justerat rubriken till ”omhändertaganden av svåra komplikationer vid leversjukdom” och identifierat tre tillstånd för genomlysning; Patienter med leversvikt i behov av intensivvård där levertransplantation kan vara indicerat, Avancerad invasiv diagnostik och behandling av patienter med primär skleroserande kolangit samt Transjugulär intrahepatisk portosystemisk shunt (TIPS) oavsett orsak och indikation.

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 .....	13
Konsekvenser av rekommendationen .....	15
Uppföljning och utvärdering .....	17
Referenser .....	18
Deltagare i sakkunniggrupp .....	19
Om nationell högspecialiserad vård .....	20

## Ordlista

ERCP	Endoskopisk retrograd kolangiopankreatografi
FISH	Fluorescerande in situ-hybridisering
MRCP	Magnetisk resonanskolangiopankreatografi
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
PSC	Primär skleroserande kolangit
PTC	Perkutan transhepatisk kolangiografi

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet ”avancerad invasiv diagnostik och behandling av patienter med primär skleroserande kolangit (PSC)” att det ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fem vårdenheter. Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art, som kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens.

Vården är komplex eftersom det handlar om avancerade invasiva diagnostiska ingrepp, följda av svåra bedömningar för att skilja mellan inflammatoriska och maligna förändringar i gallgångarna. Vid dessa bedömningar krävs ett multidisciplinärt team som består av bland annat hepatolog, radiolog och cytolog eller patolog med särskild kompetens inom PSC.

Vården kräver också en viss volym för att utveckla kompetens, varför den inte bör bedrivs i alla sjukvårdsregioner. Fem högspecialiserade nationella vårdenheter bedöms vara lämpligt för att upprätthålla och utveckla kompetensen, utan att minska tillgängligheten till vården. Denna bedömning baseras på att 150–200 undersökningar per år utförs i dag.

Konsekvenserna av att koncentrera vården är övervägande positiva. Exempelvis förväntas vårdkoncentrationen ge bättre förutsättningar att utvärdera vården, bättre vårdkvalitet och i förlängningen bättre sjukdomsprognos. Sakkunniggruppen bedömer vidare att akutsjukvården inte kommer att påverkas nämnvärt. Det finns dock en liten risk för undanträngning av andra patientgrupper som behöver endoskopisk retrograd kolangiopankretikografi (ERCP), intensivvårdsplatser eller narkosresurser på de sjukhus som blir nationella högspecialiserade vårdenheter.

## Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Patienter med primär skleroserande kolangit (PSC), med nytillkommen dominant stenosis eller annan nytillkommen misstänkt dysplastisk förändring i lever eller gallgångar, ska bedömas vid nationell multidisciplinär konferens (MDK) för eventuellt beslut om avancerad diagnostik och behandling vid en nationell enhet.

Antal enheter

Fem vårdenheter.

## 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 eventuellt bör nivåstruktureras inom varje sjukvårdsregion. Nedan område som sakkunniggruppen för ”Omhändertaganden av svåra komplikationer vid leversjukdom” identifierat bör regionalt nivåstruktureras:

- Uppenbart maligna förändringar i lever och/eller gallvägar.

## Bakgrund

### Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

Primär skleroserande kolangit (PSC) är en kronisk kolestatisk inflammatorisk sjukdom som leder till förändringar i extra- och intrahepatiska gallgångarna. Det kan vara ytterst svårt att skilja mellan inflammatoriska och maligna förändringar. Dessutom kan betydande kolestas uppstå med svår klåda, kraftig gulsot och snabbt försämrade leverfunktion och livshotande kolangit. Dessa tillstånd kräver mycket stor erfarenhet och kompetens, båda gällande differentialdiagnos och behandling, främst med ERCP. Internationellt bedöms att det krävs minst 150 interventioner per år och per endoskopist för att grundkompetensen ska upprätthållas. Troligen minskar risken för pankreatit ju mer erfaren endoskopisten är. Det finns ingen specifik rekommendation av volym för definitionen i detta underlag.

Prevalensen för PSC i Sverige är cirka 1600 patienter varav cirka hälften omhändertas på universitetssjukhus. Cirka 10 % (160 per år) av PSC patienterna utvecklar dominant stenosis.

Sjukdomen förekommer ofta tillsammans med inflammatorisk tarmsjukdom och är förknippad med ökad risk för gallvägscancer (cancer i gallgången och gallblåsan) och koloncancer. Sjukdomsförloppet visar stor individuell och tidsmässig variation, från asymtomatisk, genom kolangitattacker till fullt utvecklad lever som oftast leder till levertransplantation. En del patienter utvecklar tidigt förändringar i gallgångarna, gallgångsdysplasier, som är förstadier till gallgångscancer utan utveckling. Avancerad diagnostik är viktig eftersom tidig diagnos möjliggör behandling i form av levertransplantation. Utvecklad gallgångscancer har annars en mycket dålig prognos.

I följande förslag har sakkunniggruppen identifierat sådana åtgärder som patientgruppen med PSC är i behov av och som är komplex och kräver viss volym för att upprätthålla kunskap och förmåga att utveckla området. Patienterna behöver ett multidisciplinärt omhändertagande och vården behöver göra särskilda investeringar. Det multidisciplinära teamet behöver bland annat bestå av hepatolog, medicinare eller kirurg med kunskap i interventionell ERCP, radiolog och cytolog/patolog.

Det är komplext att utreda och bedöma malignitetsmisstänkta strikturer eller stenoser hos patienter med PSC. Vid sådana förändringar i levern krävs utöver MRCP invasiv utredning med ERCP, med eller utan endoskopiskt ultraljud, vilket ger möjlighet både till diagnostik (borstprov för cytologi och FISH, Spy glass-ledd biopsi för patologi) och terapi (dilatation, stentning). Genom att utreda orsaken till förändringen (benign inflammation, premalign eller malign förändring) kan man avgöra vilken behandling som ska erbjudas. Detta kräver kombination av god endoskopisk erfarenhet och skicklighet samt nära samarbete med gastroenterologi, leverkirurgi samt radiologi (för

bedömning av MRCP/ERCP-fynd samt PTC i fall att ERCP inte kan genomföras tillfredställande) och patolog/cytolog. En stor del av denna verksamhet bedrivs idag på länssjukhus.

Eftersom vi i Sverige kan erbjuda levertransplantation vid bekräftad dysplasi i gallvägarna så är vi generellt mer positiva till aktiv övervakning. Det ställer samtidigt stora krav på diagnostik vid potentiellt allvarliga fynd, såsom nytillkomna stenoser.

## Vårdvolym

Sakkunniggruppen bedömer att vårdvolymerna för avancerad diagnostik (så som ERCP, Spy glass och viss PTC) vid PSC är cirka 100 unika patienter och totalt 150-200 undersökningar per år. Dubbelballongteknikkrävande ERCP sker med cirka 10 ingrepp per år.

## Forskning

Det pågår för närvarande några få studier inom invasiv diagnostik i Sverige. I Sverige finns en nationell sammanslutning (SweHep) av kliniker från universitetssjukhusen med intresse för hepatologisk forskning. Det finns ett kvalitetsregister för ERCP (Gallriks), men det beskriver inte specifika frågeställningar för patienter med PSC.

Sakkunniggruppen bedömer att forskningsmöjligheterna inom området skulle potentiellt bli bättre om invasiv diagnostik av denna patientgrupp koncentreras till färre enheter än idag.

## Internationell utblick

Internationellt finns ingen formell centralisering av invasiv diagnostik vid PSC, men på grund av att volymerna av antal patienter och behandlingar är relativt begränsade har det inneburit en naturlig centralisering till framförallt universitetssjukhus.

Övervakning av patienter med PSC sker på mycket olika sätt i olika länder. En av de avgörande faktorerna bakom olika länders strategier för övervakning beror på möjligheten att erbjuda levertransplantation till patienter med dysplasi i gallvägarna.

## Framåtblick

### Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

Kontakt mellan NHVe och remittent ska ske genom nationell multidisciplinär konferens med läkare från remitterande sjukhus och endoskopist, hepatolog, cytolog/patolog samt radiolog på NHVe. Beslut från multidisciplinär konferens ska vara skriftligt från NHV-hepatolog till remitterande läkare.

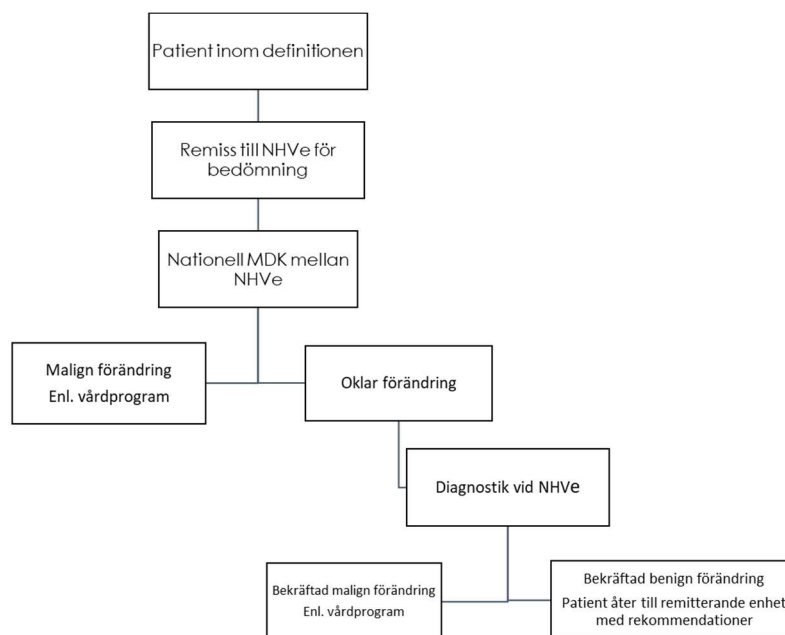
Med hänsyn till geografin föreslås fem enheter då varje NHVe bör ha en volym på minst 20 unika patienter per år (oftast behöver samma patient flera ERCP per år). Teknik med dubbelballong-ERCP kan med fördel koncentreras till färre än fem enheter, förslagsvis där levertransplantation görs (två enheter) då denna teknik nästan bara görs vid recidiv-PSC efter levertransplantation. Detta föreslår sakkunniggruppen att tillståndsinnehavarna kommer överens om.

Patologi och FISH-analys bör kunna göras på alla fem enheter och sakkunniggruppen föreslår att det införs rutin för en second-opinion bedömning på en till två centra av dessa.

Överrapportering ska ske muntligen och skriftligen från sjuksköterska med kompetens inom leversjukdomar på NHVe till sjuksköterskan på remitterande sjukhus.

NHVe ska samverka med varandra och ska leva upp till samma kvalitetskrav. Vidare ska de nationella enheterna utveckla gemensamma verktyg för kvalitetssäkring och förbättring samt rapportera till nationella och europeiska register. NHVe ska ansvara för kunskapsutveckling och bedriva forskning inom området.

NHVe ska utarbeta ett nationellt vårdprogram för handläggning (utredning och behandling) av nytillkomna dominanta strikturer och andra (malignitets-suspekta) förändringar hos patienter med PSC. Det ska ske i samråd med nationella programråden inom regionernas struktur för kunskapsstyrning.



Figur 1. Förslag på vårdflöde in till NHVe. Nationell MDK mellan de fem NHVe.

## 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)	<p>Samtliga med erfarenhet av PSC:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Hepatolog</li> <li>• Specialistläkare med endoskopisk kompetens</li> <li>• Radiolog med interventionskompetens</li> <li>• Radiolog med kompetens inom bilddiagnostik</li> <li>• Patolog med cytologikompetens</li> <li>• Endoskopisk kompetens för dubbelballongteknik på de förslagsvis två NHVe som ska utföra detta</li> </ul>
Andra typer av kompetens (t.ex. specialkompetent sjuksköterska, kurator, psykolog, fysioterapeut)	<p>I endoskopiteamet ska även finnas följande kompetenser, med erfarenhet av PSC:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Endoskopiassistent</li> <li>• Narkossjuksköterska</li> <li>• Patientkoordinator</li> </ul>
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Postoperativa resurser</li> <li>• Tillgång till specifik endoskopisk utrustning</li> </ul>
Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Patologi</li> <li>• Leverkirurgi</li> <li>• Anestesiologi</li> </ul>
Kritiska diagnostiska metoder	<ul style="list-style-type: none"> <li>• FISH (klinisk genetik etc)</li> <li>• ERCP</li> <li>• Spy glass</li> <li>• Viss PTC</li> <li>• PET-CT</li> </ul>
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex.	Inte aktuellt

medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	
Rehabilitering (särskilt anpassad till behovet)	Inte aktuellt
Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	<ul style="list-style-type: none"><li>• Ansvar för att utveckla nationellt vårdprogram</li><li>• MDK och videokonferens</li><li>• Efter diagnostik på en nationell enhet ska NHVe upprätta en behandlingsplan.</li><li>• NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande sjukhus samt följa upp patientrapporterade mått</li></ul>

## 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.

<b>Sakkunniggruppens konsekvensanalys</b>	
Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)	<p>Förbättrad vårdkvalitet och prognos när sällsynta och avancerade ingrepp koncentreras.</p> <p>Ökad trygghet (och minskad rädsla) för patienten med vetskap att erfarenhet finns – ökad livskvalitet.</p> <p>Tydligt för patienter var kunskap/erfarenhet finns.</p> <p>Närheten kan påverkas, men positiva effekterna av koncentration överväger längre resor/avstånd.</p> <p>Standardisering av vården, ger bättre förutsättningar för utvärdering.</p> <p>Sakkunniggruppen ser ingen risk för negativ påverkan på tillgänglighet.</p>
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	<p>Ökad kompetens hos utförare på NHVe (tack vare fler ingrepp).</p> <p>Förbättrad radiologisk diagnostik (med fler fall) i samspel inom och mellan NHVe som driver utveckling.</p> <p>Tydligare ansvar för kompetensöverföring och kompetensförsörjning och kontinuitet.</p> <p>Liten volym (majoriteten ERCP kommer bli kvar) så kompetens kommer finnas kvar regionalt.</p> <p>SKG ser inga stora risker.</p>
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	<p>Koncentration och samverkan mellan nationella enheter möjliggör betydligt bättre forskning och utveckling av register.</p>

<b>Sakkunniggruppens konsekvensanalys</b>	
Påverkan på närliggande områden	Finns viss risk för undanträngning av andra patientgrupper (patienter som behöver ERCP eller vårdplatser, narkosresurser) på de sjukhus som blir NHVe.
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta område i stort.	Fler fall med akut pankreatit, kan kräva vård- eller IVA-platser. Men detta kan vägas upp av att det är mindre risk för akut pankreatit när vården koncentreras till nationella enheter.
Påverkan på vårdkedjan	Vårdkedjan blir tydligare. Enklare för både vårdgivare/remittent och patient.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	Nettoeffekterna på kostnaderna är svåra att bedöma för att det finns både kostnadsdrivande och kostnadsbesparande moment. Resurser behöver flyttas från remitterande verksamheter till NHV-verksamheter. Kostnadsdrivande för NHVe då SKG ser underdiagnostik och ökande volymer.
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	Dessa patienter är i regel inte i behov av särskilda transporter. Planerade transporter.
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	Sakkunniggruppen uppskattar att ERCP-volymer kommer att öka med koncentration (ca 50 % ökning är önskvärd).

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

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal patienter som remitteras till NHVe <ul style="list-style-type: none"> <li>• Ålder</li> <li>• Kön</li> <li>• Region som remitterar</li> <li>• Diagnos</li> </ul>
Bakgrundsmått	Antal patienter som kommer till NHVe Ålder Kön Diagnos/indikation Remitterande region
Bakgrundsmått	Vårdtid vid NHVe  Datum för utskrivning från NHVe minus datum för inskrivning vid NHVe
Tillgänglighetsmått	Exempelvis: Tid från remiss till MDK Tid från MDK till diagnos Tid från diagnos till rekommendation om åtgärd
Medicinska resultat	Frekvens av patologisk bedömning/utvinning av representativt cellmaterial vid biopsi/borst  Frekvens post-ERCP pankreatit

## Referenser

Sakkunniggruppen har inte identifierat några vetenskapliga artiklar eller annan relevant evidens som undersöker frågeställningen om koncentration av viss vård inom området "Omhändertaganden av svåra komplikationer vid leversjukdom". Sakkunniggruppens bedömning utgår från internationell utblick, klinisk erfarenhet och kunskap om den svenska sjukvårdens struktur inom området.

## Deltagare i sakkunniggrupp

Sjukvårdsregion	Namn
Uppsala-Örebro sjukvårdsregion	Rickard Nyman, specialist i radiologi
Norra sjukvårdsregionen	Ole B Suhr, specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi
Stockholm-Gotland sjukvårdsregion	Anna Januszkiewicz, specialist i anesthesiologi och intensivvård Stefan Gilg, specialist i kirurgi
Sydöstra sjukvårdsregionen	Mattias Ekstedt, specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi samt internmedicin
Södra sjukvårdsregionen	Daniel Klintman, specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi samt internmedicin
Västra sjukvårdsregionen	Christian Cahlin, specialist i kirurgi Hanns-Ulrich Marschall, specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi samt allmän internmedicin
Patientföreträdare	Ewa Westerlund, PSC - föreningen (primär skleroserande kolangit)

## 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  
vårdområde "transjugulär  
intrahepatisk  
portosystemisk shunt (TIPS)  
oavsett orsak och  
indikation" som nationell  
högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för ”omhändertagande av svåra komplikationer vid leversjukdom” vårdområdet ”transjugulär intrahepatisk portosystemisk shunt (TIPS) oavsett orsak och indikation” 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

Berörda nationella programområden valde att benämna området som skulle genomlysas för "svår leversvikt". Detta är ett livshotande tillstånd som kan uppstå akut eller i slutstadiet av samtliga progressiva leversjukdom och begreppet saknas i internationella riktlinjer. Sakkunniggruppen har därför pragmatiskt justerat rubriken till "omhändertaganden av svåra komplikationer vid leversjukdom" och identifierat tre tillstånd för genomlysning; Patienter med leversvikt i behov av intensivvård där levertransplantation kan vara indicerat, Avancerad invasiv diagnostik och behandling av patienter med primär skleroserande kolangit samt Transjugulär intrahepatisk portosystemisk shunt (TIPS) oavsett orsak och indikation.

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 .....	13
Konsekvenser av rekommendationen .....	15
Uppföljning och utvärdering .....	17
Referenser .....	19
Deltagare i sakkunniggrupp .....	20
Om nationell högspecialiserad vård .....	21

## Ordlista

NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
Levercirros	Skrumplever
TIPS	Transjugulär intrahepatisk portosystemisk shunt

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet ”transjugulär intrahepatisk portosystemisk shunt (TIPS) oavsett orsak och indikation” att det ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra vårdenheter. Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art, som kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens.

Vården är komplex eftersom den kräver god erfarenhet och teknisk skicklighet. För att utföra vården krävs också ett nära samarbete i ett multidisciplinärt team, som består av bland annat hepatolog, radiolog och anestesilog.

I dag utförs endast cirka 110 TIPS-behandlingar per år. Sakkunniggruppen bedömer dock att behovet och möjligheten att utföra TIPS kommer att öka, eftersom tekniken sannolikt är underutnyttjad. En ökad användning av TIPS vore önskvärd, eftersom både mortaliteten och morbiditeten då skulle minska avsevärt vid de aktuella hälsotillstånden, enligt sakkunniggruppen.

Därför bedöms fyra nationella högspecialiserade vårdenheter vara lämpligt, i kombination med en ökad samordning och en tydligare vårdstruktur. Med en geografisk spridning av de fyra enheterna blir tillgängligheten till vården förhoppningsvis god, trots relativt stora avstånd i landet.

Konsekvenserna av att koncentrera vården är övervägande positiva. Exempelvis bedöms vårdkoncentrationen kunna förbättra forskningsmöjligheterna inom området, liksom vårdkvaliteten och patientsäkerheten. Sakkunniggruppen bedömer vidare att akutsjukvården inte påverkas nämnvärt. Eventuellt kan akutsjukvården belastas mindre, eftersom antalet patienter med blödningsskomplikationer kan minska. Det finns dock en viss risk för att vårdplatser och narkosresurser trängs undan på de sjukhus som blir nationella högspecialiserade vårdenheter.

# Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Transjugulär intrahepatisk portosystemisk shunt (TIPS), oavsett orsak och indikation.

Antal enheter

Fyra vårdenheter.

## Avgränsningar

I Socialstyrelsens arbete att tillsammans med sakkunniggrupper genomlysna vård som ska bedrivas som nationell högspecialiserad vård kan sakkunniggrupper också identifiera områden som inte bör ingå i tillståndet men eventuellt bör nivåstruktureras inom varje sjukvårdsregion. Nedan följer de områden som sakkunniggruppen för "Omhändertaganden av svåra komplikationer vid leversjukdom" identifierat:

Området är välavgränsat.

Sakkunniggruppen för gravida med svår maternell sjukdom genomlyste under 2018-2019 vårdområdet "Portal hypertension hos kvinna i reproduktiv ålder". Vården som beskrivs i genomlysningen föreslås även fortsättningsvis ska bedrivas regionalt. Detta tillstyrker sakkunniggruppen för "Omhändertaganden av svåra komplikationer vid leversjukdom".

## Bakgrund

### Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

Lever sjukdomar kan orsaka progressiv leverskada som leder till fibros och cirros. Trötthet och klåda i kolestatiska tillstånd och smärta och buksvullnad med ascites (vätskeansamling i buken) på grund av portal hypertension påverkar livskvaliteten avsevärt. Den exakta prevalensen av levercirros uppskattas till cirka 1 % av befolkningen. Vid diagnos av levercirros har uppåt 50 % av patienterna utvecklat åderbräck (varicer) i esofagus och/eller ventrikel, orsakat av portal hypertension. Komplikationerna till cirros kan leda till svår gastrointestinal blödning med hög mortalitet (generellt 15-20 %) då varicerna brister (varixblödning). När varicer etablerats är risken för blödning 5-15 % per år. Blödningen kan i många fall behandlas effektivt medicinskt, endoskopiskt och med transjugulär intrahepatisk portosystemisk shunt (TIPS).

TIPS innebär att man endovaskulärt anlägger en stent som skapar en förbindelse (shunt) mellan portacirkulationen och en leverven. Shunten reducerar den portala hypertensionen, och därmed risken för reblödning från varicerna. TIPS har visat sig avsevärt reducera mortaliteten på grund av varixblödningar. TIPS är även indicerat vid refraktär ascites, då annan terapi inklusive vätskedrivande har otillräcklig effekt, och vid några andra mindre vanliga tillstånd.

Förutom vid portal hypertension sekundär till levercirros kan TIPS vara aktuellt som behandling vid vissa ovanliga leversjukdomar, exempelvis levervenstrombos. Detta är ett symptomkomplex som uppstår vid venöst avflödeshinder från levern, oftast orsakat av trombos i levervener och/eller vena cava inferior. Patienten har då buksmärter, förstörd ömmande lever och ascites. Den årliga incidensen i Sverige är ca 1 fall/miljon. Avflödeshindret ökar trycket i vensystemet i levern vilket leder till leverförstoring, smärta och ascites. Prognosen för obehandlade fall är ca 10 % överlevnad på 3 år. Med modern TIPS behandling kan man förbättra överlevnaden till > 90 % på fem år.

Akuta trombosor i portasystemet med risk för tarmischemi har en uppskattad incidens på 10-20 fall/år. Bland alla fall med tarmischemi utgör portatrombos 10-15 % av orsakerna. Utvecklad tarmischemi p.g.a. portatrombos har hög dödlighet. Obehandlade leder de flesta till kronisk ocklusion av portasystemet med utveckling av prehepatisk portal hypertension, som är svårbehandlad. Snar behandling av akuta trombosor med TIPS och trombektomi har visat sig ge goda resultat med minskad risk för utveckling av tarmischemi och på sikt kronisk ocklusion av portasystemet.

Behandling av kroniska trombosor är mycket svårt och ger ofta inte bestående resultat. Eftersom portasystemet ofta är totalt kronisk obstruerat är också möjligheten till lyckad levertransplantation klart reducerade. I sällsynta

fall kan så kallad multivisceral transplantation (flerorganstransplantation) med bl.a. lever, bukspottkörtel och tarm vara enda behandlingsalternativet.

Åtgärden TIPS kräver ofta kombination av god erfarenhet och teknisk skicklighet samt nära samarbete med gastroenterologi och leverkirurgi. TIPS utförs idag av fem enheter i Sverige. Sakkunniggruppen bedömer att behovet och möjligheten att utföra TIPS i framtiden kommer att öka, eftersom det i nuläget sannolikt föreligger ett underutnyttjande av tekniken, inte minst i samband med varixblödning, men att det krävs ett strukturerat införande av metoden/åtgärden för att kunna bygga kunskap och erfarenhet hos färre antal utförare.

### Vårdvolym

Antal TIPS i Sverige är totalt cirka 110 per år varav cirka 15 per år på grund av levervenstrombos och cirka 20 per år på grund av mekanisk trombolys vid akut respektive kronisk portavenstrombos. Antal TIPS år 2019 är fördelade på 49 i Uppsala, 24 Huddinge, 16 Lund, 12 Sahlgrenska, 7 Södersjukhuset och 2 i Linköping. Visionen är att det ska kunna öka till det dubbla inom en tidperiod på 3-5 år när professionen blir mer medveten om resultaten av akut behandling, och rutiner för remittering och logistik etablerats och faciliterats.

### Forskning

Det pågår för närvarande några få studier inom invasiv diagnostik och behandling i Sverige. I Sverige finns en nationell sammanslutning (SweHep) av kliniker från universitetssjukhusen med intresse för hepatologisk forskning. Det finns också ett nationellt kvalitetsregister som heter SPHTR (svenska portala hypertensionsregistret). Det är ett samarbete mellan interventionella radiologer och gastroenterologer. Resultat från detta register har lett fram till en avhandling samt nyligen publicerade arbeten i internationella tidskrifter.

Sakkunniga bedömer att forskningsmöjligheterna inom området potentiellt skulle bli bättre om en koncentration av TIPS-behandling vid leversjukdomar skulle centreras till färre enheter än vad vården bedrivs på idag.

### Internationell utblick

I Danmark är TIPS centraliserat till fem regionsjukhus. Behandling av levervenstrombos och komplicerad portavenstrombos är koncentrerad till tre regionsjukhus.

I Norge och Storbritannien finns ännu ingen formell centralisering vad gäller TIPS. Av naturliga skäl är det dock centraliserat till större sjukhus som universitetssjukhus.

## Framåtblick

### Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

Patienter med behov av TIPS ska kunna åtgärdas sju dagar i veckan vid NHVe av läkare med specialkompetens inom området. Patienterna ska omhändertas av ett multiprofessionellt team som handlägger dessa patienter beträffande bedömning, preoperativ utredning och planering, inkluderande radiologisk interventionskompetens för TIPS, samt erfarenhet av medicinsk och endoskopisk handläggning av akut varixblödning. Vidare bör NHVe ha tillgång till leverkirurgisk kompetens samt IVA-resurser för optimalt omhändertagande. NHVe ska ha kompetens och resurser gällande eftervård med adekvata rutinkontroller, antikoagulantia och encefalopatibehandling.

Ett etablerat samarbete med remitterter behöver finnas, gärna via multidisciplinär konferens/videokonferens. Det ska finnas etablerade rutiner för överrapportering åt båda hållen 7 dagar per vecka, samt för den basala utredning som ska göras inför ingreppen. En koordinatorsfunktion bör finnas på NHVe för att samordna logistiken.

I nuläget utförs cirka 110 TIPS-inläggningar årligen i landet. Det föreligger sannolikt ett större behov än så, med hänsyn till indikationerna för TIPS, såsom många fall av blödande esofagusvaricer samt refraktär ascites. En målvolympå 40 ingrepp per NHVe borde kunna vara realistiskt och med totalt fyra NHVe skulle det bli totalt cirka 160 TIPS/år. Visionen är 220 TIPS per år. Genom att öka volymerna kan såväl mortalitet som morbiditet vid dessa tillstånd reduceras avsevärt.

TIPS vid levervens- och portavenstrombos kan med fördel koncentreras till färre än fyra enheter. Levervenstrombos och akut portavenstrombos är relativt sällsynta och kräver mer avancerad interventionell behandling. Tillståndet drabbar också relativt unga människor (20-50 år) och modern behandling med TIPS och trombektomi har visat sig framgångsrik både vad gäller mortalitet och morbiditet. Av dessa anledningar bedömer sakkunniggruppen det lämpligt att TIPS på dessa patientgrupper endast ska utföras vid två nationella enheter.

NHVe bör ansvara för att säkerställa utbildning av läkare med specialkompetens inom radiologisk intervention för TIPS samt för kompetensöverföring och utbildning allmänt inom området, till andra berörda specialiteter och för samarbete mellan NHV-enheterna.

Vidare bör NHVe samverka och ingå i akademisk miljö där det finns vetenskaplig handledarkompetens och bedrivs forskning på hög nationell och internationell nivå samt att man deltar aktivt vid både nationella och internationella vetenskapliga möten. Det bör finnas en infrastruktur där transnationell forskning kan bedrivas. Dessutom förväntas NHVe skapa ett gemensamt nätverk för diskussion av svåra patientfall, eventuell fördelning av ovanliga

och/eller extra svåra ingrepp beroende på resurser och kompetens, samt kunskapsöverföring och forskningssamarbete.

På sikt borde man kunna reducera antal patienter med svåra symptom på grund av kronisk ocklusion av portasystemet. Detta är också kostnadsbesparande, då denna grupp ofta behöver kronisk vård på olika nivåer och inte sällan sjukskrivs.

## 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.

<b>Kompetens och resurser</b>	
Kritisk medicinsk kompetens (läkare)	<p>Samtliga med erfarenhet av TIPS:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Gastroenterologi och hepatologi</li> <li>• Endoskopist (exempelvis gastroenterologi eller kirurgi) med kompetens i behandling av varicer</li> <li>• Kompetens i interventionell radiologi, särskilt TIPS, t.ex. interventionell radiolog eller kärlkirurg</li> <li>• Radiolog med kompetens inom bildiagnostik</li> <li>• Anestesiolog</li> </ul>
Andra typer av kompetens (t.ex. specialkompetent sjuksköterska, kurator, psykolog, fysioterapeut)	<p>I interventionsteamet ska även finnas följande kompetenser, med erfarenhet av TIPS:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Interventionsassistent</li> <li>• Narkossjuksköterska</li> <li>• Koordinator för samordning av logistik</li> </ul>
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Postoperativa resurser</li> <li>• IVA</li> </ul>
Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Leverkirurgi</li> <li>• Koagulationsexpertis</li> <li>• Tillgång till hematolog</li> </ul>
Kritiska diagnostiska metoder	
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Hepatologisk behandling avseende vanlig leversviktsvård samt behandling av grundsjukdomen</li> </ul>
Rehabilitering (särskilt anpassad till behovet)	Inte aktuellt

Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	<ul style="list-style-type: none"><li>• Ansvar för att utveckla nationellt vårdprogram</li><li>• Ansvara för/rapportera till befintligt kvalitetsregister</li><li>• Möjlighet till multidisciplinär konferens och videokonferens för överrapportering</li><li>• NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande region samt för uppföljning av patientrapporterade mått</li></ul>
--	---

## 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.

<b>Sakkunniggruppens konsekvensanalys</b>	
Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)	<p>Förbättrad vårdkvalitet och prognos när sällsynta och avancerade ingrepp koncentreras</p> <p>Ökad trygghet (och minskad rädsla) för patienten med vetskap att erfarenhet finns – ökad livskvalitet</p> <p>Tydligt för patienter var kunskap/erfarenhet finns</p> <p>Tillgängligheten kan öka om det finns möjlighet att göra ingrepp alla veckodagar</p> <p>Närheten kan påverkas eftersom ingreppen inte kommer att finnas i alla sjukvårdsregioner, men positiva effekterna av koncentration överväger längre resor/avstånd</p> <p>Standardisering av vården, ger bättre förutsättningar för utvärdering.</p>
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	<p>Ökad kompetens hos utförare och med tiden kan fler utförare utbildas (med fler ingrepp)</p> <p>Strukturerat införande av åtgärden och tydligare ansvar för kompetensöverföring och kompetensförsörjning och kontinuitet</p> <p>Sakkunniggruppen ser stora fördelar för utbildning och kompetensöverföring</p>

<b>Sakkunniggruppens konsekvensanalys</b>	
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	Koncentration och samverkan mellan nationella enheter ger bättre förutsättningar för forskning och utveckling av register
Påverkan på närliggande områden	Finns viss risk för undanträngning (avseende vårdplatser och narkosresurser) på de sjukhus som blir NHVe.
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.	Alla sjukhus kommer fortsättningsvis ta hand om blödningar (kompetens finns kvar). Underlättar för dessa sjukhus när patienter flyttas till NHVe.  Rakare och tydligare remitteringsvägar.  Minskat antal patienter med blödningskomplikationer om vården koncentreras (troligt att det kan ge minskad belastning på akutsjukvård).  Viss risk att hemsjukhusen ser fler encefalopatier om fler TIPS görs (men om TIPS görs på bättre selekterade patienter på NHVe minskas denna risk).
Påverkan på vårdkedjan	Vårdkedjan blir tydligare.  Enklare för både vårdgivare/remittent och patient.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av ökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	Nettoeffekterna på kostnaderna är svåra att bedöma för att det finns både kostnadsdrivande och kostnadsbesparande moment.  Resurser behöver flyttas från remitterande verksamheter till NHV-verksamheter.  Kostnadsdrivande för NHVe eftersom sakkunniggruppen tror att TIPS är underutnyttjat idag och att volymerna kommer att öka  Färre blödningar och ascitestappningar samt mindre IVA-vård kan minska kostnader.
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	Det kommer att finnas behov av akuttransporter, men totalt sett inte så stor skillnad från idag.  Ökade ambulanstransporter och ambulansflyg till NHVe då volymerna ökar.  Behovet av akuta transporter kan minska eftersom elektiva TIPS minskar antalet reblödningar.
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	Sakkunniggruppen önskar och uppskattar att volymerna kommer att öka till det dubbla vilket innebär att NHVe måste ha en beredskap för dessa volymer inom en viss tid (10 årsperiod?).

## Uppföljning och utvärdering

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

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

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal patienter som remitteras för bedömning Ålder Kön Diagnos/indikation Remitterande region
Bakgrundsmått	Antal patienter som behandlas med TIPS Ålder Kön Diagnos/indikation Remitterande region
Bakgrundsmått	Vårdtid Ålder Kön Diagnos/indikation Remitterande region Datum för utskrivning minus datum för inskrivning
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss till bedömning Datum för bedömning minus datum för mottagen remiss
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss till behandling Datum för behandling minus datum för mottagen remiss
Medicinska resultat	Andel komplikationer inom t.ex. 48h, 1 vecka eller 1 år efter operation, t.ex. reblödning, encefalopati, hjärtsvikt, stentdysfunktion.

Medicinska resultat	Andel oplanerade reoperationer inom t.ex. 1 månad efter operation, såsom ny TIPS pga stentdysfunktion, behov av vidgning eller avsnävning vid encefalopati.
Medicinska resultat	Överlevnad 1 månad eller 1 år efter operation
Medicinska resultat	Symptomfrihet efter 1 år efter operation
Medicinska resultat	Kompletterande åtgärd (stängning av shunt/coi ADL-förmåga efter 1 år efter operation)

## Referenser

Sakkunniggruppen har inte identifierat några vetenskapliga artiklar eller annan relevant evidens som undersöker frågeställningen om koncentration av viss vård inom området "Omhändertaganden av svåra komplikationer vid leversjukdom". Sakkunniggruppens bedömning utgår från internationell utblick, klinisk erfarenhet och kunskap om den svenska sjukvårdens struktur inom området.

## Deltagare i sakkunniggrupp

Sjukvårdsregion	Namn
Uppsala-Örebro sjukvårdsregion	Rickard Nyman, specialist i radiologi
Norra sjukvårdsregionen	Ole B Suhr, specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi
Stockholm-Gotland sjukvårdsregion	Anna Januszkiewicz, specialist i anesthesiologi och intensivvård Stefan Gilg, specialist inom kirurgi
Sydöstra sjukvårdsregionen	Mattias Ekstedt, specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi samt internmedicin
Södra sjukvårdsregionen	Daniel Klintman, specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi samt internmedicin
Västra sjukvårdsregionen	Christian Cahlin, specialist i kirurgi Hanns-Ulrich Marschall, specialist i medicinsk gastroenterologi och hepatologi samt allmän internmedicin
Patientföreträdare	Ewa Westerlund, PSC - föreningen (primär skleroserande kolangit)

## 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 huvud- och hals paragangliom som nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för huvud- och halstumörer vårdområdet huvud- och hals paragangliom 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 .....	13
Konsekvenser av rekommendationen .....	15
Uppföljning och utvärdering .....	17
Referenser .....	19
Deltagare i sakkunniggrupp .....	20
Om nationell högspecialiserad vård .....	21

## Ordlista

DT	Datortomografi
GEP-NET	Gastroenteropankreatiska neuroendokrina tumörer, detsamma som Neuroendokrina tumörer i buken
MRT	Magnetresonanstomografi
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
PET-CT	Positronemissionstomografi kombinerad med datortomografi, en medicinsk avbildningsteknik som bygger på användning av isotopmärkta preparat
ÖNH	Öron näsa och hals

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet huvud- och halsparagangliom att patienter vid bekräftad diagnos eller stark misstanke om diagnosen ska remitteras till en av två nationella högspecialiserade vårdenheter för:

- kompletterande utredning och rekommendation om behandling vid en multidisciplinär konferens
- kirurgisk behandling och uppföljning, när det är aktuellt.

Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art, som kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Volymen är högst 10–20 nya fall per år, där utredning och kirurgi kräver en omfattande multidisciplinär verksamhet. Det multidisciplinära teamet behöver inkludera kompetens för huvud- och halstumörkirurgi, otokirurgi, kärlkirurgi, onkologi, strålterapi, radiologi, nuklearmedicinsk- och genetisk diagnostik, interventionell neuroradiologi samt i vissa fall neuro- och käkkirurgi och endokrinologi.

Vården bör koncentreras tillsammans med andra närliggande områden där paragangliom behandlas, i synnerhet feokromocytom, abdominella paragangliom och andra neuroendokrina tumörer. Detta för att möjliggöra relevanta samverkansvinster från den multidisciplinära kompetensen inom området.

Sakkunniggruppen bedömer att två nationella högspecialiserade vårdenheter är lämpligt utifrån den ringa volymen. Två enheter, och inte färre, ökar möjligheten att erbjuda patienterna vård inom rimlig tid. Två enheter kan också minska sårbarheten, genom samarbete vid oväntat bortfall på någon av enheterna. Att koncentrera vården till enbart en enhet anser sakkunniggruppen däremot vara alltför sårbart.

Konsekvenserna av att koncentrera vården är övervägande positiva. Nationella högspecialiserade vårdenheter med ansvar för all utredning av huvud- och halsparagangliom bedöms generera kompetens som möjliggör högre patientsäkerhet och vårdkvalitet. Vidare bedömer sakkunniggruppen att en koncentration av den kirurgiska behandlingen kan förbättra både kvaliteten på det kirurgiska ingreppet och omhändertagandet före och efter kirurgi. Nationella högspecialiserade vårdenheter med ansvar för datainsamling kring denna patientgrupp skulle även ge bättre underlag för forskning och utveckling.

Ingen akut verksamhet ingår i området, och sakkunniggruppen bedömer därför inte att vårdkoncentrationen påverkar akutsjukvården. Vissa omkringliggande vårdområden kan dock påverkas, bland annat vården vid neuroendokrina tumörer. Därför bör man ta hänsyn till eventuell koncentration och placering av sådan vård.

## Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Vid bekräftad eller stark misstanke om diagnosen huvud- och hals paragangliom (glomus caroticum, glomus jugulare, glomus tympanicum eller glomus vagale) ska patienten remitteras till en av två nationella högspecialiserade vårdenheter för:

- kompletterande utredning och rekommendation om behandling vid en multidisciplinär konferens
- kirurgisk behandling och uppföljning, när det är aktuellt.

Antal enheter

Två vårdenheter.

# Avgränsningar

Området är välavgränsat.

## Bakgrund

### Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

Paragangliom är en form av neuroendokrina tumörer som utvecklas i binjuremärgen, längs aorta och i huvud- och halsregionen. Huvud- och halsparagangliom utgör ungefär 3 % av alla paragangliom och bara 0,6 % av alla huvud- och halstumörer. Den vanligaste formen är glomus caroticum medan glomus vagale är den mest sällsynta. Tumörerna kan i enstaka fall vara hormonproducerande, men ger oftast inga andra symtom än en knuta på halsen. I sällsynta fall kan de upptäckas vid nervdysfunktion eller vid utredning av ärftliga fall, oftast relaterade till mutationer i gener (succinyl dehydrogenas, SDH). Beroende av tumörtyp kan symtombilden skilja sig åt t.ex. en knuta på halsen, kranialnervpåverkan, sväljsvårigheter, huvudvärk, tinnitus, hörselnedsättning, yrsel och svimning, hjärtpåverkan, svettningar men även TIA och stroke förekommer. I sällsynta fall kan tumörerna vara maligna, vilket inte är möjligt att avgöra förrän tumören har metastaserat.

De flesta tumörer är asymptomatiska och gestaltar sig bara som en knuta på halsen. Efter undersökning med eller utan radiologisk diagnostik remitteras patienten till ÖNH-specialist där utredning sker med datortomografi inklusive angiosekvens eller MRT, PET-CT vid misstänkt malign tumör och i vissa fall genetisk mutationsanalys (Nationella rekommendationer för genetisk utredning/Arbetsgruppen för endokrina buktumörer, 170627). Behandlingsbeslut tas därefter i multidisciplinär konferens som antingen leder till rekommendation om exspektans, strålbehandling eller kirurgi. Tumörerna är alltid rikligt kärlförsörjda vilket försvårar eventuell kirurgi. Vid vissa tumörer kan preoperativa neurointerventionella åtgärder bli aktuella. Vid stora, skallbasnära tumörer kan såväl neurokirurgisk som käkkirurgisk kompetens behövas. Immunohistokemisk screening av operationspreparat kan också leda till mutationsanalys för att finna ärftliga former av paragangliom. För denna grupp sker regelbunden uppföljning. Sporadiska fall utan mutationer behöver inte särskild uppföljning.

I landet utförs kirurgisk behandling av huvud- och halsparagangliom vid fem universitetssjukhus (Sahlgrenska universitetssjukhuset i Göteborg, Universitetssjukhuset i Linköping, Skånes universitetssjukhus i Malmö, Karolinska universitetssjukhuset i Stockholm och Akademiska sjukhuset i Uppsala) samt vid någon enstaka regional enhet.

Sammantaget är huvud- och halsparagangliom sällsynta och väl lämpade för koncentration avseende utredning och behandling. De kirurgiska ingreppen är komplexa och kräver multidisciplinär kompetens då tumörerna ofta är anatomiskt svåråtkomliga och rikligt kärlförsörjda. Att föreslå vilken behandling eller om patienten endast ska kontrolleras kräver ett multidisciplinärt omhändertagande där många olika specialister är inblandade, exempelvis

ÖNH-kirurger, kärlkirurger, onkologer, endokrinologer med flera. Detta sammantaget gör att både bedömningen och kirurgin bör koncentreras.

## Vårdvolymer

Möjlighet att säkert bedöma faktiska vårdvolymer för huvud- och halsparagangliom i Sverige saknas då endast glomus caroticum har en unik ICD kod (D44.6) och enhetlig registrering av andra glomustumörer saknas. Baserat på tillgängliga registerdata, internationella incidenssiffror och en enkät till landets universitetskliniker bedöms volymen låg med cirka 10-20 nya fall av huvud- och halsparagangliom årligen, vilket motiverar en koncentration av diagnostik och kirurgisk behandling.

## Forskning

Avsaknad av registerdata för diagnosen och tillhörande verksamhet försvårar både kunskap inom området och kartläggning av volymer.

Inga aktuella publikationer av nationell forskning med fokus på huvud- och halsparagangliom återfinns i PubMed. Forskning om paragangliom och neuroendokrina tumörer i stort förekommer på flera av landets universitetskliniker, men uppgifter om eventuell pågående nationell forskning specifikt om huvud- och halsparagangliom saknas. Om en koncentration av dessa tumörer sker skulle förutsättningen att bedriva sådan forskning öka.

Vilken behandling som i det långa loppet för den enskilda patienten är mest gynnsam kan i dagsläget inte besvaras eftersom incidensen är alltför låg, men en nationell koncentration borde möjliggöra en systematiskt samlad ökad erfarenhet vilket kommer patienterna till godo.

## Internationell utblick

I Danmark finns en nivåstrukturering av glomus tympanicum som högspecialiserad vård inom ÖNH till tre enheter. I Norge och Finland saknas nivåstrukturering för huvud- och halsparagangliom.

Internationellt är kirurgi ofta förstahandsval med undantag för de största tumörerna.

## Framåtblick

### Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

Omhändertagande av huvud- och hals paragangliom förutsätter en bred och multidisciplinär sammansättning av resurser och kompetens för avancerad kirurgi.

Verksamheten bör ha en rimlig volym av patienter/remissfall (> 10/år) och vara uppbyggd med multidisciplinära konferenser. Troligen kan resurser för genetisk diagnostik tillgodoses på nationell nivå medan övriga kritiska medicinska kompetenser bör finnas på de nationella enheterna. Behandling av huvud- och halsparagangliom planeras i multidisciplinär konferens med kompetens inom ÖNH/huvud- och halscancerkirurgi inklusive omvårdnad, otokirurgi, kärlkirurgi, patologi, onkologi, huvud- och halsradiologi, neuroradiologisk intervention, nuklearmedicin och endokrinologi.

Det kan finnas en vinst att samordna multidisciplinär konferens med NHVe som innehar tillstånd för neuroendokrina tumörer i buken (gastroenteropankreatiska neuroendokrina tumörer, GEP-NET) och feokromocytom/abdominella paragangliom.

Aktuella behandlingsstrategier är observation, kirurgisk behandling eller strålbehandling (Remissförslag 2019 från Nationella vårdprogramgruppen för binjuretumörer). Evidensen omfattar ännu inte vilket behandlingsalternativ som är bäst. Vid de nationella enheterna bör erfarenhet och kompetens finnas för att bedöma även de sällsynt förekommande maligna varianterna. Det är patienten själv som efter information om alternativen accepterar eller avböjer behandlingsförslag.

Det kirurgiska ingreppet i sig är komplext och vid hormonproducerande tumörer förknippat med risker som bör förberedas medicinskt. Postoperativt klassificeras en avlägsnad tumör immunohistokemiskt, vilket kan behöva kompletteras med genetisk mutationsanalys och eventuellt utvidgad utredning.

Uppföljning direkt efter patienternas operation bör ske med patientrapporterade mått, exempelvis neurologiska bortfall och numerisk skala för smärtskattning. Största delen av patientens rehabilitering och i förekommande fall strålbehandling, kommer att ske på hemorten. Detta kommer kräva råd och stöd från den nationella enheten.

Koncentrationen i sig medger för de nationella enheterna att kunna jämföra de olika behandlingsvalen. Uppföljning av tumörsjukdomen hos radikalt opererade sporadiska fall utan genetiska avvikelser kräver troligen ingen uppföljning. Hur och var uppföljningen bäst ska ske måste dock bedömas i varje enskilt fall. Hormonproducerande, familjära, multifokala och maligna tumörer kräver onkologisk uppföljning i enlighet med rådande rekommendationer. En dialog mellan den nationella enheten och inremitterande enhet bör ske kring

behandlingsrekommendationen. Ett kommande vårdprogram bör kunna definiera uppföljningsbehov. Även uppföljning av de fall som inte opereras utan följs med radiologiska kontroller eller behandlas med strålbehandling tros underlättas av nivåstrukturering. Uppföljning av patientrapporterade mått, exempelvis livskvalitet, bör ske med samma instrument hos alla tillståndsinnehavare av nationell högspecialiserad vård inom huvud- och halsparagangliom.

En nivåstrukturering av bedömningen av denna patientgrupp samt i förekommande fall kirurgin skulle i förlängningen kunna ändra och utveckla behandlingsrekommendationerna. Nationell koncentration ökar förutsättningarna att implementering av nya behandlingsmetoder sker på ett strukturerat sätt. Därmed underlättas förutsättningarna att alla patienter får en likvärdig bedömning i landet.

## 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.

<b>Kompetens och resurser</b>	
Kritisk medicinsk kompetens (läkare)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• ÖNH-specialister med tumörkirurgisk och otokirurgisk inriktning</li> <li>• Onkolog med erfarenhet av dessa tumörer</li> <li>• Kärnkirurg</li> <li>• Radiolog med huvudhalsinriktning</li> <li>• Anestesiolog med vana att omhänderta huvud och halspatienter med hormonproducerande tumörer</li> <li>• Endokrinolog</li> <li>• Patolog</li> <li>• Klinisk genetiker</li> <li>• Käkkirurg</li> <li>• Neurokirurg</li> <li>• Plastikkirurg</li> <li>• Interventionell neuroradiolog</li> <li>• Specialist inom nuklearmedicin</li> </ul>
Andra typer av kritisk kompetens (t.ex. specialkompetent sjuksköterska, kurator, psykolog, fysioterapeut)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Kontaktsjuksköterska</li> <li>• Sjuksköterska med särskild kompetens inom kirurgisk öron-, näs- och halsomvårdnad och onkologi</li> <li>• Kurator med särskild kompetens och erfarenhet inom området</li> <li>• Logoped med särskild erfarenhet av sväljsvårigheter och postoperativ röstproblematik</li> <li>• Dietist</li> <li>• Fysioterapeut</li> </ul>
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Vårdavdelning bemannad med särskild kompetens inom kirurgisk öron-, näs- och halsomvårdnad och onkologi</li> </ul>
Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Intensivvårdsavdelning</li> <li>• Postoperativ avdelning</li> </ul>
Kritiska diagnostiska metoder	<ul style="list-style-type: none"> <li>• DT</li> <li>• MRT</li> <li>• PET-CT</li> <li>• Angiografi för digital subtraktion</li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"><li>• Histopatologi</li><li>• Genetisk mutationsanalys</li></ul>
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	<ul style="list-style-type: none"><li>• Interventionell neuroradiologi</li></ul>
Rehabilitering (särskilt anpassad till behovet)	Inte aktuellt
Övrigt	<ul style="list-style-type: none"><li>• Uppföljningsregister gällande både kirurgi, strålbehandling och expektans</li><li>• NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.</li><li>• Kontinuerlig forskning och vårdutveckling inklusive vårdprogram inom området</li><li>• Individuell vård- och rehabiliteringsplan</li></ul>

## 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.

<b>Sakkunniggruppens konsekvensanalys</b>	
Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)	Ökad vårdkvalitet och patientsäkerhet. Tillgängligheten kommer eventuellt att öka. Geografiska avstånden kan öka marginellt.
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	Minimal kompetensförlust då antalet utförda ingrepp i landet redan är få och görs på få ställen. Möjlighet till kompetensökning då koncentrationen av de små volymerna förväntas generera kompetens. Inga konsekvenser för utbildningen av personal då det är få ingrepp.
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	Nationella högspecialiserade vårdenheter med ansvar för datainsamling kring denna patientgrupp kan ge bättre underlag för att bedriva forskning och utveckling. Ökad möjlighet för exempelvis genetisk kartläggning, uppföljning av familjära paragangliom, samverkan med NHV- enheter för vård av andra paragangliom. Möjlighet att på sikt kunna jämföra olika behandlingsmetoder.
Påverkan på närliggande områden	Annan benign kirurgi kan komma att tränas undan genom att detta blir NHV. För att detta inte ska hända behövs resurstillskott.

Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.	Nej, ingen påverkan på akutsjukvården.
Påverkan på vårdkedjan	Effektivare vårdkedja då uppdraget blir tydligare.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	<p>Det finns en övergripande risk att multidisciplinära konferenser inom många områden konsumerar mycket resurser.</p> <p>Något ökad volym på den/de enheter som berörs.</p> <p>Det kommer att kosta att utveckla vården men på längre sikt blir det en besparing.</p> <p>Kompetensförsörjningen kommer att underlättas då det blir mer tydligt att uppdraget finns.</p> <p>Om tillståndet att bedriva denna vård hamnar hos en enhet som inte bedriver denna vård idag finns det risk att denna kunskap måste byggas upp.</p>
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.	Inte någon speciell typ av investering utöver att personalförsörja.
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	Nej
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	Då det inte finns något center i Norden skulle det kunna vara så att de svenska enheterna kan bli ett sådant center.
Övriga kommentarer	Det finns inte några tydliga evidensbaserade riktlinjer för behandling och detta kan bidra till en osäkerhet huruvida en nivåstrukturerad av området skulle vara en optimal lösning.

## Uppföljning och utvärdering

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

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

### Förslag till uppföljningsmått

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal remisser till NHV  Ålder Kön Komorbiditet (lämplig skala) Diagnos/lokalisering Hormonproducerande ja/nej Remitterande region
Bakgrundsmått	Behandlingsrekommendation på MDK <ul style="list-style-type: none"> <li>• Acceptans hos patienten för föreslagna behandling</li> <li>• Antal patienter där expertans rekommenderas</li> <li>• Antal patienter där strålbehandling rekommenderas</li> <li>• Antal patienter där kirurgi rekommenderas</li> </ul>
Bakgrundsmått	Antal behandlade kirurgiskt vid NHV  Ålder Kön Komorbiditet (lämplig skala) Diagnos/lokalisering Hormonproducerande ja/nej Remitterande region
Bakgrundsmått	Andel behandlade kirurgiskt vid NHV  Täljare: Antal kirurgiskt behandlade Nämnare: Antal remisser
Bakgrundsmått	Vårdtid  Ålder Kön Komorbiditet (lämplig skala) Diagnos/lokalisering

	Hormonproducerande ja/nej Remitterande region Datum för utskrivning minus datum för inskrivning
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss till beslut från multidisciplinär konferens om rekommenderad behandling  Ålder Kön Remitterande region  Datum för bedömning minus datum för remiss
Tillgänglighetsmått	Behandlingsstart kirurgi inom 3 månader; ja/nej  Ålder Kön Remitterande region
Medicinska resultat	Antal patienter med komplikationer: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Stroke</li> <li>• Postoperativ morbiditet</li> <li>• Kranialnervsskada</li> <li>• First Bite syndrome</li> <li>• Baroreceptor failure</li> <li>• Biverkningar av strålbehandling</li> </ul>

## Referenser

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

## Deltagare i sakkunniggrupp

Sjukvårdsregion	Namn
Uppsala-Örebro sjukvårdsregion	Ylva Tiblom Ehrsson, kontaktsjuksköterska Tomas Ekberg, specialist i otorhinolaryngologi, huvud- och halskirurgi
Norra sjukvårdsregionen	Katarina Zborayova, specialist i öron- näs och halssjukdomar Björn Zackrisson, specialist i onkologi
Stockholm-Gotland sjukvårdsregion	Ulf Hedin, specialist i kärlkirurgi och allmän kirurgi Lalle Hammarstedt Nordenvall, specialist i öron- näs och halssjukdomar
Sydöstra sjukvårdsregionen	Bea Kovacovics, specialist inom radiologi Jahan Abtahi, specialist i öron- näs och halssjukdomar samt käkkirurgi
Södra sjukvårdsregionen	Anna Hafström, specialist i öron- näs och halssjukdomar, huvud och halskirurgi Stina Klasson, specialist i ortopedi samt plastikkirurgi
Västra sjukvårdsregionen	Lisa Tuomi, logoped Eva Sanderöth Hammerlid, specialist i öron- näs och halssjukdomar
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).

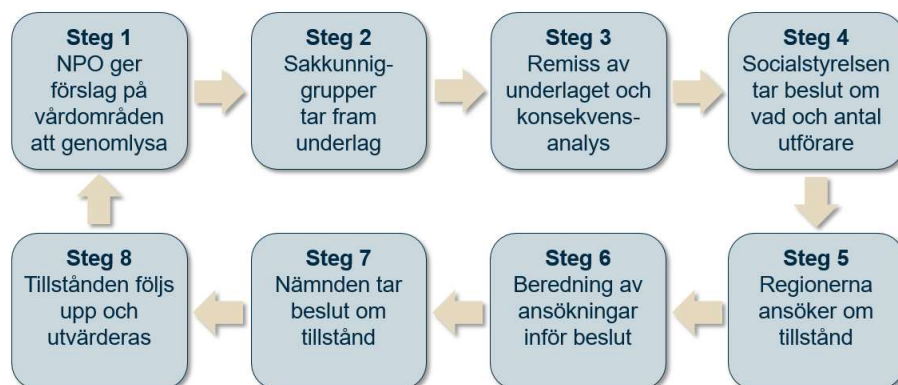
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

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  
"Neuroendokrina tumörer i  
bukén" som nationell  
högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för ”Neuroendokrina tumörer” vårdområdet ”Neuroendokrina tumörer i buken” 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 .....	13
Konsekvenser av rekommendationen .....	16
Uppföljning och utvärdering .....	20
Referenser .....	21
Deltagare i sakkunniggrupp .....	22
Om nationell högspecialiserad vård .....	23

## Ordlista

CT	Datortomografi, en medicinsk avbildningsteknik, förkortas i ofta även DT
GEP-NET	Gastroenteropankreatiska neuroendokrina tumörer, detsamma som Neuroendokrina tumörer i buken
MDK	Multidisciplinär konferens
NEC	Neuroendokrin cancer, en aggressiv form av NET som medför att patienterna behöver behandling snabbt
NET	Neuroendokrin tumör
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
PET	Positronemissionstomografi, en medicinsk avbildningsteknik som bygger på användning av isotopmärkta preparat
PRRT	Peptide Receptor Radionuclide Therapy, radionuklidterapi
SKG	Sakkunniggrupp
SVF	Standardiserat vårdförlopp

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet neuroendokrina tumörer i buken att hälsotillstånd 1–4 enligt beskrivningen nedan ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra vårdenheter – med undantag för klaffkirurgi vid carcinoid hjärtsjukdom, som ska bedrivs vid en av de fyra vårdenheterna. Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art, som kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården bedöms också kräva stora investeringar och medföra höga kostnader.

Vården är multidisciplinär eftersom den kräver ett samarbete mellan bland annat endokrinkirurg, anestesilog, endokrinolog, onkolog, patolog, radiolog, nuklearmedicinare, klinisk genetiker och genetisk vägledare, samtliga med erfarenhet av diagnostik och behandling av neuroendokrina tumörer.

Redan i dag bedrivs den största delen av vården vid fyra enheter. Sakkunniggruppen bedömer att fem enheter visserligen skulle innebära en större geografisk spridning, men att patienterna då skulle bli för få för att ge samma erfarenhets- och forskningsvinster. Vidare anser sakkunniggruppen att det vore sårbart att koncentrera denna typ av vård ytterligare. Man skulle även riskera att äventyra välfungerande forskning som i huvudsak finns vid fyra enheter idag. Dessutom har fyra enheter bättre förutsättningar än tre att ta hand om ett eventuellt ökat antal patienter i framtiden. I det fallet att eventuella ringar på vattnet skulle uppstå i form av att även patienter med neuroendokrina tumörer i andra lokaler skulle vårdas vid Nationella högspecialiserade vårdenheter, skulle även denna vårdvolym kunna omhändertas.

Sakkunniggruppen anser inte att det vore ändamålsenligt att bryta ut undergrupper att koncentrera till färre enheter eftersom dessa undergrupper är tätt sammanlänkade och behöver kunna omhändertas vid alla Nationella högspecialiserade vårdenheter. Ett undantag är klaffkirurgi vid carcinoid hjärtsjukdom, som är en tydligt avgränsad åtgärd för få patienter – denna vård kan koncentreras till en enhet, anser sakkunniggruppen.

Konsekvenserna av att koncentrera vården är övervägande positiva. Majoriteten av patienterna tas till exempel redan i dag om hand vid fyra enheter i Sverige. Därmed kommer vårdkoncentrationen inte att tränga undan annan vård i någon större utsträckning på nationell nivå. De flesta av patienterna blir inte heller akut sjuka till följd av sin sjukdom, och därmed bedöms akutsjukvården inte påverkas nämnvärt.

# Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppen (SKG) bedömer att nedanstående fyra vårdområden ska ingå i definitionen:

1. Vård vid metastaserande tunntarms-NET och minst ett av följande tilläggsriterier:
  - a. Carcinoid hjärtsjukdom
  - b. Hotande tarmischemi pga avancerad metastasering
  - c. Uteblivet svar på somatostatinanalogbehandling trots adekvat dosering, tex >4 hormonrelaterade diarréer per dag, > 4 flusher per dag, ett mycket högt 5-HIA i serum/urin som inte sjunker adekvat och/eller patienter med svår peritoneal carcinomatos, samt patienter med snabbt progredierande sjukdom.
2. Vård vid inoperabel rektal-NET.
3. Vård vid pankreas-, duodenum- och höga jejunum-NET med följande avgränsningar:
  - Kirurgisk behandling
  - Bedömning inför eventuell kirurgi vid MEN1-associerade pankreas-NET
  - Onkologisk/endokrinologisk behandling av spridd sjukdom.
4. Vård vid nydiagnostiserad MEN 1 samt vid NET associerad med von Hippel Lindaus syndrom: bedömning och behandlingsrekommendation för alla patienter.

## Antal enheter

För ovanstående områden (1-4) bedömer sakkunniggruppen att nedan beskrivna behandling bör bedrivas vid **fyra** enheter:

- Klinisk bedömning och nationell MDK
- Onkologisk behandling samt ställningstagande till fortsatt behandling via hemortssjukhuset.
- Kirurgisk behandling
- Systemisk radionuklidbehandling/PRRT vid NET (bl.a. <sup>177</sup>Lu-somatostatinanalog)

Av dessa ska **en** enhet inneha tillstånd att utföra klaffkirurgi vid carcinoid hjärtsjukdom.

## Avgränsningar

I Socialstyrelsens arbete att tillsammans med SKG genomlysna vård som ska bedrivas som nationell högspecialiserad vård kan SKG också identifiera områden som inte bör ingå i tillståndet men bör nivåstruktureras inom varje sjukvårdsregion. Nedan följer de områden som SKG för Neuroendokrina tumörer identifierat för sådan vård:

- Initial bedömning vid alla former av NET, inklusive initial diagnostik såsom <sup>68</sup>Ga-DOTA-somatostatinanalog-PET/CT och patologisk diagnostik
- Vård vid:
  - NEC
  - Icke avancerad tunntarms-NET, exempelvis: vardagliga kontroller, monitorering, palpation av mesenterium och tunntarm
  - Icke avancerade ventrikel-, rektal- och appendix-NET
  - Levermetastaser från NET, exempelvis: kirurgisk resektion, radiofrekvensablation och övrig leverartärembolisering
  - NET utanför buken: NET i thymus, lungor, ovarier/testiklar, hypofys, Merkelcellscarcinom

Nedan följer de områden som SKG för Neuroendokrina tumörer har genomlyst och som redovisas i separata underlag inom ramen för nationell högspecialiserad vård:

- Feokromocytom och abdominella paragangliom
- Binjurebarkscancer

Följande område hanteras parallellt av en annan sakkunniggrupp:

- Paragangliom i huvud- och halsområdet – hanteras av sakkunniggruppen för Huvud- och halstumörer

Följande områden har SKG för Neuroendokrina tumörer identifierat för eventuell framtida nationell nivåstrukturering:

- Medullär tyreoidcancer – bör i så fall genomlysas tillsammans med övriga grupper inom tyreoidtumörer

## Bakgrund

### Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

I Sverige insjuknar 400–500 personer per år i Neuroendokrin tumörsjukdom. (1) Fler lever idag med sin sjukdom tack vare förbättrad diagnostik och ökad kunskap inom området. Neuroendokrina tumörer är oftast maligna men växer vanligen långsamt. Diagnosen är oftast försenad mer än 3 år då tumörerna inte ger särskilda symtom förrän sjukdomen är spridd. Detta är en orsak till att koncentrera vården av den här sjukdomsgruppen då möjligheten att ge patienterna hjälp och stöd tidigare ökar. Tumörerna kan uppstå i de flesta organ men vanligast är mag-tarmkanalen, där de också kallas Gastroenteropankreatiska neuroendokrina tumörer (GEP-NET). De flesta neuroendokrina tumörer är sporadiska förutom de familjära former som förekommer vid bl.a. multipel neuroendokrin neoplasia typ 1 (MEN1) och von Hippel-Lindau syndrom (VHL). Individer med dessa syndrom får ofta multipla tumörer i flera neuroendokrina organ samtidigt eller vid olika tidpunkter.

Idag sker elektiv kirurgi samt onkologi för NET-patienter företrädesvis på universitetssjukhusen. Även ablation av metastaser med radiovågor och radioembolisering av leverartärer sker på denna vårdnivå. Akut kirurgi sker på länssjukhus, t.ex. vid tarmvred eller vid oväntat fynd i samband med annan kirurgi. De avancerade former som ingår i tillstånden i detta underlag kräver en multidisciplinär bedömning av specialkompetent personal med långvarig erfarenhet av denna typ av patienter. Patientgruppen är mycket heterogen vilket komplicerar bedömningen inför behandling och uppföljning. Därför behöver de som utreder och behandlar NET-patienter ha stor erfarenhet och handha en viss vårdvolym för att optimera diagnostik och terapi. Vårdprogram för GEP-NET finns men skulle behöva underbyggas med fler omfattande prospektiva, randomiserade, kontrollerade studier.

### Vårdvolym

Uppskattningsvis rör det sig om ca 200-250 patienter per år som drabbas av avancerad GEP-NET. Prevalensen för bärare av exempelvis genen för multipel endokrin neoplasia typ 1 (MEN 1) är uppskattningsvis strax över 1000 individer, men det är svårt att uppskatta vårdvolym för dessa ärftliga tillstånd eftersom det finns anlagsbärare som inte utvecklar NET.

### Forskning

I Sverige bedrivs idag forskning på NET i främst fyra sjukvårdsregioner, vilka också har pågående doktorandprojekt. Forskningen spänner från translationell till ren klinisk forskning. Man utför även utvärderingar av

nyligen införda behandlingar och kliniska prövningar pågår av bl.a. PRRT. Idag finns många internationella samarbeten. Genom koncentration skulle möjligheterna till att samarbeta kring resurser såsom biobank och gemensamma kvalitetsregister öka. Möjligheterna för multicenterstudier liksom att delta i internationella studier ökar.

## Internationell utblick

Danmark har under lång tid koncentrerat all NET-behandling till två sjukhus. Numera finns tre enheter, utom för PRRT som fortfarande bara finns vid två enheter. Varken Norge, Finland eller England har centraliserat denna vård.

Europeiska nätverk samverkar inom området NET genom att bland annat dela kunskap, ta fram guidelines och samverka inom forskning. Ett exempel är ENETS (European Neuroendocrine Tumor Society) som håller årliga möten med postgraduatekurser, organiserar stora studier samt certifierar Centers of Excellence med årlig kvalitetskontroll. Ett annat är EURACAN, ett Europeiskt referensnätverk (ERN) för sällsynta solida tumörer hos vuxna. År 2018 var två svenska centra med i EURACAN och ett i vardera Norge och Finland. Inga danska centra var med. Fler kan komma att ansöka om att vara med. Genom ERN har behovet av att dela kunskap och samverka kring denna komplexa sällanvård blivit tydligt. Centralisering med nationella MDK är under utveckling i flera länder såsom Frankrike.

## Framåtblick

### Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

Alla patienter med NET, oavsett var tumören är lokaliserad, bör tidigt i sjukdomsförloppet bedömas vid ett universitetssjukhus. De patienter som drabbas av avancerad GEP-NET liksom de som har NET av ärftlig genes bör remitteras till en Nationell högspecialiserad vårdenhet (NHVe) för utredning, information och terapiinriktning tidigt i förloppet. För att underlätta remissgången ska en NHV-enhet tillhandahålla lättillgängliga anvisningar för remitterter liksom för egenremisser för patienter, förslagsvis på en hemsida samt i pappersformat att använda vid behov. Efter att en patient vistats på NHVe bestäms i samråd med hemorten vilken vårdnivå patienten ska fortsätta att kontrolleras vid.

Vid NHV genomförs en samlad bedömning och ställningstagande till behandling av ett multidisciplinärt team med särskild kompetens inom NET, bestående av bl.a. endokrinkirurg, anesthesiolog, onkolog, endokrinolog, patolog, radiolog och nuklearmedicinare. NET-avbildning omfattar bl.a. <sup>68</sup>Ga-DOTA-somatostatinanalog-PET/CT som kräver både radiologisk och nuklearmedicinsk kompetens. Vidare behövs nuklearmedicinare med erfarenhet av radionuklidterapi (PRRT), samt av utredning inför radioembolisering av levermetastaser.

Den kirurgiska behandlingen är tekniskt komplex vid avancerad sjukdom och kräver erfarenhet. Tunntarms-NET kan exempelvis ha avancerad mesenteriell metastasering, vilket kräver stor vana om kirurgen ska vara framgångsrik. Såväl kirurgisk som onkologisk behandling av GEP-NET skiljer sig från andra tumörsjukdomar i samma organ (inte minst pankreas, där behandling av NET och exokrina tumörer är väsensskild), både i form av terapimetod och för prognos, och kräver därför erfarenhet av just NET. PRRT är komplexa behandlingar med stora krav på kunskap och erfarenhet av radionuklidterapi samt nära samarbete mellan onkologer, fysiker och nuklearmedicinare. Det krävs också teknisk utrustning för bildtagning liksom för dosimetri. Då behandlingen ges vid neuroendokrin tumörsjukdom krävs ytterligare kunskaper kring de förutsättningar som gäller för just denna patientgrupp. Vad gäller de ärftliga tillstånden behöver patienterna få en initial bedömning vid högspecialiserade centra och en behandlingsrekommendation för uppföljning för att förebygga exempelvis andra tumörformer som är associerade med samma syndrom.

På NHV bör multidisciplinär konferens (MDK) genomföras där ovannämnda specialister deltar. Det är önskvärt att alla enheter som handhar GEP-NET inom NHV har en gemensam nationell MDK där man diskuterar fall sinsemellan. Där kan även svåra patientfall som inte ingår i det aktuella tillståndet tas upp, som exempelvis patienter med NEC där man behöver ta

ställning till eventuell kirurgi. En samordning av den nationella MDK:n för GEP-NET med de fall som berörs inom NHV för binjurebarkscancer liksom för feokromocytom/paraganliom är också önskvärd.

Vid NHVe behöver det dagtid finnas schemalagd läkarresurs med god GEP-NET-kunskap som kan svara på kollegors frågor telefonledes och brevledes om utredning och eventuella akuta handläggningar. Ett team med kurator, dietist och fysioterapeut bör finnas och cancerrehabilitering erbjudas alla patienter. NHVe ska följa vårdprogram och standardiserade vårdförlopp.

Vid NHVe ska det finnas kontaktsjuksköterskor med god kunskap om GEP-NET vilka patienterna ska kunna komma i kontakt med varje vardag. Det är viktigt att patienterna får information om hur de kommer i kontakt med kontaktsjuksköterskorna och att det finns rutiner som tillser att patienter får adekvat cancerrehabilitering. Patientutbildningar bör erbjudas regelbundet i samverkan med olika professioner och med aktuell patientförening. Patienter med stabil sjukdom samt de patienter som behöver genomgå vissa ärftlighetskontroller bör kunna erbjudas vård på distans om avstånden är långa till NHV. Extern strålbehandling kan med fördel skötas på hemorten.

Återkoppling till inremitterande sjukhus kan ske antingen via uppkoppling till MDK eller via telefon, alternativt via remissvar vid mindre brådskande fall. Hemsjukhuset bör även få en skriftlig vårdplan från samtliga vårdkontakter av de patienter som följs på NHV så att de är uppdaterade i händelse av akuta sjukdomstillstånd. Vid progress tas patienterna upp vid MDK alternativt behandlingskonferens liknande MDK för beslut om ny behandling.

Intresserade kollegor bör erbjudas auskultation på NHVe, som även ska tillhandahålla möjlighet till randning för ST-läkare. Varje NHV ska ha en aktiv forskning med fortlöpande publikationer för att bidra med ny kunskap inom området. Genom NHV kan förhoppningsvis fler kliniska studier göras, med större patientunderlag, för att bidra till ökad evidens för diagnostik samt för hur behandlingar ska ges i förhållande till varandra för att ge optimal effekt. Nationell koncentration ökar förutsättningarna för att implementera nya behandlingsmetoder sker på ett strukturerat sätt. Regionmöten där även patientföreträdare/patientförening har möjlighet att medverka bör ordnas. Anställda vid NHVe bör delta aktivt i de nationella och internationella möten som finns för neuroendokrina tumörer. Samtliga patienter ska registreras i kvalitetsregistret INCA av behandlande enhet. NHV-enheterna ska rapportera in uppföljningsmått till Socialstyrelsen, se förslag på sådana under rubriken ”Uppföljning och utvärdering”.

## 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.

<b>Kompetens och resurser</b>	
<p>Kritisk medicinsk kompetens (läkare)</p>	<p><b>Läkare med särskild kompetens inom de tillståndsgivna områdena:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Kirurgteam inkluderande endokrinkirurg med erfarenhet av multiorganresektion</li> <li>• Anestesiolog med särskild kompetens för sövning vid carcinoidsyndrom</li> <li>• Team med erfarenhet av PRRT, bestående exempelvis av nuklearmedicinare och onkolog</li> <li>• Endokrinolog</li> <li>• Onkolog</li> <li>• Patolog</li> <li>• Gastroenterolog</li> <li>• Radiolog</li> <li>• Nuklearmedicinare</li>   <li>• Klinisk genetiker</li> </ul> <p><b>Vid enhet som erbjuder klaffkirurgi ska utöver ovanstående även nedan angivna kompetenser finnas:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Kardiolog med kunskap och erfarenhet av carcinoid hjärtsjukdom(CHD)</li> <li>• Thoraxkirurg med erfarenhet och kunskap om CHD</li> <li>• Anestesiologer med erfarenhet av CHD</li> </ul>

Andra typer av kompetens (t.ex. specialkompetent sjuksköterska, kurator, psykolog, fysioterapeut)	<p><b>Övriga yrkesgrupper med särskild kompetens inom de tillståndsgivna områdena:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Genetisk vägledare</li> <li>• Kontaktsjuksköterska</li> <li>• Sjukhusfysiker</li> <li>• Biomedicinsk analytiker eller röntgensjuksköterska med kompetens inom nuklearmedicin</li> <li>• Dietist</li> <li>• Kurator</li> <li>• Fysioterapeut</li> </ul>
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• PET- kameror</li> <li>• Gamma-kameror</li> <li>• Lokaler som uppfyller Strålsäkerhetsmyndighetens krav</li> <li>• Utrustning för endoskopiskt ultraljud</li> </ul>
Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Postoperativ vård</li> <li>• Intensivvård</li> <li>• Kardiologi</li> <li>• Klinisk fysiologi</li> </ul>
Kritiska diagnostiska metoder	<ul style="list-style-type: none"> <li>• SSA-PET/CT (t.ex. 68Ga-DOTATOC)</li> <li>• FDG-PET/CT</li> <li>• Endoskopiskt ultraljud</li> </ul>
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• SIR-terapi vid NET (selektive internal radiation therapy, s.k. radioembolisering av leverartär)</li> <li>• Interventionell radiologi</li> </ul>
Rehabilitering (särskilt anpassad till behovet)	
Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Nationell MDK med möjlighet till videoupkoppling och bildvisning (avbildning och patologi). Samordning av MDK med de NHVe som innehar tillstånd för binjurebarkscancer och feokromocytom.</li> <li>• Patienter ska få en skriftlig vårdplan vid utskrivning från NHVe</li> <li>• NHVe ska ansvara för överrapportering till hemorten samt</li> </ul>

	uppföljning av patientrapporterade mått (exempelvis via ENET).
--	--

## 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.)

Genom koncentration på nationell nivå ges en jämlik tillgång till högkvalitativ vård för GEP-NET oavsett var man bor i landet. Det kan innebära fler resor för patienterna, men också leda till en mer sammanhållen vård med bättre diagnostik och behandling.

Remitteringsvägarna blir tydligare för såväl hemortsläkare som patient och båda får möjlighet till en högspecialiserad rådgivning. Efter att ha vårdats vid NHVe får patienten med sig en vårdplan för fortsatt vård vid hemortssjukhuset.

En potentiell nackdel vore att det tar tid att göra en rad diagnostiska undersökningar och bedömningar, vilket medför ett behov av att bo på patienthotell, möjligen även för anhöriga.

Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	<p>En möjlig risk är att kunskapen om vissa begränsade undergrupper inom GEP-NET minskar vid enheter som inte är NHV.</p> <p>Detta kompenseras genom att NHVe får ett tydligt utbildningsansvar såväl inom som utanför NHVe. Läkare och andra yrkesgrupper ges möjlighet till randning/vidareutbildning vid enheterna. NHVe bör erbjuda nationella möten och utbildningar.</p> <p>Genom nationell koncentration ökar möjligheterna till kunskapsöverföring inom NHVe. Ökad kompetens är gynnsamt även för patienter med angränsande sjukdomar.</p>
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	<p>Inom de diagnoser som behandlas i detta underlag bedrivs forskning på företrädesvis fyra ställen idag.</p> <p>Genom ett tydligt samverkansansvar och genom att koncentrera all vård vid de ovannämnda vårdområdena till fyra enheter, ges möjlighet till ett större, mer komplett forskningsunderlag och ökad möjlighet till biobankning. Sannolikt bidrar uppdraget även till bättre kvalitet i det nationella kvalitetsregistret.</p>
Påverkan på närliggande områden	<p>Majoriteten av patienterna i denna grupp tas redan idag om hand på fyra enheter i Sverige, vilket gör att detta inte kommer att tränga undan annan vård i någon stor utsträckning hos de enheter som i framtiden skulle tilldelas uppdraget.</p>
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta område i stort.	<p>Patienterna är sällan akut sjuka i sin NET-sjukdom, varför en koncentration inte medför några</p>

	nämnvärda konsekvenser för akutsjukvården vare sig för NHVe eller för enheter som inte innehar tillstånden.
Påverkan på vårdkedjan	En risk skulle kunna vara att länsjukhus remitterar fler patienter till NHVe än vad definitionen anger samt att de "hoppas över" regionsjukhuset i vårdkedjan.  Samtidigt blir remitteringsvägarna tydligare för både läkare och patient, vilket sannolikt bidrar till en snabbare remitteringsgång. Möjligheten till konsultation blir även tydligare för remittenter.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	Ett tydligt uppdrag för NHVe medför sannolikt att det blir lättare att attrahera specialister inom samtliga yrkesgrupper. Samarbete mellan NHVe kan även minska sårbarheten vid t.ex. tillfälliga problem med kompetensförsörjning.  Eftersom vården redan idag till största delen utförs vid fyra enheter och man redan idag håller bl.a. MDK via videolänk, medför tillståndsgivningen inga större investeringar.
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	För patienterna kommer antalet resor att öka, men det kommer sannolikt inte att medföra några stora skillnader i antalet sjuktransporter. Antalet akuta transporter kommer sannolikt inte att öka alls.
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	Det finns ingenting som tyder på att det framöver kommer att bli en drastisk ökning av vårdvolymen inom området. En koncentration kan ge en bättre nationell överblick över hela sjukdomsgruppen.

<b>Övriga kommentarer:</b>	
----------------------------	--

## 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). Uppföljningsmått kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal patienter Antal behandlingar Ålder Kön Remitterande region
Tillgänglighetsmått	Andel patienter som besöker NHV enhet inom X dygn efter inkommen remiss till NHV
Tillgänglighetsmått	Andel patienter som behandlats/opererats inom det antal dygn som rekommenderas inom SVF efter diagnos
Medicinskt mått	Andel komplikationer inom 1 månad efter operation, exempelvis: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Anastomosläckage</li> <li>• Pankreasläckage</li> </ul>

## Referenser

1. **Regionala cancercentrum i samverkan. Nationellt vårdprogram neuroendokrina buktumörer (GEP-NET).** u.o. : <https://www.cancercentrum.se/samverkan/cancerdiagnoser/neuroendokrina-buktumorer/vardprogram/>, 2018.

## Deltagare i sakkunniggrupp

Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Jan Zedenius, specialist i kirurgi

Sydöstra sjukvårdsregionen: Oliver Gimm, specialist i kirurgi

Norra sjukvårdsregionen: Christina Kjellman, specialist i onkologi

Södra sjukvårdsregionen: Pernilla Asp, specialist i onkologi

Västra sjukvårdsregionen: Peter Bernhardt, sjukhusfysiker

Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Anders Sundin, specialist i radiologi

Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Staffan Welin, specialist i internmedicin

Patientföreträdare: Camilla Andersson, Carpa NET

# 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).

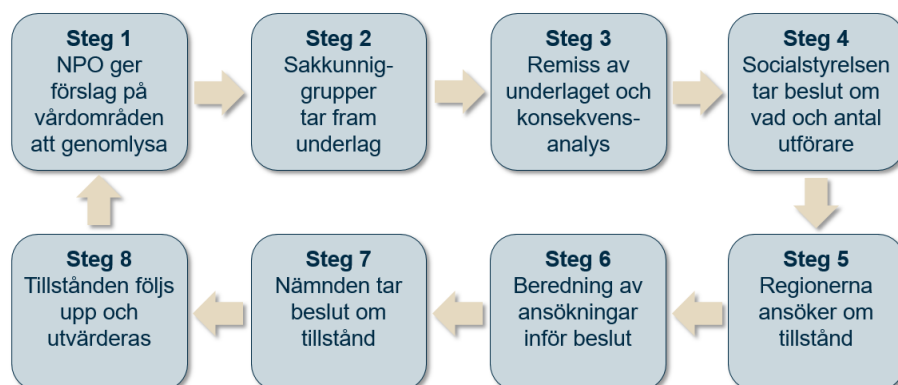
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

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  
"Feokromocytom och  
abdominella  
paragangliom" som  
nationell högspecialiserad  
vård

Sakkunniggruppens underlag  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för ”Neuroendokrina tumörer” vårdområdet ”Feokromocytom och abdominella paragangliom” 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 .....	14
Konsekvenser av rekommendationen .....	16
Uppföljning och utvärdering .....	20
Referenser .....	21
Deltagare i sakkunniggrupp .....	22
Om nationell högspecialiserad vård .....	23

## Ordlista

CT	Datortomografi, en medicinsk avbildningsteknik, förkortas i ofta även DT
FEO/PG	Feokromocytom och abdominella paragangliom
MDK	Multidisciplinär konferens
MRT	Magnetresonanstomografi, medicinsk avbildningsteknik med s.k. magnetkamera
NET	Neuroendokrin tumör
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
PET	Positronemissionstomografi, en medicinsk avbildningsteknik som bygger på användning av radioisotopmärkta preparat
SKG	Sakkunniggrupp
SVF	Standardiserat vårdförlopp

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet feokromocytom och abdominella paragangliom att

- kirurgi vid denna sjukdom ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra vårdenheter
- onkologisk behandling vid denna sjukdom ska bedrivs vid två av de fyra vårdenheterna.

Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art, som kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården bedöms också kräva stora investeringar och medföra höga kostnader.

Vården är multidisciplinär eftersom den kräver ett samarbete mellan bland annat kirurg, anestesilog, endokrinolog, onkolog, patolog, radiolog, nuklearmedicinare, klinisk genetiker och genetisk vägledare, samtliga med erfarenhet av diagnostik och behandling av feokromocytom och abdominella paragangliom.

Uppskattningsvis diagnosticeras 120–130 personer per år med feokromocytom eller abdominella paragangliom. Det är rimligt att fördela dessa patienter på fyra nationella högspecialiserade vårdenheter för kirurgisk behandling, för att få erfarenhets- och forskningsvinster. Samtidigt kan området hållas ihop, och alla enheter kan operera alla typer av feokromocytom och abdominella paragangliom. Sakkunniggruppen bedömer alltså inte att det vore ändamålsenligt att koncentrera kirurgin för endast de avancerade tumörerna ytterligare, till färre än fyra enheter.

För den onkologiska behandlingen är två enheter motiverat, eftersom endast en liten andel av patienterna behöver sådan behandling. Endast en enhet bedöms däremot vara för sårbart och otillräckligt när det gäller tillgänglighet.

Konsekvenserna av att koncentrera kirurgin och den onkologiska behandlingen vid feokromocytom och abdominella paragangliom är övervägande positiva. Patienterna är relativt få, varför vårdkoncentrationen inte kommer att ge några nämnvärda undanträngningseffekter. De flesta av patienterna blir inte heller akut sjuka till följd av sin sjukdom, och därmed bedöms akutsjukvården inte påverkas nämnvärt.

## Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppen (SKG) bedömer att vid bekräftad eller stark misstanke om diagnosen feokromocytom och abdominella paragangliom ska patienten skickas till en Nationell högspecialiserad vårdenhet (NHVe) för:

- Utredning samt eventuell kirurgi
- Ställningstagande till och vid behov utförande av onkologisk behandling samt
- Ställningstagande till om den onkologiska behandlingen ska ske på NHVe eller på hemort.

### Antal enheter

För det definierade området bedömer sakkunniggruppen att kirurgisk behandling bör bedrivas vid **fyra** enheter.

Av dessa ska **två** enheter inneha tillstånd att bedöma och vid behov utföra onkologisk behandling för ovanstående område.

## Avgränsningar

I Socialstyrelsens arbete att tillsammans med 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 sjukvårdsregion. Nedan följer de områden som SKG för Neuroendokrina tumörer identifierat för sådan vård:

- Initial bedömning vid alla former av binjuretumörer, inklusive initial diagnostik såsom  $^{123}\text{I}$ -MIBG-scintigrafi och  $^{68}\text{Ga}$ -DOTA-somatostatinanalog-PET/CT och patologisk diagnostik
- Vård vid:
  - Okomplicerade feokromocytom, uppföljning
  - Binjurebarksadenom, aldosteronproducerande
  - Binjuremetastaser från annan lokal, kirurgi
  - Neuroblastom

Nedan följer de områden som SKG för Neuroendokrina tumörer har genomlyst och som redovisas i separata underlag inom ramen för nationell högspecialiserad vård:

- Binjurebarkscancer
- Neuroendokrina tumörer (NET) i buken

Följande område hanteras parallellt av en annan sakkunniggrupp:

- Paragangliom i huvud- och halsområdet – hanteras av sakkunniggruppen för Huvud- och halstumörer

## Bakgrund

### Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

Binjuretumörer är vanliga. En förändring i en eller båda binjurarna ses i cirka 5 % av alla radiologiska undersökningar av buken och incidensen stiger med patientens ålder. De allra flesta av dessa förändringar kan efter utredning avskrivas, då de inte utgör ett signifikant hälsoproblem för patienten. Ibland kan dock de radiologiska-biokemiska fynden vara avgörande, då potentiellt livshotande tillstånd kan upptäckas och behandlas i tid. Vissa patienter med hypertoni liksom patienter med vissa metabola störningar bör utredas avseende hormonproducerande binjuretumörer. Feokromocytom och abdominella paragangliom (FEO/PG) är sällsynta men fordrar snabb handläggning med utredning och behandling som involverar flera olika specialiteter: särskilt inriktade radiologer inkluderande nuklearmedicinsk expertis, endokrinologer, särskilt inriktade kirurger med flera. Den stora övervägande andelen (cirka 90%) feokromocytom är benigna men ca 10% är maligna. Symtom som bör leda till klinisk misstanke om FEO/PG är oförklarliga attacker av hjärtklappning, hypertoni, ångest, eller en episod av svår hypotoni hos en i övrigt hjärtfrisk individ.

Metastaser till binjuren är inte sällsynta och kan vara föremål för kirurgisk behandling i de fall då de inte är ett led i en generaliserad cancersjukdom. Detta är dock vård som inte kräver samma multidisciplinära kompetens som vid FEO/PG eftersom kirurgi av metastaser till binjuren per definition inte ska vara komplicerad; beräknas den vara det torde indikationen behöva omprövas. Den onkologiska behandlingen utgår ifrån primärtumörens ursprung vilket sker mer ändamålsenligt regionalt snarare än vid en NHVe.

Ärftlighetsmönster ses ofta vid cancer, och kan variera i vanlighet. Bland binjuretumörer varierar ärftlighetsmönstret påtagligt, men har uppmärksammats allt mer. Inte minst gäller detta FEO/PG, där mutationsanalyser har påvisat en mycket hög andel patienter med ärftligt betingade mutationer i ett flertal olika gener, även hos dem som inte har ärftlighetsanamnes. Detta får konsekvenser för patientens behandling och uppföljning, och förstås även för familj och släktingar.

### Vårdvolymer

Uppskattningsvis drabbas ca 120-130 patienter/år i Sverige av FEO/PG. En exakt vårdvolym är dock svår att uppskatta eftersom det på grund av brist på specifika ICD-koder saknas säker statistik över benigna FEO/PG. Antalet

maligna FEO har senaste åren varit ca 20/år enligt statistik ur Cancerregistret, medan antalet abdominella PG varit ca 25/år.

## Forskning

I Sverige bedrivs idag forskning på FEO/PG i företrädesvis fyra regioner som också har pågående doktorandprojekt. Även kirurgin sker huvudsakligen vid fyra enheter och viss överlappning finns, även om det idag inte alltid är samma enheter som utför den större mängden forskning respektive kirurgi. Även i andra regioner pågår projekt med viss anknytning till sjukdomen. Genom koncentration skulle möjligheterna till att samarbeta kring resurser såsom biobank och gemensamma kvalitetsregister öka. Möjligheterna för multicenterstudier liksom att delta i internationella studier ökar.

## Internationell utblick

I Danmark har man centraliserat vården vid FEO/PG till 3 sjukhus. England, Finland och Norge har ännu ingen centralisering för dessa patienter.

Det europeiska nätverket European Network for the Study of Adrenal Tumors (ENSAT) anordnar möten samt samordnar studier vid binjurebarkscancer och feokromocytom.

## Framåtblick

### Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

Alla patienter med FEO/PG bör tidigt i sjukdomsförloppet bedömas vid en NHV-enhet (NHVe) för utredning, information och terapiinriktning. För att underlätta remissgången ska en NHVe tillhandahålla lättillgängliga anvisningar för remitterter liksom för egenremisser för patienter, förslagsvis på en hemsida samt i pappersformat att använda vid behov. Efter att en patient vistats på NHVe bestäms i samråd med hemorten vilken vårdnivå patienten ska fortsätta att kontrolleras vid.

Vid NHV genomförs en samlad bedömning och ställningstagande till behandling av ett multidisciplinärt team med särskild kompetens inom FEO/PG, bestående av bl.a. kirurg, anestesilog, onkolog, endokrinolog, patolog, radiolog och nuklearmedicinare. Avbildning vid feokromocytom med typisk biokemi och/eller symptom omfattar i regel endast CT/ MRT men för övriga patienter krävs erfarenhet inom både radiologisk och nuklearmedicinsk diagnostik eftersom båda ofta krävs för att ställa rätt diagnos.

På NHV bör multidisciplinär konferens (MDK) genomföras där ovan nämnda specialister deltar. Det är önskvärt att alla enheterna som handhar FEO/PG inom NHV har en gemensam nationell MDK där man diskuterar fall sinsemellan. Där kan även svåra patientfall som angränsar till, men inte ingår, i det aktuella tillståndet tas upp. En samordning av den nationella MDK:n för FEO/PG med de fall som berörs inom NHV för neuroendokrina tumörer i buken liksom för binjurebarkscancer är också önskvärd.

Vid kirurgi av FEO/PG behöver anestesologen ha erfarenhet av premedicinering och narkos vid detta tillstånd. Eftersom tumören producerar hormoner som påverkar blodtrycket kan detta svänga kraftigt under operationen och patienten kan även drabbas av takykardi (hjärtrusning). Samspelet mellan kirurg och anestesilog är av stor vikt och kräver att båda har erfarenhet av kirurgi vid detta tillstånd. I vissa fall kan även den kirurgiska behandlingen vara tekniskt komplex och kräva erfarenhet av det specifika tillståndet. Kirurgin har även tydliga beröringspunkter med andra närliggande kirurgiska områden, exempelvis kirurgi av retroperitoneala sarkom i avancerade fall, som idag sker på tre enheter, liksom med kirurgi för binjurebarkscancer. Alla patienter med FEO/PG bör genomgå en genetisk utredning med provtagning via NHVe. Vid konstaterad mutation remitteras patienten till klinisk genetik i sin hemregion för information, rådgivning och ställningstagande till familjeutredning.

Onkologisk behandling vid maligna FEO/PG sker i praktiken vid metastaserad sjukdom. Detta är ett mycket ovanligt tillstånd som bör behandlas vid två av de fyra NHV-enheterna. Den onkologiska behandlingen kommer då att innefatta både olika typer av radionuklidbehandling och medicinsk behandling, vilket kräver ett multidisciplinärt team med kunskap och erfarenhet av båda. Liksom vid kirurgi finns risk för påverkan av hormoner vid behandling och det är därför av stor vikt att erfarenhet finns för att adekvat hantera detta. Vid radionuklidterapi behövs ett multidisciplinärt team med erfarenhet av både PRRT och <sup>131</sup>I-MIBG terapi, som exempelvis kan bestå av nuklearmedicinare och onkologer. Enheterna ska bedriva aktiv forskning, då behovet av kliniska studier är stort.

Vid NHVe behöver det dagtid finnas schemalagd läkarresurs med god FEO/PG-kunskap som kan svara på kollegors frågor telefonledes och brevledes om utredning och eventuella akuta handläggningar. Ett team med kurator och fysioterapeut bör finnas och cancerrehabilitering erbjudas alla patienter med malignt FEO/PG. NHVe skall följa vårdprogram och standardiserade vårdförlopp. Långtidsuppföljning efter operation av sannolikt benignt FEO/PG ska enligt vårdprogram avslutas efter 10 år; flera av dessa kontroller kan ske på hemort. Även extern strålbehandling vid malignt FEO/PG kan med fördel skötas på hemorten.

Vid NHVe skall det finnas kontaktsjuksköterskor med god kunskap om FEO/PG vilka patienterna skall kunna komma i kontakt med varje vardag. Det är viktigt att patienterna får information om hur de kommer i kontakt med kontaktsjuksköterskorna och att det finns rutiner som tillser att patienter får adekvat cancerrehabilitering. Patientutbildningar bör erbjudas regelbundet i samverkan med olika professioner och med aktuell patientförening. Patienter med stabil sjukdom samt vissa ärftlighetskontroller bör kunna erbjudas vård på distans om avstånden är långa till NHV.

Återkoppling till inremitterande sjukhus kan ske antingen via uppkoppling till MDK eller via telefon, alternativt via remissvar vid mindre brådskande fall. Hemsjukhuset bör även få en skriftlig vårdplan från samtliga vårdkontakter av de patienter som följs på NHV så att de är uppdaterade i händelse av akuta sjukdomstillstånd. Vid återfall tas patienterna upp vid MDK alternativt behandlingskonferens liknande MDK för beslut om ny behandling.

Intresserade kollegor bör erbjudas auskultation på NHVe, som även ska tillhandahålla möjlighet till randning för ST-läkare. Varje NHV ska ha en aktiv forskning med fortlöpande publikationer för att bidra med ny kunskap inom området. Genom NHV kan förhoppningsvis fler kliniska studier göras, med större patientunderlag, för att bidra till ökad evidens för diagnostik samt för hur behandlingar ska ges i förhållande till varandra för att ge optimal effekt. Nationell koncentration ökar förutsättningarna att implementera nya behandlingsmetoder sker på ett strukturerat sätt. Ett exempel på en bildiagnostisk metod under utveckling är <sup>11</sup>C-hydroxy-efedrin-PET/CT, som ger möjlighet att upptäcka recidiv tidigare, liksom metastaser i lymfkörtlar och skelett, vilka ofta missas vid CT. Regionmöten där även

patientföreträdare/patientförening har möjlighet att medverka bör ordnas. Anställda vid NHVe bör delta aktivt i de nationella och internationella möten som finns, med fördel även de för neuroendokrina tumörer. Samtliga patienter skall registreras i kvalitetsregistret INCA av behandlande enhet. NHV-enheterna ska rapportera in uppföljningsmätt till Socialstyrelsen, se förslag på sådana under rubriken "Uppföljning och utvärdering".

## 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.

<b>Kompetens och resurser</b>	
<p>Kritisk medicinsk kompetens (läkare)</p>	<p><b>Läkare med särskild kompetens inom de tillståndsgivna områdena:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Kirurgteam inkluderande endokrinkirurg med erfarenhet av multiorganresektion</li> <li>• Endokrinolog</li> <li>• Anestesiolog med särskild kompetens för sövning vid feokromocytom</li> <li>• Patolog</li> <li>• Radiolog</li> <li>• Team med erfarenhet av PRRT och 131I-MIBG terapi, bestående exempelvis av nuklearmedicinare och onkolog</li> <li>• Nuklearmedicinare</li> <li>• Klinisk genetiker</li>   <li>• Onkolog</li> </ul> <p><b>Vid enhet som erbjuder onkologisk behandling ska utöver ovanstående även nedan angivna kompetenser finnas, med särskild kompetens inom det tillståndsgivna området:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Onkolog</li> </ul>
<p>Andra typer av kompetens (t.ex. specialkompetent sjuksköterska, kurator, psykolog, fysioterapeut)</p>	<p><b>Övriga yrkesgrupper med särskild kompetens inom de tillståndsgivna områdena:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Genetisk vägledare</li> <li>• Kontaktsjuksköterska</li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Kurator</li> <li>• Fysioterapeut</li> <li>• Röntgensjuksköterska/biomedicinsk analytiker med kompetens inom nuklearmedicin</li> <li>• Sjukhusfysiker</li> </ul>
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• PET-kamera</li> <li>• Gammakamera</li> <li>• Lokaler som uppfyller Strålsäkerhetsmyndighetens krav</li> </ul>
Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Postoperativ vård</li> <li>• Intensivvård</li> </ul>
Kritiska diagnostiska metoder	<p><b>Vid enhet som erbjuder onkologisk behandling:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• SSA-PET/CT(t.ex. 68Ga-DOTATOC)</li> <li>• 123I-MIBG-skintigrafi</li> </ul>
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	
Rehabilitering (särskilt anpassad till behovet)	
Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Samordnad MDK med NHVe som innehar tillstånd för GEP-NET och FEO/PG</li> <li>• Skriftlig vårdplan vid utskrivning från NHVe</li> <li>• NHVe ska ansvara för överrapportering till hemorten samt uppföljning av patientrapporterade mått</li> </ul>

## 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.)

Genom koncentration på nationell nivå ges en jämlik tillgång till högkvalitativ vård för FEO/PG oavsett var man bor i landet. Det kan innebära fler resor för patienterna, men å andra sidan en mer sammanhållen vård med bättre diagnostik och behandling och därmed sannolikt ökad patientsäkerhet.

Remitteringsvägarna blir tydligare för såväl hemortsläkare som patient och båda får möjlighet till en högspecialiserad rådgivning. Efter att ha vårdats vid NHVe får patienten med sig en vårdplan för fortsatt vård vid hemortssjukhuset.

En potentiell nackdel vore att det tar tid att göra en rad diagnostiska undersökningar och bedömningar, vilket medför ett behov av att bo på patienthotell, möjligen även för anhöriga.

<p>Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring</p>	<p>En möjlig risk är att kunskapen om vissa begränsade undergrupper inom FEO/PG minskar vid enheter som inte är NHV. Dock kommer utredning och uppföljning fortfarande att ske i varje region så risken bedöms ändå som liten.</p> <p>Därtill kompenseras eventuell kompetensförlust genom att NHVe får ett tydligt utbildningsansvar såväl inom som utanför NHVe. Genom nationell koncentration ökar möjligheterna till kunskapsöverföring inom NHVe. Läkare och andra yrkesgrupper ges möjlighet till randning/vidareutbildning vid enheterna. NHVe bör erbjuda nationella möten och utbildningar. Ökad kompetens är gynnsamt även för patienter med angränsande sjukdomar.</p>
<p>Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?</p>	<p>Inom de diagnoser som behandlas i detta underlag bedrivs forskning på företrädesvis fyra ställen idag.</p> <p>Genom ett tydligt samverkansansvar och genom att koncentrera all vård vid det ovannämnda vårdområdet till fyra respektive två enheter, ges möjlighet till ett större, mer komplett forskningsunderlag och ökad möjlighet till biobankning. Sannolikt bidrar uppdraget även till bättre kvalitet i det nationella kvalitetsregistret. NHVe kan även fortsättningsvis samarbeta med enheter utanför tillståndet i forskningssammanhang.</p>
<p>Påverkan på närliggande områden</p>	<p>Majoriteten av patienterna som ska få kirurgisk behandling i denna grupp tas redan idag om hand på fyra enheter i Sverige, vilket gör att detta inte kommer att tränga undan annan vård i någon stor utsträckning.</p>

	Eftersom det är mycket få patienter som ska få onkologisk behandling kommer detta inte att ge några nämnvärda undanträngningseffekter.
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.	Patienterna i denna grupp är sällan akut sjuka i sin sjukdom, varför en koncentration inte medför några nämnvärda konsekvenser för akutsjukvården vare sig för NHVe eller för enheter som inte innehar tillstånden.
Påverkan på vårdkedjan	Eventuellt finns en risk att patienter remitteras direkt till NHV utan att regionsjukhuset passeras men detta har sannolikt en mindre påverkan eftersom det rör sig om så pass få patienter. Samtidigt blir remitteringsvägarna tydligare för både läkare och patient, vilket sannolikt bidrar till en snabbare remitteringsgång. Möjligheten till konsultation blir även tydligare för remittenter.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	Ett tydligt uppdrag för NHVe medför sannolikt att det blir lättare att attrahera specialister inom samtliga yrkesgrupper. Samarbete mellan NHVe kan även minska sårbarheten vid t.ex. tillfälliga problem med kompetensförsörjning.  Eftersom vården redan idag till största delen utförs vid fyra enheter och man redan idag håller bl.a. MDK via videolänk, medför tillståndsgivningen inga större investeringar.
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	För patienterna kommer antalet resor eventuellt att öka något, men det kommer sannolikt inte att medföra några stora skillnader i antal sjuktransporter. Antalet akuta transporter kommer sannolikt inte att öka alls.
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	Vårdvolymerna ökar långsamt men det finns ingenting som tyder på att

	<p>det inom en nära tid kommer att ske en drastisk ökning och den långsamma förändringen kommer inte att påverka antalet enheter som bedriver denna vård.</p> <p>En koncentration kan ge en bättre nationell överblick över hela sjukdomsgruppen.</p>
<b>Övriga kommentarer:</b>	

## 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). Uppföljningsmått kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal patienter Antal behandlingar Ålder Remitterande region
Tillgänglighetsmått	Andel patienter som besöker NHV enhet inom X dygn efter inkommen remiss till NHV
Tillgänglighetsmått	Andel patienter som behandlats/opererats inom det antal dygn som rekommenderas inom SVF efter diagnos
Medicinskt mått	Genetisk utredning i samband med kirurgi
Medicinskt mått	Kurativ kirurgi som blivit icke-radikal
Patientrapporterade mått	Andel patienter där patientnöjdhet följs upp
Patientrapporterade mått	Andel patienter där livskvalitet följs upp

## Referenser

**Regionala cancercentrum i samverkan. Nationellt vårdprogram**

*Binjuretumörer,*

<https://kunskapsbanken.cancercentrum.se/diagnoser/binjuretumorer/>, 2020

## Deltagare i sakkunniggrupp

Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Jan Zedenius, specialist i kirurgi

Sydöstra sjukvårdsregionen: Oliver Gimm, specialist i kirurgi

Norra sjukvårdsregionen: Christina Kjellman, specialist i onkologi

Södra sjukvårdsregionen: Pernilla Asp, specialist i onkologi

Västra sjukvårdsregionen: Peter Bernhardt, sjukhusfysiker

Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Anders Sundin, specialist i radiologi

Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Staffan Welin, specialist i internmedicin

Patientföreträdare: Camilla Andersson, Carpa NET

# 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).

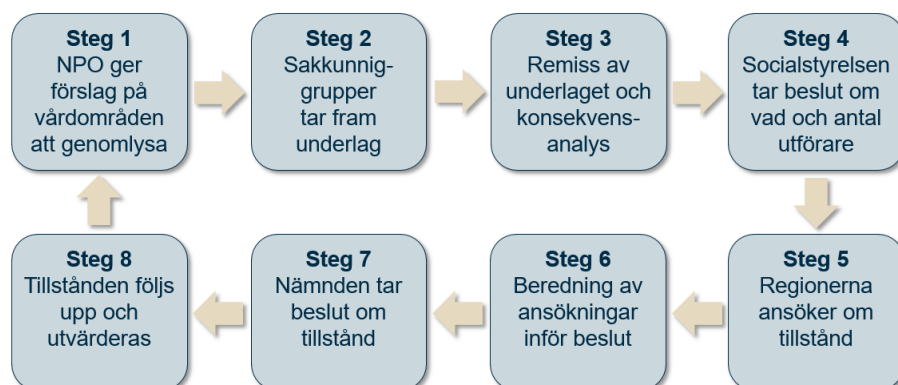
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

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  
"Binjurebarkscancer" som  
nationell högspecialiserad  
vård

Sakkunniggruppens underlag  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för ”Neuroendokrina tumörer” vårdområdet ”Binjurebarkscancer” 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 .....	14
Konsekvenser av rekommendationen .....	16
Uppföljning och utvärdering .....	20
Referenser .....	21
Deltagare i sakkunniggrupp .....	22
Om nationell högspecialiserad vård .....	23

## Ordlista

CT	Datortomografi, en medicinsk avbildningsteknik, förkortas i ofta även DT
MDK	Multidisciplinär konferens
NET	Neuroendokrin tumör
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
PET	Positronemissionstomografi, en medicinsk avbildningsteknik som bygger på användning av isotopmärkta preparat
SKG	Sakkunniggrupp
SVF	Standardiserat vårdförlopp

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet binjurebarkscancer att

- kirurgi vid denna sjukdom ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra vårdenheter
- onkologisk behandling vid denna sjukdom ska bedrivs vid två av de fyra vårdenheterna.

Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art, som kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården bedöms också kräva stora investeringar och medföra höga kostnader.

Vården är multidisciplinär eftersom den kräver ett samarbete mellan bland annat kirurg, anestesilog, endokrinolog, onkolog, patolog, radiolog och nuklearmedicinare, samtliga med erfarenhet av diagnostik och behandling av binjurebarkscancer.

Ur forskningssynpunkt är fyra nationella högspecialiserade vårdenheter rimligt, för att bevara den forskning som finns i dag och dessutom öka möjligheterna att samla större patientgrupper att studera. Färre enheter bedöms inte ändamålsenligt, eftersom betydligt fler patienter än de som får diagnosen binjurebarkscancer kommer att behöva utredas vid en nationell högspecialiserad vårdenhet.

För den onkologiska behandlingen är två enheter motiverat, eftersom inte alla patienter som får diagnosen binjurebarkscancer kommer att behöva onkologisk behandling. Endast en enhet bedöms däremot vara för sårbart och otillräckligt när det gäller tillgänglighet. Även denna vårdkoncentration skulle sannolikt öka förutsättningarna för forskning, eftersom fler patienter än i dag skulle bedömas och i förekommande fall behandlas på samma enheter.

Konsekvenserna av att koncentrera kirurgin och den onkologiska behandlingen vid binjurebarkscancer är övervägande positiva. Majoriteten av de patienter som ska opereras tas till exempel redan i dag om hand vid fyra enheter i Sverige. Därmed kommer vårdkoncentrationen inte att tränga undan annan vård i någon större utsträckning på nationell nivå. Inte heller koncentrationen av den onkologiska behandlingen kommer att ge några undanträngningseffekter, eftersom det handlar om få patienter. De flesta patienter med binjurebarkscancer blir inte heller akut sjuka till följd av sjukdomen, och därmed bedöms akutsjukvården inte påverkas nämnvärt.

## Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppen (SKG) bedömer att vid **misstanke om diagnosen binjurebarkscancer** ska patienten skickas till en Nationell högspecialiserad vårdenhet (NHVe) för:

- Utredning samt eventuell kirurgi
- Ställningstagande till och vid behov utförande av onkologisk behandling samt
- Ställningstagande till om den onkologiska behandlingen ska ske på NHVe eller på hemorten.

### Antal enheter

För det definierade området bedömer sakkunniggruppen att kirurgisk behandling bör bedrivas vid **fyra** enheter.

Av dessa ska **två** enheter inneha tillstånd att bedöma och vid behov utföra onkologisk behandling för ovanstående område.

## Avgränsningar

I Socialstyrelsens arbete att tillsammans med SKG genomlysna vård som ska bedrivas som nationell högspecialiserad vård kan SKG också identifiera områden som inte bör ingå i tillståndet men bör nivåstruktureras inom varje sjukvårdsregion. Nedan följer de områden som SKG för Neuroendokrina tumörer identifierat för sådan vård:

- Initial bedömning vid alla former av binjuretumörer, inklusive initial diagnostik såsom exempelvis FDG PET eller <sup>11</sup>C-metomidat-PET/CT och patologisk diagnostik
- Vård vid:
  - Binjurebarksadenom, aldosteronproducerande
  - Binjuretumörer 4-6 cm med radiologiskt benigna karakteristika
  - Cushingtumörer utan malignitetsmisstanke
  - Binjuremetastaser från annan lokal, avser främst kirurgi
  - Neuroblastom

Nedan följer de områden som SKG för Neuroendokrina tumörer har genomlyst och som redovisas i separata underlag inom ramen för nationell högspecialiserad vård:

- Feokromocytom och abdominella paragangliom
- Neuroendokrina tumörer (NET) i buken

## Bakgrund

### Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

Binjuretumörer är vanliga. En förändring i en eller båda binjurarna ses i cirka 5 % av alla datortomografiska undersökningar av buken och incidensen stiger med patientens ålder. De allra flesta av dessa förändringar kan efter radiologisk karakterisering och/eller uppföljning och biokemisk utredning avskrivas, då de inte utgör ett signifikant hälsoproblem för patienten. Ibland kan dock de radiologiska-biokemiska fynden vara avgörande, då potentiellt livshotande tillstånd kan upptäckas och behandlas i tid. Vissa patienter med hypertoni liksom patienter med vissa metabola störningar bör utredas avseende hormonproducerande binjuretumörer. Misstanke om binjurebarkscancer väcks vid resistens i buken, allmänna tumörsymtom och vid vissa radiologiska fynd, särskilt i kombination med kliniska symtom och fynd tydande på överproduktion av binjurebarkshormoner. Primär malignitet i binjuren är ytterst sällsynt, men fordrar snabb handläggning med utredning och behandling som involverar flera olika specialiteter: särskilt inriktade radiologer med nuklearmedicinsk expertis framförallt rörande PET/CT diagnostik med specifika spårsubstanser (så kallade tracers), endokrinologer, särskilt inriktade kirurger med flera.

Metastaser till binjuren är vanligare och kan vara föremål för kirurgisk behandling i de fall då de inte är ett led i en generaliserad cancersjukdom. Detta är dock vård som inte kräver samma multidisciplinära kompetens som vid primär binjurebarkscancer eftersom kirurgi av metastaser till binjuren per definition inte ska vara komplicerad; beräknas den vara det torde indikationen behöva omprövas. Den onkologiska behandlingen utgår ifrån primärtumörens ursprung vilket sker mer ändamålsenligt regionalt snarare än vid en NHVe.

### Vårdvolymer

Uppskattningsvis rör det sig om ca 40-50 patienter per år som drabbas av binjurebarkscancer i Sverige, enligt aktuella uppgifter ur Cancerregistret. Det är svårt att uppskatta vårdvolymer för det större antal patienter som kommer att behöva bedömas vid NHV för misstänkt binjurebarkscancer och som i slutändan får en annan diagnos. Av de ca 250 patienter per år i Sverige som opereras för binjuretumörer är det dock färre som behöver utredas för misstänkt binjurebarkscancer.

### Forskning

I Sverige bedrivs idag forskning på binjurebarkscancer i företrädesvis två sjukvårdsregioner, men även i andra regioner pågår projekt med viss anknytning

till sjukdomen. Idag finns kvalitetsregister för patienter som genomgått kirurgisk behandling, men inte för onkologi. Genom koncentration skulle möjligheterna till att samarbeta kring resurser såsom biobank och gemensamma kvalitetsregister öka. Likaså skulle möjligheterna för multicenterstudier liksom att delta i internationella studier öka.

## Internationell utblick

I Danmark har man centraliserat vården vid binjurebarkscancer till 3 Universitetssjukhus. I Norge, Finland och England finns ännu ingen centralisering.

Det europeiska nätverket European network for the study of adrenal tumors (ENSAT) anordnar möten samt samordnar studier vid binjurebarkscancer och feokromocytom.

## Framåtblick

### Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

Alla patienter med binjurebarkscancer bör tidigt i sjukdomsförloppet bedömas vid en NHV-enhet (NHVe) för utredning, information och terapiinriktning. För att underlätta remissgången ska en NHVe tillhandahålla lättillgängliga anvisningar för remittenter liksom för egenremisser för patienter, förslagsvis på en hemsida samt i pappersformat att använda vid behov. Efter att en patient vistats på NHVe bestäms i samråd med hemorten vilken vårdnivå patienten ska fortsätta att kontrolleras vid.

Vid NHV genomförs en samlad bedömning och ställningstagande till behandling av ett multidisciplinärt team med särskild kompetens inom binjurebarkscancer, bestående av bl.a. kirurg, anestesilog, onkolog, endokrinolog, patolog, radiolog och nuklearmedicinare med särskild kunskap inom området. Det multidisciplinära teamet bör även ha goda kunskaper om neuroendokrina tumörer och feokromocytom.

På NHV bör multidisciplinär konferens (MDK) genomföras där ovan nämnda specialister deltar. Det är önskvärt att alla enheterna som handhar binjurebarkscancer inom NHV har en gemensam nationell MDK där man diskuterar fall sinsemellan. Där kan även svåra patientfall som angränsar till, men inte ingår, i det aktuella tillståndet tas upp. En samordning av den nationella MDK:n för binjurebarkscancer med de fall som berörs inom NHV för neuroendokrina tumörer i buken liksom för feokromocytom och abdominella paragangliom är också önskvärd.

Den radiologiska utredningen kräver erfarenhet inom både radiologisk och nuklearmedicinsk diagnostik eftersom båda metoderna krävs för att ställa rätt diagnos. Under utredningen av binjuretumörer finns ofta flera potentiella differentialdiagnoser varför kunskaper om alla dessa är nödvändig. Vid kirurgi av binjurebarkscancer behöver anestesologen ha erfarenhet av premedicinering och narkos vid detta tillstånd. Eftersom vissa av dessa tumörer producerar hormoner som påverkar blodtrycket kan detta svänga kraftigt under operationen och patienten kan även drabbas av takykardi (hjärtrusning). Även den kirurgiska behandlingen i sig kan vara tekniskt komplex och kräver då erfarenhet. För den kirurgiska behandlingen finns tydliga beröringspunkter med avancerad kirurgi av retroperitoneala sarkom som idag bedrivs på tre enheter, liksom med kirurgi vid feokromocytom och abdominella paragangliom.

De patienter som kommer att bli aktuella för onkologisk behandling vid nationell enhet är mycket få till antalet vilket motiverar två enheter. Vid de två enheter som innehar tillstånd för onkologisk behandling ska finnas kompetens och erfarenhet av att bedriva onkologisk behandling av sjukdomen, inkluderande komplexa endokrinologiska tillstånd som ofta

följer med sjukdomen i sig och som biverkning av given behandling. De ska bedriva aktiv forskning med möjlighet att inkludera patienter i kliniska studier, då de onkologiska behandlingsmöjligheterna är mycket begränsade och i behov att utvecklas. Extern strålbehandling kan med fördel skötas på hemorten.

Vid NHVe behöver det dagtid finnas schemalagd läkarresurs med god kunskap om binjurebarkscancer som kan svara på kollegors frågor telefonledes och brevledes om utredning och eventuella akuta handläggningar. Ett team med kurator och fysioterapeut bör finnas och cancerrehabilitering erbjudas alla patienter. NHVe skall följa vårdprogram och standardiserade vårdförlopp; det bör noteras i sammanhanget att ledtiderna i de standardiserade vårdförloppen för binjurebarkscancer är korta pga sjukdomens aggressiva karaktär. Uppföljning efter operation kan på sikt ske vid hemortssjukhuset. Långtidsuppföljning sker med CT alternativt med MR för yngre patienter.

Vid NHVe skall det finnas kontaktsjuksköterskor med god kunskap om binjurebarkscancer vilka patienterna skall kunna komma i kontakt med varje vardag. Det är viktigt att patienterna får information om hur de kommer i kontakt med kontaktsjuksköterskorna och att det finns rutiner som tillser att patienter får adekvat cancerrehabilitering. Patientutbildningar bör erbjudas regelbundet i samverkan med olika professioner och med aktuell patientförening. Patienter med stabil sjukdom bör kunna erbjudas vård på distans om avstånden är långa till NHV.

Återkoppling till inremitterande sjukhus kan ske antingen via uppkoppling till MDK eller via telefon, alternativt via remissvar vid mindre brådskande fall. Hemsjukhuset bör även få en journalkopia från samtliga vårdkontakter av de patienter som följs på NHV så att de är uppdaterade i händelse av akuta sjukdomstillstånd. Det är viktigt att det framgår i vårdplanen hur patientens kortisolsubstitution ska ske. Vid återfall tas patienterna upp vid MDK alternativt behandlingskonferens liknande MDK för beslut om ny behandling.

Intresserade kollegor bör erbjudas auskultation på NHVe, som även ska tillhandahålla möjlighet till randning för ST-läkare. Varje NHV ska ha en aktiv forskning med fortlöpande publikationer för att bidra med ny kunskap inom området. Genom NHV kan förhoppningsvis fler kliniska studier göras, med större patientunderlag, för att bidra till ökad evidens för diagnostik samt för hur behandlingar ska ges i förhållande till varandra för att ge optimal effekt. Nationell koncentration ökar förutsättningarna att implementera nya behandlingsmetoder sker på ett strukturerat sätt. Ett exempel på en bildiagnostisk metod under utveckling är <sup>11</sup>C-metomidat-PET/CT, som ger möjlighet att upptäcka recidiv tidigare, liksom metastaser i lymfkörtlar och skelett, vilka ofta missas vid CT. Regionmöten där även patientföreträdare/patientförening har möjlighet att medverka bör ordnas. Anställda vid NHVe bör delta aktivt i de nationella och internationella möten som finns, med fördel även de för neuroendokrina tumörer. Samtliga patienter skall registreras i kvalitetsregistret INCA av behandlande enhet.

NHV-enheterna ska rapportera in uppföljningsmått till Socialstyrelsen, se förslag på sådana under rubriken ”Uppföljning och utvärdering”.

## 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.

<b>Kompetens och resurser</b>	
Kritisk medicinsk kompetens (läkare)	<p><b>Läkare med särskild kompetens inom det tillståndsgivna området:</b></p> <p><b>Kirurgisk behandling</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Kirurgteam inkluderande endokrinkirurg med erfarenhet av multiorganresektion</li> <li>• Endokrinolog</li> <li>• Radiolog</li> <li>• Nuklearmedicinare</li> <li>• Anestesiolog</li> <li>• Patolog</li> </ul> <p>• Onkolog</p> <p><b>Vid enhet som erbjuder onkologisk behandling ska utöver ovanstående även nedan angivna kompetenser finnas, med särskild erfarenhet inom det tillståndsgivna området:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Onkolog</li> </ul>
Andra typer av kompetens (t.ex. specialkompetent sjuksköterska, kurator, psykolog, fysioterapeut)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Kontaktsjuksköterska med erfarenhet av binjurebarkscancer</li> <li>• Kurator</li> <li>• Fysioterapeut</li> </ul>
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• PET-kamera</li> </ul>

Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Postoperativ vård</li> <li>• Intensivvård</li> </ul>
Kritiska diagnostiska metoder	
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	
Rehabilitering (särskilt anpassad till behovet)	
Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Samordnad MDK med NHVe som innehar tillstånd för GEP-NET</li> <li>• Skriftlig vårdplan vid utskrivning från NHVe</li> <li>• NHVe ska ansvara för överrapportering till hemorten samt uppföljning av patientrapporterade mått</li> </ul>

## 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.)

Genom koncentration på nationell nivå ges en jämlig tillgång till högkvalitativ vård för binjurebarkscancer oavsett var man bor i landet. Det kan innebära fler resor för patienterna, men å andra sidan en mer sammanhållen vård med bättre diagnostik och behandling och därmed sannolikt ökad patientsäkerhet.

Remitteringsvägarna blir tydligare för såväl hemortsläkare som patient och båda får möjlighet till en högspecialiserad rådgivning. Efter att ha vårdats vid NHVe får patienten med sig en vårdplan för fortsatt vård vid hemortssjukhuset.

En potentiell nackdel vore att det tar tid att göra en rad diagnostiska undersökningar och bedömningar, vilket medför ett behov av att bo på patienthotell, möjligen även för anhöriga.

Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	<p>En möjlig risk är att kunskapen om vissa begränsade undergrupper inom binjurebarkscancer minskar vid enheter som inte är NHV.</p> <p>Detta kompenseras genom att NHVe får ett tydligt utbildningsansvar såväl inom som utanför NHVe. Genom nationell koncentration ökar möjligheterna till kunskapsöverföring inom NHVe. Läkare och andra yrkesgrupper ges möjlighet till randning/vidareutbildning vid enheterna. NHVe bör erbjuda nationella möten och utbildningar. Ökad kompetens är gynnsamt även för patienter med angränsande sjukdomar.</p>
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	<p>Inom de diagnoser som behandlas i detta underlag bedrivs forskning på företrädesvis två ställen idag.</p> <p>Genom ett tydligt samverkansansvar och genom att inte sprida den kirurgiska vården ytterligare, ges möjlighet till ett större, mer komplett forskningsunderlag och ökad möjlighet till biobanking. Att koncentrera den onkologiska vården till två enheter skulle sannolikt öka förutsättningarna till forskning inom detta område. Sannolikt bidrar uppdraget även till bättre kvalitet i det nationella kvalitetsregistret. NHVe kan även fortsättningsvis samarbeta med enheter utanför tillståndet i forskningssammanhang.</p>
Påverkan på närliggande områden	Majoriteten av patienterna som ska få kirurgisk behandling i denna grupp tas redan idag om hand på fyra enheter i Sverige, vilket gör att detta inte kommer att tränga undan annan vård i någon stor utsträckning.

	Eftersom det är få patienter som ska få onkologisk behandling kommer detta inte att ge några undanträngningseffekter.
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta område i stort.	Patienterna i denna grupp är sällan akut sjuka i sin sjukdom, varför en koncentration inte medför några nämnvärda konsekvenser för akutsjukvården vare sig för NHVe eller för enheter som inte innehar tillstånden.
Påverkan på vårdkedjan	Eventuellt finns en risk att patienter remitteras direkt till NHV utan att regionsjukhuset passeras men detta har sannolikt en mindre påverkan eftersom det rör sig om så pass få patienter. Samtidigt blir remitteringsvägarna tydligare för både läkare och patient, vilket sannolikt bidrar till en snabbare remitteringsgång. Möjligheten till konsultation blir även tydligare för remittenter.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	Ett tydligt uppdrag för NHVe medför sannolikt att det blir lättare att attrahera specialister inom samtliga yrkesgrupper. Samarbete mellan NHVe kan även minska sårbarheten vid t.ex. tillfälliga problem med kompetensförsörjning.  Eftersom vården redan idag till största delen utförs vid fyra enheter och man redan idag håller bl.a. MDK via videolänk, medför tillståndsgivningen inga större investeringar.
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	För patienterna kommer antalet resor eventuellt att öka något, men det kommer sannolikt inte att medföra några stora skillnader i antal sjuktransporter. Antalet akuta transporter kommer sannolikt inte att öka alls.

Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	<p>Det finns ingenting som tyder på att det framöver kommer att bli en drastisk ökning av vårdvolymen inom området. Dock kan det komma att behövas ta höjd för att det är fler patienter som kommer att behöva utredas vid NHV för misstänkt binjurebarkscancer än de som faktiskt får diagnosen, varför det är motiverat med fyra enheter istället för tre.</p> <p>En koncentration kan ge en bättre nationell överblick över hela sjukdomsgruppen.</p>
<b>Övriga kommentarer:</b>	

## 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).

Uppföljningsmått kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal patienter Antal behandlingar Ålder Remitterande region
Tillgänglighetsmått	Andel patienter som besöker NHV-enhet inom X dygn efter inkommen remiss till NHV
Tillgänglighetsmått	Andel patienter som behandlats/opererats inom det antal dygn som rekommenderas inom SVF efter diagnos
Medicinskt mått	Hypokortisolism efter operation
Medicinskt mått	Kurativ kirurgi som blivit icke-radikal
Patientrapporterade mått	Andel patienter där patientnöjdhet följs upp
Patientrapporterade mått	Andel patienter där livskvalitet följs upp
Förslag till egenkontroll	Mitotankoncentration i blodet efter 1 år
Förslag till egenkontroll	Överlevnad efter 1 år (denna är förväntat låg men bör följas eftersom den kan förändras genom nya behandlingsmetoder)

## Referenser

**Regionala cancercentrum i samverkan. Nationellt vårdprogram**

*Binjuretumörer,*

<https://kunskapsbanken.cancercentrum.se/diagnoser/binjuretumorer/>, 2020

## Deltagare i sakkunniggrupp

Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Jan Zedenius, specialist i kirurgi

Sydöstra sjukvårdsregionen: Oliver Gimm, specialist i kirurgi

Norra sjukvårdsregionen: Christina Kjellman, specialist i onkologi

Södra sjukvårdsregionen: Pernilla Asp, specialist i onkologi

Västra sjukvårdsregionen: Peter Bernhardt, sjukhusfysiker

Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Anders Sundin, specialist i radiologi

Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Staffan Welin, specialist i internmedicin

Patientföreträdare: Camilla Andersson, Carpa NET

# 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 osteogenesis imperfecta som nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för osteogenesis imperfecta (OI) vårdområdet OI 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
Innehåll .....	4
Ordlista.....	5
Sammanvägd bedömning.....	6
Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård.....	7
Bakgrund .....	10
Framåtblick .....	17
Förslag till särskilda villkor .....	20
Konsekvenser av rekommendationen .....	23
Uppföljning och utvärdering .....	26
Referenser .....	27
Deltagare i sakkunniggrupp.....	28
Om nationell högspecialiserad vård .....	29

## Ordlista

Benmatrix	Del av benvävnad innehållande kollagenfibrer
BI	Basilär impression
BMD	Bone mineral density
de novo	
variant	Genmutation som uppstått i en förälders könscell eller under embryogenesen
DI	Dentinogenesis imperfecta
MDK	Multidisciplinär konferens
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
OI	Osteogenesis imperfecta
WES	Whole exome sequencing
WGS	Whole genome sequencing

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet osteogenesis imperfecta (OI) att det som framgår av definitionen nedan ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid tre vårdenheter enligt följande uppdelning:

- En enhet
  - utför genetisk diagnostik vid misstanke om OI
  - utför ortopediska ingrepp vid OI (oavsett ålder)
  - vårdar barn med OI.
- Två enheter vårdar vuxna med OI, varav en också utför genetisk diagnostik av OI.

En nationell högspecialiserad vårdenhet som vårdar vuxna kan samlokaliseras med enheten som vårdar barn.

Defekten i benmatrix gör att både ortopedisk behandling och läkemedelsbehandling av benskörhet är särskilt komplext vid vård av patienter med OI. Det är sällan förekommande vård som kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården är multidisciplinär eftersom den kräver bland annat specialister i klinisk genetik, neurologi, ortopedi och endokrinologi liksom fysioterapeut, arbetsterapeut och ortopedtekniska ingenjörer. Vid enheten som ansvarar för barn krävs även specialister i pediatrik.

Sakkunniggruppen anser att vårdvolymen motiverar att vården koncentreras. För att undvika undanträngning av exempelvis annan endokrinologisk vård och med hänsyn till tillgängligheten för patienterna med OI ska delar av vårdkedjan koncentreras till tre enheter, varav en ska omhänderta barn. Till enheten som vårdar barn koncentreras också ortopedisk kirurgi av vuxna med OI eftersom dessa ingrepp är mycket lika eller delvis utförs av samma operatör på barn och vuxna.

Konsekvenserna av att koncentrera vården är övervägande positiva. Det blir till exempel möjligt att utveckla kunskap och forskning på ett mer strukturerat sätt än idag. Alla patienter med OI kommer att få minst en bedömning vid en nationell högspecialiserad vårdenhet och en vårdplan, vilket kommer att utveckla vården även på patienternas hemorter. Dessutom kommer patientsäkerheten öka och samhällskostnaderna troligtvis att minska när bedömningen av frakturer på långa rörben koncentreras till en enhet.

Vidare bedöms akutsjukvården inte påverkas nämnvärt av en koncentration. Patienter med akuta frakturer kommer ofta att kunna behandlas på hemorten, med råd från en nationell högspecialiserad vårdenhet.

Sakkunniggruppen bedömer att en koncentration av föreslagen vård inte kommer att orsaka undanträngningseffekter i någon större omfattning på omkringliggande områden.

# Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

## **Genetisk diagnostik och bedömning**

- Genetisk diagnostik/utredning vid misstänkt OI (utan känd ärftlig förändring)
- En första bedömning av patienter med OI-diagnos (oavsett ålder)
- Vid misstanke om OI intrauterint ska nationell högspecialiserad vårdenhet (NHVe) konsulteras
- Vid misstanke om OI vid födsel ska skelettröntgenbilder av nyfödd bedömas av NHVe

## **Läkemedelsbehandling**

- Barn med OI och vuxna med OI typ III, klinisk bild som vid typ III och svårare former av OI typ IV som bedömts av NHVe vara i behov av läkemedelsbehandling skall behandlas och följas upp enligt instruktion från NHVe.

## **Ortopediska ingrepp**

- All elektiv ortopedisk kirurgi som syftar till att förebygga frakturer eller korrigera/förebygga felställningar i rygg och rörben hos barn med OI och vuxna med OI typ III, klinisk bild som vid typ III och svårare former av OI typ IV, ska utföras vid NHVe.
- Alla frakturer av långa rörben och rygg hos barn med OI och vuxna med OI typ III, klinisk bild som vid typ III och svårare former av OI typ IV, ska bedömas av NHVe för beslut om var och hur frakturen ska behandlas.

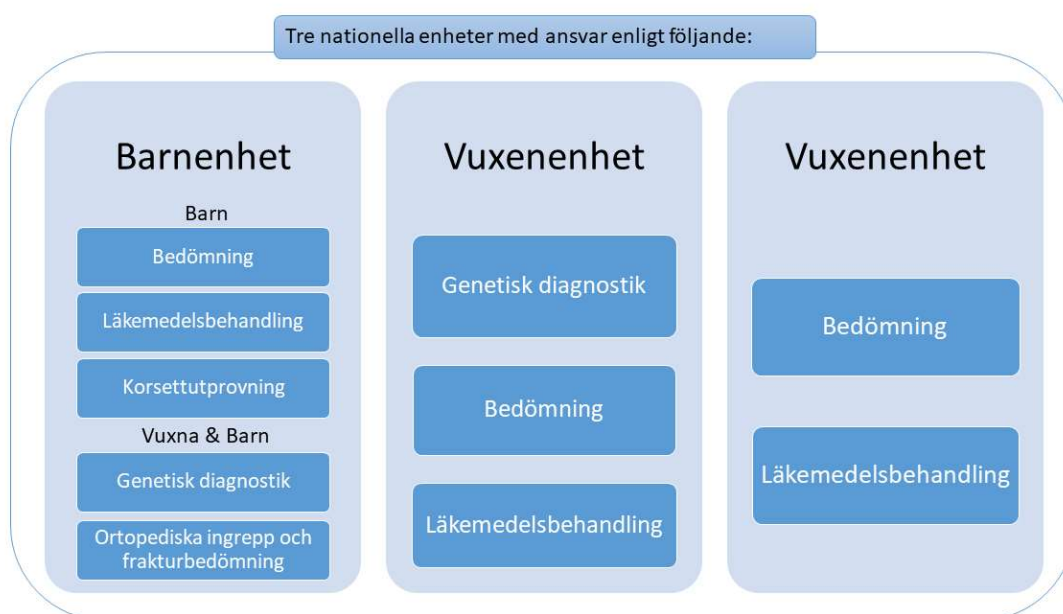
## **Korsettutprovning**

- Ställningstagande till och utprovning av korsett för barn

## Antal enheter

Vården i ovanstående definition ska utföras på tre NHVe enligt uppdelning nedan (Fig. 1).

- Vård av barn ska koncentreras till en enhet (barnenhet). Denna enhet ska även utföra alla ortopediska ingrepp på vuxna inom definitionen.
- Den genetiska diagnostiken ska utföras vid två NHVe, varav den ena ska vara samma enhet som ansvarar för barn med OI.
- Bedömningen av vuxna med OI och läkemedelsbehandling av vuxna med OI ska utföras vid två NHV-enheter (vuxnenheter). En av vuxnenheterna skulle kunna samlokaliseras med barnenheten.



Figur 1. Fördelning av ansvar på tre nationella enheter. En enhet ska ansvara för all vård av barn där även ortopedi och genetisk diagnostik av vuxna utförs. Bedömning och läkemedelsbehandling av vuxna ska koncentreras till två enheter varav en också ska utföra genetisk diagnostik.

## Avgränsningar

I Socialstyrelsens arbete att tillsammans med sakkunniggrupper (SKG) genomlysna vård som ska bedrivas som nationell högspecialiserad vård kan SKG också identifiera områden som bör nivåstruktureras inom varje sjukvårdsregion. Nedan följer de områden som SKG för OI identifierat:

1. Ultraljud hos foster där OI misstänks bör koncentreras på regional nivå
2. Förlossningar av barn som misstänkts ha OI bör koncentreras på regional nivå.

## Bakgrund

### Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

Osteogenesis imperfecta är en sällsynt medfödd bindvävssjukdom med stor variabilitet när det gäller svårighetsgrad och med symptom från många delar av kroppen. Incidensen är 1/10 000-20 000 nyfödda. Diagnosen är klinisk, inkluderande radiologi, men säkerställs med genetisk utredning. Nya sjukdomsorsakande varianter rapporteras kontinuerligt. För närvarande finns sjukdomsorsakande varianter i 18 olika gener beskrivna som orsak till OI där de vanligaste resulterar i nedsatt kollagenproduktion eller defekt kollagen. En för liten mängd kollagen, eller avvikande struktur och funktion på bildat kollagen, kan leda till flera olika symptom från bl.a. ben, senor, ledband och hud men även blodkärl och hjärtklaffar, lungor och ögats bindehinna. Vanligt är varierande grad av benskörhet med frakturer, skelettfelställningar och skelettmärtor samt överörlighet i leder. Komplikationer i hjärta och lungor förekommer vid OI och kan leda till ökad morbiditet och mortalitet. Hos cirka 25 % finner man blödnings- och koagulationsrubbningar. Andningssvikt är den vanligaste dödsorsaken och associerad fram för allt med thoraxdeformitet, där bröstkorgen blir för trång och andningsmuskulaturen därmed får sämre funktion. Eventuell skolios komprimerar ytterligare lungvolymen. Sammantaget leder detta till hypoventilation och även obstruktiv sömnapné. Cirka hälften får hörselnedsättning och det är vanligt med olika tandproblem där ca hälften har dentinogenesis imperfecta (DI), och det är ökad risk för bettstörningar och avsaknad av tandanlag. Vidare kan skelett- och ledbandsproblem leda till motorisk påverkan.

Sedan 1979 har OI delats in i 4 typer (typ I-IV) utifrån klinisk svårighetsgrad och röntgenfynd. Framsteg i genetisk diagnostik har lett till upptäckten av nya mer ovanliga mutationer i olika gener och en genetisk indelning i flera typer som oftast inte kliniskt kan särskiljas. Den svåraste formen av OI (typ II) är inte förenad med överlevnad på grund av extremt skört skelett och lunghypoplasi (underutvecklade lungor). Vid svår/medelsvår OI (typ III/typ IV) föds barnen med benbrott och/eller böjda extremiteter. Vid lindrig OI (typ I) ställs diagnosen ofta senare i barndomen eller vuxenlivet. Även vid de lindrigare formerna kan patienterna få problem med blåmärken, överböjliga leder, sköra missfärgade tänder, hörseln samt ögonen och deras ögonvitor kan vara blå vid lindrig OI.

Vid svårare form av OI ställs diagnosen oftast redan intrauterint via ultraljudundersökning eller tidigt efter födseln. Vid misstanke om OI remitteras den blivande modern till fostermedicin för vidare utredning med upprepade ultraljud och ibland lågdos CT med 3D rekonstruktion. Granskning av skelettnriktad specialist (genetiker, radiolog) är extremt värdefullt för diagnos och genetisk utredning görs ofta då eller vid födseln. Denna fostermedicinska bedömning anser sakkunniggruppen bör ske på regional nivå. Om medelsvår

eller svår OI-form konstaterats så förlöses barnet med kejsarsnitt och försiktigt handhavande. Redan inom första levnadsdygnet bör hela kroppen röntgas för att lokalisera frakturer så att dessa kan immobiliseras och adekvat smärtlindring ges. Bilderna bör bedömas av kunnig barnradiolog där även förekomst av suturben, basilär impression och kotkompressioner bedöms. I denna ålder läker frakturerna på ca en vecka.

### ***Genetisk diagnostik***

Diagnosen ställs genom att påvisa en eller två sjukdomsorsakande varianter med molekyलगenetisk testning i någon av de kända generna för OI. Ca 90 procent av dessa varianter finns i gener som kodar för kollagen. Sjukdomsbilden kan variera mellan individer med samma genvariant och även inom samma familj. Det vanligaste nedärvningsmönstret för OI är autosomt dominant, som t.ex. för de gener som kodar för kollagen, men det förekommer även autosomt recessiva former av OI. De svåraste formerna av OI orsakas i praktiken av de novo-varianter eller varianter nedärva från föräldrar eller en förälder som enbart bär mutationen i en del av sina könsceller.

Genetisk diagnostik utförs i diagnostiskt och prognostiskt syfte. Den utförs ofta med en så kallad OI/osteoporospanel som innehåller kända gener för OI. Det finns idag mer än 1500 kända sjukdomsorsakande varianter fördelade i 18 olika gener. Den genetiska diagnostiken kan vara komplex och ofta påvisas genetiska varianter vars betydelse noga måste värderas tillsammans med kliniska fynd. Resultatet av den genetiska analysen bör därför bedömas i ett multidisciplinärt team bestående av läkare med kunskap om OI, läkare specialiserade inom genetik, bioinformatiker, samt molekylärbiologer. Korrekt bedömning underlättas av att tolkningen utförs av laboratorier med erfarenhet av den genetiska analysen av gener kopplade till OI och av själva sjukdomen. Detta motiverar att den genetiska diagnostiken centraliseras till enheter där dessa kompetenser kan samlas. En svårighet med centralisering är de för närvarande relativt långa svarstiderna jämfört med de kommersiella laboratorierna. Detta, parat med att tekniska problem kan inträffa avseende instrument och bioinformatiska pipe-lines, motiverar att två NHVe för genetisk diagnostik inrättas för att minska sårbarheten. I de fall där det finns en genetiskt verifierad diagnos i slakten kan regionala enheter med DNA-prov bekräfta diagnos hos symptomatiska släktingar.

### ***Multidisciplinär bedömning***

Det är viktigt med multidisciplinär teamuppföljning framförallt under barndomen och med individualisering av lämpliga bedömningar och rekommendationer inklusive av intervallen mellan bedömningar. Patienter med OI ska bedömas avseende t.ex. bentäthet, felställningar, överörlighet, andning, koagulation, hörsel och tänder. Kunskap om hur symtombilden utvecklas över tid vid olika former av OI är mycket viktig för att kunna anpassa bedömningen utifrån aktuell problematik och därmed förebygga uppkomst av komplikationer utan att ha onödiga kontroller. Av denna anledning är det

viktigt att patienter, både barn och vuxna kommer till en enhet som har vana av att bedöma dessa patienter. Många kontrolleras idag på länssjukhus eller på regionsjukhus. Detta innebär att många patienter kan få sin behandling i sin hemregion och då aldrig träffa ett multidisciplinärt team inriktade på OI. Givet ovanligheten av sjukdomstillståndet är det vanligt att vuxna som har lindrig OI inte har någon behandlande läkare. Det finns ett OI-team för barn vid Karolinska Universitetssjukhuset i Solna. Det finns inget uttalat team för vuxna med OI men många remitteras till Akademiska sjukhuset i Uppsala.

### ***Läkemedelsbehandling***

Benskörheten som är karaktäristisk för OI kan behandlas (men ännu inte botas) med läkemedel som förhindrar bennedbrytning eller ökar nybildning av ben. Behandlingen av benskörhet hos vuxna och barn med OI bör koncentreras till experter på området av flera skäl.

Det finns ett antal läkemedel som hämmar nedbrytning av benmassan såsom bisfosfonater och RANKL-antikroppar (denosumab), och andra som ökar benmassan såsom paratyroideahormon (teriparatid) och sklerostinantikroppar (romosozumab). Dessa ger en effektiv reduktion av frakturincidens när det gäller vanlig benskörhet, osteoporos, hos kvinnor och män. Bisfosfonater är den mest använda behandlingen vid OI hos barn och leder till minskad smärta, förbättrad rörlighet, ökad bentäthet (bone mineral density, BMD) och minskning av benbrott och kan bromsa skoliosutveckling. Hos vuxna ses påverkan på bentäthet men effekten av bisfosfonater på frakturrisk hos vuxna är fortfarande omdebatterad. Även studier av teriparatid och denosumab har visat på en positiv effekt på bentäthet hos vuxna, men antalet randomiserade studier är mycket få. För barn är andra mediciner än bisfosfonater som används hos vuxna ännu bara testade i forskningsstudier eller har bedömts som olämpliga. En koncentration av dessa patienter skulle öka möjligheten att delta i multi-nationella läkemedelsstudier, vilket skulle kunna bidra till bättre och nya läkemedelsbehandlingar för både vuxna och barn med OI.

Indikationen för behandling och huruvida OI-patienter svarar på behandling skiljer sig markant från osteoporospatienter i övrigt. Erfarenhet av att bedöma patienter med OI är a och o om man ska förstå hur dessa patienter ska behandlas. Komplexiteten ligger inte bara i själva bentätheten utan framförallt i kvaliteten på benmatrix hos OI-patienter. Till exempel kan det vara aktuellt med bisfosfonatbehandling vid normal bentäthet hos OI-patienter med frakturer och det är inte heller säkert att läkemedelsbehandlingen minskar frakturincidensen hos OI-patienter. OI-patienter som står på bisfosfonatbehandling eller annan behandling som syftar till att öka benmassan måste dessutom följas mycket noga då en överbehandling kan leda till hypermineralisering och ökad frakturrisk. Enbart låg bentäthet utan symptom (smärta, kotkompressioner, flera frakturer) behöver oftast inte behandlas hos barn

men ska följas. För att kunna jämföra bentäthetens utveckling är det avgörande att upprepade mätningar görs på samma kvalitetskontrollerade utrustning varje gång med tillgång till åldersmatchade referensvärden.

Barn har svårt att svälja tabletter och kapslar och även vuxna med svår OI kan ha problem med detta. De bisfosfonater som finns i tablettform tas upp dåligt från mag-tarm-kanalen och har stark affinitet till slemhinnan i matstrupe och magsäck, vilket ökar risken för magkatarr eller magsår. På barn ges behandlingen därför som intravenöst dropp via inopererad intravenös port. Själva portsättningen kräver erfarenhet av barn med OI då det är komplicerat att söva dessa patienter som dessutom kan ha koagulationsrubbnings och mycket sköra kärl.

Läkemedelsbehandling med bisfosfonat ges numera till barn vid svår OI (typ III-fenotyp) redan från några månaders ålder och behandlingen fortsätter till avslutad längdtillväxt. Vid medelsvår form (typ IV-fenotyp) används läkemedelsbehandling vid multipla frakturer i långa rörben, kotkompressioner eller skelettsmärter och vid lindrigare typ (typ I-fenotyp) vid progredierande kotkompressioner, skelettsmärter eller täta frakturer.

Hos vuxna ges fortsatt behandling med benspecifika läkemedel om patienterna fortsätter drabbas av frakturer eller minskar signifikant i benmassa. Vid de svårare typerna av OI innebär detta ibland livslång behandling med läkemedel, där kunskap om OI och benmetabolism krävs för att veta om man kan göra uppehåll med behandling. För den oftast mildare OI typ I kan diagnosen ibland komma i vuxen ålder, och beroende på svårighetsgrad kan även typ 1 OI behöva behandling med benspecifika läkemedel både i barndom och i vuxenlivet, även om många kan ha många år som vuxna utan att behöva läkemedelsbehandling.

### ***Ortopedkirurgisk behandling med teleskoperande murgspikar***

Då skelettet hos OI patienter är svagt i förhållande till musklerna uppstår ofta felställningar i rörbenen i armar och ben. Dessa felställningar kan korrigeras med hjälp av upprätning av benet med teleskoperande spikar som förlängs av tillväxten hos barnets skelett. Uppkomna frakturer hos barn med OI kan också behandlas på detta sätt. Skelettet hos OI-patienter är ibland väldigt skört och kurverat och operationsmetoden med teleskoperande spikar kräver särskild operationsutrustning. Operationsmetodiken är i många fall olik annan ortopedkirurgisk teknik. Detta ställer stora krav på erfarenhet av själva ingreppet och en förståelse för när kirurgi är aktuellt för att uppnå ett gott resultat och undvika onödiga operationer. Vidare är förutsättningarna för omvårdnad, sövning och smärtlindring samt mobilisering alla komplexa vid OI med risk för t.ex. malign hypertermi vid narkos, vilket även det kräver stor vana och erfarenhet av patientgruppen.

Sedan 1990-talet har majoriteten av de OI-patienter som opererats för frakturer eller profylaktiska upprätningar och armering gjort detta på Karolinska Universitetssjukhuset i Stockholm där erfarenhet därmed kunnat byggas upp.

Det har också gjort att operationsmetoderna har utvecklats så som tidig profylaktisk upprättning och märgspikning med teleskoperande märgspik. Detta har bidragit till att det totala antalet operationer kunnat minskas, särskilt hos de yngre barnen som ju numera blir tidigt opererade profylaktiskt.

### ***Kirurgisk behandling av ryggdeformiteter***

Förekomsten av ryggdeformation hos patienter med OI är hög. Skoliosutveckling beror på OI-typ och har en stark koppling till benskörhet. Progressiva kurvor innebär balansförlust, progressiva bröstdeformiteter, smärta, nedsatt lungfunktion och kräver så småningom kirurgisk stabilisering, vanligtvis runt puberteten. Kirurgisk behandling av dessa deformiteter kan vara svår främst på grund av dålig benkvalitet och deformitetsstyvhet. Problem som ofta kan uppstå är att ben går sönder vid operation, att inlagda implantat går sönder och som följd av detta utebliven korrigerings. Tillkommande problematik är att brott på och glidning av kotkroppar i ländryggen är vanligare hos patienter med OI än i befolkningen i övrigt.

Nya operativa metoder och instrumentarium kan ge bättre stabilitet. För att kunna utveckla bättre operationsmetoder för deformiteter vid dessa sällsynta tillstånd behövs det en koncentration av patientgruppen. Ytterligare en anledning till att koncentrera dessa patienter är att det som ortopedkirurg vid sjukhus med litet befolkningsunderlag är svårt att hålla sig uppdaterad kring kirurgiska metoder och eftervård för denna förhållandevis lilla patientgrupp.

### ***Bedömning av frakturer***

Felaktig behandling av frakturer i rygg och långa rörben (arm och ben) kan leda till felställning med risk för funktionsnedsättning och ökad risk för flera frakturer. Om patienten immobiliseras längre än nödvändigt kan detta också förvärra benskörheten och öka risken för nya frakturer. Såväl själva kirurgin som följande immobilisering ställer därför höga krav på specifik kunskap om OI. Vid dessa typer av frakturer hos OI-patienter ska därför behandlande läkare på hemorten konsultera ansvarig ortoped på NHVe för råd kring hur och var (hemortssjukhus, regionsjukhus eller NHVe) frakturen bör behandlas.

### ***Korsettbehandling***

På grund av skelettets skörhet var korsettbehandling av ryggdeformiteter vid OI länge en omöjlighet. Med bisfosfonatbehandling och noggrann klinisk uppföljning är läget idag ett annat. För att behandlingen ska kunna genomföras framgångsrikt krävs förutom själva OI-teamet en ortopedingenjör med kunskap om OI hos barn och erfarenhet av korsettbehandling. Därför förordas att all korsettutprovning sker inom NHVe.

Genom att koncentrera ovanstående vårdåtgärder till NHVe kan alla med OI oavsett hemregion få tillgång till en expertbedömning av sina behov. Detta förmodas leda till att patienterna får ett bättre omhändertagande och i förlängningen färre frakturer och färre kirurgiska ingrepp inklusive färre fel-

aktiga sådana. En koncentration av dessa patienter skulle också öka möjligheten att kvalitetsutveckla vården. Det är en patientgrupp med en ovanlig sjukdom och utvecklingen av vården skulle gynnas av att vissa läkare och annan vårdpersonal skulle få träffa fler patienter med OI.

## Vårdvolymer

Sakkunniggruppen gör följande volymkattningar för vårdåtgärderna föreslagna att definieras som NHV. Genetiska utredningar vid misstanke om OI uppgår till högst ett hundratal årligen varav cirka en tredjedel utgörs av analys av anlagsbärare (omfattas ej av NHV-definitionen). Antal barn som kontinuerligt behandlas med läkemedel mot benskörhet vid OI uppgår till knappt 90 patienter per år och för vuxna är siffran ca: 100 per år men förväntas öka då fler barn med svår OI tack vare bättre diagnostik, behandling och uppföljning lever längre än tidigare.

Elektiva operationer med profylaktisk upprätning av felställningar (med teleskoperande spikar) görs på ca 5 barn per år (ungefär 10 operationer/år). Varje operation kan omfatta flera segment t.ex. lår- och underben eller över- och underarm i samma seans. Till dessa ingrepp kommer också spikbyten som är ungefär 5 operationer/år. Antal dylika elektiva ortopediska ingrepp hos vuxna är svårt att uppskatta men det rör sig otvivelaktigt om färre ingrepp än på barn. Likaså är antalet ryggoperationer på patienter med OI mycket få (max 1 per/år). Start av korsettbehandling är 1-3 barn/år ungefär.

Vid akuta frakturer hos patienter med OI ska NHVe konsulteras. Sakkunniggruppens uppskattning är att drygt 100 patienters (varav 5-10 vuxna) röntgenbilder kommer att behöva bedömas avseende handläggning på NHVe eller på annat sjukhus. Uppskattningsvis kommer ungefär 5-10 av dessa att behöva opereras vid NHVe.

Samtliga patienter med OI, som enligt definitionen av NHV ska få minst en bedömning av sina behov vid NHVe uppskattas till ca: 800-1000 patienter varav ca: 180 är barn (<18 år).

OI/benskörhetsteamet för barn vid Astrid Lindgrens barnsjukhus/Karolinska universitetssjukhuset bedömer barn från hela landet och har för närvarande 140 aktuella barn och ungdomar <18 års ålder med OI eller stark OI-misstanke.

## Forskning

Forskning rörande OI-patienter bedrivs i Sverige idag endast i Stockholm och Uppsala. Stockholm som har ett uppbyggt team kring barn och Uppsala som tar emot vuxna patienter med OI från hela landet samarbetar kring både grundforskning och klinisk forskning såsom uppföljning av bisfosfonatbehandling, mærgspikning och behandling med anpassade skor och fotbäddar mot överböjliga leder. Vidare studeras t.ex. också tandförändringar och bettutveckling hos barn med OI med och utan bisfosfonatbehandling. För att i

framtiden få förutsättningar att fortsätta bedriva en bra forskning och möjliggöra för fler patienter att vara med i studier är koncentration av vården önskvärd.

För närvarande finns inget kvalitetsregister för OI i Sverige. Det har funnit diskussioner om att starta ett kvalitetsregister för OI-patienter. Ryggkirurgiska operationer rapporteras till kvalitetsregistret Swespine. Att koncentrera vården skulle kunna bidra till utvecklingen av ett kvalitetsregister för OI-patienter.

## Internationell utblick

I våra nordiska grannländer har vården av OI-patienter koncentrerats till viss del, oftast på informell basis utifrån personligt intresse av kliniker och forskare och ibland mer formaliserat. I Norge görs bedömningar av OI-patienter i alla åldrar på ett ställe (Enhet under kompetenscentrum för sällsynta diagnoser) som också bistår med rådgivning, emedan all behandling sker vid universitetssjukhusen. Kirurgin är i stort koncentrerad till en nationell behandlingstjänst för medfödda deformiteter vid Oslo Universitetssjukhus. I Finland bedöms och behandlas i viss mån de flesta barn med svår OI i Helsingfors och vuxna och barn med lindrigare OI sköts oftast via universitetssjukhusen. Likaså i Danmark är det oftast universitetssjukhus som sköter patienter med OI. Klinisk genetik vid Rigshospitalet sörjer för genetiska utredningar och vid samma sjukhus sker teamuppföljning av vuxna och barn med OI. Teamuppföljning finns också vid universitetssjukhusen i Odense (vuxna) och Århus och till sistnämnda är också kirurgi på barn med OI koncentrerat.

I resten av Europa ser det lite olika ut men på många ställen har man koncentrerat både vården av barn och vuxna med OI. Det som skiljer länderna åt är hur mycket man valt att koncentrera. På vissa ställen endast den genetiska utredningen medan andra ställen har koncentrerat mer vård. Oaktat hur mycket av vården som länderna valt att koncentrera så finns mellan ett halvt och tre OI-center per 10 miljoner invånare i Frankrike, Nederländerna, England, Italien, Portugal och Polen emedan Tyskland endast har ett inofficiellt center i Köln och stor variation i hur vården är organiserad i olika Bundesländer.

## Framåtblick

### Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

Framtida NHVe ska kunna ta emot patienter enligt definitionen. De ska också kunna fungera som stöd för hemorten då patienten i de flesta fall kommer att vårdas på hemorten.

#### ***Genetisk diagnostik***

Alla patienter med misstänkt OI ska erbjudas genetisk diagnostik. Om det inte finns en känd sjukdomsorsakande variant i släkten skall analysen och tolkningen av provsvar ske vid NHVe. En molekylärgenetisk verifierad diagnos krävs för att kunna erbjuda prenataldiagnostik till de individer som löper risk för att få ett affekterat barn. Tidpunkten för genetisk vägledning där frågor om bl.a. familjebildning, ärftlighet och prenataldiagnostik lyfts bör helst ske innan en eventuell graviditet. Därför är det viktigt att denna vägledning erbjuds till alla unga vuxna individer med OI inklusive familjemedlemmar.

#### ***Funktionsbedömning***

Alla patienter med OI oavsett ålder ska beredas möjlighet att komma till en NHVe och då få en vårdplan med sig hem där det ska framgå vilken vård som planeras samt hur, var och när vården ska följas upp. Det viktigaste vid detta besök är att tidigt kunna komma in med rätt behandling till patienten och att föräldrar/ äldre nydiagnostiserad patient får individanpassad information om OI och alla dess aspekter.

Vad gäller barn med OI så görs efter remiss från hemorten en individualiserad vårdplanering vid NHVe. Därefter vidtar (koordinerat av barnsjuksköterska och barnsköterska) en multiprofessionell teambedömning (i dagvård). Barnläkare bedömer helhetsbilden inkluderande svårighetsgrad och kartlägger symptom från olika vävnader och organ och gör en prognos beroende på samsjuklighet och bedömer behovet av vidare utredning och medicinering. Barnfysioterapeut bedömer ledrörlighet, fotställning, förflyttningsförmåga etc. med standardiserade instrument, samt patientens behov av fotbäddar, ortoser etc. Barnarbetsterapeut bedömer funktionsförmåga och finmotorisk utvecklingsnivå samt bedömer hjälpmedelsbehov och förslag på optimering av befintliga hjälpmedel. Utifrån barnets ålder och svårighetsgrad planeras tillsammans med barnortoped utredningar med skelettradiologi (alternativt demonstration av länkade bilder från hemorten) samt bentäthetsmätning. Efter OI-röntgenrund sker OI-teamsrund inkluderande ortopedingenjör. Efter vård-

tillfället skrivs en sammanfattning (epikris) från vårdtillfället och samtliga utlåtanden från respektive yrkeskategori skickas med tillsammans med teamets rekommendationer för fortsatt behandling inklusive uppföljning och kontroller (samt på vilken vårdnivå).

För vuxna som diagnosticeras med OI görs på samma sätt som för barn efter remiss från hemorten en individualiserad vårdplanering vid NHVe. Därefter vidtar (koordinerat av sköterska) vid behov en multiprofessionell teambedömning i dagvård, medan det vid mildare fall oftast räcker med läkarbesök för att utarbeta vårdplaneringen inklusive behandlings- och uppföljningsrekommendationer.

En NHVe ska vara behjälplig vid tandproblem hos både barn och vuxna där en tidig specialistbedömning är väsentlig för att diagnosticera t.ex. DI och avsaknad av tandanlag samt förhindra nedslitning av tänder, undvika felbehandlingar och försämrad tandhälsa resten av livet.

En NHVe ska också kunna vara behjälplig eller ge rådgivning om andningsproblematik hos OI-patienter. Symtom på andningssvikt kommer ofta smygande och det rekommenderas att man regelbundet använder strukturerade frågor för att upptäcka symtom på sömnapné/hypoventilation. För att bromsa morbiditet kopplat till andningssvikt ska patienter med ökad risk för nattlig sömnapné/hypoventilation genomgå nattlig andningsregistrering/polsomnografi. Utredning och insättning/uppföljning av icke-invasiv ventilationsbehandling kan göras lokalt i samråd med NHVe hos vårdgivare som har erfarenhet av detta hos barn respektive vuxna.

Ett högspecialiserat omhändertagande och individualiserad information ökar såväl familjens som hemteamets (habilitering etc.) trygghet. Tidig information och bedömning kan hindra uppkomst av felställningar och funktionsnedsättningar till följd av dessa. Detta ger säkrare och mer kostnadseffektiv vård och onödiga/felaktiga behandlingar kan undvikas.

### **Behandling**

Utprovning, behandling och uppföljning av korsettbehandling sker av ortoped och ortopedingenjör vid NHVe. Likaså läkemedelsbehandling ska efter initial bedömning sättas in via NHVe, vid behov via intravenös port. Därefter kan fortsatt behandling ske på hemorten men monitoreras via NHVe. NHVe ska säkerställa att uppföljning av läkemedelsbehandling med bentätthetsmätning utförs på ett korrekt sätt.

Barn med OI ska utifrån individuella behov bedömas ur ortopedisk synvinkel för ställningstagande till profylaktisk och/eller korrigerande kirurgi som utförs vid NHVe. Postoperativt omhändertagande och årliga kontroller (eller annat intervall bestämt av barnortoped vid NHVe) med klinisk bedömning och röntgen ska också göras på NHVe. Vid eventuella problem med teleskoperande mörkspikar hos barn och vuxna skall NHVe konsulteras. Rehabilitering efter kirurgi ska ske på hemorten men vid behov ska detta kunna ske vid NHVe.

Vid akuta frakturer ska NHVe konsulteras, för bedömning av huruvida en operation kan ske på hemort eller vid NHVe. Konsultationen kan ske via telefon efter länkning av röntgenbilder och planen dokumenteras i journaltext på både NHVe och hemklinik. I de fall operation utförs på NHVe sker även det postoperativa omhändertagandet vid NHVe men oftast kan patientens rehabilitering och frakturuppföljning ske på hemorten.

Det mjuka skelettet vid OI kan i sällsynta fall ge en inbuktning av skallbasen med en förskjutning uppåt av halsryggraden (basilär impression, BI) som följd. Detta kan vara ett stationärt eller ett progressivt tillstånd med risk för allvarliga neurologiska konsekvenser såsom exempelvis problem med tal, sväljning, andningspåverkan och handfunktion. Kirurgisk dekomprimering av hjärnstammen kan krävas, inte bara för att stoppa sjukdomens progression utan även för ett hållbart långsiktigt och funktionellt resultat. NHVe måste kunna identifiera BI vid OI och veta när och var de ska konsultera neurokirurgisk kompetens för ytterligare bedömning och eventuell operation. Denna kompetens måste inte nödvändigtvis finnas i Sverige.

### ***Överföring mellan barn- och vuxenvård***

En standardiserad överföring från barn-NHVe till vuxen-NHVe skall säkras, där patientens uppföljnings- och behandlingsplan uppdateras i samråd med vuxen-NHVe. Där så är befogat och möjligt kan samordnade avslutande besök på barn-NHVe med deltagare från vuxen-NHVe genomföras. Uppföljnings- och behandlingsplanen skall också kommuniceras med relevanta mottagare på barnklinik och vuxenklinik på patientens hemortssjukhus, och i fallet vuxna patienter bör universitetssjukhusens osteoporosmottagningar involveras.

Kvinnor med OI som planerar för framtida graviditet skall erbjudas rådgivning och uppföljning via NHVe, eftersom en graviditet och amning innebär risker för modern, och eftersom även fostermedicinska aspekter behöver tas med i bedömningen.

### ***Vårdprogram, forskning och utbildning***

NHVe ska tillsammans utarbeta ett nationellt vårdprogram som bland annat bör ta upp rutiner för screening av lungfunktion, rutiner för överföring till hemort och rutiner kring gipsbehandling.

Att koncentrera vården för OI-patienter ger en kritisk möjlighet att bedriva forskning både på grundforskningsplanet för att karakterisera ovanliga former av OI, och för att optimera omhändertagande och uppföljning av patienter och studera behandlingseffekter.

## 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.

<b>Kompetens och resurser</b>	
Kritisk medicinsk kompetens (läkare)	<p><i>Enheter som bedriver vård för vuxna</i></p> <p><b>Specialistläkare med erfarenhet av arbete med patienter med OI. t.ex.</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Endokrinolog, ortoped, geriatriker, reumatolog</li> </ul> <p><i>Enhet som bedriver vård för barn</i></p> <p><b>Specialistläkare med erfarenhet av arbete med patienter med OI. t.ex.</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Barnläkare med specialisering inom neurologi eller endokrinologi</li> </ul> <p><i>Enhet som utför ortopediska ingrepp</i></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Barnkirurg</li> <li>• Ortoped med barnerfarenhet och erfarenhet av ingrepp med teleskoperande spikar</li> <li>• Barnradiolog med skelettkompetens</li> <li>• Anestesiolog med erfarenhet av att söva barn</li> <li>• Barnkirurg med erfarenhet av intravenös portoperation</li> </ul> <p><i>Enheter som bedriver genetisk diagnostik</i></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Kliniska genetiker</li> <li>• Genetisk vägledare</li> </ul>
Andra typer av kompetens (t.ex. specialkompetent sjuksköterska, kurator, psykolog, fysioterapeut)	<p><b>Nedanstående gäller om inte annat anges både enhet som bedriver vård för barn och enheter som bedriver vård för vuxna. Följande ska ha kunskap och erfarenhet av arbete med patienter med OI</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Arbetsterapeut</li> <li>• Fysioterapeut</li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Ortopedteknisk ingenjör</li> <li>• Koordinator</li> <li>• Administratör för uppföljning och rapportering</li> <li>• Sjuksköterska</li> <li>• Barnsköterska</li> </ul>
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Kvalitetssäkrad bentätthetsmätare (för barnenhet med apparat som kan användas även vid patientvikt &lt; 10 kg) med åldersmatchade referensvärden (finns f.n. från 3 års ålder).</li> </ul> <p><i>Enhet som utför ortopediska ingrepp</i></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• O-arm vid ryggkirurgi</li> <li>• Utrustning för att elektroniskt kunna ta emot och bedöma röntgenbilder från alla Sveriges regioner</li> </ul>
Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Tillgång till ortopedteknik med vana att hantera patienter med OI.</li> <li>• Specialisttandvård med möjlighet att bedöma och genomföra käkkirurgiska interventioner</li> <li>• Anestesiavdelning</li> <li>• Lungläkare</li> <li>• Kardiolog</li> <li>• Koagulationskonsult</li> <li>• Neurokirurgkonsult</li> </ul>
Kritiska diagnostiska metoder	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Möjlighet att genomföra nattliga andningsregistreringar samt tolka dessa</li> <li>• Möjlighet att kliniskt diagnosticera patienter med påverkad andning (nedsatt bröstkorgsrörlighet, påverkad lungfunktion, symptom på nattlig andningsförsämring)</li> </ul> <p><i>Enheter som utför genetisk diagnostik</i></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Tolka helgenom/helexomanalyser</li> </ul>
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Kompetens för bedömning av basilär impression och möjlighet att bedöma om patienten behöver behandling och i så fall var denna ska utföras</li> <li>• Kunskap om benförlängning och möjlighet att bedöma om patienten behöver behandling och i så fall var denna ska utföras</li> </ul>
Rehabilitering (särskilt anpassad till behovet)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Möjlighet till postoperativ kortvarig rehabilitering efter komplicerade ortopediska operationer vid komplexa fall</li> </ul>

Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	<ul style="list-style-type: none"><li>• Patienter som bedömts på NHVe ska ha en vårdplan med sig tillbaka till hemortssjukhuset.</li><li>• NHVe ska tillsammans utarbeta ett nationellt vårdprogram för OI patienter. Detta ska utformas tillsammans av de som bedriver vård för barn och vuxna.</li><li>• Överrapportering till hemortssjukhus i anslutning till patientens vårdtillfälle ska säkerställas av NHVe.</li><li>• NHVe ska mäta patientens upplevelse av vården.</li><li>• NHVe ska ta fram hemsida med patient- och professionsinriktad information.</li><li>• NHVe ska bedriva aktiv forskning inom området.</li></ul>
--	---

## 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	
<p>Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)</p> <p>Överväger möjligheten och tillgången till NHVe nackdelen med ökat avstånd/resor?</p>	<p>Koncentration av vård av patienter med OI enligt definitionen i detta dokument förväntas ge:</p> <p>ökad tydlighet kring remittering till NHVe och mer jämlik vård oavsett var man bor i landet</p> <p>rätt och tidigt omhändertagande, vilket leder till</p> <p>färre deformationer och komplikationer hos patienterna vilket ger chans till längre liv och ökad livskvalitet.</p> <p>Patienter kommer behöva resa längre för att få denna vård. Många patienter och anhöriga tycker att de kan resa för att få bra vård.</p> <p>Ett fåtal patienter kommer att tycka att det är besvärligt att resa.</p>
<p>Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring</p> <p>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?</p>	<p>Eftersom patienten kommer att skötas till stor del lokalt, ibland med instruktion från NHVe, kommer inte kunskapen att minska där den högspecialiserade vården av OI inte bedrivs.</p> <p>Snarare kommer kunskapen att öka lokalt när alla patienter får en vårdplan med sig hem.</p>

	<p>En koncentration av denna vård förväntas inte påverka utbildning i någon större omfattning då det rör sig om en mycket begränsad patientgrupp.</p> <p>En koncentration kan ge bättre möjlighet att hålla utbildningar vid NHVe för remitterter.</p>
<p>Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?</p>	<p>Förbättrad möjlighet att bedriva forskning när det blir mer formaliserat vilka enheter som bedriver vården.</p> <p>Lättare att bedriva även kliniska prövningar.</p> <p>Lättare med kliniska förbättringsarbeten.</p>
<p>Påverkan på närliggande områden</p> <p>Är det något som trängs undan om detta område blir NHVe?</p>	<p>Givet antalet föreslagna NHVe kan SKG inte se att den till en början ökade mängden patienter som ska bedömas kommer att tränga undan andra patientkategorier.</p>
<p>Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.</p> <p>Blir en ökad volym en ökad belastning för akutsjukvården på NHVe?</p> <p>Beskriv också konsekvenserna för akutverksamheterna om denna vård försvinner från sjukhusen.</p>	<p>En koncentration förväntas i princip inte påverka akutsjukvården varken hos inremitterande enhet eller vid NHVe.</p> <p>Några få patienter kommer att behöva transporteras akut till NHVe (kirurgiska ingrepp).</p>
<p>Påverkan på vårdkedjan</p> <p>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?</p>	<p>Givet att patientvolymen är mycket begränsad förväntas inte vårdkedjan påverkas nämnvärt jämfört med hur det är idag.</p>
<p>Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)</p> <p>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.</p> <p>Behöver vårdgivaren investera i något som inte finns idag? Medför det ökade kostnader att ansvara för NHVe? Observera att samverkan mellan tillståndsinnehavare och remitterter regleras i föreskrifterna.</p>	<p>Tillståndsinnehavarna kommer att behöva investera för att den personal som ska bedriva denna verksamhet ska vara i framkant.</p> <p>Relativt många patienter kommer att behöva få bedömning vid NHVe när dessa startar upp sin verksamhet. Detta kommer att medföra att dessa bedömningar kanske inte kommer att kunna utföras inom 90 dagar (vårdgarantin).</p>
<p>Eventuella konsekvenser för sjuktransporter</p> <p>Är patienterna i behov av särskilda sjuktransporter? Akuta eller planerade?</p>	<p>Några få patienter kommer att behöva transporteras akut till NHVe (kirurgiska ingrepp).</p> <p>De flesta patienter som kommer för bedömning kommer att kunna åka vanliga transporter.</p>

	De flesta åker redan idag för att träffa sin läkare.
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner  Finns det anledning att tro att vårdvolymer 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.	Överlevnaden hos patientgruppen förväntas öka och det kan medföra att det blir fler att bedöma.  I framtiden är det dock möjligt att förekomsten av allvarliga former av OI minskar till följd av en aktiv fosterdiagnostik.  Inflyttningen till Sverige är större än tidigare och skulle kunna göra att förekomsten ökade något.
<b>Övriga kommentarer:</b>	

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

### Förslag på uppföljningsmått

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Totalt antal patienter uppdelat på barn/vuxna, kön och hemregion Profylaktisk ortopedisk kirurgi antal patienter, antal spikar Antal nybesök inkl. ålder hos nya patienter Antal bedömningar på NHVe Antal telefonkonsultationer Akuta bedömningar av frakturer på distans Akuta operationer Hur många molekylärgenetiska utredningar utförs Läkemedelsbehandling, barn, vuxna uppdelat på diagnos/svårighetsgrad
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss till NHV till bedömning vid NHV Tid från provtagning till svar på genetisk analys Tid till kirurgi efter beslut om elektiv kirurgi Tid till korsettutprovning från beslut om korsett
Medicinska resultat	Vid operation med teleskoperande spikar: Komplikationer t. ex. -infektion -reoperation -spikar som ej teleskoperar Barn och vuxna OI Typ 3 och OI Typ 4 med läkemedelsbehandling som följs upp via NHVe: patient/föräldra-rapporterade frakturer Bentäthetsmätning de senaste fem åren

## Referenser

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

## Deltagare i sakkunniggrupp

Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Eva Åström barnläkare och specialist i barnneurologi och habilitering

Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Henrik Wehtje specialist i barnkirurgi och ortopedi med inriktning barnortopedi

Sydöstra sjukvårdsregionen: Piotr Michno specialist i ortopedi med inriktning barnortopedi

Norra sjukvårdsregionen: Erik Hedström specialist i ortopedi med inriktning barnortopedi

Södra sjukvårdsregionen: Christine Hansen specialist i barnmedicin med inriktning mot lungsjukdomar

Västra sjukvårdsregionen: Sofia Thunström specialist i klinisk genetik

Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Andreas Kindmark specialist i endokrinologi och internmedicin

Patientföreträdare: Therese Rudolfsson OI-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  
neuromuskulära sjukdomar  
som nationell  
högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för neuromuskulära sjukdomar 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 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
Bakgrund .....	9
Framåtblick .....	13
Förslag till särskilda villkor .....	17
Konsekvenser av rekommendationen .....	19
Uppföljning och utvärdering .....	23
Referenser .....	24
Deltagare i sakkunniggrupp .....	25
Om nationell högspecialiserad vård .....	26

## Ordlista

ADL	Aktiviteter i dagliga livet
ALS	Amyotrofisk lateral skleros
CMT	Charcot Marie Tooth
CIDP	Kronisk demyeliniserande polyneuropati
EMG	Elektromyografi
FAP	Familjär amyloidos med polyneuropati
ICD	Implantable cardioverter defibrillator
IVIg	Intravenöst immunoglobulin
MG	Myasthenia gravis
MDK	Multidisciplinär konferens
MMN	Multifokal motorisk neuropati
MR	Magnetisk resonanstomografi
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
NMiS	Kvalitetsregistret neuromuskulära sjukdomar i Sverige
NT-rådet	Rådet för nya terapier
PEG	Perkutan endoskopisk gastrostomi
PSG	Polysomnografi
SMA	Spinal muskelatrofi
UL	Ultraljud
WES	Whole exome sequencing (helexomsekvensering)
WGS	Whole genome sequencing (helgenomsekvensering)

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet neuromuskulära sjukdomar att det som framgår av tabellen nedan ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra enheter. Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art, kräva en viss volym och multidisciplinär kompetens för optimalt omhändertagande av patientgruppen.

Vården är multidisciplinär då neurolog, neurofysiolog, patolog och klinisk genetiker ofta behöver samarbeta för att ställa diagnos. Därutöver behövs ofta en helhetsbedömning av patientbehov tillsammans med bland annat kardiolog och lungläkare samt habiliterings- eller rehabiliteringsläkare, fysioterapeut och arbetsterapeut.

Antalet aktuella patienter är begränsat: cirka 6 000–7 000 patienter per år, med heterogen sjukdomsbild och mycket varierande vårdbehov. Därmed är det svårt för vårdpersonalen att tillägna sig tillräcklig kompetens och för huvudmännen att prioritera patientgruppen. Sakkunniggruppen bedömer att det idag finns en underdiagnostik, en underbehandling och brister i uppföljningen vilket gör vården ojämlig i landet. Antalet diagnostiserade patienter och därmed vårdbehovet bedöms öka, i och med ökad migration och bättre diagnostik, inklusive tidig upptäckt av andnings- och hjärtproblem. Förbättrade behandlingsmöjligheter med sjukdomsmodifierande läkemedel har gett en ökad överlevnad i patientgruppen och diagnoser som tidigare endast sågs inom barnsjukvården behandlas nu också inom vuxensjukvården. Med hänsyn tagen till vårdens resurser, tillgänglighet och framtida patientvolym föreslår sakkunniggruppen fyra nationellt högspecialiserade vårdenheter. En koncentration av vården, där barn och vuxna behandlas inom samma enheter, skulle öka kunskapsöverföringen mellan barn- och vuxensjukvård.

Konsekvenserna av att koncentrera vården är övervägande positiva för patienterna och professionen. Snabbare och fler korrekta diagnoser ökar både patientsäkerhet och vårdkvalitet. Dessa fördelar överväger nackdelarna med längre avstånd och resor. En koncentration av vården av ovanliga diagnoser förväntas också förbättra kunskapsutvecklingen.

Akutsjukvården kommer dessutom belastas mindre eftersom patienterna kommer att behöva mindre akutsjukvård om deras hjärt- och lungproblematik bättre följs upp och behandlas.

Omkringliggande vårdområden kan dock påverkas när fler patienter får vård vid en nationell högspecialiserad vårdenhet. Framför allt gäller detta diagnostik och utredning av andra patientgrupper som också behöver till exempel ultraljud av hjärtat, långtids-elektrokardiografi och andningsutredningar. Denna påverkan bedöms bli som störst i början, när alla med någon av de neuromuskulära sjukdomarna inom definitionen får rätt till en bedömning vid en nationell högspecialiserad vårdenhet.

# Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Patientgrupp	Avgränsning	Vårdåtgärder
Personer med misstanke om neuromuskulär sjukdom*		1. Muskelbiopsidiagnostik (patologiutredning)
Personer med misstanke om neuromuskulär sjukdom*, där diagnos inte kunnat fastställas		2. Bedömning och fortsatt diagnostisk utredning på NHV
Personer med misstanke om neuromuskulär sjukdom*	Exklusive sjukdomar som listas under avgränsningar**	3. Tolkning av helgenom/helexom sekvensering (WGS/WES) i samband med utredning
Personer med neuromuskulär sjukdom*	Exklusive sjukdomar som listas under avgränsningar**	4. Bedömning och ställningstagande till, samt uppföljning av genetisk och andra sjukdomsmodifierande behandlingar som t.ex. enzym-substitution och stamcellsbehandling
Personer med neuromuskulär sjukdom*	Exklusive sjukdomar som listas under avgränsningar**	5. Bedömning minst en gång vid NHVe samt uppföljning enligt plan från NHVe.

\* med neuromuskulär sjukdom avses här sjukdomar med primär sjukdomsprocess i någon del av den motoriska enheten: i framhornscellerna, i perifer nervtråd, i ändplattan eller i själva muskeln. Utöver detta gäller definitionen även personer med den cerebellära sjukdomen Friedrich ataxi.

\*\* följande sjukdomar exkluderas från definitionen: Polyneuropatier; Immunologiskt medierade neuromuskulära överledningsrubbingar; Ärftlig eller sporadisk amyotrofisk lateral skleros (ALS); Inflammatoriska muskelsjukdomar (myositer). Se även under rubriken *Avgränsningar*.

**Antal enheter**  
Fyra NHV-enheter.

## Avgränsningar

För vårdåtgärderna 3-5 i definitionen undantas sjukdomar som har hög prevalens och/eller där det redan finns god och etablerad diagnostik, behandling och uppföljning. Dessa är följande:

- *Polyneuropatier*: Detta är en stor grupp ärftliga eller förvärvade sjukdomar där majoriteten av patienter har lindrigare besvär och sällan komplexa behov. Kompetensen för utredning och omhändertagande av patientgruppen bedöms i stort sett vara tillgodosedd regionalt.
- *Immunologiskt medierade neuromuskulära överledningsrubbingar (t.ex. autoimmun myasthenia gravis och Lambert Eaton)*: Kompetensen för utredning och omhändertagande av patientgruppen bedöms i huvudsak vara tillgodosedd vid de flesta neurologienheter vid länsjukhus och vid alla universitetssjukhus. Komplexa behov är för patienterna relativt ovanliga och då oftast kortvariga.
- *Ärftlig eller sporadisk amyotrofisk lateral skleros (ALS) (inkluderande progressiv spinal muskelatrofi och primär lateral skleros)*: Denna grupp bör följas av team för motorneuronsjukdom/ALS vid varje sjukhus.
- *Inflammatoriska muskelsjukdomar (myositer)*: Huvudansvaret för dessa patienter ligger, ibland med undantag av inklusionskroppsmyosit, på reumatologkliniker. Emellertid initieras ofta utredningen av neurologer, och muskelpatologilaboratorier har en avgörande roll i diagnostiken av myositer.

## Regional nivåstrukturering

Följande vård av patienter inom definitionen har varit uppe för diskussion i sakkunniggruppen men bedömts bäst koncentreras inom varje sjukvårdsregion:

1. Bedömning inför, samt utförande av större operativa ortopediska ingrepp såsom komplexa sen/muskel- och skelett-ingrepp (t.ex. sen-transposition, bäckenosteotomi och skoliosingrepp).
2. Behov av högspecialiserad vård kopplad till graviditet hos patienter med neuromuskulära sjukdomar.

## Bakgrund

Neuromuskulära sjukdomar utgör en heterogen grupp av neurologiska sjukdomar som innefattar minst 600 olika diagnoser. Många sjukdomar är mycket ovanliga, men vissa har en något högre prevalens. Sjukdomarna kan vara medfödda eller debutera senare under livet och i vissa fall har sjukdomen ett fortskridande förlopp, i andra fall är tillståndet stationärt. Muskel-sjukdomarna leder till nedsatt rörelseförmåga, påverkan på aktiviteter i dagliga livet (ADL), och är en av de vanligaste orsakerna till betydande funktionsnedsättning före 50 års ålder. Andningssvikt och hjärtsjukdom är ofta orsak till för tidig död. Den primära sjukdomsprocessen, som ofta är genetiskt orsakad, finns i någon del av den motoriska enheten dvs. i framhornscellerna, i perifer nervtråd, i förbindelsen mellan de motoriska nerverna och muskeln, eller i själva muskeln.

Utredningar av neuromuskulära sjukdomar tar ofta mycket lång tid. Orsakerna är att det rör sig om sällsynta sjukdomar där det är svårt att ställa diagnos mer än på sjukdomsgruppsnivå. Avsaknad av diagnos försvårar sociala kontakter såväl som kontakter med t.ex. myndigheter, skola, vård och omsorg. Kunskapen om dessa sjukdomar ökar dock och tidigare okända sjukdomar är nu beskrivna tack vare förfinade diagnostiska metoder. Genetisk diagnostik möjliggör genetisk rådgivning, presymtomatisk testning av anhöriga och av foster, och ger möjligheter till tidig intervention.

Med undantag för vissa av de förvärvade sjukdomarna är det inte möjligt att med läkemedel effektivt behandla eller bota flertalet av sjukdomarna. Eftersom specifik behandling ofta har saknats så har det inte heller prioriterats högt inom sjukvården. Vid vissa sjukdomar finns nu tidig orsaksinriktad behandling, t.ex. genterapi eller genmodifierande behandling och enzymsubstitution som bedöms öka i en nära framtid. Vid många sjukdomar där orsaksinriktad behandling saknas har sjukdomsspecifik symtomatisk behandling, riktade screeningundersökningar, andningsstödjande behandling och träningsprogram stor effekt på både livskvalitet och livslängd för patienterna. Genom uppföljning av t.ex. hjärt- och andning/lungfunktion kan många komplikationer förhindras och associerade sjukdomstillstånd upptäckas tidigt. Grunden för detta är ofta en korrekt diagnos. Det är därför av största vikt att patienter tidigt bedöms vid enheter med tillräcklig kompetens om varje sjukdom och lämpliga utredningsmöjligheter.

Idag bedrivs vård av patienter med neuromuskulär sjukdom vid både läns- och regionsjukhus. Två enheter bedriver högspecialiserad vård för barn med neuromuskulära sjukdomar i Sverige, Stockholm och Göteborg.

## Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

### *Initial bedömning*

Muskelsjukdomar är mycket varierande i symtomdebut, symtombild och symtomprogression. Det vanligaste symtomet är muskelsvaghet som ibland

varierar över tid. Alla med misstänkt neuromuskulär sjukdom bör undersökas vid klinik med tillgång till specialistläkare i neurologi (barn eller vuxen). En påtaglig svårighet med att diagnosticera neuromuskulära sjukdomar utgörs av att symtomen är svårbedömda och i vissa fall är utredningsvägen styrd av annat än svaghet i extremiteter/bål, t.ex. av sväljproblematik (via öron-näsahals), hjärtsjukdom (kardiologi), kontrakturer, kavusfot, skolios (ortopedi), eller andningssvikt (lungmedicin). I vissa fall aktualiseras patienten via klinisk genetik (men då typiskt med en identifierad genetisk variant som bakgrund). För barn försvåras bedömningen av motoriken ytterligare av den naturliga utvecklingen – en till synes försenad motorisk utveckling kan egentligen vara en progressiv sjukdom med tilltagande svaghet. Symtom under nyföddhetsperioden kräver särskilda diagnostiska insatser som är omfattande och måste ske skyndsamt.

Om basal neurologisk undersökning inte kan fastställa diagnos och misstanke om neuromuskulär sjukdom kvarstår, remitteras patient ofta till region sjukhus. Medvetenheten och kunskapen om neuromuskulära sjukdomar är emellertid otillräcklig, ojämnt fördelad över landet och det råder dessutom stor brist på neurologer och i synnerhet barnneurologer.

Bristen på specialister med neuromuskulär kompetens medför att vården fördröjs eller uteblir för många patienter. Därför bör patienter med misstanke om neuromuskulär sjukdom där diagnos inte kunnat fastställas remitteras till NHVe med särskild kompetens och erfarenhet av neuromuskulära sjukdomar.

### *Muskelbiopsidiagnostik*

Preparation och analys av muskelbiopsi är komplex och utgör en viktig del i diagnostiken då den kan identifiera sjukdomsspecifika förändringar eller klassificera undergrupp av muskelsjukdom. Den kan också fastställa sjukdomspåverkan på proteinnivå och användas för utvärdering av behandlingar vid t.ex. Duchenne och metabola myopatier. Muskelbiopsitagning är också ofta indicerad vid ett flertal andra sjukdomar som drabbar muskler i skiftande grad (t.ex. mitokondriesjukdomar, inlagringssjukdomar, andra metabola sjukdomar, oklara kardiomyopatier och vaskulit) och är därmed ett viktigt verktyg för differentialdiagnostik. Utifrån frågeställning är metodvalet mycket viktigt för resultatet där fryssnittning ofta är att föredra, eftersom det möjliggör histokemiska undersökningar av muskeln, men paraffinbäddning och elektronmikroskopi måste också finnas till hands. För att kunna göra en kvalitativt bra bedömning av muskelbiopsin krävs många års subspecialisering inom muskelpatologi, vilket idag både neurologer och patologer uppnår genom främst upplärning hos erfaren muskelpatolog. Eftersom en sammanvägd bedömning ofta är viktig är ett nära samarbete mellan kliniker och muskelpatolog angeläget. Därför bör muskelbiopsidiagnostik ske på enhet där man har särskild kompetens inom området och där etablerade metoder för muskeldiagnostik används.

### *Genetisk utredning*

Vid misstanke om specifika sjukdomar (t.ex. SMA, Duchenne och Dystrofia Myotonika) utförs riktad genanalys vilket finns tillgängligt på avdelningar för klinisk genetik vid universitetssjukhusen. Annars tas mer ospecifika genetiska prover (helexom/helgenomsekvensering (WES/WGS) med speciell undersökning av kända gener för muskelsjukdomar ("muskelpanel") och en rad andra metoder. Dessa undersökningar genererar ofta genetiska varianter vars betydelse noga måste värderas tillsammans med kliniska fynd. Bedömningen av resultat från helgenomanalys bör därför utföras vid NHVe eftersom den oftast kräver gemensam bedömning av läkare specialiserade på neuromuskulära sjukdomar, bioinformatiker, molekylärbiologer, och ibland patologer.

#### *Övrig utredning och multidisciplinär bedömning*

Övrig diagnostik och utredning så som neurofysiologiska undersökningar (särskilt vid ovanliga neuromuskulära sjukdomar), MR-tolkningar av skelettmuskulatur, hjärtutredningar och andningsutredningar, men även operativa ingrepp (t.ex. större och komplexa sen- och muskelingrepp) samt re-/habiliteringsinsatser är även de komplexa åtgärder som kräver specifik erfarenhet av patientgruppen inom definitionen. Idag ligger ansvaret för denna vård huvudsakligen på universitetssjukhusen men andningsutredning för vuxna finns t.ex. vid 28 kliniker i landet och rehabilitering och rehabilitering finns oftast lokalt för barn och inom primärvård eller vid länssjukhus för vuxna. Givet att de neuromuskulära sjukdomarna är heterogena och ofta utgörs av ovanliga subgrupper av sjukdomar som alla kan ha olika sjukdomsbild och vårdbehov, är initierad kunskap om utvecklingen av neuromuskulära sjukdomar mycket viktig för att kunna sätta in rätt åtgärder vid rätt tidpunkt och göra en prognos av patientens framtida behov. Därför förordar sakkunniggruppen att patienter enligt definitionen av nationell högspecialiserad vård vid neuromuskulära sjukdomar ska bedömas minst en gång vid NHVe.

#### *Sjukdomsmodifierande behandling*

Stora framsteg har skett avseende gendiagnostik vilket medfört att genterapi eller genmodifierande behandling kan erbjudas till vissa diagnosgrupper, t.ex. spinal muskelatrofi (SMA). Sjukdomsmodifierande och framtida genetiska behandlingar är dock fortfarande sällsynta och mycket dyra. För att kunna utvärdera behandlingsresultat på lång och kort sikt och därmed avgöra vilka patienter som har mest nytta av behandlingen är det viktigt med systematisk och enhetlig uppföljning, vilket idag saknas.

Sammantaget anser sakkunniggruppen, givet komplexiteten i ovan beskriven vård där ofta multidisciplinär kompetens behövs för att utreda, ställa diagnos, behandla och följa upp, att det finns goda skäl till att inrätta fyra nationella enheter för att säkerställa jämlik vård och ge möjlighet till utveckling av området.

## Vårdvolym

I kvalitetsregistret Neuromuskulära sjukdomar i Sverige (NMiS), med separata register för olika sjukdomar, kan vårdgivare registrera patienter. NMiS är nystartat och registreringen av patienter är därför ännu inte komplett. Uppskattning av patientantalet inom definitionen baserar sig därför på publicerade prevalenssiffror och erfarenheter och uppskattning från ett fåtal center i Sverige. Extrapolerat till hela landet skulle det innebära 60–70 patienter med neuromuskulär sjukdom inom definitionen per 100 000 invånare.

Behovet av muskelbiopsier uppskattas till ca 1500 biopsier/år (inklusive biopsier vid misstanke om myosit som utgör cirka hälften). Förslagsvis delar framtida NHVe upp vissa områden av muskelbiopsidiagnostiken mellan sig. Antalet WGS/WES årligen uppskattas till cirka 500 undersökningar per år.

Utöver muskelbiopsier och genetiska utredningar uppskattar sakkunniggruppen att det finns ett behov av cirka 800 nybesök för diagnostiska utredningar årligen. Förutom nybesök kommer det initialt finnas en stor puckel med vårdbesök eftersom alla personer med en neuromuskulär sjukdom inom definitionen har rätt till en bedömning vid ett NHV.

## Forskning

Forskning i Sverige kring den vård som beskrivs i underlaget är vittomfattande och inbegriper bl.a. genetiska studier för att identifiera nya varianter kopplade till olika fenotyper av neuromuskulär sjukdom; morfologiska och histokemiska studier av muskler kopplade till genotyp och fenotyp; beskrivning av nya fenotyper kopplade till existerande sjukdom; komorbiditet vid neuromuskulär sjukdom samt studier baserade på patientens upplevelse av vården och sin sjukdom.

En koncentration av den vård som beskrivs i underlaget skulle underlätta och öka förutsättningarna för forskning. Dels skulle patientantalet öka, dels ökar chanserna att de registreras i kvalitetsregister (Neuromuskulära sjukdomar i Sverige, NMiS) då de remitteras till NHVe. Ytterligare en aspekt är att om det finns NHVe som ger expertkunskap om diagnostik och uppföljning så kan det öka förutsättningarna för att nya forskningsprojekt etableras på olika nivåer även utanför NHVe. Exempelvis kan en koncentrerad multiprofessionell bedömning med återkoppling till kollegor på lokal nivå ge underlag för forskning och utveckling inom området.

## Internationell utblick

En genomgång av hur vården av patienter av neuromuskulära sjukdomar är uppbyggd i Danmark, Norge, Storbritannien, Italien och Kanada visar att stora delar av framförallt diagnostik och även regelbundna uppföljningar är centraliserade till enheter specialiserade på neuromuskulära sjukdomar. Vidare har dessa enheter ofta ett tydligt rådgivande uppdrag till övriga vården. I Danmark finns förutom de tre universitetssjukhusen, som har det övergripande ansvaret för vården av patienterna med neuromuskulär sjukdom, även ett center specialiserat på rehabilitering som både vårdar och ger rådgivning.

## Framåtblick

### Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

NHVe ska kunna ge snabb konsultation för att säkerställa ett kvalitets- och tidsmässigt jämställt omhändertagande under utredningen och behandlingen av neuromuskulära sjukdomar. För rådgivning angående akut sjuka patienter bör en cirkulerande jourverksamhet mellan NHV-verksamheterna inrättas.

#### *Diagnostik*

Vid misstanke om neuromuskulär sjukdom men där diagnos inte kunnat ställas ska vårdgivaren remittera patienten till en NHVe för vidare utredning. Oaktat detta föreslås att all analys av muskelbiopsier i samband med utredning av neuromuskulär sjukdom utförs av NHVe. NHVe bör vid behov kunna erbjuda snar biopsitagning efter kontakt tagits. Fördelen med att samla muskelbiopsidiagnostiken är att särskild kompetens inom muskelpatologin, vilket både neurologer och patologer bäst uppnår genom upplärning av erfaren muskelpatolog, kan byggas vid de nationella enheterna. Det blir då lättare att underhålla denna kompetens samt åstadkomma kunskapsöverföring mot remitterande enheter. Det finns idag en brist på subspecialiserade barn- och vuxenneurologer och muskelpatologer i landet. Det är därför av stor vikt att NHVe har en långsiktig planering för försörjningen för dessa nyckelfunktioner.

NHVe ska också vara ansvariga för att tolka analyser av helgenomsekvenseringar vid misstanke om neuromuskulär sjukdom och ska i samråd med kliniska genetiker ansvara för uppdatering av genpaneler för WGA/WES. Fördelen med att koncentrera detta till nationella enheter är att den komplexa analysen, som ofta genererar genetiska varianter vars betydelse noga måste värderas tillsammans med kliniska fynd, då kan bedömas i ett multidisciplinärt team bestående av läkare, specialiserade på neuromuskulära sjukdomar tillsammans med t.ex. bioinformatiker och molekylärbiologer. Vidare föreslås NHVe vara en referens för rådgivning och vägledning för annan genetisk utredning – särskilt i en primär utredningssituation där somliga sjukdomstillstånd missas vid WGS/WES medan andra i normalfallet mest effektivt påvisas via WGS/WES.

Med rätt radiologisk kompetens kan MR ge en indikation om vilken neuromuskulär sjukdom det handlar om (framförallt primär muskelsjukdom) då vissa sjukdomar har en helt specifik fördelning av vilka muskler som är förändrade. Tolkningen av MR kan vara enkel, men kan också vara komplicerad och kräva en stor erfarenhet av den som bedömer bilderna. Givet de många olika muskelsjukdomarna och fåtalet patienter för varje sjukdom är det viktigt att bedömningen och tolkningen av MR-bilder av muskler koncentreras så att kompetens och erfarenhet av många patienter kan bevaras och

byggas upp. Därför förordar sakkunniggruppen att framtida NHVe ska kunna erbjuda tolkning av MR-bilder av muskler. Behovet uppskattas till 100-200 undersökningar per år och sakkunniggruppen bedömer inte det som nödvändigt att alla NHVe har denna kompetens. Förslagsvis kan två-tre NHVe med specialintresserade radiologer samarbeta om diagnostiken via MDK och Svensk förening för muskuloskeletal radiologi skulle kunna arbeta fram ett grundprotokoll.

Vid behov ska NHVe även vara behjälplig med neurofysiologisk undersökning. Elektromyografi (EMG), neurografi, repetitiv nervstimulering och enkel-fiber EMG är basutbudet avseende neuromuskulär diagnostik. Detta måste finnas på alla neurofysiologiska avdelningar (universitetssjukhus) för att möta utredningsbehovet av akut sjuka patienter med misstanke om t.ex. myosit, akut neuropati (Guillain Barré syndrom), myastenia gravis eller ALS. Däremot är det ett antal undersökningar vid ovanliga neuromuskulära sjukdomar som endast innefattar ett fåtal patienter per år i Sverige t.ex. exercisetest, analys av misstänkt periodisk paralys och undersökning av patient med generell eller lokaliserad muskelfiberaktivitet (t.ex. Stiff person och Isaacs syndrom). Det finns även neurofysiologiska undersökningar som kan vara svåra att utföra och tolka (särskilt hos barn). NHVe ska därför kunna skräddarsy undersökningar efter frågeställning och vara medvetna om deras begränsningar.

#### *Multidisciplinär bedömning*

Personer med neuromuskulär sjukdom inom definitionen (med eller utan diagnos) ska bedömas minst en gång samt till viss del följas upp och behandlas vid NHVe.

Ett flertal, men långt ifrån alla neuromuskulära sjukdomar kan även drabba hjärtat. Då symtom på hjärtsjukdom är mycket svårvärderad hos patienter med neuromuskulära sjukdomar krävs regelbundna undersökningar med bland annat hjärtultraljud och långtids-EKG och arbetsprov. Ibland kan även MR hjärta bli aktuellt. NHVe ska kunna erbjuda kardiologisk bedömning, uppföljning och information om hur hjärtat kan påverkas av den specifika sjukdomen. Själva undersökningarna kan i många fall göras lokalt men NHVe bör tolka resultat av genomförda undersökningar och bedöma hur den fortsatta uppföljningen och behandlingen bör se ut. Behandling med läkemedel och/eller pacemaker eller implanterbar defibrillator (ICD) kan också ofta skötas lokalt men i samråd med NHVe som t.ex. bedömer när prognosen är så dålig att det är rimligt att avveckla behandlingen. NHVe bör ha en konsultfunktion gentemot övriga sjukhus och primärvård, särskilt inom uppföljningen av patienter med kognitiva störningar (t.ex. Dystrofia Myotonika) där patienter ofta uteblir. Då diagnostiken förbättras i snabb takt och nya behandlingsmetoder introduceras behöver behandlande kardiolog ha stor kännedom om sjukdomarna och dess potentiella hjärtpåverkan. Det finns idag en brist på kardiologer med kompetens inom neuromuskulära sjukdomar, och det är viktigt att NHVe långsiktigt säkerställer tillgång till dessa.

Den nedsatta muskelkraften vid neuromuskulära sjukdomar kan även ge andningssvikt vilket leder till ökad morbiditet och mortalitet. Många gånger måste utredning och behandling med andning påbörjas innan diagnos erhållits. Ansvarig barn-/vuxenneurolog bedömer, i samråd med fysioterapeut och lungläkare vid NHVe, vilka patienter med neuromuskulär sjukdom som behöver andningsuppföljning och informerar dem på vilket sätt andningen kan påverkas nu och i framtiden av deras specifika sjukdom och vilka symtom som är viktiga att ge akt på. NHVe ska exempelvis föreslå utredningar och kunna utföra nattliga andningsregistreringar (polygrafier eller polysomnografier) och fysiologiska undersökningar (spirometri). Avancerad andningsgymnastik med utprovningar av specifik andningsunderstödjande och sekretmobiliserande behandling ska kunna erbjudas av NHVe.

Genom att koncentrera bedömningen av vilka patienter med neuromuskulär sjukdom som måste utredas och ibland själva utredningen och behandlingen av andnings- och hjärtproblematik till ett fåtal NHVe skulle kunskapen om när och hur man bör följa specifika sjukdomstillstånd öka. Detta möjliggör i sin tur att behandling kan påbörjas elektivt och polikliniskt och att akuta inläggningar i många fall kan undvikas.

NHVe ska utforma en individuell habiliterings- eller rehabiliteringsplan utifrån en multiprofessionell kartläggning: Läkare med habiliterings- eller rehabiliteringskompetens och neurolog eller barnneurolog bedömer stadiet av grundsjukdomen samt prognos beroende på samsjuklighet eller annan individuell aspekt och behov av övrig medicinsk insats. Fysioterapeut (för barn och vuxen) bedömer fysisk funktionsförmåga avseende rörelseapparaten och lungfunktion och arbetsterapeut (för barn och vuxen) bedömer t.ex. ADL-förmåga och handfunktion. Logoped bedömer röst-, tal- och sväljförmåga och dietist ger specifik kostvägledning med hänsyn tagen till medicinsk behandling. Neuropsykolog gör bedömning av kognitiv funktion. I teamet skall också ingå socionom/kurator som bedömer behov kopplade till patientens sociala och psykologiska funktion och som också kan uppmärksamma anhörigas eventuella stödbehov, samt sjuksköterska som kartlägger patientens omvårdnadsbehov och hjälper till med kontakter med andra vårdgivare.

### *Behandling*

NHV-enheter ska i samverkan ansvara för ställningstagande till och uppföljning av genetisk och andra sjukdomsmodifierande behandlingar. Själva behandlingen kan i vissa fall utföras regionalt, i andra fall begränsas till något eller några NHVe utifrån exempelvis inbördes överenskommelse mellan NHVe eller enligt Rådet för nya terapier (NT-rådets) riktlinjer. NHVe ska också ansvara för att för att en nationell uppföljningsregim utarbetas och används för att utvärdera behandlingseffekt vid införandet av en ny behandling.

Patienter med neuromuskulära sjukdomar blir inte sällan aktuella för ortopedisk behandling. Oavsett genes har symtom som muskelsvaghet, muskelimbans, spasticitet etc. stor effekt på rörelseorganens funktionsnivå. Ofta följer den ortopediska behandlingen ett mönster där man börjar med rörelseträning och annan icke operativ behandling (gipsar, skenor, korsetter

etc.) för att senare i vissa fall utmynna i operativ behandling. För att denna vård ska kunna bedrivas på bästa sätt är det viktigt att behandlingen utförs av ett team inkluderande fysioterapeut, arbetsterapeut, ortopedingenjör och ortoped. Behandlingarna är ofta resurskrävande och långvariga. Den ortopediska behandlingen av NMS-patienter sker på regionsjukhusen men NHVe ska konsulteras vid stora krävande operationer då det kan föreligga risker avseende andning och hjärtfunktion och i specifika fall även anestesikomplikationer i samband med kirurgi hos dessa patienter.

#### *Kontakter med remitterter och andra vårdgivare*

Kontakt med remitterter bör ske med remissförfarande, men även via mail och telefon mellan olika yrkesgrupper. Vid ett patientbesök görs en utredningsplan som också skickas till patienten samt funktionsbedömning, som bifogas remissvar till remittent. Utredningsteamet vid NHVe ger underlag för lokalt behandlingsteam eller enskilda vårdgivare på patienternas hemort. På detta sätt kan NHVe i förlängningen ge god och patientnära vård.

Patienter med komplexa behov har många olika vårdkontakter som ofta inte har rutiner för samarbeten och patienten själv eller dennes vårdnadshavare har inte alltid förmågan eller ork att själv bevaka sina intressen. Kontakten med myndigheter eller andra organisationer kan för patienten på flera sätt vara försvårad, då kunskapen där saknas om ovanliga sjukdomar. NHV-enheterna bör därför aktivt inhämta kunskap om vårdens organisation på patienternas hemort. Sistnämnda kartläggning är en mycket viktig aspekt då t.ex. remissvägar, avtal mellan vårdgivare, olika organisationsformer, kommunikationer och tillgång till hjälp har stor betydelse för dessa patienter. Varje NHVe bör därför ha en koordinator i verksamheten för samverkan med andra samhällsaktörer (Försäkringskassan, Arbetsförmedlingen, kommun, skola och patientorganisationer m.m.).

#### *Forskning, utbildning och utveckling*

NHVe ska medverka till att skapa nationella behandlings-/uppföljnings-rekommendationer och skapa riktlinjer för behandling och handläggning vid t.ex. narkos, graviditet och förlossning. En viktig forskningsuppgift, som möjliggörs av en koncentration av patienter är att kartlägga ovanliga följder/komplikationer till de vanligare neuromuskulära sjukdomarna. NHVe har här en viktig uppgift att arbeta för att alla patienter med definitiv diagnos registreras i det nationella kvalitetsregistret NMiS.

Framtida NHV-enheter ska kunna värdera nya metoder och skalor för diagnostik och uppföljning och de ska tillsammans utarbeta enkäter för att samla in data om hur patienterna upplever vården. Enheter för NHV bör erbjuda utbildningar för remitterande vårdgivare inom deras huvudsakliga upptagningsområden, med möjlighet för yrkesvisa träffar, i den mån det inte tillgodoses av det nationella nätverket för neuromuskulära sjukdomar.

## 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.

<b>Kompetens och resurser</b>	
Kritisk medicinsk kompetens (läkare)	Läkare, med särskild kunskap och erfarenhet av barn och vuxna med neuromuskulära sjukdomar, inom följande specialiteter: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Barn- och ungdomsneurologi med rehabilitering</li> <li>• Neurologi</li> <li>• Rehabhabiliteringsmedicin (inkl. kompetens inom vuxenrehabilitering)</li> <li>• Barn- och ungdomskardiologi</li> <li>• Kardiologi</li> <li>• Lungsjukdomar</li> <li>• Klinisk genetik</li> <li>• Klinisk patologi</li> <li>• Klinisk neurofysiologi</li> <li>• Radiologi</li> <li>• Ortopedi inkl. kompetens i barnortopedi</li> <li>• Öron-, näs- och halssjukdomar</li> <li>• Anestesi och intensivvård</li> <li>• Läkare med kompetens att göra sömnutredningar</li> </ul>
Andra typer av kritisk kompetens (t.ex. sjuksköterska, kurator, psykolog, fysioterapeut med specialkompetens)	Samtliga kompetenser ska ha särskild kunskap och erfarenhet av patientgruppen: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Arbetsterapeut (barn/vuxen)</li> <li>• Fysioterapeut (barn/vuxen)</li> <li>• Logoped</li> <li>• Dietist</li> <li>• Psykolog/neuropsykolog</li> <li>• Kurator</li> <li>• Koordinator</li> <li>• Sjuksköterska (barn/vuxen)</li> <li>• Biomedicinsk analytiker</li> <li>• Genetisk vägledare med specialkompetens inom muskelsjukdomar</li> </ul>
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	MR Neurofysiologi Patologlab med kompetens för muskeldiagnostik Genetiskt lab Andningsmottagning som kan utföra nattliga andningsregistreringar under sömn (sömnlab) samt spirometri (andningsfysiologi) BIVA/IVA-platser

<p>Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas</p>	<p>Barn- och ungdomspsykiatri samt psykiatri Tandvård (inkl. tandläkare, tandhygienist, bettfysiolog) Gastrokirurgi Obstetrik och gynekologi med särskild kunskap, särskilt vid behov av andningsstöd hos mamman Neonatologi Bioinformatiker/molekylärbiolog med specialkompetens på muskelsjukdomar</p>
<p>Kritiska diagnostiska metoder</p>	<p>MR-diagnostik Biopsitagning Patologi för muskelbiopsidiagnostik med etablerade metoder, exempelvis:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Histokemi inkl. immunohistokemi</li> <li>• Fryssnittning</li> <li>• Paraffinbäddning</li> <li>• Elektronmikroskopi</li> </ul> <p>Mitokondriell diagnostik Genetisk diagnostik Neurofysiologiska undersökningar inklusive exercisetest Hjärtdiagnostik (MR, UL, långtids-EKG) Andningsutredning med nattliga registreringar</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Polysomnografi/polygrafi (sömn och andning)</li> </ul>
<p>Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)</p>	<p>Gastrostomi/PEG Tracheostomi Implantation pacemaker/implanterbar defibrillator (ICD) Botoxbehandling ADL-bedömning</p>
<p>Rehabilitering (särskilt anpassad till behovet)</p>	<p>Kompetens, lokaler och utrustning för funktionsbedömning och viss hjälpmedelsutprovning.</p>
<p>Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)</p>	<p>NHVe ska gemensamt ansvara för en jour för rådgivning angående akut sjuka patienter. Det ska finnas möjlighet till patienthotell, även för föräldrar/anhöriga. NHVe ska registrera patienter i nationellt register. NHVe ska ha adekvata forskningsresurser. NHVe förväntas ta fram multidisciplinär behandlings- och rehabiliteringsplan (vårdplan) för varje enskild patient. NHVe ska gemensamt utarbeta enkät för patienter och remitter. NHVe ska ansvara för adekvat överrapportering av patienter till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.</p>

## 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

<p>Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)</p> <p>Överväger möjligheten och tillgången till NHVe nackdelen med ökat avstånd/resor?</p>	<p>Patientsäkerheten bedöms öka av en koncentration, t.ex. då hjärtdiagnostik, och utredning av andningsfunktion kan ske mer systematiskt och av vårdpersonal som träffar många patienter inom samma sjukdomsgrupp.</p> <p>Likaså kunskap om komplikationer och utveckling av funktionsnedsättning vid de många olika sjukdomstillstånden förväntas öka inom en NHVe, då fler patienter bedöms av ett fåtal experter.</p> <p>Vård samlad under NHV kan ge bättre möjlighet till konsultation för remittenter och tydligare remitteringsvägar för både läkare och patient.</p> <p>Vård samlad under NHV kan ge minskat behov av utomlandsvård för väldigt sällsynta diagnoser och förbättrad rådgivning och tilltro och trygghet.</p> <p>En koncentration av bedömning av både barn och vuxna till barn- och vuxenenheter inom samma NHVe skulle vidare öka möjligheterna till kunskapsutbyte mellan barn- och vuxenläkare, ett behov som förväntas öka då fler och fler med neuromuskulära sjukdomar överlever långt upp i åldern.</p> <p>Koncentration av viss vård till NHVe innebär längre resvägar för patienter. Patientrepresentant i SKG understryker att de flesta patienter är villiga att resa för att få tillgång till expertis om just sitt sjukdomstillstånd.</p> <p>Idag är det breda vårdbehovet för patientgruppen splittrat med kompetenser på olika håll. En koncentration till NHVe gör att patienter kan få flera behov tillgodosedda på samma ställe.</p>
--	--

	<p>Dock kan det vara jobbigt för patienterna att träffa så många personer samtidigt och det tar tid för att göra alla bedömningar, ofta flera dagar, särskilt då patienten inte mår med att göra allt på kort tid.</p> <p>En resa till annan ort innebär ofta behov av att bo på patienthotell, även för föräldrar och anhöriga och assistenter.</p>
<p>Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring</p> <p>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?</p>	<p>Samling av olika specialister och professioner inom neuromuskulära sjukdomar till NHVe kan öka kunskapsöverföringen dem emellan. En NHVe får dessutom ett tydligt utbildningsansvar inom och utanför NHVe, t.ex. genom möjlighet till randning och vidareutbildning för olika yrkeskategorier. Detta kommer stärka kompetensöverföringen från NHV till remitterande vårdgivare.</p> <p>En koncentration av vården kan dock innebära en risk för förlorad kompetens hos remittenter, vilken dock bör kunna kompenseras med ovanstående fördelar.</p>
<p>Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?</p>	<p>En koncentration ger ett bredare och mer komplett forskningsunderlag (för t.ex. epidemiologiska studier mm.) och nationella patientregister kan få bättre täckningsgrad och därmed kvalitet, vilket främjar forskningssamarbete såväl mellan olika NHVe som mellan NHVe och remittenter.</p> <p>Risk för minskad forskning (minskat incitament och möjlighet) på icke-NHVe.</p>
<p>Påverkan på närliggande områden</p> <p>Är det något som trängs undan om detta område blir NHVe?</p>	<p>Risk för minskad kompetens vid icke-NHVe för patienter med neuromuskulära sjukdomar som inte omfattas av definitionen av neuromuskulära sjukdomar inom NVH.</p> <p>En koncentration av vården kan eventuellt leda till undanträngningseffekter initialt då många patienter inom definitionen ska undersökas, t.ex. vid ultraljud av hjärtat, långtids-EKG o. dyl. Många av dessa undersökningar kan dock ske lokalt i samråd med NHVe.</p> <p>Risk för undanträngning av befintliga patienter om det kommer ett stort antal nya patienter till NHVe för diagnostik/uppföljning.</p>
<p>Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta område i stort.</p> <p>Blir en ökad volym en ökad belastning för akutsjukvården på NHVe?</p> <p>Beskriv också konsekvenserna för akutverksamheterna om denna vård försvinner från sjukhusen.</p>	<p>Akuta inläggningar förväntas att minska till följd av förebyggande arbete i form av t.ex. vårdplaner, tydlig rådgivning, hjärtuppföljning och andningsstöd.</p> <p>Ingen större påverkan för övrigt; dessa tillstånd är sällan akuta</p> <p>Det är viktigt att NHV kan bistå övriga vården med rådgivning vid akuta tillstånd hos dessa patienter.</p>
<p>Påverkan på vårdkedjan</p> <p>Kommer den vårdkedja som finns idag att påverkas? T.ex. att</p>	<p>Eventuellt hoppas regionsjukhuset över och vårdgivaren remitterar direkt till NHVe.</p>

<p>länessjukhuset hoppar över regionsjukhuset när en diagnos ska konfirmeras och remitterar direkt till NHVe?</p>	<p>En koncentration av vård till NHVe och därmed bättre uppföljning av patienterna kan förebygga onödiga inläggningar och följsjukdomar,</p> <p>NHVe med väldefinierat uppdrag ger tydligare och snabbare remitteringsvägar.</p>
<p>Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)</p> <p>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.</p> <p>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.</p>	<p>Större volymer och flera olika bedömningar av patienter med neuromuskulära sjukdomar som samlas vid NHVe kommer kräva en komplicerad administration för att samla och koordinera alla vårdåtgärder. Det kommer krävas en koordinator och därmed ytterligare ekonomiska resurser. Det innebär också eventuellt en ökad ekonomisk belastning för remitterande regioner.</p> <p>En koncentration av vården av neuromuskulära sjukdomar kan göra det lättare att attrahera specialister och därmed att planera verksamheten på nationella enheter.</p> <p>Genom ett samlat omhändertagande kan den totala tidsåtgången för varje patient kortas</p> <p>De aktiviteter som framtida NHVe förväntas utföra förutom själva vården (t.ex. hålla i kvalitetsregister och utveckla vårdprogram) kommer kräva resurser.</p> <p>Innehavare av NHV-tillstånd kommer behöva resurstillskott för att klara tillströmning av fler patienter. Verksamheten vid framtida NHVe kommer initialt att få ökade vårdvolymer till följd av att alla patienter inom definitionen har rätt till en bedömning vid en NHVe. Likaså förväntas själva NHV-reformen leda till att fler patienter får korrekt diagnos (eller diagnos överhuvudtaget), vilket i sig kan öka patientantalet.</p> <p>Detta och löpande verksamhet enligt beskrivningen framåtblick ovan innebär en risk för undanträngningseffekter på NHVe – dvs. att annan vård som tar samma resurser i anspråk får stå tillbaka. Dock innebär NHV-uppdraget en tydlighet i vad som förväntas av NHV vilket gör det lättare att planera verksamheten och förebygga flaskhalsar genom att ha rätt resurser och kompetens.</p>
<p>Eventuella konsekvenser för sjuktransporter</p> <p>Är patienterna i behov av särskilda sjuktransporter? Akuta eller planerade?</p>	<p>Ingen större skillnad mot idag, men vissa patienter får en längre resväg till den NHVe som denne besöker.</p> <p>Samlade utredningar gör att man kan minska antalet transporter/resor.</p> <p>Planerade transporter. De flesta kan resa med vanliga färdmedel, dock behöver vissa andningsstöd under resan i form av egen hemrespirator.</p> <p>Riksfärdtjänst – planeras.</p>
<p>Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner</p> <p>Finns det anledning att tro att vårdvolymer kommer att förändras över åren med tanke på</p>	<p>Den löpande verksamheten såsom den beskrivs i framåtblick inklusive kravet att alla patienter inom definitionen har rätt till minst en bedömning vid NHV innebär att patientvolymer kommer öka, särskilt i början av en NHVe:s verksamhet. Sammantaget krävs det alltså att en utökning av verksamheten vid de vårdenheter som blir NHVe.</p>

<p>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.</p>	<p>I framtiden förväntas patienter inom definitionen öka i antal till följd av längre överlevnad tack vare bättre och nya behandlingar och bättre uppföljning, vilket i sin tur kommer öka vårdbehovet.</p> <p>Nya följsjukdomar kan upptäckas på grund av exempelvis biverkningar.</p> <p>En koncentration av vård och samarbete mellan olika NHVe kommer framöver att ge en bättre nationell överblick över hela sjukdomsgruppen.</p>
<p><b>Övriga kommentarer:</b></p>	<p>En koncentration av vården förväntas ge minskade kostnader för akuta inläggningar på IVA till följd av bättre uppföljning av andnings- och hjärtfunktion hos patienterna.</p>

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

Uppföljningsmätt	Beskrivning	Källa
Bakgrundsmätt	<p>Antal patienter som remitteras till NHVe samt information om:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Åldersfördelning</li> <li>Könsfördelning</li> <li>Remitterande region</li> </ul>	
	<p>Andel av ovan och antal patienter där följande åtgärder utförs:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. muskelbiopsidiagnostik</li> <li>2. tolkning av helgenom/helexom sekvensering (WGS/WES)</li> <li>3. bedömning inför genetisk och andra sjukdomsmodifierande behandlingar</li> <li>4. uppföljning av genetisk behandling och andra sjukdomsmodifierande behandlingar som t.ex. enzymsubstitution och stamcellsbehandling</li> <li>5. Antal sammanfattningar/vårdplaner/epikriser som skickats till inremitterande /vårdinstans</li> </ol>	
Tillgänglighetsmätt	Tid från remiss till bedömning	
Tillgänglighetsmätt	Tid från remiss till ovanstående åtgärder	
Medicinskt resultat	Andel patienter som fått diagnos under ett kalenderår	

## Referenser

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

## Deltagare i sakkunniggrupp

Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Martin Engvall, specialist i neurologi

Sydöstra sjukvårdsregionen: Olof Danielsson, specialist i neurologi

Norra sjukvårdsregionen: Bettina Herm, specialist i barnneurologi med habilitering

Södra sjukvårdsregionen: Henrik Düppe, specialist i ortopedi med inriktning barnortopedi

Södra sjukvårdsregionen: Annika Lundkvist Josenby, specialist i pediatrik fysioterapi

Västra sjukvårdsregionen: Christopher Lindberg, specialist i neurologi &

Lars Klintberg, specialist i kardiologi och internmedicin

Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Agneta Markström, specialist i lungmedicin

Patientföreträdare: Lise Lidbäck, Neuro

## 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).

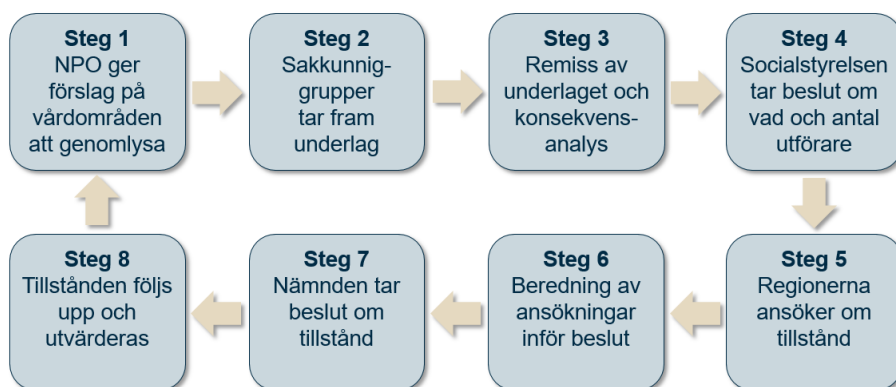
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

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: lägga till en dokumentreferens (658/2020-4)



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  
svårbehandlat  
självskadebeteende som  
nationell högspecialiserad  
vård

Sakkunniggruppens underlag  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för svårbehandlat självskadebeteende 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 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
Förslag till särskilda villkor .....	13
Framåtblick .....	16
Konsekvenser av rekommendationen .....	20
Uppföljning och utvärdering .....	24
Referenser .....	26
Deltagare i sakkunniggrupp .....	27
Om nationell högspecialiserad vård .....	28

## Ordlista

ADHD	Attention Deficit Hyperactivity Disorder
Beprövad erfarenhet	Där det råder konsensus bland experter och yrkesverksamma kring en viss åtgärd. Åtgärden ska vara prövad, dokumenterad och genererad under en längre tidsperiod och av många.
BI	Brukarstyrd inläggning
CGAS	Children's global assessment scale
DBT	Dialektiskt beteendeterapi
DSM	Diagnostic and Statistical Manual of Mental Disorders
ERGT	Emotion Regulation Group Therapy
GAF	Global assessment of functioning
MBT	Mentaliseringsbaserad terapi
MINI	Mini internationell neuropsykiatrisk intervju
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
Peer support	Yrkesroll inom hälso- och sjukvård samt socialpsykiatri. Den innebär att personer med egen erfarenhet av psykisk ohälsa eller funktionsnedsättning blir professionellt verksamma för att stötta brukare/patienter i deras återhämtning.
PTSD	Posttraumatiskt stressyndrom
SCID-II	Structured Clinical Interview for DSM-IV Personality Disorders
SIP	Samordnad individuell plan

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet svårbehandlat självskadebeteende att patienter med allvarligt, livshotande, omfattande och upprepat självskadebeteende ska bedömas och eventuellt behandlas vid tre nationella högspecialiserade vårdenheter. Två av enheterna ska ansvara för både barn och vuxna, och en av enheterna ska ansvara för enbart vuxna med detta tillstånd. Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art som kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården är komplex eftersom det exempelvis ofta krävs ett samarbete över flera vårdnivåer och olika aktörer (öppenvård, specialistvård, kommun etc.). Vården kräver ett multidisciplinärt omhändertagande då patienterna ofta har annan samsjuklighet. Exempelvis behövs psykiater, habiliteringspersonal, psykoterapeut, fysioterapeut, specialistsjuksköterska i teamet som även behöver ha ett nära samarbete med somatisk specialistvård. Dessa behöver ha särskild kompetens kring de svårast sjuka samt en fördjupad kompetens inom en bred repertoar av behandlingsmetoder för att kunna individualisera behandlingen. Sakkunniggruppen föreslår att två av de nationella vårdenheterna ska ha specialistkompetens inom vård av både barn och vuxna med avancerat långvarigt självskadebeteende. Detta bedöms exempelvis förbättra möjligheterna till bättre diagnostik och god överföring från barn- till vuxenvård.

Sakkunniggruppen bedömer att ca 100 patienter/år, där merparten är vuxna, skulle behöva heldygnsvård vid nationella vårdenheter. Behovet av tre enheter avser framförallt möjligheterna att erbjuda god vård samt att kunna möjliggöra en god tillgänglighet då den uppskattade ineliggande vårdtiden är upp till tolv veckor och att antalet vårdplatser är begränsade. Det krävs dock en viss vårdvolym för att åstadkomma kunskapsutveckling inom den definierade patientgruppen. Sakkunniggruppen vill betona vikten av inrättandet av tre enheter och inte färre. Färre enheter skulle inte ge tillräcklig geografisk spridning, och både självskadande patienter och övriga patienter i den psykiatriska vården skulle riskera att trängas undan, både på de nationella högspecialiserade vårdenheterna och i den regionala psykiatriska vården.

Konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva framförallt kan den gemensamma bedömningen och den inledande konsultationen från de nationella vårdenheterna höja kunskaperna även i remitterande regioner.

Sakkunniggruppen bedömer vidare att akutsjukvården inte påverkas.

Eftersom regional heldygnsvårdsmöjlighet fortfarande kommer att behövas ser inte sakkunniggruppen att omkringliggande områden påverkas.

# Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Patienter med allvarligt, livshotande, omfattande och upprepat självskadebeteende ska bedömas och eventuellt behandlas vid nationella vårdenheter.

1. Remittering till nationella vårdenheter ska initieras efter att:
  - Två evidensbaserade\* behandlingsförsök, riktade mot självskadebeteendet, har genomförts i patientens hemmaregion utan tillräcklig förväntad framgång.
  - Eventuell psykiatrisk samsjuklighet hos patienten bör vara utredd och stabiliserad\*\*.
2. Uppföljning av insatsen ska ske ett år efter utskrivning.

\*Behandlingsförsök i enlighet med rådande kunskapsunderlag [2] och beprövad erfarenhet.

\*\*Självskadebeteendet ska vara det primära. Samsjuklighet så som ätstörningar och beroendesjukdom bör ej dominera den kliniska bilden.

## Antal enheter

Tre vårdenheter. Två enheter även ska ansvara för vård av barn inom definitionen.

## Avgränsningar

I Socialstyrelsens arbete att tillsammans med sakkunniggruppen för svårbehandlat självskadebeteende genomlysa vårdområdet har följande områden identifierats som inte ska ingå i tillståndet:

1. Patienter vårdade enligt lagen om vård av missbrukare i vissa fall (LVM)
2. Tvångsvårdade patienter med allmänfarlig sjukdom enligt smittskyddslagen
3. Patienter vårdade enligt lagen om rättspsykiatrisk vård

Majoriteten av patienterna i denna grupp är i behov av mer långvarig behandling i sin närmiljö än vad som är möjligt att erbjuda inom ramen för nationell högspecialiserad vård.

## Bakgrund

### Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

Patienter med självskadebeteende är ingen homogen grupp och beteendet kan förekomma tillsammans med eller utan underliggande psykisk störning. Det kan röra sig om individer med bland annat personlighetssyndrom t.ex. emotionellt instabil personlighetsstörning (EIP), autismspektrumtillstånd, och/eller intellektuell funktionsnedsättning. Självskada förekommer även vid en rad andra diagnoser som tvångsmässigt personlighetssyndrom, depression, ångestsyndrom, beroendesjukdomar, ätstörning, impuls kontrollstörningar som ADHD, m.fl. Den kliniska erfarenheten säger att självskadebeteendet är svårare ju lägre funktionsnivå och ju mer samsjuklighet patienten har. Självskadebeteende kan handla om att hantera svåra eller oklara känslor såsom ångest eller tomhetsupplevelser, att straffa sig själv eller att kommunicera känslor till omvärlden. Inom ramen för autism finns repetitiva beteendemönster som ibland utgörs av självskadehandlingar.

Kända riskfaktorer för självskada är tidigare självskada, vissa personlighetssyndrom, upplevelse av hopplöshet och svårigheter att reglera känslor. För flickor spelar även depressiva symptom och sömnstörning roll. En stor andel (ca 50%) av patienter inom svensk barn- och vuxenpsykiatriska enheter har självskadat vid minst ett tillfälle. Andelen flickor i åldrarna 12-18 år ligger runt 70% och för pojkar under 18 år ligger siffran på ca 45%. Ofta sker självskadan utan att behandlare inom psykiatri känner till detta. De vanligaste tillvägagångssätten är att slå sig och att rispa/skära sig. Många har samtidigt dödstankar och undersökningar har visat att det även finns överlappning med suicidförsök. Det är relativt vanligt att självskadebeteende är kvarstående under en längre period och att det eskalerar.

I detta underlag används en bred definition på självskada, inkluderande skador både med och utan självmordsavsikt, i huvudsak för att samexistens är så vanlig och uppsåt till skada kan variera snabbt över tid hos samma individ.

Under 2000-talet har det generellt sett skett en positiv utveckling gällande psykoterapeutiska behandlingsinsatser för personer med självskadebeteende. Framväxten av behandlingsmetoder som DBT, ERGT och MBT har gjort att många patienter idag får adekvat behandling i öppenvård. Det finns dock geografiska skillnader i tillgång till behandling samt skillnader i förutsättningarna att ge optimal behandling. I de flesta regioner erbjuds DBT och någon ytterligare terapeutisk behandling vid i första hand emotionell instabil personlighetsstörning men även vid omfattande självskadebeteende med andra eller flera underliggande diagnoser.

Under åren 2011-2015 gjordes en stor satsning genom Nationella självskadeprojektet [1] för att försöka kartlägga hur vården ser ut för denna grupp och sammanställa framåtsyftande behov och rekommendationer för att

minska självskadebeteende hos unga. Kunskapsläget finns även beskrivet i nationella vård- och insatsprogram [2] inom ramen för Nationellt programområde (NPO) psykisk hälsa, en del av Nationellt system för kunskapsstyrning.

Patienter med självskadebeteende vårdas helst i öppenvård. Väntetiderna till riktade behandlingsinsatser för självskada kan variera från en månad till ett år och kan förändras snabbt då varje enskild insats är resurskrävande. Behandlingarna kräver viss motivation och förmåga, vilket gör att alla patienter inte kan ingå i en behandling. Detta gör att det kan finnas patienter där ingen terapeutisk behandling är tillämplig. Var i landet man bor kan också ha betydelse för tillgängligheten till riktade behandlingsinsatser. Vid behov av heldygnsvård sker vården idag på varierande typ av avdelning, där det ibland kan saknas riktad kompetens för självskadebeteende. Självvald inläggning har växt fram på flera håll i landet som ett effektivt sätt att möta en del av gruppens behov av mer omfattande stöd under kriser. Konsensus råder att långa inläggningar speciellt under tvång inte är effektivt, men trots detta är inläggande vård av denna patientgrupp ibland oundviklig utifrån skyddsaspekten. Brukarstyrd Inläggning (BI) eller liknande koncept har sannolikt minskat lidandet och den totala vårdkonsumtionen (psykiatri, akut somatisk vård, kirurgi och PV-insatser) för patientgruppen. BI har inte tydligt visat på färre vårddygn men betydligt mindre lidande. För patienter med svårt självskadebeteende och samsjuklighet krävs ofta ett väl fungerande samarbete mellan kommun och region för att uppnå så hög grad av funktionsnivå som möjligt. SIP tillsammans med övriga aktörer och insatser är avgörande för att hitta rätt stöd för patienten och anhöriga. Det har hittills inte funnits nationella vårdenheter inriktade på denna blandade diagnosgrupp med självskadehandlingar som transdiagnostisk gemensam nämnare. I Göteborg öppnade hösten 2019 en specialenhet med 10 platser, men det har i dagsläget gått för kort tid för att kunna utvärdera vården.

Förutsättningarna för insatser varierar över landet, t.ex. avseende tillgång till terapimetoder, samordning mellan regionala och kommunala insatser och hur slutenvården är utformad. Patienterna som är målgruppen i detta förslag har fått de behandlingar som kan erbjudas inom ramen för specialistpsykiatri och inte blivit hjälpta i sin hemregion. På senare år har det utvecklats konsensus samt vård- och insatsprogram för självskadebeteende. Det finns i dagsläget inga samlade nationella riktlinjer inkluderande svårt självskadebeteende, vilket är en av anledningarna till att vården är ojämlig för dessa patienter. Allt detta innebär en ökad risk för ojämlig vård. Sakkunniggruppen bedömer att en koncentration av vården av dessa patienter kan bidra till ökad kunskapsutveckling och betydande framsteg av vårdresultaten inom denna målgrupp.

## Vårdvolymer

Även om gruppen personer med självskadebeteende är relativt stor i befolkningen rör detta underlag den lilla grupp av patienter som har svår upprepad

självskada, ofta flera diagnoser och/eller där behandlingsutbudet inom hemregionen är uttömt. Man kan uppskattningsvis räkna ca 260 ärenden per 100 000 invånare och år som vårdas i slutenvård med självskada. Antalet vårdplatser som kan behövas inom NHV går endast att grovt uppskatta. Utifrån manuella inventeringar har sakkunniggruppen uppskattat att ca 1 patient/100 000 invånare och år kan komma ifråga för denna vårdform. Det innebär att ca 100 patienter/år skulle behöva vård via NHVe.

## Forskning

Möjligheterna att kartlägga, följa upp och forska kring svårare självskada är begränsade då det saknas gemensam kodning och statistik för denna grupp. Självskadebeteende utgör för närvarande ingen egen diagnos i DSM, utan beskrivs som ett symtomkriterium på borderline personlighetssyndrom (emotionell instabil personlighetsstörning). Det finns ett förslag att så kallad "icke suicidal självskada" ska ingå i DSM och tillståndet återfinns i DSM-5 under sektion III som ett tillstånd som behöver studeras ytterligare. Svensk sjukvård kodar alltså inte specifikt självskada vilket gör det svårt att få ut sann statistik över förekomst och vilka insatser patienter fått vid vilka tillstånd. För att kunna följa vården av tillstånd med självskada på nationell nivå finns förslag på KVÅ-kodning som ska användas både vad gäller aktuellt och tidigare självskadande beteende.

Självskadebeteende är ett relativt nytt forskningsområde i Sverige. Under de senaste 10 åren har forskningen tagit fart och idag pågår en hel del forskning om självskadebeteende. Flera epidemiologiska studier har genomförts och forskningen har inriktat sig på prevalens, prognos, uppkomstmekanismer, diagnostik och kopplingen till olika bakgrunds- och riskfaktorer. På senare tid har även behandlingsforskning i öppenvård genomförts i Sverige med fokus på känsloreglering, både riktat till ungdomar och vuxna. Studier finns även av patienters och personals upplevelse och erfarenheter av vården där behov av självskadespecifik utbildning och bättre bemötande betonas. Då självskadebeteende är vanligt förekommande hos ungdomar i normalpopulation har även forskningsintresset riktats mot prevention inom skola. Sverige finns även med i ett stort internationellt forskningssamarbete kring suicidprevention inom skolor. Vad gäller slutenvård och den allvarligaste patientgruppen finns nyligen publicerad forskning avseende sk brukarstyrd inläggning.

Sakkunniggruppen bedömer att det behövs fler studier av patientgruppen med omfattande och livshotande självskadebeteende och den vård som bedrivs i Sverige. Nationellt kvalitetsregister saknas för närvarande men högspecialiserad nationella vårdenheter skulle kunna bidra till att man skapar patientunderlag för att utveckla forskningen kring behandling och därigenom främjar forskning inom området samt upprätta nationellt kvalitetsregister.

## Internationell utblick

Danmark, Finland och Norge har olika både regionala och nationella funktioner/tjänster inom psykiatrisk vård men inga nationella vårdenheter specifikt utformade för behandling vid självskadebeteende.

Inom Europa har exempelvis Tyskland särskilda centrum för vissa behandlingsmetoder (vårdplatser DBT) som riktar sig mot svårast sjuka.

## 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)	<p>Behandlingsteam med särskild kompetens, erfarenhet och handledningskompetens att arbeta inom självskadebeteende:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Specialistläkare inom vuxenpsykiatri med erfarenhet och kompetens i olika adekvata och evidensbaserade behandlingsmetoder mot självskadebeteende</li> <li>• Inom teamet måste också finnas läkarkompetens inom annan samsjuklighet så som ätstörningar, neuropsykiatriska tillstånd och personlighetsyndrom</li> </ul> <p>För enheter med ansvar för barn:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Specialistläkare inom barnpsykiatri med erfarenhet och kompetens om olika adekvata och evidensbaserade behandlingsmetoder mot självskadebeteende</li> </ul>
Andra typer av kritisk kompetens (t.ex. specialkompetent sjuksköterska, kurator, psykolog, fysioterapeut)	<p>Behandlingsteam med särskild kompetens och erfarenhet att arbeta inom självskadebeteende och annan psykiatrisk samsjuklighet:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Leg. psykolog med utrednings- och/eller behandlingskompetens</li> <li>• Leg. psykoterapeut</li> <li>• Specialistsjuksköterska med psykiatriinriktning</li> <li>• Adekvata forskningsresurser</li> <li>• Fysioterapeut</li> <li>• Peer support</li> <li>• Kurator</li> <li>• Dietist</li> <li>• Skötare</li> <li>• Terapeut (steg 1)</li> </ul> <p>För enheter med ansvar för barn:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Specialpedagog</li> </ul>

<p>Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Haldygnsvårdspatser (maximal tid 3 månader), med tillräcklig hög säkerhet och trygghetssystem, anpassad efter patientgruppens behov.</li> <li>• Separata vårdplatser för barn/ungdomar där föräldrar kan delta</li> <li>• Beredskap för LPT-vård</li> </ul>
<p>Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Annan psykiatrisk verksamhet (för utredning och behandling av t.ex. samsjuklighet, så som neuropsykiatriska tillstånd, ådstörningar och personlighetssyndrom)</li> <li>• Specialiserad somatisk vård (t.ex. kirurgi)</li> </ul> <p>För enheter med ansvar för barn:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Skolverksamhet för barn i skolpliktig ålder (enligt skollagen)</li> </ul>
<p>Kritiska diagnostiska metoder</p>	
<p>Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Behandling vid NHVe ska ske enligt nationella vårdprogram/riktlinjer och andra nationella kunskapsstöd.</li> <li>• Åtgärderna vid NHVe ska utgå från patientens och vårdens perspektiv, vetenskap och beprövad erfarenhet. Exempel på evidensbaserade vårdåtgärder kan vara DBT eller MBT.</li> </ul>
<p>Rehabilitering (särskilt anpassad till behovet)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• NHVe ska erbjuda en meningsfull och varierad daglig verksamhet och lämplig sysselsättning för vårdtagaren under vårdtiden (om möjligt i samverkan med lokala aktörer i det omgivande samhället).</li> </ul>
<p>Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• NHVe ska arbeta för utveckling av tillgängliga och nya vårdåtgärder. Till detta krävs adekvata forskningsresurser.</li> <li>• NHVe ska medverka till att forskning bedrivs inom aktuellt område.</li> <li>• NHVe ska ta fram vårdplan i samråd med patienten och relevanta aktörer i patientens hemregion.</li> <li>• NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått.</li> <li>• NHVe ska ha kapacitet och resurser för konsultationsverksamhet.</li> <li>• NHVe ska ha ett tydligt närståendeperspektiv.</li> <li>• För barn och ungdomar ska NHVe skapa förutsättningar för vårdnadshavare att vara en naturlig del i vårdförloppet.</li> <li>• Det ska finnas patienthotell eller motsvarande att tillgå.</li> </ul> <p>För enheter med ansvar för barn:</p>

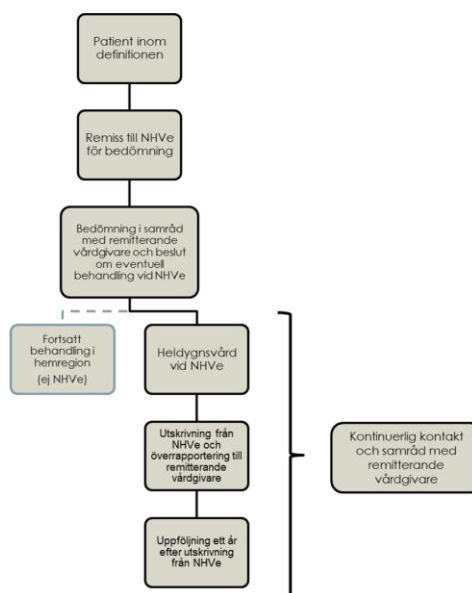
	<ul style="list-style-type: none"><li>• För närstående till barn och unga ska det finnas övernattningsmöjlighet för vårdnadshavare på avdelning där patienten är inlagd.</li></ul>
--	--

## Framåtblick

### Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

När patienter med allvarligt, livshotande, omfattande och upprepat självska- debeteende, remitteras till ett NHVe sker en bedömning av patientens och hemregionens förutsättningar för fortsatt behandling. Utebliven framgång i behandling i patientens hemregion kan betyda exempelvis kvarstående låg GAF/CGAS, kvarstående omfattande eller farligt självska- debeteende eller suicidalitet, samt låg upplevelse av livskvalitet. Hänsyn bör även tas till be- lastningar och resurser på familjenivå.

Patienterna ska kunna läggas in på en nationell enhet för en inläggande behandling när en särskild nivå av personaltäthet och vårdintensitet krävs. NHVe bör inte ha några exklusionskriterier utan göra sin bedömning utifrån varje enskild remiss. Dock bör patienten vara noggrant utredd beträffande både det självska- dande beteendet och eventuell samsjuklighet.



Figur 1. Potentiellt vårdflöde från remiss till inläggning vid nationella vårdenheter.

Patienter som kan vara aktuella är bland annat:

- Barn och unga med snabbt eskalerande förlopp av självska- debeteende.
- Patienter med hög vårdkonsumtion (psykiatri/somatik) och låg funktionsnivå med LPT där hela vårdsituationen gått i baklås.
- De med långvarig självska- dade som lever farligt och som löper risk att dö för tidigt.

- Patienter med självskada som av geografiska, psykosociala eller andra omständigheter inte har fått förväntad effekt av behandling och/eller tillgång till behandling men som har en viss motivation och förmåga till behandling.
- Svårt självskadande patienter (ofta med autism, svår ätstörning, olika typer av tvångssyndrom, missbruk och annan samsjuklighet) även där motivation och/eller förmåga saknas.
- Patienter som behandlas på SiS-hem.

Vårdkompetensen på en specialistenhet bör se annorlunda ut än den som finns på regionnivå. Verksamheten vid ett NHVe skiljer sig därför från sedvanlig allmänpsykiatrisk vård genom att de ska ha ett multidisciplinärt team med fördjupad kompetens särskilt inriktad mot svårbehandlat självskadebeteende och en repertoar av behandlingsmetoder som ska kunna anpassas efter den enskilde patientens behov. Det ska finnas högre personaltäthet och den fysiska miljön ska vara särskilt anpassad för syftet. Enheterna ska använda en strukturerad behandlingsmodell som genomsyrar hela verksamheten, dvs att behandling vid NHVe ska ske enligt nationella vårdprogram och andra nationella kunskapsstöd, samt utvärderas löpande under tiden som patienten är inneliggande. Vården som ska erbjudas på enheterna ska kännetecknas av en helhetssyn på vårdtagarens behov, liksom delaktighet av patienten, närstående/vårdnadshavare och vårdgivare i patientens hemort (region och kommun). En tillräckligt hög nivå av motivation krävs av vårdtagare för att aktivt delta i behandlingsprogrammet och acceptera reglerna på NHVe, vilket kan tydliggöras exempelvis i ett vård- och behandlingskontrakt.

En individuell vårdplan ska tas fram för patienten när hen är inneliggande, samt inför utskrivning. Utvärdering och revidering av vårdplanen ska ske kontinuerligt och alla insatser ska ytterst syfta till att öka vårdtagarens (och för ungdomar även närståendes/vårdnadshavares) färdigheter, autonomi i förhållande till vården, minska behovet av tvångsåtgärder och förbereda för nästa behandlingssteg vid utskrivning och utslussning. Patienterna (och i förekommande fall närstående/vårdnadshavare) ska ha möjlighet att utforma vården i så stor utsträckning som möjligt genom att aktivt delta i vårdplanering och avdelningsmöten. De bör även vara med och definiera behandlingsmål och delmål samt föreslå och utföra aktiviteter. Målet är att heldygnsvårdtillfället ska bli så kort som möjligt för att undvika institutionalisering men ändå uppnå en förutsägbar och individanpassad vårdperiod.

NHVe ska kunna erbjuda tillräcklig vårdtid (3 månader) där ett långsiktigt perspektiv på rehabilitering (som kan, men inte måste, ske på enheten) och ökad funktionsnivå står i centrum. Tre nationella vårdenheter ska tillsammans ha kapacitet och resurser för ca 100 patienter/år i heldygnsvård. Av dessa är en mindre andel barn varför endast två nationella vårdenheter rekommenderas för denna grupp. Inläggningen på NHVe bör ses som bara en länk i patientens behandlingskedja. Vid heldygnsvård inom NHV bör regelbunden återrapportering och planering ske med hemregionen. Efter adekvat behandlingstid (men maximalt 3 månader) för respektive val av behandling

på NHVe ska behandlingen utvärderas i samråd med patienten och patientens hemmaregion för beslut om ”utskrivning” från NHV. Ansvar för fortsatt behandling kan därefter övertas av patientens hemmaregion. NHVe ansvarar för utslussning tillbaka till hemmaregionen men planeringen görs i samråd mellan patienter, hemmaregionen och NHV.

NHVe ska vid bedömning kunna erbjuda exempelvis telefonkonsultation, vårdgivarmöte digitalt, samt inläggning på NHVe. NHV bör kunna fungera som konsultativt stöd till andra regioner och/eller kommuner, exempelvis återkoppling i form av rekommendationer avseende utrednings- och behandlingsinsatser, samt eventuella förslag på annat stöd, handledning, mobila resurser och fortbildning. Önskvärt vore även om vårdpersonal från hemregionen kan ges möjlighet att auskultera på NHVe och ta del av vården kring den aktuella vårdtagaren.

NHVe bör placeras i anslutning till övrig psykiatrisk heldygnsvård (patienterna måste ha möjligheten att bli flyttade vid försämringar som ej är kompatibla med behandlingsprogrammet) och med närhet till somatisk akutsjukvård, samt även tillgång till goda kommunikationer och läkande miljö i form av naturområden. Dessutom bidrar detta till flexibilitet i personalförsörjningen, dvs inte alla behöver heltidsanställning utan kan delas av andra verksamheter, vilket minskar trycket på psykiatrin i stort.

Den fysiska miljön bör vara så funktionell och adekvat som möjligt på en NHVe. IT-utrustning för behandling och samverkan med hemorten, samt övernattningsmöjligheter för vårdnadshavare, närstående och personal från hemorten behövs.

NHV-enheterna bör vidare ha i uppdrag att:

- Aktivt söka kunskap och hålla sig uppdaterade med utvecklingen inom området
- Medverka i, alternativt genomföra, externa utbildningar på andra orter
- Samverka med universitet och högskolor
- Samverka och benchmarka med varandra
- Redovisa erfarenheter och resultat av forskning och utvärdering i t ex tryckta rapporter, på hemsidor och i samband med möten och konferenser

För att möjliggöra ovanstående föreslår vi att varje enhet också har ett forskningsuppdrag och erbjuder några kombinationstjänster (klinisk verksamhet plus FoU). Det kan t.ex. vara personer som genomför doktorand- eller post doc studier och samtidigt är kliniskt verksamma. Vidare bör ytterligare resurser finnas för att möjliggöra kontakt med lämpliga enheter (forskargrupper) vid universitet och högskolor (dvs. medel för att initiera och finansiera enskilda studier, handledning, resor till och från enheten, konferenser och seminarier). Olika typer av forskningsperspektiv kommer att behövas (såsom beteendevetenskap, pedagogik, omvårdnad, neurovetenskap, psykiatri, habilitering, farmakologi, kognitionsforskning, psykoterapiforskning osv).

Till enheterna bör även ett vetenskapligt råd knytas, med representanter från de egna och andra enheter, samt forskare med adekvat kompetens.

## 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	
<p>Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)</p> <p>Överväger möjligheten och tillgången till NHV nackdelen med ökat avstånd/resor?</p>	<p>En grupp som NHV kan erbjuda hjälp är ex de som idag av geografiska skäl inte får hjälp.</p> <p>De med svåraste besvären får adekvat hjälp.</p> <p>Fördel med bedömningsmomentet och den inledande konsultationen är en potentiell kunskapshöjning i hemregionen, vilket kan leda till bättre vård i patientens hemregion</p> <p>Den definierade patientgruppen kan vara väldigt kostnadsdrivande för hemregionen idag och med NHV kan det bli bättre. Ökar förutsättningar för hemregionen att lägga resurser på fler patienter.</p> <p>Ökad insyn i den regionala vården genom kontakt med NHV, ökad delaktighet och kunskap - empowerment</p> <p>Risk att befintliga resurser går till få patienter. Risk för att dessa patienter prioriteras resursmässigt i remitterande regioner och att andra grupper får stå tillbaka.</p> <p>Förtorad närhetsprincip med vistelser långt hemifrån under längre tid.</p> <p>Inläggning av flera individer med samma problematik kan öka risken för s k klustereffekt.</p>

	Inläggning på annan ort än hemmaort kan öka risken för avbruten behandling. Detta kan även orsaka en risk att inte kunna upprätthålla sociala kontakter och närståendes delaktighet i vården kan minska. Patienten kan välja att avstå vård.
<p>Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring</p> <p>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?</p>	<p>Ökade förutsättningar för kunskapsutveckling.</p> <p>Fördel med bedömningsmomentet i samråd med hemregionen är att det kan ge en potentiell kunskapshöjning i hemregionen, vilket kan leda till bättre vård i patientens hemregion.</p>
<p>Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?</p>	<p>Ökade förutsättningar för forskning kring den svårast sjuka gruppen med samlat patientunderlag.</p> <p>Forskning inom den svårast sjuka gruppen kan ge effekt på kunskap kring den stora andel psykiatriska patienter med självska debeteende.</p> <p>Kan leda till att regioner som inte har NHV kan utveckla kvalitetsarbete till forskning med NHVe-hjälp och stöd, ev. delade forskningsfrågor och engagemang.</p>
<p>Påverkan på närliggande områden</p> <p>Är det något som trängs undan om detta område blir NHVe?</p>	<p>Då behandling av självskada utgör en del av den psykiatriska verksamheten idag och flertalet patienter även fortsättningsvis kommer att behandlas inom hemmregionen sker inte någon särskild undanträngningseffekt.</p> <p>Fortfarande kommer regional heldygnsvårdsmöjlighet behövas.</p> <p>Om tre enheter blir det mindre påverkan på det regionala systemet.</p>
<p>Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.</p> <p>Blir en ökad volym en ökad belastning för akutsjukvården på NHVe?</p> <p>Beskriv också konsekvenserna för akutverksamheterna om denna vård försvinner från sjukhusen.</p>	Ingen större påverkan.
<p>Påverkan på vårdkedjan</p> <p>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?</p>	Med inkluderande av remitterande region kan en negativ påverkan på vårdkedjan undvikas.

<p>Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)</p> <p>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.</p> <p>Behöver vårdgivaren investera i något som inte finns idag? Medför det ökade kostnader att ansvara för NHVe? Observera att samverkan mellan tillståndsinnehavare och remitterter regleras i föreskrifterna.</p>	<p>NHVe innebär en permanent dyrare vård med högre personaltäthet, högre kompetens och därmed dyrare vårdplatser (ca 14 000 kr/dygn i jämförelse med allmänpsykiatrisk dygnsvård ca 9 000 kr/dygn för vuxna och ca 13 000 kr/dygn för barn på BUP). Detta orsakar resurspåverkan på remitterande enheter.</p> <p>De remitterande enheterna kommer sannolikt att uppleva ekonomiska svårigheter och konsekvenser för den större patientgruppen som ligger utanför definitionen.</p> <p>I vissa regioner har man inte samma förutsättningar eller resurser att ge adekvat vård, vilket kan leda till längre vårdtider. Med en intensiv vårdinsats vid NHVe kan eventuellt vårdtiden för denna grupp bli kortare. Med adekvat hjälp under inläggande tid och en fortsatt vårdplanering efter utskrivning kan det förhoppningsvis hjälpa patienten att undvika att hamna i samma svårbehandlade läge igen. Kan man hjälpa denna patientgrupp kan man på lång sikt tjäna på detta utifrån ett samhällsekonomiskt perspektiv.</p> <p>NHVe kan få initiala uppstartskostnader om helt ny verksamhet.</p> <p>Även med existerande verksamhet behöver ev. initial uppstartskostnad för att kunna ta emot fler patienter anpassa vårdinnehåll, utbildning av personal och rekrytering.</p> <p>En nackdel kan potentiellt uppstå om annan verksamhet töms på kompetens – lättare för storstadsregioner att bemanna NHVe.</p> <p>Med "bedömningsdel" kan verksamheten planeras bättre, ge bättre förutsägbarhet och trygghet.</p> <p>Svårighet att säkra kompetensförsörjning av sjuksköterskor och psykiatriker specialiserade inom området. Troligen kommer NHVe varken ha lättare eller svårare att klara kompetensförsörjning av personal än övriga vårdenheter. Generellt har man idag svårt att rekrytera läkare till specialiserade enheter. Kanske kommer det vara lika svårt att rekrytera personal som på övriga vårdenheter men ett NHVe kan eventuellt erbjuda fler utvecklingsmöjligheter som gör att personal vill stanna.</p> <p>Det kan möjligtvis dröja ett par år innan en förutsägbarhet kring vårdvolymerna infinner sig. Inflöde av remisser till NHVe kommer öka för att förhoppningsvis plana ut till de, enligt sakkunniggruppen, förväntade vårdvolymerna (100 patienter/år). För remitterande enheter kan det också ge en viss förutsägbarhet om man vet ungefär</p>
---	--

	<p>hur många patienter som kommer att remitteras. Dock kan slumpen avgöra eftersom det handlar om så små volymer.</p> <p>Risk att tappa kompetens vid verksamheter som inte har NHV-uppdraget – attraktivt att arbeta på NHVe så man söker sig dit. Internationella vårdenheter tappar då kompetens i uppbyggd verksamhet. Kortsiktigt kan detta också påverka dialog mellan NHV och patientens hemregion då "rätt" kompetens har flyttat.</p>
<p>Eventuella konsekvenser för sjuktransporter</p> <p>Är patienterna i behov av särskilda sjuktransporter? Akuta eller planerade?</p>	<p>Ökat transportbehov till NHVe.</p> <p>Bara planerad transport men risken i samband med transport till och från NHV måste alltid beaktas.</p>
<p>Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner</p> <p>Finns det anledning att tro att vårdvolymer 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.</p>	<p>Svårt att uppskatta vårdvolymer men sakkunniggruppen ser snarare en ev minskning om man lyckas åstadkomma bra resultat med en tydligare nationell struktur.</p>
<p><b>Övriga kommentarer:</b></p>	

## 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). Uppföljningsmått ska utgå från nedanstående mall. Uppföljningsmått kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Uppföljningsmått	Beskrivning
<b>Bakgrundsmått</b>	Antal remisser till ett NHVe (Ålder, Kön, Region som remitterat)
<b>Bakgrundsmått</b>	Andel inläggningar efter bedömning (Ålder, Kön, Region som remitterat)  Täljare: Antal inläggningar Nämnare: Antal remisser
<b>Bakgrundsmått</b>	Vårdtid på NHV, antal dygn (Ålder, Kön, Region som remitterat)  Utskrivningsdatum från NHVe minus inskrivningsdatum till NHVe
<b>Bakgrundsmått</b>	Andel som fullföljer behandling (Ålder, Kön, Region som remitterat)  Täljare: Antal som fullföljer behandling Nämnare: Antal som skrivs in på NHVe
<b>Tillgänglighetsmått</b>	Tid från remiss till bedömning (Ålder, Kön, Region som remitterat)  Datum för inkommen remiss minus datum för bedömning
<b>Tillgänglighetsmått</b>	Tid från bedömning till behandlingsstart (Ålder, Kön, Region som remitterat)  Datum för inskrivning minus datum för bedömning

<b>Medicinska mått</b>	Självskadebeteende svårighetsgrad vid inskrivning, utskrivning och 1 år efter utskrivning
------------------------	---

## Referenser

1. Nationella självskadeprojektet – för bättre vård och bemötande av personer med självskadebeteende. Hämtad 2020-01-20 från <https://nationellasjlvskadeprojektet.se/>
2. Vård och insatsprogrammet – självskadebeteende. Hämtad 2020-01-20 från <https://vardochinsats.se/sjlvskadebeteende/>.

## Deltagare i sakkunniggrupp

Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Anna Stenseth, specialist inom psykiatri

Sydöstra sjukvårdsregionen: Maria Zetterqvist, leg. psykolog/leg. psykoterapeut

Norra sjukvårdsregionen: Anna-Karin Drewsen, specialistsjuksköterska psykiatri

Södra sjukvårdsregionen: Sandor Eriksson, socionom

Västra sjukvårdsregionen: Giuseppe Guerriero, specialist inom psykiatri

Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Ann Frånberg, specialist inom barn och ungdomspsykiatri

Patientföreträdare: Conny Allaskog, SHEDO

## 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).

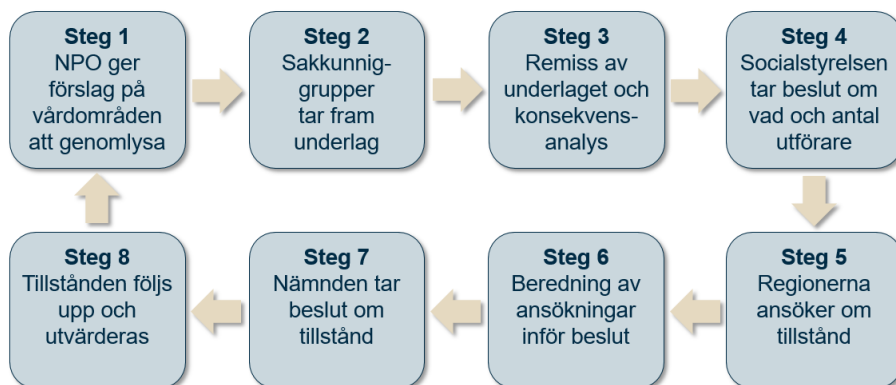
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

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 svårbehandlade ätstörningar som nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för svårbehandlade ätstörningar 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 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 .....	10
Framåtblick .....	15
Förslag till särskilda villkor .....	19
Konsekvenser av rekommendationen .....	22
Uppföljning och utvärdering .....	26
Referenser .....	28
Deltagare i sakkunniggrupp .....	29
Om nationell högspecialiserad vård .....	30

## Ordlista

AN	Anorexia Nervosa
ARFID	Avoidant/Restrictive Food Intake Disorder (restriktivt ätande utan rädsla för viktuppgång)
Beprovad erfarenhet	Där det råder konsensus bland experter och yrkesverksamma kring en viss åtgärd. Åtgärden ska vara provad, dokumenterad och genererad under en längre tidsperiod och av många.
BN	Bulimia Nervosa
EKG	Elektrokardiografi
FBT	Familjebaserad terapi
KBT	Kognitiv beteendeterapi
LVM	Lagen om vård av missbrukare
LPT	Lagen om psykiatrisk tvångsvård
MBT	Mentaliseringsbaserad terapi
NHV	Nationell högspecialiserad vård
Nationella vårdenheter	Nationell högspecialiserad vårdenhet

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet svårbehandlade ätstörningar att vård av patienter med svårbehandlad allvarlig ätstörning, enligt beskrivningen under rubriken Förslag till definition, ska utgöra nationell högspecialiserad vård. Denna vård ska bedrivas vid fem nationella vårdenheter. Tre av dessa vårdenheter ska ansvara för både vuxna, barn och unga. Två av enheterna ska ansvara för enbart vuxna med detta tillstånd.

Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art som kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården är komplex eftersom det exempelvis ofta krävs ett samarbete över flera vårdnivåer och olika aktörer (öppenvård, specialistvård, kommun etc.). Vården är multidisciplinär då bland annat specialistkompetens inom både psykiatri och somatik krävs. Runt patienten krävs en hög personaltäthet med bland annat psykologer, läkare, terapeuter, dietister och specialiserade sjuksköterskor. Det krävs särskild utrustning och lokaler anpassade efter patientens behov. Exempelvis krävs enkelrum med god värme. Upprätthållande och utveckling av kunskap inom de nationella vårdenheterna krävs då personalen ska ha fördjupad kompetens inom en bred repertoar av behandlingsmetoder för att kunna individualisera behandlingen.

Behovet av fem enheter avser framförallt möjligheterna att erbjuda god vård samt att kunna möjliggöra en god tillgänglighet. Antalet vårdenheter motiveras av de relativt höga vårdvolymerna (ca 200 patienter/år, varav ca 80 barn) som ska fördelas på ca tio vårdplatser/enhet för vuxna samt ca fem vårdplatser/enhet för barn. För att de nationella vårdenheterna ska kunna erbjuda kvalitativ och patientsäker vård och samtidigt kunna upprätthålla adekvata jourlinjer bedömer sakkunniggruppen att antalet enheter och vårdplatser/enhet inte ska vara färre.

Konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva. Sakkunniggruppen bedömer att den intensiva behandlingen samt den särskilda kompetensen hos personalen vid en nationell vårdenhet kan ge större möjligheter till patientens tillfrisknande och även ge ökade möjligheter till kunskapsöverföring till remitterande regioner.

Sakkunniggruppen bedömer att påverkan på akutsjukvården inom detta område är liten. Dock kan det innebära en något högre belastning på både somatisk akutmottagning samt konsultverksamheten från psykiatrisk akutmottagning vid de nationella vårdenheterna. De nationella vårdenheterna kommer att kunna hantera svårare fall (somatiskt instabila) i större utsträckning än idag.

Sakkunniggruppen bedömer inte att det blir någon undanträngning av omkringliggande områden vid de nationella enheterna.

# Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Nationella vårdenheter ska ansvara för bedömning om fortsatt behandling, inklusive beslut om eventuell inläggning vid nationella vårdenheter, för nedanstående patientgrupper:

1. Patienter med allvarlig ätstörning med eller utan primär somatisk eller psykiatrisk samsjuklighet där flera, men max fyra, evidensbaserade\* behandlingsförsök med adekvat intensitet genomförts i hemregionen.
2. Patienter med akut medicinsk instabilitet, primärt orsakad av en ätstörning, som inte kan behandlas inom regional verksamhet.

Utöver de ovanstående ska nationella vårdenheter även följa upp alla patienter som behandlats vid en nationell vårdenhet ett år efter utskrivning från den nationella vårdenheten.

\*I enlighet med rådande kunskapsunderlag och beprövad erfarenhet [1]. Varav minst ett behandlingsförsök har varit inläggande eller dagvård i patientens hemregion.

## Antal enheter

Fem vårdenheter för vuxna, tre av dessa enheter ska även kunna omhänderta barn.

## Avgränsningar

I Socialstyrelsens arbete att tillsammans med sakkunniggrupper genomlysna vård som ska bedrivas som nationell högspecialiserad vård kan sakkunniggruppen också identifiera områden som primärt inte bör ingå i tillståndet. Nedan följer de områden som sakkunniggruppen för svårbehandlade ätstörningar har identifierat:

1. Patienter vårdade enligt lagen om vård av missbrukare i vissa fall (LVM).

Då missbruk/beroende är så pass stort att LVM är taget bör den vården prioriteras och genomföras på missbruksspecialiserad enhet. Därefter kan vård på nationella vårdenheter för ätstörningen ta vid.

2. Tvångsvårdade patienter med allmänfarlig sjukdom enligt smittskyddslagen.

Detta kan innebära att patienten är isolerad på infektionsklinik varför denna vård bör prioriteras före vård på nationella vårdenheter.

3. Patienter vårdade enligt lagen om rättspsykiatrisk vård (LRV).

De enheter som bedriver vård enligt LRV har högre säkerhetskrav på lokalen, vilket inte är nödvändigt på nationella vårdenheter.

4. Patienter med svåra och långvariga ätstörningar (>10 års sjukdom) utan motivation att få behandling.

En mindre andel personer förblir sjuka i sin ätstörning trots upprepade behandlingsförsök. Tillståndet hos denna grupp definieras som svår och långvarig ätstörning. Som patienter får de i landet olika vårdinsatser, oftast med fokus på så god medicinsk stabilitet som möjligt och ett fortsatt arbete med förbättring av dessa patienters livskvalitet. Majoriteten av patienterna i denna grupp är i behov av mer långvarigt stöd i sin närmiljö än vad som är möjligt att erbjuda inom ramen för nationell högspecialiserad vård.

5. Patienter med akut hög suicidrisk.

Patienter med förhöjd risk för suicidalitet kan vara olämpliga att tas från sitt sammanhang i sin hemregion. Sakkunniggruppen bedömer att dessa grupper bäst behandlas i sin hemregion och inkluderas inte primärt i detta förslag.

# Bakgrund

## Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

### **Diagnostik och beskrivning av området**

Ätstörningar består främst av tre huvuddiagnoser (anorexia nervosa [AN], bulimia nervosa [BN] och hetsättningsstörning), ett flertal andra diagnoser som mer eller mindre påminner om huvuddiagnoserna (partiella diagnoser, subtröskel- och atypiska varianter) samt undvikande/restriktivt ätande utan rädsla för viktuppgång (ARFID). Ätstörningar är generellt sett komplexa tillstånd med många negativa psykologiska, somatiska och sociala konsekvenser som har en tendens till att ha en kronisk bana. AN rankas bland de tio vanligaste orsakerna till funktionsnedsättning bland unga kvinnor. Mortalitetstalen vid framför allt AN är bland de högsta inom de psykiatriska diagnosgrupperna och dödsorsaken är oftast en följd av somatiska komplikationer utifrån svält/självrensning eller på grund av självmord. Samsjukligheten är hög och omfattas av såväl psykiatriska som somatiska tillstånd där etiologin ser olika ut, med negativa cirklar som förstärker varandra. Svält och andra former av extrem återhållsamhet i ätandet, eller kompensatoriska beteenden såsom självframkallad kräkning påverkar individens somatiska och psykologiska fungerande på sådant sätt att störningen vidmakthålls. T.ex. kan patienten bli mer rigid, orolig, osäker i sitt beslutsfattande och extremt upptagen av tankar på mat, ätande och sin kropp. Detta i kombination med att patienten lider av olika bristtillstånd och negativ påverkan på basala somatiska funktioner försvårar det dagliga fungerandet (skola, arbete, socialt liv). Detta kan i sin tur öka isoleringen och minskar utrymmet för möjlighet till adekvat påverkan från omgivningen (familj, vänner och även vårdapparaten). Patientgruppen blir också extra komplex av att det förekommer en viss så kallad ”smittorisk” mellan inläggande patienter, vilket innebär att patienten inspireras av varandra i vidmakthållande av sin sjukdom. Det förekommer också så kallade ”anorektiska karriärer” då den enskilde patienten kan ha som mål att bli behandlad vid högspecialiserade enheter och förvärrar därmed sitt sjukdomstillstånd för att nå detta mål.

### **Behandling**

För patienter med ätstörningar och komplex samsjuklighet finns i dagsläget inte några evidensbaserade behandlingar trots att man ägnar stora resurser åt deras omhändertagande och behandling. En subgrupp av dessa patienter kan bli somatiskt mycket instabila och i behov av högspecialiserad medicinsk kompetens, ofta i form av inläggningar (exempelvis telemetriövervakning, nutritionsrehabilitering, etc.) kombinerad med psykiatrisk/psykologisk kompetens. Behandlingsresultaten för patienter med komplex samsjuklighet är ofta mycket blygsamma och patienterna löper stor risk att på sikt hamna i gruppen ”svår och långvarig ätstörning”. I många fall, av framförallt AN, är

också den somatiska hälsan drastiskt påverkad av svält, vilket försvårar och komplicerar behandlingen. Detta gäller även för en mindre andel patienter med BN och hetsättningsstörning, där ett flertal behandlingar inklusive evidensbaserade behandlingar såsom kognitiv beteendeterapi (KBT) har testats utan adekvat framgång och där ofta den somatiska hälsan är avsevärt påverkad (t.ex. pga. hög frekvens av självframkallad kräkning).

En effektiv behandling kräver dels tidig upptäckt (framförallt gällande AN), dels multidisciplinär specialistkompetens. Multidisciplinär specialkompetens krävs hos personalen för att kunna hantera både somatisk medicinsk instabilitet och en bred repertoar av evidensbaserade psykiatriska behandlingarna för att kunna vara flexibla i sitt förhållningssätt mot den individuella patienten. Av de olika behandlingarna som erbjuds idag, saknar för närvarande ett flertal erkänd empirisk evidens. Dock har man genom internationell forskning sett att ungefär hälften av de insjuknade blir friska som ett resultat av evidensbaserad vård, och på längre sikt tillfrisknar en ännu större andel, även om tillfrisknandegraden är lägre vid AN (runt en fjärdedel blir kvar i sjukdomen efter tio år). Bäst behandlingsresultat har man sett när personalen runt patienten är specialiserad på just ätstörningar då det inom en ätstörningsenhet krävs ett gemensamt och stringent förhållningssätt med konsekvent kommunikation gentemot patienten för att uppnå goda behandlingsresultat. Negativa prognostiska faktorer är bland annat självrensning, psykiatrisk samsjuklighet (t.ex. affektiva sjukdomar, autismspektrumstörning och personlighetsstörning) samt missbruk. Vårdresultaten i Sverige är svåra att uttala sig om då uppföljningsdata rapporteras i så pass låg utsträckning till kvalitetsregistret, Riksät, att det omöjliggör adekvata analyser och robusta slutsatser.

### **Ätstörningsvården idag**

Den specialiserade ätstörningsvården är organiserad på olika sätt i landet. I många regioner blir ätstörningspatienter inlagda vid allmänpsykiatriska avdelningar där personalen behöver hantera många olika patientgrupper. Detta medför uppenbara strukturella och organisatoriska svårigheter att upptäcka problematiken i tid samt åstadkomma adekvat och kvalificerad ätstörningsvård.

Ojämligheterna i vården syns även i brister på kompetens och resurser gällande bedömning och behandling av ätstörningar. Exempelvis så används felaktiga medicinska behandlingar och inte sällan uteblir adekvat psykologisk behandling. Inom den specialiserade vården för ätstörningar finns mycket stor variation gällande typ, duration och intensitet av behandling. Evidensbaserade öppenvårdsbehandlingar (t.ex. familjebaserad behandling eller KBT) består i regel av ca 20–40 sessioner fördelade över 5–12 månader. När dessa behandlingar inte ger effekt erbjuds dagvård eller heldygnsvård, beroende på tillgänglighet. Det är inte ovanligt att en patient får flera omgångar av i stort sett samma behandling, då motivationen till förändring varierar över tid. För vissa patienter krävs långa, och ibland akuta, transporter för att få adekvat vård.

I Sverige finns ca 60 enheter som behandlar patienter med ätstörningar. Av dessa är ett tjugotal enheter allmänpsykiatriska mottagningar för barn (BUP) eller vuxna och resten har specialiserade ätstörningsteam. Behandlingsinnehållet varierar mellan regioner och enheter och behandlarteamens storlek kan se olika ut. Vården kan innebära dagvård och heldygnsplatser. Ett 10-tal specialiserade behandlingshem, samtliga i privat regi, behandlar även de svårast sjuka patienterna dit de remitteras när de är så allvarligt sjuka i sin ätstörning att behandlingen i patientens hemregion inte är tillräcklig. Det finns ingen transparent data om utfallet av behandling vid behandlingshem.

Patientgruppen med svårbehandlade ätstörningar är mycket resurskrävande för regionerna. Patienterna riskerar att bli långvarigt ineliggande och på det sättet blockerar de både personalresurser och vårdplatser för mindre sjuka patienter som är i behov av kortare ineliggande insatser.

### Nationell högspecialiserad vård

Den samlade spjutspetskompetensen inom somatik, psykiatri, psykologi och omvårdnad kan inte organiseras inom alla 60 specialistmottagningar för ätstörningar. Patienterna som är målgruppen i detta förslag har fått de behandlingar som kan erbjudas inom ramen för specialistpsykiatri och inte blivit hjälpta i sin hemregion. Sakkunniggruppen bedömer att en koncentration av vården av dessa patienter kan bidra till ökad kunskapsutveckling och betydande framsteg av vårdresultaten inom denna målgrupp.

### Vårdvolymer

Sakkunniggruppen bedömer att gruppen svårast sjuka har ökat under de senaste åren. Även barn med svårbehandlade ätstörningar bedöms ha ökat. Sakkunniggruppen vill dock betona svårigheten med att uppskatta korrekta vårdvolymer då det i dagsläget inte finns något heltäckande kvalitetsregister för uppföljning och utvärdering (tabell 1).

Uppskattade vårdvolymer	Barn	Vuxna	Total
Södra sjukvårdsregionen	10	15	ca 25
Västra sjukvårdsregionen	10	20	ca 30
Sydöstra sjukvårdsregionen	10	12	ca 20
Uppsala-Örebro sjukvårdsregion	10	12	ca 20
Stockholms sjukvårdsregion	20	40	ca 60
Norra sjukvårdsregionen	17	14	ca 30
<b>Totalt</b>	<b>77</b>	<b>113</b>	<b>180 - 200</b>

Tabell 1. Uppskattade vårdvolymer inom definitionen.

### Forskning

Den forskning som bedrivs i Sverige är mångfacetterad, från multidisciplinära studier med fokus på genetik, fysiologi, psykologi och sociala faktorer som förklarar uppkomsten av ätstörningar, till studier om ätstörningars fenomenologi, prevention och behandling. Forskningen om ätstörningar är dock

mycket begränsad i jämförelse med andra psykiatriska störningar och i relation till deras förekomst och allvarliga konsekvenser. Det görs också extremt lite forskning om svåra och komplexa ätstörningar som förekommer hos den grupp som enligt detta förslag är kandidater för högspecialiserad vård.

Kvalitetsregistret (Riksät) för ätstörningsbehandling initierades 1999 och ca 60 enheter som behandlar patienter med ätstörningar är anslutna i varierande grad och under olika tidsperioder. Samtliga ätstörningsenheter inom BUP och vuxenpsykiatri är dock inte registrerade i kvalitetsregistret. Trots insatser för ökad användarvänlighet och användbarhet har Riksät inte uppfyllt kraven för att få fortsatt stöd från SKR. Sedan första januari 2020 saknar Riksät ekonomiskt stöd från SKR. Ett klinikervänligt system som möjliggör forskning på nationell nivå är en förutsättning för att planera, bedriva och utvärdera adekvat ätstörningsvård i Sverige.

En koncentration av vården kring de svårast sjuka, enligt detta förslag, skulle ge ökade möjligheter att följa dessa patienter och bedriva forskning. Sverige är ett litet land och forskningen om ätstörningar skulle gynnas av samordning och större samarbete mellan forskargrupper som har fokus på ökad förståelse för ätstörningar psykopatologi, förebyggande och behandling.

## Internationell utblick

Flera europeiska länder har nationella vårdprogram eller riktlinjer för ätstörningsvård. Man har också i flera länder på olika sätt nivåstrukturerat ätstörningsvården. Det är dock bara i ett fåtal länder som ätstörningsvården är föremål för uppdrag motsvarande nationell högspecialiserad vård.

I Danmark bedrivs ätstörningsvården på tre nivåer där den tredje nivån kan anses motsvara nationell högspecialiserad vård. I Danmark har man definierat vilka patienter med ätstörning som ska vårdas på högspecialiserad nivå utifrån ett relevant genomfört behandlingsförlopp på regional nivå utan tillräcklig behandlingseffekt. För vuxna uppskattar man att detta rör sig om ca 100–150 patienter/år. För barn och ungdomar är uppdraget patienter 4–11 år med ätstörning samt patienter över 12 år med ätstörning och ett eller flera kriterier enligt nedan, som uppskattas till ca 50 patienter/år:

- Den samlade bedömningen av patientens sjukdomsgrad talar för att patienten ska behandlas på nationell högspecialiserad nivå
- Tillståndet är diagnostiskt svårbedömt trots gedigen klinisk utredning på regional nivå
- Det har genomförts minst två behandlingsförlopp enligt gängse praxis på regional nivå utan tillräcklig behandlingseffekt
- Patienten har svår psykiatrisk samsjuklighet.

Vidare kan behov av högspecialiserad diagnostik finnas trots grundlig klinisk utredning på hemklinik. Efter minst två behandlingsförsök på hemklinik med otillräcklig effekt och/eller somatisk samsjuklighet som skapar diagnostiska och behandlingsmässiga svårigheter motiveras remiss. Efter utredning och

diagnosticering kan dock patienten remitteras åter till hemklinik för behandling.

I Norge saknas nationell högspecialiserad vård vid ätstörning men det finns gemensamma riktlinjer för vad specialiserade enheter ska erbjuda för insatser.

I Finland ingår inte ätstörningar i de tillstånd som behandlas i motsvarande nationell högspecialiserad vård.

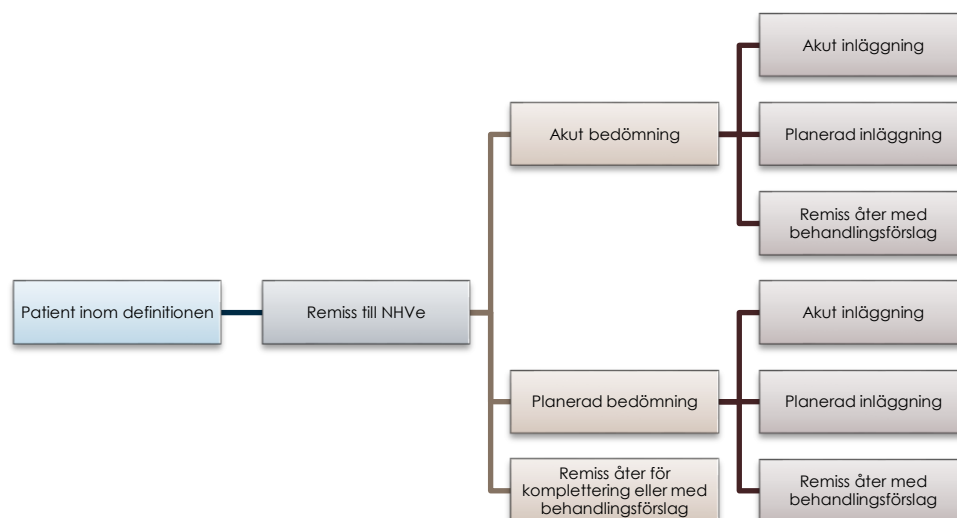
## Framåtblick

### Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

Patientgruppen som är aktuell för nationell högspecialiserad vård är den som inte har fått hjälp av mer intensiva former av behandling inom specialiserad vård i sin hemregion. Dessa patienter behöver hjälp vid specialistenheter med fördjupad kunskap om ätstörningar så väl som somatisk problematik inom patientgruppen. Nationell högspecialiserad vård kan vara en rimlig lösning för att tillgängliggöra och samordna den kapacitet och kompetens som kan hjälpa dessa svårast sjuka patienter, oavsett vilken del av landet de kommer ifrån. Nationella vårdenheter ska kunna omhänderta patienter med svårbehandlade ätstörningar med såväl psykiatriskt som somatiskt vårdbehov. Vid bedömning av det medicinska allvaret kan nedanstående värden vara vägledande, dock är det den samlade kliniska bilden som avgör:

- Allvarlig svält och viktnedgång (till exempel BMI <14 hos vuxna) samt snabb och uttalad viktnedgång hos barn i kombination med total matvägran/dryckesvägran.
- Puls <40, eller takykardi >120 eller pulsstegring i stående > 20 slag/min.
- Blodtryck <90/60 i liggande.
- Blodtrycksfall i stående >10 mmHg.
- Kroppstemperatur <35,5.
- Allvarliga elektrolytrubbningar.
- Förlängd QT-tid. (EKG)
- Tecken på uttorkning.
- Allvarliga ödem.
- Påverkat allmäntillstånd (svimning, muskelsvaghet, hjärtklappning, tryck över bröstet etcetera).
- Patienter som uppfyller ovanstående och som inte är samarbetsvilliga bör bedömas avseende vård enligt LPT.

De nationella vårdenheterna ska ta fram kriterier för vad en remiss ska innehålla. De ska även ange riktlinjer för vilken somatisk bedömning som ska genomföras innan en remiss skickas (figur 1).



Figur 1. Förslag på vårdflöde till nationella vårdenheter.

De aktuella patienterna är i behov av dagvård och/eller heldygnsvård med en högre behandlingsintensitet och individualiserad behandlingsplan. Nationella vårdenheter ska ta fram individuellt anpassade vårdplaner, tillsammans med patienten och den remitterande enheten, baserat på nationella riktlinjer och under vårdtiden tillämpa en systematisk och kontinuerlig klinisk utvärdering med hänsyn till både samsjuklighet och deras somatiska instabilitet.

För att det ska vara möjligt att ha utrymme att ta emot patienter som är i behov av vård vid nationella vårdenheter och med hänsyn till intensiteten av föreslagna interventioner föreslår sakkunniggruppen en behandlingstid på tolv veckor för vuxna och sex veckor för barn tillsammans med sina familjer. Behandlingstiden för barn är kortare delvis på grund av logistiska utmaningar för anhöriga att vara borta från sin normala kontext. Men anhörigas närvaro och engagemang i heldygnsvården av patienten möjliggör även att behandlingen snabbare kan initieras i patientens hemmaregion.

Vårdvolymen (ca 200 patienter/år), möjlighet till adekvat kunskapsutveckling om patientgruppen, långa vårdtider för varje enskild patient, samt behov av en geografisk spridning över landet föranleder rekommendationen att denna vård ska bedrivas vid fem vårdenheter varav tre också ska omhänderta barn. Sakkunniggruppen bedömer att en adekvat storlek på en nationell vårdenhet är ca 10 vårdplatser/enhet för vuxna, för att kunna tillgodose kvalitativ vård. För barn bedöms fem vårdplatser/enhet vara lämpligt.

Vid nationella vårdenheter ska kompetens och resurser finnas för bedömning, utredning och behandling av svår ätstörning och eventuell samsjuklighet (t.ex. depression, ångestsyndrom, självskadebeteende, utagerande beteende, tvång, autism, missbruk, diabetes). Nationella vårdenheter ska ha en hög personaltäthet och arbeta i multidisciplinära team med särskild kunskap kring svårbehandlade ätstörningar. I det multidisciplinära teamet bör följande yrkesgrupper ingå; läkare med medicinsk (somatisk) och psykiatrisk kompetens, psykolog, psykoterapeut exempelvis inom KBT, familjeterapi och indi-

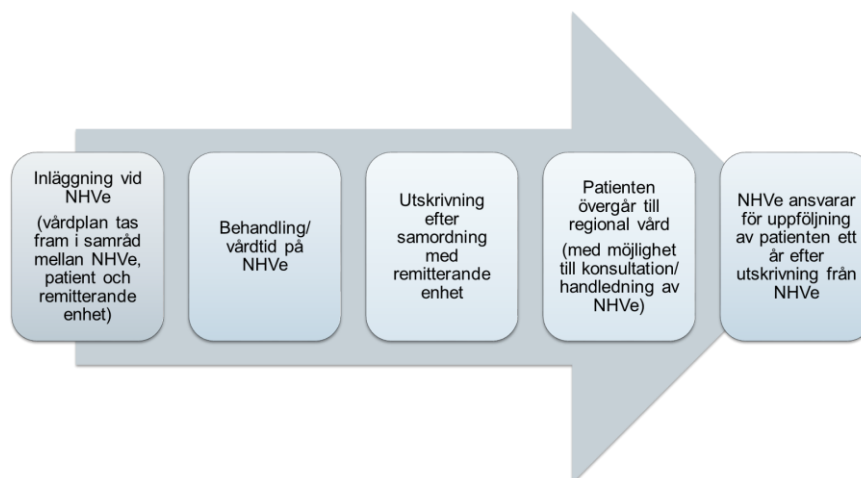
vidualterapi, specialistsjuksköterska inom psykiatri, omvårdnadspersonal, dietist och socionom med fördjupad utbildning och erfarenhet inom ätstörningsområdet.

Personalen vid de nationella vårdenheterna ska ha erfarenhet och fördjupad kunskap inom olika typer behandlingsinterventioner som kan anpassas efter patientens behov. Personalen vid en nationell vårdenhet ska regelbundet uppdatera sina kunskaper enligt internationell forskning och konsensus. Nationella vårdenheter ska erbjuda fortbildning till kollegor runt om i landet genom exempelvis sin forskning, utbildningsdagar och föreläsningar etc. Nationella vårdenheter ska regelbundet utföra egna utvärderingar och verka för utveckling av kvaliteten på vårdplaner tillsammans med patienten och patientens vårdgivare i dess hemregion.

Nationella vårdenheter ska erbjuda dygnet-runt-vård samt separata avdelningar för barn och vuxna. Det är motiverat med dygnet-runt vård för svårbehandlade ätstörningar men sakkunniggruppen bedömer att det då krävs ett samarbete med annan psykiatrisk verksamhet för att jourverksamheten ska fungera. Det är även motiverat att ha olika avdelningar för barn och vuxna. Detta kan dock vara resurskrävande, därav förslaget på samarbete ovan. Att ha dessa avdelningar på samma nationella vårdenheter underlättar även kunskapsutbytet och överföring mellan avdelningar då patienten fyllt 18 år under vårdtiden. Man kan också med fördel tänka ett en ungdom mellan 16–18 år är inläggande på vuxenavdelning när en sådan lösning bedöms ge bättre resultat.

Nationella vårdenheter ska utöver kompetens och kapacitet för somatisk behandling (exempelvis sondmatning, täta kontroller av fysisk status, EKG-registrering osv.) ha adekvata och relevanta psykiatriska utrednings- och behandlingsmetoder som utförs med särskild intensitet med fokus på de vidmakthållande variablerna som är specifika för den enskilda patienten. Interventionerna vid nationella vårdenheter ska utgå från patientens och vårdens perspektiv samt vetenskap och beprövad erfarenhet, exempelvis måltidsstöd, kognitiv beteendeterapi (KBT), familjeterapi (FBT), och multifamiljeterapi (MFT).

Efter vårdtiden på nationella vårdenheter rekommenderar sakkunniggruppen att dessa ska kunna erbjuda boostersessioner för att stödja patienten efter sin vårdtid och i sitt tillfrisknande. Konsultation från nationella vårdenheter ska kunna erbjudas under en övergångsperiod upp till ett år efter utskrivning (figur 2).



Figur 2. Förslag på vårdprocess från inläggning till utskrivning från nationella vårdenheter.

Nationella vårdenheter ska ha kapacitet och förmåga att tillgängliggöra och tillgodose patientens informationsbehov på ett adekvat sätt. Nationella vårdenheter ska i möjligaste mån involvera vårdgivare i hemregionen. Den remitterande enheten bör därför erbjudas möjlighet att vara delaktig i vårdprocessen även när patienten är inlagd vid nationella vårdenheter. Det ska finnas en adekvat planering tillsammans med vårdgivare och andra aktörer t.ex. hemkommunen, för fortsatt behandling i patientens hemregion efter utskrivning från en nationell vårdenhet.

De nationella vårdenheterna ska ta fram ett vårdprogram baserat på nationella riktlinjer men också på forskning och beprövad erfarenhet.

Nationella vårdenheter för ätstörningar ska kunna ta hand om patienter som behandlas med stöd av lagen om psykiatrisk tvångsvård. Enheterna kan också med fördel placeras i närheten av nationella vårdenheter för självska-debeteende för en lättare samverkan.

Genom att regelbundet samverka med relevanta brukarorganisationer kan nationella vårdenheter bidra till kunskapsöverföring och kunskapsutbyte utifrån ett brukar- och patientperspektiv.

## 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.

<b>Kompetens och resurser</b>	
Kritisk medicinsk kompetens (läkare)	<p>Behandlingsteam med särskild kompetens, erfarenhet och handledningskompetens att arbeta med ätstörningar.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Specialistläkare inom vuxenpsykiatri med erfarenhet och kompetens inom adekvata och evidensbaserade behandlingsmetoder</li> <li>Specialistläkare inom internmedicin eller annan internmedicinsk specialitet</li> </ul> <p>För enheter med ansvar för barn:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Specialistläkare inom barnpsykiatri med erfarenhet och kompetens om adekvata och evidensbaserade behandlingsmetoder</li> <li>Specialistläkare inom pediatrik med internmedicinsk inriktning</li> </ul> <p>Inom teamen på samtliga enheter måste det finnas läkarkompetens inom annan samsjuklighet såsom självskadebeteende, neuropsykiatriska tillstånd och personlighetsyndrom.</p>
Andra typer av kompetens (t.ex. specialkompetent sjuksköterska, kurator, psykolog, fysioterapeut)	<p>Behandlingsteam med särskild kompetens och erfarenhet att arbeta med ätstörningar och annan psykiatrisk samsjuklighet.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Leg. psykolog</li> <li>Leg. psykoterapeut</li> <li>Leg. Specialistsjuksköterska med psykiatriinriktning</li> <li>Socionom/kurator</li> <li>Dietist</li> <li>Mentalskötare</li> </ul>
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>Enkelrum med bra värme</li> <li>Sängar som har decubitusmadrasser för att undvika liggsår och smärtor i kroppen</li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Möjlighet att vårda patienter med behov av ventrikelsond</li> <li>• God digital datauppkoppling mellan Nationella vårdenheter och hemklinik för säker uppföljning och överrapportering</li> <li>• Kapacitet och resurser för akuta bedömningar och konsultation</li> <li>• Beredskap för LPT-vård</li> </ul> <p>För enheter som ansvarar för barn:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Egna avdelningar för barn respektive vuxna</li> </ul>
Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Annan psykiatrisk verksamhet</li> <li>• Somatisk vård med pediatrika och invärtesmedicinska enheter med möjlighet till telemetriövervakning (EKG)</li> <li>• IVA</li> <li>• Psykologisk behandling</li> </ul> <p>För enheter med ansvar för barn:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Skolverksamhet för skolpliktiga barn (skollagen)</li> </ul>
Kritiska diagnostiska metoder	
Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NATIONELL HÖGSPECIALISERAD VÅRD (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Behandling ska ske enligt nationella vårdprogram/riktlinjer och andra nationella kunskapsstöd.</li> <li>• Interventionerna vid Nationella vårdenheter ska utgå från patientens och vårdens perspektiv, vetenskap och beprövad erfarenhet. Exempelvis måltidsstöd, kognitiv beteendeterapi (KBT), familjeterapi (FBT), och multifamiljeterapi (MFT).</li> </ul>
Rehabilitering (särskilt anpassad till behovet)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Nationella vårdenheter ska erbjuda en meningsfull och varierad daglig verksamhet och en lämplig sysselsättning för vårdtagaren under vårdtiden.</li> <li>• Nationella vårdenheter ska kunna erbjuda daglig rekreation utanför vårdenheten under tiden patienten är inlagd.</li> </ul>
Övrigt (krav på Nationella vårdenheter att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Nationella vårdenheter ska arbeta för utveckling av tillgängliga och nya vårdåtgärder.</li> <li>• Nationella vårdenheter ska ha adekvata forskningsresurser</li> <li>• Nationella vårdenheter ska ta fram individanpassade interventioner och vårdplaner i samråd med patienten och relevanta aktörer vid patientens hemregion. Muntligen och skriftligen framställda.</li> <li>• Nationella vårdenheter ska överrapportera till remitterande enheten genom videokonferens och skriftlig epikris samt följa upp patientrapporterade mått.</li> <li>• Nationella vårdenheter ska ha resurser och kapacitet att erbjuda konsultverksamhet under en övergångsperiod upp till ett år efter utskrivning.</li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"><li>• Nationella vårdenheter ska ha kapacitet och resurser för att erbjuda inplanerade boostersessioner för patienter och närstående som har varit ineliggande vid nationella vårdenheter, under en övergångsperiod upp till ett år efter utskrivning.</li><li>• Nationella vårdenheter ska ha ett tydligt närståendeperspektiv med möjlighet till hög delaktighet i vården.</li><li>• I nära anslutning till nationella vårdenheter ska det finnas patienthotell eller motsvarande att tillgå.</li><li>• Nationella vårdenheter förväntas ansvara för utbildning och kompetensöverföring till kliniker och bistå till andras och egen forskning.</li><li>• Nationella vårdenheter ska ha ett organiserat samarbete med relevant brukarorganisation.</li><li>• Nationella vårdenheter ska gemensamt ta fram informationsmaterial till patient och närstående.</li><li>• Nationella vårdenheter jourlinje – dygnet runt-bemanning som kan samordnas med andra psykiatriska verksamheter. På kontorstid ska nationella vårdenheter ha egen beredskap för akutverksamhet</li><li>• Möjlighet att ta emot patienter som behandlas med stöd av lagen om psykiatrisk tvångsvård</li></ul> <p>För enheter som ansvarar för barn:</p> <ul style="list-style-type: none"><li>• För barn och unga ska det finnas övernattningsmöjligheter för familjen på avdelningen där patienten är ineliggande.</li><li>• Möjlighet att ta emot patienter som behandlas med stöd av lagen om psykiatrisk tvångsvård</li></ul>
--	---

## 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 ett 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	
<p>Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)</p> <p>Överväger möjligheten och tillgången till Nationella vårdenheter nackdelen med ökat avstånd/resor?</p>	<p>Fördelar med att koncentrera vård vid svårbehandlade ätstörningar är bl.a. att mindre enheter som inte har kompetens eller möjlighet att erbjuda kvalificerad och adekvat vård kan remittera till Nationella vårdenheter.</p> <p>Nationella vårdenheter ökar förutsättningarna för individanpassad vård genom att personalen är särskilt kompetent inom en mängd olika behandlingsinterventioner</p> <p>Ett långsiktigt tillfrisknande kan potentiellt åstadkommas genom erhållande av en rekommenderad behandlingsplan/vårdplan samt uppföljning som sträcker sig ett år efter utskrivning</p> <p>Samarbete mellan remitterande enheten och nationella vårdenheter kan bidra till kunskapsöverföring.</p> <p>Vistelse och vård på nationella vårdenheter under en längre period kan försvåra kontinuitet i kontakt med anhöriga, vänner, arbete/skola och vårdansvariga i hemregionen.</p> <p>Avståndet mellan hemregion och de nationella vårdenheterna kan minska närståendes möjlighet till delaktighet i vården.</p> <p>Risk finns att befintliga resurser går till ett fåtal patienter.</p> <p>Det kan möjligen skapas en kultur på nationella vårdenheter som är "smittsam", dvs</p>

	<p>om de enda andra (förutom behandlingspersonal) som en patient träffar är andra patienter med samma svåra sjukdomsbild kan tillgången friska beteenden och tankar bli mycket begränsade. Denna risk finns dock redan idag på existerande ätstörningsenheter.</p> <p>Vissa patienter kommer att ha geografiskt mycket närmare mellan hem och nationella vårdenheter med större möjlighet att enkelt slussas tillbaks till "vanlig vård" och hemmet än andra. En geografisk spridning på föreslagna fem enheter blir därför viktigt ur ett jämlikhetsperspektiv.</p>
<p>Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring</p> <p>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?</p>	<p>I sjukvårdsregionen kan det finnas en risk att man tappat kompetens att bedriva vård för denna patientgrupp. En geografisk spridning på föreslagna fem enheter blir därför viktigt ur ett jämlikhetsperspektiv.</p> <p>Kunskapsstapp kan kompenseras med att nationella vårdenheter utför bedömning och överför kunskap till regionerna utan NHV-tillstånd.</p>
<p>Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?</p>	<p>En koncentration av de mest komplexa och svårast sjuka ger ökade förutsättningar för forskning med ökat patientunderlag.</p> <p>Samarbete mellan forskarutbildning på Universitetssjukhus och nationella vårdenheter borde öka den vetenskapliga kompetensen. Nationella vårdenheter kan inspirera till utökad forskning och kvalitetsarbete i Regionerna.</p>
<p>Påverkan på närliggande områden</p> <p>Är det något som trängs undan om detta område blir Nationella vårdenheter?</p>	<p>Ökad belastning inom somatisk vård där man bedriver nationell högspecialiserad vård.</p> <p>Det bör inte uppstå undanträngning på Nationella vårdenheter då heldygnsplatser redan existerar. Heldygnsplatserna på Nationella vårdenheter kompletteras till redan befintliga vårdplatser.</p> <p>På icke-nationella vårdenheter frigörs heldygnsvård för övriga patienter.</p>
<p>Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta område i stort.</p> <p>Blir en ökad volym en ökad belastning för akutsjukvården på Nationella vårdenheter?</p> <p>Beskriv också konsekvenserna för akutverksamheterna om denna vård försvinner från sjukhusen.</p>	<p>Det kan innebära att fler patienter vid nationella vårdenheter kommer att behöva hjälp av den somatiska akutmottagningens resurser med konsekvens ökade köer på akuten. Men nationella vårdenheter kommer att kunna hantera svårare fall (somatiskt instabila) i större utsträckning än vad som görs inom specialiserad vård idag. Viss andel kommer dock att behöva skickas akut via akuten och eller IVA.</p> <p>Eventuellt ökat behov vid nationella vårdenheter av konsultativ jourverksamhet från psykiatrisk akutmottagning.</p>

	Eventuellt mindre belastning på icke-nationella vårdenheter.
<p>Påverkan på vårdkedjan</p> <p>Kommer den vårdkedja som finns idag att påverkas? T.ex. att länsjukhuset hoppar över regionsjukhuset när en diagnos ska konfirmeras och remitterar direkt till Nationella vårdenheter?</p>	<p>Det är egentligen ingen skillnad från hur det ser ut idag. Patienterna måste hanteras i sina hemregioner.</p> <p>Hemsjukhuset kommer exempelvis att behöva behålla vissa patienter till dess att patienten är tillräckligt medicinskt stabil för att bedömas klara av transport till nationella vårdenheter.</p>
<p>Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)</p> <p>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.</p> <p>Behöver vårdgivaren investera i något som inte finns idag? Medför det ökade kostnader att ansvara för Nationella vårdenheter? Observera att samverkan mellan tillståndsinnehavare och remittenter regleras i föreskrifterna.</p>	<p>Nationella vårdenheter innebär en permanent dyrare vård med högre personaltätthet, högre kompetens och därmed dyrare vårdplatser (ca 14 000 kr/dygn i jämförelse med allmänpsykiatrisk dygnsvård ca 9 000 kr/dygn för vuxna och ca 13 000 kr/dygn för barn på BUP). Detta orsakar resurspåverkan på remitterande enheter.</p> <p>De remitterande enheterna kommer sannolikt att uppleva ekonomiska svårigheter och konsekvenser för den större patientgruppen som ligger utanför definitionen.</p> <p>I vissa regioner har man inte samma förutsättningar eller resurser att ge adekvat vård, vilket kan leda till längre vårdtider. Med en intensiv vårdinsats vid nationella vårdenheter kan eventuellt vårdtiden för denna grupp bli kortare. Med adekvat hjälp under ineliggande tid och en fortsatt vårdplanering efter utskrivning kan det förhoppningsvis hjälpa patienten att undvika att hamna i samma svårbehandlade läge igen. Kan man hjälpa denna patientgrupp kan man på lång sikt tjäna på detta utifrån ett samhällsekonomiskt perspektiv.</p> <p>Nationella vårdenheter kan få initiala investeringskostnader (exempelvis nya lokaler, enkelrum, decutussängar, medicinsk apparatur, ett initialt ökat patientunderlag samt nyanställning och utbildning av personal).</p> <p>Svårighet att säkra kompetensförsörjning av sjuksköterskor, psykologer och psykiatriker specialiserade inom området. Troligen kommer nationella vårdenheter varken ha lättare eller svårare att klara kompetensförsörjning av personal än övriga vårdenheter. Generellt har man idag svårt att rekrytera läkare till specialiserade enheter. Kanske kommer det vara lika svårt att rekrytera personal som på övriga vårdenheter men nationella vårdenheter kan eventuellt erbjuda fler utvecklingsmöjligheter som gör att personal vill stanna.</p> <p>Det kan möjligtvis dröja ett par år innan en förutsägbarhet kring vårdvolymerna infinner sig. Inflöde av remisser till nationella vårdenheter kommer öka för att förhopp-</p>

	ningsvis plana ut till de, enligt sakkunniggruppen, förväntade vårdvolymerna (50 patienter/nationella vårdenheter). För remitterande enheter kan det också ge en viss förutsägbarhet om man vet ungefär hur många patienter som kommer att remitteras. Dock kan slumpen avgöra eftersom det handlar om så små volymer.
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter Är patienterna i behov av särskilda sjuktransporter? Akuta eller planerade?	Transportbehovet kommer att öka till nationella vårdenheter, men marginellt om det finns en geografisk spridning på de nationella vårdenheterna. Patientgrupp 2 (akuta) kommer att vara i behov av ambulansflyg/bil.  Troligen kommer sjuktransport med ambulans behövas (om patienten går med på transport frivilligt). Om patient motsätter sig vård ex. vid tvångsvård kan annan transport bli aktuell.  Resurser från remitterande kan behöva vara medföljande för transport av patient till nationella vårdenheter.
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.	Troligen kommer vårdvolymen vara tämligen konstant kommande åren.
<b>Övriga kommentarer:</b>	

## 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). Uppföljningsmått ska utgå från nedanstående mall. Uppföljningsmått kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal patienter* som remitteras för bedömning av nationella vårdenheter
Bakgrundsmått	Andel patienter som efter bedömning blev aktuella för behandling vid nationell högspecialiserad vårdenhet.
Bakgrundsmått	Antal patienter som behandlades vid nationell högspecialiserad vårdenhet.
Bakgrundsmått	Vårdtid på nationella vårdenheter Datum för utskrivning minus datum för inskrivning
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss till bedömning Vårdgaranti
Tillgänglighetsmått	Tid från bedömning till behandlingsstart Vårdgaranti
Tillgänglighetsmått	Andel patienter som läggs in på nationell högspecialiserad vårdenhet inom x dygn efter bedömning
Tillgänglighetsmått	Andel patienter med somatiskt hotfullt (akut) tillstånd som behandlats inom 7 dygn efter remiss.
Medicinska resultat	Antal patienter som har uppnått ett uppsatt mål  (Förändring i BMI, för de som skrivs in med signifikant undervikt, vid behandlingsavslut). Procentuell förändring från behandlingsstart.  Mål för nationella vårdenheter bestäms gemensamt av tillståndsinnehavare. Målen

	ska sättas i relation till bl.a. vårdtid på Nationella vårdenheter.
Medicinska resultat	Förändring i ätstörningens kärnpsykopatologi (mäts t.ex. via EDE). Behandlingsavslut (utskrivning) Ett år efter utskrivning
Medicinska resultat	Andel patienter som vid behandlingsavslut är: a) i partiell remission vid utskrivning b) oförändrade eller försämrade ett år efter utskrivning, c) diagnosfria (ätstörning) ett år efter utskrivning,
Medicinska resultat	Andel återremitteringar inom x antal veckor efter behandling (t.ex. uttalad vikt-nedgång)
* Patienterna ska alltid följas upp demografiskt (kön, ålder, remitterande region, ätstörningsdiagnos, sjukdomsduration, samsjuklighetsdiagnos(er))	

## Referenser

1. Wallin, U., af Sandeberg, A. M., Nilsson, K., & Linne, Y. (2015). Ätstörningar - kliniska riktlinjer för utredning och behandling. *Svensk Psykiatri*, 16. Svenska Psykiatriska Föreningen och Gothia fortbildning. ISBN 978-91-8809-927-3

## Deltagare i sakkunniggrupp

Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Ata Ghaderi, psykolog, psykoterapeut

Sydöstra sjukvårdsregionen: Suzanne Petersson, psykolog, psykoterapeut

Norra sjukvårdsregionen: Eva Lind, avancerad klinisk specialistsjuksköterska

Södra sjukvårdsregionen: Ulf Wallin, specialist inom barn- och ungdomspsykiatri

Västra sjukvårdsregionen: Nicole Stein, specialist inom vuxenpsykiatri

Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Veronica Höglund Wemmenlöv, specialistsjuksköterska psykiatri

Patientföreträdare: Helena Forsman, Frisk & Fri -Riksföreningen mot ätstörningar.

## 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 könsdysfori som nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för könsdysfori 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 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 .....	8
Bakgrund .....	10
Framåtblick .....	17
Förslag till särskilda villkor .....	20
Konsekvenser av rekommendationen .....	23
Uppföljning och utvärdering .....	27
Referenser .....	28
Deltagare i sakkunniggrupp .....	29
Om nationell högspecialiserad vård .....	30

## Ordlista

ADHD	Attention Deficit Hyperactivity Disorder
ANOVA	Centrum för Andrologi, Sexualmedicin och Transmedicin
BUP	Barn- och ungdomspsykiatri
CT	Datortomografi
DSM-5	Diagnostic and Statistical Manual of Mental Disorders
GCLS	Gender Congruence and Life Satisfaction Scale
GnRH	Gonadotropinfrisättande hormonanaloger
ICD-10	International Classification of Diseases
ICD-10 F64.0	Transsexualism används när könsidentiteten är motsatt det kön individen tilldelats vid födseln
ICD-10 F64.8	Andra specificerade könsidentitetsstörningar
ICD-10 F64.9	Ospecificerad könsidentitetsstörning
KID	Könsidentitetsutredningar
KDR	Könsdysforiregistret
MDK	Multidisciplinär konferens
MR	Magnetisk resonanstomografi
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
NHS	National Health Service i Storbritannien
RCO	Registercentrumorganisation
RHI	Rösthandikapp index
RMC	Reproduktionsmedicinskt centrum
SaRK	Skattningsskala för rösten vid könsdysfori
SBU	Statens beredning för medicinsk och social utvärdering
SOC	Internationella Standards of Care
SFTH	Svensk förening för transsexuell hälsa
Transkvinna	En person som tilldelats manligt kön vid födseln som är kvinnligt identifierad. Tidigare ibland kallad MtF eller Man-till-kvinna.
Transman	En person som tilldelats kvinnligt kön vid födseln som är manligt eller identifierad. Tidigare ibland kallad FtM eller Kvinna -till-man
TVQ	Transsexual voice questionnaire
VUP	Vuxenpsykiatri
UL	Ultraljud
WPATH	World Professionell Association for Transgender Health

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet könsdysfori att psykiatrisk och endokrinologisk diagnostik och utredning samt viss behandling vid misstanke om könsdysfori ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra nationella vårdenheter. Tre av enheterna ska ansvara för könsbekräftande genital kirurgi, och en av dessa tre enheter ska även ansvara för stämbandskirurgi. Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art, som kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens.

Den transmedicinska vården är multiprofessionell eftersom den kräver ett nära samarbete mellan till exempel psykiatrer, psykologer, socionomer, endokrinologer, logopedier, reproduktionsmedicinare och plastikkirurger, alla med särskild kompetens för patientgruppen. Sakkunniggruppen anser också att de nationella högspecialiserade vårdenheterna behöver ha en samlad specialistkompetens inom vård av både barn och vuxna med könsdysfori. Enheterna bör följaktligen vara organiserade och rustade för att ta emot personer oberoende av ålder. Detta bedöms exempelvis förbättra möjligheterna till god överföring från barnvård till vuxenvård.

Det krävs en viss vårdvolym och kompetens för att patienterna ska få bästa möjliga bemötande och omhändertagande. Idag skickas 1500-2000 remisser per år för utredning av misstänkt könsdysfori. Cirka 450 personer ansökte vidare om byte av juridiskt kön och tillstånd att göra könsbekräftande ingrepp i könsorganen hos Socialstyrelsens rättsliga råd 2018. Sakkunniggruppen föreslår därför att den diagnostiska och utredande vården (både den psykiatriska, endokrinologiska och den logopediska) ska bedrivs vid fyra nationella högspecialiserade vårdenheter. Med färre än fyra enheter blir vården inte tillräckligt tillgänglig. Dagens vårdvolym för könsbekräftande kirurgi är däremot inte så stora att det behövs fler än tre enheter.

De tre nationella högspecialiserade vårdenheter som utför könsbekräftande kirurgi ska också ha kompetens inom den aktuella utrednings- och behandlingsmodellen för personer med könsdysfori. Det är mycket viktigt att de som utför kirurgin samverkar med dem som gör utredningarna.

Sakkunniggruppen vill också betona vikten av att de nationella högspecialiserade vårdenheterna kan följa och utvärdera den medicinska och sociala transitionen. Den föreslagna vårdkoncentrationen ger bättre förutsättningar att utveckla kunskaperna i vården, och att upptäcka eventuella komplikationer som kan uppstå efter lång tid.

Konsekvenserna av att koncentrera vården är övervägande positiva då förutsättningarna för patienterna att få ett samlat och strukturerat omhändertagande förbättras med uppbyggnad av nationella enheter där ökad samverkan och samarbete förväntas.

Sakkunniggruppen bedömer inte heller att akutsjukvården påverkas. Vid enheter som ansvarar för diagnostisk utredning och hormonell behandling finns dock en risk för undanträngning, till exempel i form av längre väntetider för andra patienter med psykiatriska och endokrinologiska sjukdomar.

# Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Diagnos	Åtgärder
<p><b>Vid misstanke om Könsdysfori (oavsett ålder)</b></p>	<p>1. Psykiatri:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Psykiatrisk diagnostik, utredning och bedömning</li> <li>• Beslut och uppföljning av fortsatt behandling</li> </ul> <p>2. Endokrinologi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Utredning</li> <li>• Bedömning</li> <li>• Uppstartsbehandling*</li> </ul> <p>3. Logopedi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Utredning, bedömning och initial behandling*</li> </ul> <p>4. Viss könsbekräftande kirurgi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Yttre genital kirurgi för vuxna</li> <li>• Stämbandskirurgi för vuxna</li> </ul> <p>5. Uppföljning:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Utvärdering av medicinsk och social transition skall göras minst vart femte år på NHVe</li> </ul> <p>*Fortsatt behandling kan ske efter överenskommelse med vårdgivare på hemort i nära samarbete med NHVe.</p>
<p><b>Antal enheter</b></p>	<p>Fyra enheter för punkt 1-3 och 5.</p> <p>Av ovan fyra ska tre enheter ansvara för punkt 4. Av dessa tre enheter ska en enhet ansvara för stämbandskirurgi.</p>

## 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 kunna erbjudas och eventuellt nivåstruktureras inom varje sjukvårdsregion. Nedan följer de områden som sakkunniggruppen har identifierat bör finnas i varje sjukvårdsregion för personer med könsdysfori:

1. Samtidig psykisk ohälsa ska utredas i hemregionen
2. Mastektomi och bröstplastik
3. Hårborttagning (epilering och/eller laser)
4. Hysterosalpingo-ooforektomi
5. Hjälpmedel exempelvis peruk, bröstproteser, penisprotes osv
6. Fertilitetsbevarande behandling.

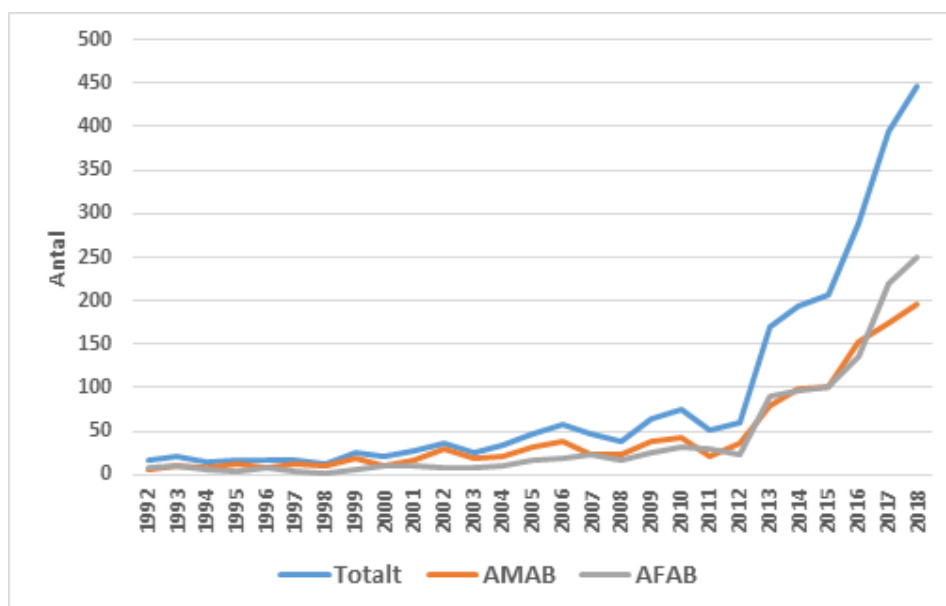
## Bakgrund

### Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

Begreppet könsidentitet beskriver den inre upplevelsen av vilket kön man tillhör och brukar ses som en del av jagidentiteten. Personer brukar beskriva sin könsidentitet som manlig eller kvinnlig. Det finns också personer som beskriver sin könsidentitet som icke-binär. Detta brukar innefatta att könsidentiteten varken är manlig eller kvinnlig, både manlig och kvinnlig eller att man inte vill/kan definiera sitt kön inom ramen för den binära kategoriseringen manligt och kvinnligt. Könsinkongruens uppstår när könsidentiteten inte stämmer överens med kroppen eller det juridiska kön som personen tillskrevs vid födseln. När inkongruensen ger ett lidande kallas detta för könsdysfori. Personer med könsdysfori lider av att kroppen och hur andra uppfattar dem inte stämmer med deras könsidentitet. Är lidandet tillräckligt uttalat kan individen uppfylla diagnosen Transsexualism eller en annan könsdysforidiagnos i ICD-10 eller diagnosen Könsdysfori i DSM-5. Personer med könsdysfori har en förhöjd psykisk ohälsa framför allt i affektiva och ångestsjukdomar samt autismspektrum jämfört med personer utan könsdysfori. Könsbekräftande behandling minskar på gruppnivå den psykiska ohälsan men den är fortfarande högre jämfört med personer utan könsdysfori. Självskadebeteende eller suicidförsök har även det förhöjd förekomst bland personer med könsdysfori.

Den sedan 70-talet internationellt och svenska vedertagna behandling av Transsexualism eller Könsdysfori är att genom könsbekräftande behandling ändra kroppsliga könskaraktäristiska samt möjliggöra en ändring av juridiskt kön. Behandlingen syftar således till att minska könsdysforin genom att öka samstämmigheten mellan könsidentitet och kropp. Detta ökar sannolikheten för att andra uppfattar personen i enlighet med det kön som personen känner sig tillhöra. Det finns idag ingen evidensbaserad metod att få någon att ändra upplevelsen av vilken könsidentitet den personen har (konversionsterapi) och att försöka att behandla någon i syfte att ändra deras könsidentitet bedöms som oetiskt och potentiellt skadligt av National Health Service (NHS) i Storbritannien.

Under senare år, har det varit en markant ökning av antalet personer som söker sig till vården på grund av könsdysfori. Ökningen gäller särskilt barn och unga personer. Sedan millennieskiftet har det också skett en ökning av antalet personer som söker till Socialstyrelsens Rättsliga Råd för byte av juridiskt kön och tillstånd att göra könsbekräftande ingrepp i könsorganen. Denna ökning blir mer uttalad från 2013 när kravet på att vara steril för att få ändra juridiskt kön togs bort.



Figur 1. Antal ansökningar per år till Socialstyrelsens rättsliga råd om att få ändra juridiskt kön åren 1992-2018, uppdelat på personer som tillskrivits manligt kön vid födseln (AMAB), de som tillskrivits kvinnligt kön vid födseln (AFAB) och totalt. Källa: Årsrapport Könsdysforiregistret, 2018 [5]

Könsbekräftande vård startade under sent 60-tal och fram till 2000 låg antalet personer som ändrade juridiskt kön kring 10-15 patienter per år i landet. Därefter har en successiv ökning skett med en påtaglig acceleration efter 2013 då man möjligtvis kan se en utplaning (figur 1).

### Utredning

Utredningen syftar till att ta ställning till om de symptom individen uppvisar orsakas av en könsdysfori eller har en annan förklaring. Om individen har psykiatriska besvär som går utöver det lidande som könsdysforin innebär, remitteras individen för en samtidig psykiatrisk utredning och eller behandling. Utredning och behandling av samtidig psykisk ohälsa kan pågå parallellt med en könsdysforiutredning. Könsdysforiutredningens längd och innehåll anpassas till individen men ligger vanligen mellan 6–24 månader. Utredningsteamet består oftast av psykiater, psykolog och socionom. Idag finns sex BUP-team och åtta VUP-team i landet med särskild kompetens inom könsdysfori. Vissa utredningsteam tar emot både egenremiss och vårdbegäran från andra vårdgivare medan andra enbart tar emot remisser från vårdgivare. Utredningsteamet koordinerar fortsatta behandlingar och erbjuder stöd under medicinsk och social transition.

Socialstyrelsens två nationella kunskapsstöd från 2015 med rekommendationer för specialiserad vård och behandling av könsdysfori bland vuxna [1] respektive barn och ungdomar [2] ligger till grund för den utredning och behandling som görs i samband med könsdysfori i Sverige.

### Endokrinologisk utredning och hormonell behandling

Ungdomar med trolig könsdysfori som kommit en bit in i puberteten kan erhålla så kallad stopphormonbehandling för att avbryta utvecklingen av sekundära könskaraktäristika. Om könsdysforidiagnosen hos en ungdom inte bekräftas så avbryts den pubertetsblockerande behandlingen.

Personer med könsdysfori kan efter utredning och fastställd diagnos få tillgång till könsbekräftande hormonell behandling. Det är centralt att säkerställa att patienten har realistiska förväntningar på de förändringar som kan åstadkommas genom behandling liksom att patienten informeras om de risker och biverkningar som är förknippade med behandlingen och möjlighet till framtida kirurgisk behandling samt hur den påverkar fertiliteten. Patienten ska även informeras om vad en eventuell avbruten behandling innebär.

Den hormonella utredningen och behandlingen kan utföras av endokrinolog, androlog eller gynekolog beroende på vilket team i landet som patienten tillhör. Beslut om behandlingsbehov för personer under 18 år sker i samråd mellan barnpsykiatriskt team och barnendokrinolog. Hormonförskrivande läkare utför en somatisk (kroppslig) utredning och gör en individuell bedömning avseende den risk patienten utsätter sig för vid könskonträr hormonbehandling. Behandlingen med könskonträra hormoner är livslång för patienter som har tagit bort könskörtlarna men en anpassning sker fortlöpande med hänsyn till patientens ålder och annan sjuklighet.

Endokrinologisk behandling av personer under 18 år följer gemensamma riktlinjer framtagna av barnendokrinologisk arbetsgrupp inom Svensk förening för transsexuell hälsa (SFTH) [3] och är baserade på kliniska riktlinjer framtagna av Endocrine Society [4].

### **Kirurgisk behandling**

Det är idag inte alla personer som erhåller tillstånd från Socialstyrelsens rättsliga råd som väljer att genomgå hela den kirurgiska könsbekräftande behandlingen. Den könsbekräftande kirurgin kan delas in i: 1) Bröstkirurgi; mastektomi (maskuliniserande bröstkirurgi), bröstförstoring (feminiserande kirurgi), 2) Könsbekräftande genital kirurgi, 3) Feminiserande, reduktion av larynx, samt 4) Röstförhöjande, feminiserande kirurgi. Dessutom förekommer i undantagsfall generella utseendepåverkande operationer t.ex. feminisering av ansikte, maskuliniserande behandling genom fettsgugning av feminint lokaliserade fettansamlingar.

Bröstkirurgi sker idag på alla plastikkirurgiska kliniker. Feminisering av ansikte utförs idag endast i undantagsfall inom offentligt finansierad vård i Sverige. I båda fall anser sakkunniggruppen det olämpligt att tillståndspliktiga dessa ingrepp. Den genitala kirurgin, vaginoplastik, och peniskonstruktion samt borttagandet av livmoder och äggstockar, utförs först efter att tillstånd har erhållits av Socialstyrelsens rättsliga råd. Sakkunniggruppen bedömer att borttagande av livmoder och äggstockar inte faller under kriterierna för nationell högspecialiserad vård och kan fortsatt utföras regionalt.

Patienter som fått tillstånd av Socialstyrelsens Rättsliga Råd för könsbekräftande underlivskirurgi, och önskar genomföra kirurgin ställs på vänt-

lista. De utredande teamen samordnar vården med den aktuella plastikkirurgiska kliniken. De utför även i allmänhet en psykiatrisk bedömning av patienten innan operation.

Inför och efter all kirurgi behövs det ett multidisciplinärt omhändertagande där utredningsteamet, plastikkirurgen och endokrinolog samverkar kring patienten. Detta för att säkerställa att patienten har mycket god information om förväntat resultat, ingreppens irreversibilitet, eventuella komplikationer, postoperativt förlopp och eftervård. Vidare så behövs det en gemensam vårdplanering avseende hormonmedicinering före och efter kirurgin, och om det föreligger behov av psykosocialt stöd efter operation. Könsbekräftande kirurgi kräver stor vana och skicklighet av kirurgen men även mycket god kännedom om patientgruppen, inte bara av operatören utan även av omvårdnadspersonalen. Metoderna som idag används vid en kirurgisk könsbekräftelse kan komma att förändras beroende på den idag använda behandlingen med stopphormoner i tidig pubertet och möjlighet till könskonträr pubertet.

Liksom vid all kirurgi föreligger risk för att komplikationer uppstår och infektion är den vanligast förekommande vid könsbekräftande kirurgi. Det är av största vikt att man vid en klinik som utför denna kirurgi även har kunskap kring omhändertagandet av eventuella komplikationer, så som exempelvis läckage, förträngningar och fistlar mm.

### **Övriga behandlingar**

Behandlingar som kan erbjudas på sjukvårdsregional nivå, är bland annat mastektomi, röstbehandling av logoped, reduktion av larynx, hårborttagning och andra plastikkirurgiska åtgärder. Hjälpmedel så som peruk, bröst- och penisprotes bör förskrivas som hjälpmedel.

### **Vårdkedjan**

Psykiatrisk och hormonell utredning och behandling av patienter med könsdysfori bedrivs idag huvudsakligen på åtta enheter i Sverige; Umeå, Östersund, Uppsala, Stockholm, Linköping, Karlshamn, Göteborg-Alingsås och Malmö-Lund för vuxna. För personer under 18 år sker utredning och behandling vid sex enheter: Umeå/Skellefteå-Östersund (BUP-Västerbotten), Uppsala, Stockholm, Linköping, Göteborg-Alingsås och Malmö-Lund.

Det är förhållandevis likartade tillvägagångssätt för utredning och behandling av personer med misstänkt könsdysfori. Däremot förekommer det skillnader i var könsdysforiutredningen och behandling sker beroende på var i landet patienten bor samt beroende på patientens ålder. Vanligtvis sker utredningen vid antingen en psykiatrisk klinik eller vid en sexologisk mottagning. Behandling med hormoner sker vid antingen en endokrinologisk- eller gynekologisk mottagning. Vissa mottagningar utreder både vuxna och barn. För personer under 18 år sker vanligtvis utredningen via BUP-team och behandling med hormoner sker vid en barnendokrinologisk mottagning.

I dag bedrivs den genitala könsbekräftande kirurgin vid tre plastikkirurgiska kliniker i Sverige; Linköpings Universitetssjukhus, Nya Karolinska i Solna samt Sahlgrenska Universitetssjukhuset i Göteborg.

Idag råder en viss otydlighet angående tidsplanering av utrednings- och behandlingsbesök vilket skapar onödigt psykiskt lidande för patienten. Studier har visat att negativ upplevelse av vård är associerat med lägre generell hälsa, och sämre livskvalitet inom patientgruppen. Enheter som utför genital könsbekräftande kirurgi behöver därför ha kompetens av den aktuella utrednings- och behandlingsmodellen för personer med könsdysfori. Komplexiteten av ovan beskrivna vårdinsatser samt vikten av att denna patientgrupp ska få ett kompetent bemötande är starka skäl som motiverar en koncentration av hela vårdkedjan för denna patientgrupp.

## Vårdvolymer

År 2018 hade totalt 5 841 personer (0,06 % i befolkningen) någon könsdysforidiagnos i Sverige. Av dem hade 4 326 (0,04 % i befolkningen) en fastställd diagnos (F64.0), och 574 personer hade en könsdysforidiagnos som kan användas då personer identifierar sig som icke-binära (F64.8).

Sakkunniggruppens uppfattning, utan att vi kan hänvisa till vetenskapligt underlag, är att de flesta transkvinnor väljer att genomgå vaginoplastik medan det är en växande andel av transmän som väljer att endast genomgå mastektomi och avvaktar med den genitала kirurgin. Det finns även ett antal patienter som väljer att genomgå en partiell genital könsbekräftelse så som att exempelvis endast avlägsna testiklarna och penis men inte göra en vagina. Överlag har dock antalet personer som erhåller tillstånd till kirurgisk könsbekräftelse och som önskar genomgå någon del av denna process ökat under senare år.

För att få en överblick över det förväntade behovet av denna typ av kirurgi har sakkunniggruppen valt att titta på antalet inkomna nybesöksremisser till de plastikkirurgiska enheter som bedriver könsbekräftande kirurgi. Dessa patienter blir vanligen aktuella för kirurgisk intervention inom 1-2 år. Väntetiden kan variera beroende på olika ledtider, exempelvis tiden mellan ansökan och tillstånd från Socialstyrelsens Rättsliga Råd. Totalt till de tre enheter som idag bedriver genital könsbekräftande kirurgi inkom 2017, 778 nybesöksremisser avseende könsdysfori, en siffra som 2018 hade ökat till 990. De flesta av dessa personer hade ännu inte ansökt om tillstånd till könsbekräftande kirurgi och det går heller inte att avgöra andelen som erhåller tillstånd. Vidare är det osäkert hur stor andel av de som erhåller tillstånd som väljer att genomgå kirurgisk könsbekräftelse och i så fall i vilken omfattning.

För att få en uppfattning om det förväntade behovet av kirurgisk könsbekräftande kirurgi längre fram i tiden kan man även utgå från antalet patienter som remitteras till utredningsteam. Detta berör då patienter som kan bli aktuella för kirurgi ca 3-5 år fram i tiden. Utgår vi från den uppgivna siffran om 1500-2000 nya remisser per år, och tar hänsyn till tidigare kunskap om andelen av dessa som genomgår hela utredningsprocessen fram till ett tillstånd, skulle det innebära ett antal kring 1000-1500 personer/år. Detta indikerar en fortsatt ökning av behovet av kompetens inom kirurgisk könsbekräftelse inom ett antal år. Idag utförs ca 15-20 operationer/år av stämbandskirurgi.

Sakkunniggruppen bedömer att det trots flera osäkerhetsfaktorer är högst sannolikt med en fortsatt ökning av kirurgiskt könsbekräftande åtgärder inom de närmsta åren.

## Forskning

SBU har haft ett uppdrag att granska forskningen om könsdysfori och att samla kunskap om orsakerna till den ökning av barn och unga i höginkomstländer som vänder sig till vården för utredning av könsdysfori. SBU har inte funnit någon vetenskaplig litteratur som förklarar det senaste decenniets ökning av antalet barn och unga som söker på grund av könsdysfori. Dessutom konstaterade SBU att det finns få studier om könsbekräftande hormonell eller kirurgisk behandling av barn och ungdomar. Bara enstaka studier som omnämner effekter över längre tid av hormonell behandling och/eller genital kirurgi hos barn och unga [6].

Den kraftigt ökade patientpopulationen har inneburit större möjligheter att genomföra vetenskapligt acceptabla studier inom den aktuella gruppen men ett ökat samarbete mellan NHVe skulle ytterligare öka graden av evidens i genomförda studier. I Sverige pågår forskning kring bakgrundsfaktorer till könsinkongruens, könsdysfori, incidens, prevalens, psykisk hälsa med eller utan koppling till könsbekräftande behandlingar. Forskningen har i huvudsak bedrivits på personer över 18 år. Uppföljningstiden har i de flesta fall varit kort eller i de fall den är längre så har bortfallet varit stort. Vi kommer även succesivt att få allt äldre personer som under flera år behandlats med könskonträra hormoner. Om denna grupp finns idag bristfällig kunskap. Vidare har det varit kliniska studier som i stor utsträckning använt självskattningar. Sakkunniggruppen bedömer därför att en koncentration av hela vårdkedjan kan bidra till en ökad kunskap och leda till en förbättrad psykiska hälsa och medicinska resultat i hela gruppen.

Könsdysforiregistret (KDR) är ett nationellt kvalitetsregister med syfte att följa upp och utveckla den könsbekräftande vården i Sverige. Registret ämnar följa patienterna livslångt och är det enda i sitt slag i världen. KDR är anslutet till RCO Syd i Lund sedan 2015 och IT-plattformen är 3C. Registret hade under året 2018 11 registrerande enheter. När registret är fullt implementerat kommer det vara ca 40 stycken med nuvarande organisation av den transmedicinska vården. De specialiteter som deltar i den transmedicinska vården och i KDR är vuxen-, barn och ungdomspsykiatri, vuxen- och barnendokrinologi, plastikkirurgi, logopedi, foniatri. Strukturen för registret har vuxit fram under fem år då relevanta frågeformulär för respektive specialitet har skapats och val av kvalitetsindikatorer skett.

Avseende kvalitetsregister med fokus på den kirurgiska delen av en könsbekräftelse så finns dessa lokalt vid klinikerna. Vid Universitetssjukhuset i Linköping finns ett register (Trans-data) där alla patienter som genomgått könsbekräftande kirurgi vid sjukhuset sedan 2002 finns registrerade och där

parametrar så som operationsmetod, komplikationsfrekvens, antal operationer etc. kan följas. Det nationella kvalitetsregistret har under 2019 kompletterats med delar avseende kirurgi.

Sammantaget bedömer sakkunniggruppen att nationell högspecialiserad vård skulle ge Sverige bättre möjligheter att hålla hög kvalitet på de diagnostiska utredningar som görs för att säkerställa god medicinsk säkerhet. Det ger också bättre förutsättningar till långsiktig uppföljning av patienterna både avseende psykisk och kroppslig hälsa samt om någon ångrar genomgången transition och behandling. Tillsammans med könsdysforiregistret, övriga svenska register och nationell högspecialiserad vård har Sverige dessutom världsunika möjligheter att kombinera klinisk forskning med registerforskning.

## Internationell utblick

World Professionell Association for Transgender Health (WPATH) organiserar professionella som arbetar inom området. De ger ut Internationella Standards of Care (SOC) som beskriver hur vården ska bedrivas till innehåll och form. I SOC-7 tas inte upp om vården bör vara koncentrerad eller inte, däremot påpekas vikten av att vården bedrivs multidisciplinärt och multiprofessionellt och vikten av tillgång till vård för personer i behov av det. Många länder har anpassat/bearbetat SOC till nationella vårdprogram liknande de svenska kunskapsstöden.

I Danmark och Norge har den transmediciska vården (både de diagnostiska utredningarna och den könsbekräftande behandlingen) varit centraliserad till ett centrum i respektive land. I Danmark har man sedan något år tillbaka givit ytterligare en enhet i Århus tillstånd av att bedriva diagnostiska utredningar och könsbekräftande vård. Könsbekräftande underlivskirurgi får dock bara utföras på Rigshospitalet i Köpenhamn. I Finland bedrivs transmedicinsk vård vid två centrum (Helsingfors och Tammerfors).

I Storbritannien beställer National Health Service (NHS), utredning, pubertetshämmande medicinering och könsbekräftande behandling för personer under 18 år av Highly Specialist Gender Identity Development Centres. Samarbete får ske med andra enheter om det är en del av centrets nätverk. För vuxna beställer NHS, diagnostiska utredningar, psykologiska bedömningar, ordination av könskonträr hormonbehandling, röstbehandling, hårborttagning, mastektomi, och feminiserande eller maskuliniserande könsbekräftande genitalkirurgi, samt kirurgisk eftervård av ett par Specialist Gender Identity Centres.

I Nederländerna bedrivs utredning och könsbekräftande vård för tonåringar och vuxna på en universitetsklirik i Amsterdam. De planerar att etablera ytterligare en mottagning. Att verksamheten har varit samlad har underlättat för kvalitetsutveckling, uppföljning och forskning. Till exempel har de kunnat följa utvecklingen av antalet patienter, om de skiljer sig under olika tidsperioder avseende könsdysfori, sociodemografi, antal som inleder behandling och som ångrar sig.

## Framåtblick

### Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

Sakkunniggruppen föreslår att personer där misstanke om könsdysfori finns, oavsett ålder ska remitteras till nationella enheter (NHVe). Sakkunniggruppen föreslår vidare att dessa ska ansvara för både barn och vuxna. Vid ett NHVe ska psykiatrisk utredning, diagnostik och utforskande samtal utföras. Inom ramen för detta ryms även ett ansvar att följa upp hur psykiatriska/psykosociala faktorer påverkar de personer som genomgår medicinsk och social transition. I samband med detta kan behov hos patienterna bli tydliga och kräva stödjande eller behandlande insatser från utredningsteam eller hemortspsykiatrin. NHVe skall också bedriva medicinsk könsbekräftande vård inom endokrinologi och logopedi. Sakkunniggruppen bedömer att det finns ett stort mervärde med att nationella enheter har både barn- och vuxenenheter i anslutning till varandra samt att man samlar de psykiatriska utredningsteam och de somatiska behandlingsteam.

Barn och unga kan vara svårare att utreda och diagnostisera än vuxna. Det förekommer ofta samtidig psykisk ohälsa och/eller neuropsykiatrisk funktionsvariation. Relationerna inom en familj kan också påverka en utredning då det exempelvis kan vara svårt som förälder att veta hur man ska stötta sitt barn på bästa sätt. För vissa föräldrar är barnets tankar om könsidentitet svåra att acceptera och det kan innebära smärtsamma konflikter. I det multidisciplinära teamet vid en nationell enhet bör det därför ingå socionom med särskild kunskap och erfarenhet av familjearbete.

En samlad vård för både barn och vuxna kan förenkla patientens väg genom vården men kan också ge synergier i förståelse av tillståndet och i forskningshänseende. En samlad kompetens är också av fördel efter överföring från barn- till vuxenenhet, både för psykiatrisk utredning och för somatisk behandling. Vård av könsinkongruens är som nämnts i hög grad multidisciplinär och sträcker sig över flera medicinska specialiteter. En samlad vård kan lättare samordnas och det bör rimligen innebära ett bättre användande av vårdens resurser.

När en patient får remiss till ett utredningsteam på NHVe bör man vid första besöket upprätta en vårdplan som visar det patienten skall genomgå med kontaktuppgifter till de vårdgivare som berörs. Vårdplanen kan ses som ett slags kontrakt som man så långt som möjligt skall hålla sig till. Vårdplanen bör även ange en tidsplan för när patienten skall träffa de olika vårdteam. Eventuella förändringar i planen kan på så sätt lättare accepteras och förstås av patienten.

För att säkerställa en samlad bild av behandlingseffekt och biverkningar på både kort och lång sikt ska kirurgin vara en integrerad del av NHVe. Detta möjliggör säkerställandet av en trygg pre- och postoperativ tid vilket är

mycket viktigt då patientens psykologiska status, i direkt anslutning till operation, måste kunna bedömas akut och operation vid behov skjutas upp. Där den genitala kirurgin bedrivs ska därför även tillgång till övriga delar i vårdkedjan likväl som till urolog, gynekolog samt allmänkirurg med operativ erfarenhet av könsdysforisk behandling finnas. Diagnosisk utredning, bedömning och initial hormonell och logopedisk behandling ska ske vid NHVe då kunskap om patientgruppen är särskilt viktig. Stämbandskirurgi på NHVe ska också ske i nära samarbete med logoped och vara ett sambeslut. Stämbandskirurgi är ett komplicerat ingrepp och utförs i mycket begränsad omfattning (ca 15-20 operationer per år). Med tanke på nuvarande volym finns det inga motiv för att stämbandskirurgi ska utföras på fler än en NHVe.

Avseende optimalt antal opererande enheter måste hänsyn tas till att det för upprätthållande av kompetens krävs en minsta patientvolym per kirurg. En större volym motiverar en koncentration av viss könsbekräftande kirurgi och innebär även bättre förutsättningar för forskning vilket är av yttersta vikt inom ett område där evidens i många fall saknas. För att ge personerna i den aktuella gruppen ett adekvat bemötande krävs en längre erfarenhet av området hos all personal. Detta kan bara uppnås genom att skapa en sådan attraktivitet av arbetsplatsen så att personal stannar kvar under längre tid. Ett uppbyggande av en dylik attraktivitet kräver en möjlighet till delaktighet hos all personal i alla delar så som vård, forskning och utveckling. Givet nuvarande vårdvolym i beaktande anser sakkunniggruppen att beskrivet antal kirurgiska NHVe är optimalt.

Både den endokrinologiska och kirurgiska behandlingen kräver att patienten följs över tid och att det finns en kontinuerlig återkoppling till hela det utredande teamet. Endokrinolog behöver också vara direkt tillgänglig pre- och postoperativt. Det är också av särskild vikt att den endokrinologiska utredningen och den initiala behandlingen finns på NHVe. När den hormonella statusen har stabiliserats kan behandling övertas, efter överenskommelse, med patientens vårdgivare i hemmaregionen. Sakkunniggruppen föreslår även att NHVe ska ansvara för uppföljning och utvärdering av medicinsk och social transition. Detta bör göras minst vart femte år vilket möjliggör en ökad kunskap om vilka medicinska behov den växande gruppen äldre personer som under många år stått på könsbekräftande behandling har.

Fertilitetsperspektivet är också mycket viktigt och måste diskuteras tidigt med patienten. NHVe bör därför även ha tillgång till denna kompetens (t.ex. sexolog, psykolog, gynekolog och androlog) för att kunna erbjuda åtgärder för att bevara reproduktionsförmågan.

Sakkunniggruppen bedömer att en tydlig vårdstruktur och en relativ geografisk spridning av NHVe är av stor vikt för patienterna eftersom det blir enklare för patienterna och underlättar med samordning för vårdgivare. Sakkunniggruppen bedömer att fyra NHVe bör öka förutsättningarna för vårdens kunskapsutveckling. Endast tre kirurgiska NHVe behövs dock för att upprätthålla tillräckliga volymer inom genital kirurgi som det ser ut idag och inom en överblickbar framtid. En samlad undervisning och handledning, utgående

från NHVe, bedöms också vara en viktig faktor för att bibehålla och utveckla kompetens.

Det finns stora behov av forskning och metodutveckling inom såväl psykiatrisk utredning som somatisk behandling. NHV skulle bidra till att man skapar patientunderlag (inklusive personer under 18 år) för att fortsätta utveckla forskning inom utredning och behandling. En koncentration av föreslagna vård skulle även underlätta insamling av data till det befintliga nationella Könsdysforiregistret. Med fyra NHVe antas förutsättningarna för att bedriva forskning och utveckling inom området bli bättre. NHVe bör också samverka internationellt för att öka möjligheterna till forskning och utveckling av behandlingsmetoder.

På ett nationellt plan måste NHVe se till att det finns ett nära samarbete avseende forskning, utveckling och upprättandet av ett nationellt vårdprogram. Vidare är det avgörande för en kontinuerlig utveckling av vården att det förutom de kliniska resurserna avsätts tillräckligt med tid och resurser för att möjliggöra forskning och deltagande i den internationella utvecklingen.

NHVe bör även ta ett stort ansvar för utbildning av andra vårdgivare som kommer i kontakt med denna patientgrupp. Psykiatriska eller somatiska behov, som ej är relaterade till könsdysfori, kan behöva fångas upp och omhändertas regionalt. Det kan t.ex. handla om behov av fördjupad neuropsykiatrisk bedömning, behandling avseende depression, självskadebeteende, ätstörning, hjälp med viktnedgång, rökstopp eller behandling av hypertoni. Sakkunniggruppen anser att det vore önskvärt om det i regionerna fanns kontaktpersoner inom framförallt psykiatri, BUP, endokrinologi/internmedicin, barnendokrinologi/barnmedicin. Utöver dessa insatser bör hemregionen även erbjuda hjälpmedel såsom peruker, bröstproteser, penisproteser osv. NHVe kan med kunskapsspridning till patientens hemregion och den tidigare nämnda vårdplanen, hjälpa till med att ge en "helhet" till patienten. Vidare avseende kunskapsöverföring kan NHVe även ansvara för utbildningsinsatser riktade till Skol- och barnhälsovård, socialtjänst, politiker/ tjänstemän. Även inom grundutbildningar såsom läkarprogrammet (inklusive ST) och psykologprogrammet, behövs ökad kunskap i området. Resurser och system, exempelvis MDKer, måste därför finnas på NHVe för kontinuerligt samarbete och utbyte mellan de fyra NHVe, men även med remitterande enheter. De fyra NHVe behöver också ha samma ekonomiska förutsättningar för att kunna bedriva sin verksamhet på ett likvärdigt sätt.

## 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 för alla fyra NHV	
Kritisk medicinsk kompetens (läkare)	<p>NHVe ska ha läkare med betydande erfarenhet och/eller utbildning inom könsdysfori:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Psykiater</li> <li>• Barnpsykiater</li> <li>• Endokrinolog alternativt gynekolog med endokrinologisk kompetens</li> <li>• Barnendokrinolog</li> <li>• Urolog/androlog/gynekolog</li> </ul> <p>För enheter som ansvarar för könsbekräftande genital kirurgi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Plastikkirurg med kompetens inom genital kirurgi</li> <li>• Allmänkirurg</li> <li>• Operationskompetent gynekolog samt urolog</li> <li>• Anestesiolog</li> </ul> <p>För enheter som ansvarar för stämbandskirurgi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• ÖNH-läkare med specialisering inom foniatri</li> <li>• Röntgenolog för att genomföra MR-undersökningar före och efter ingreppet</li> </ul>
Andra typer av kompetens (t.ex. specialkompetent sjuksköterska, kurator, psykolog, fysioterapeut)	<p>Professionerna ska ha betydande erfarenhet och/eller utbildning inom könsdysfori:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Logoped</li> <li>• Socionom</li> <li>• Psykolog med utrednings- och/eller behandlingskompetens</li> <li>• Psykolog med särskild kunskap om barns utveckling</li> <li>• Koordinator</li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Socionom med särskild kunskap och erfarenhet av familjearbete</li> <li>• Endokrinjuksköterska med barn/vuxen kompetens</li> </ul> <p>För enheter som ansvarar för könsbekräftande genital kirurgi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Sjuksköterska; mottagning, operation</li> <li>• Uroterapeut</li> <li>• Fysioterapeut</li> </ul>
<p>Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)</p>	<p>För enheter som ansvarar för könsbekräftande genital kirurgi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Operationsfaciliteter lämplig för genital kirurgi</li> </ul> <p>För enheter som ansvarar för stämbandskirurgi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Adekvat utrustning (så som höghastighetskamera och aukustikbehandlad inspelningsstudio) för utredning, bedömning och behandling före och efter det kirurgiska ingreppet.</li> <li>• MR-kamera</li> </ul>
<p>Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas</p>	<p>NHVe ska ha tillgång till:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Reproduktionsmedicinsk mottagning</li> </ul> <p>För enheter som ansvarar för könsbekräftande genital kirurgi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• IVA</li> <li>• Postoperativ avdelning</li> </ul>
<p>Kritiska diagnostiska metoder</p>	<p>NHVe ska ha tillgång till:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• DEXA-mätning</li> </ul> <p>För enheter som ansvarar för könsbekräftande genital kirurgi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Bilddiagnostik exempelvis MR, UL, CT</li> </ul> <p>För enheter som ansvarar för stämbandskirurgi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Laryngoskopi</li> <li>• Akustisk och aerodynamiska analyser</li> <li>• Audioperceptuell röstanalys</li> <li>• Självskattningsformulär så som Skattningsskala för rösten vid könsdysfori (SaRK), Transsexual voice questionnaire (TVQ), Gender Congruence and Life Satisfaction Scale (GCLS) samt Rösthandikapp index (RHI)</li> </ul>

Behandling som behöver finnas men som inte är definierat som NHV (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	<p>NHVe ska kunna erbjuda:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Mastektomier och bröstplastik</li> <li>• Fysioterapeutisk bedömning och behandling t.ex. kroppskänedom</li> <li>• Dermatologisk behandling</li> </ul>
Rehabilitering (särskilt anpassad till behovet)	<p>För enheter som ansvarar för könsbekräftande genital kirurgi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Postoperativ fysioterapeutisk behandlingskompetens</li> </ul> <p>För enheter som ansvarar för stämbandskirurgi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Pre- och postoperativ röstterapi</li> </ul>
Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	<p>NHVe ska ansvara för att:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Upprätta en individuell vårdplan.</li> <li>• Överrapportering till hemregion samt uppföljning av patientrapporterade mått</li> <li>• MDK mellan NHVe, med överrapportering till remitterande enhet</li> <li>• Ta fram gemensamt informationsmaterial, utbildningsmaterial</li> <li>• Kompetensöverföring, kunskapsspridning, utbildning/vidareutbildning inkl. till primärvård samt aktivt identifiera områden där det saknas kunskap.</li> <li>• Ta fram ett gemensamt nationellt vårdprogram.</li> <li>• Verka för nationellt och internationellt samarbete.</li> <li>• Upprätthålla och, om det är aktuellt, införa nya högspecialiserade undersökningsmetoder.</li> <li>• Möjliggöra för att patienter kan ses i grupp.</li> <li>• Ansvara för att registrering i kvalitetsregister sker. Först och främst Könsdysforiregistret (KDR) och eventuellt andra relevanta register.</li> <li>• NHVe ska ha adekvata forskningsresurser dvs universitetssjukvårdsenhet eller motsvarande forskningsförutsättningar. NHVe ska initiera och delta i kliniska forskningsprojekt och systematiskt utvecklande av forskning</li> </ul>

## 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: länsjukvård, 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	
<p>Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)</p> <p>Överväger möjligheten och tillgången till NHVe nackdelen med ökat avstånd/resor?</p>	<p>Den geografiska fördelningen av NHVe blir avgörande för att åstadkomma jämlik vård eftersom en koncentration kan leda till långa resor för patienten.</p> <p>Patienten får idag stå för kostnader för resor med betalning från region i efterskott. Många patienter måste då avstå pga av bristande ekonomiska resurser. Förslagsvis skulle regionerna kunna betala det i förskott.</p> <p>Ökad vårdkvalitet tack vare ökad volym, specialisering och uppföljning.</p> <p>Ökad trygghet tack vare kunnig personal som får en vana i bemötande.</p> <p>Fördyrande omständigheter för närstående på grund av resor. Närstående behöver kunna delta vid något tillfälle.</p> <p>Mer kompetent information till närstående tack vare koncentration (utbildningar till patient och närstående). Även av betydelse att kunna träffa andra i samma situation.</p> <p>Resurser och system, exempelvis MDKer, måste finnas på NHVe för kontinuerligt samarbete och utbyte mellan de fyra NHVe, men även för samverkan med remitterande enheter och regionala nätverk.</p>

<p>Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring</p> <p>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?</p>	<p>Större volymer ger bättre underlag för kvalitetssäkring och forskning.</p> <p>Ökade förutsättningar för kunskapsutveckling</p> <p>Risk för utarmning av kunskap i regioner som inte har NHV tillstånd.</p> <p>NHVe möjliggör ansvar för nationell kompetensutveckling.</p> <p>Utbildning av sjukvårdspersonal (läkare, psykologer, sjuksköterskor etc) förväntas kunna påverkas positivt av en koncentration, kan inhämta kunskap mer effektivt när kompetensen är samlad. Redan idag behöver man randa sig på olika ställen utifrån vilka kursmoment man behöver.</p>
<p>Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?</p>	<p>Attraktiv arbetsplats, underlätta rekrytering av forskningsmeriterade medarbetare.</p> <p>Närhet mellan barn och vuxna skapar förutsättning för forskning som inte bedrivs idag.</p> <p>Närhet mellan olika specialiteter möjliggör långtidsuppföljningar.</p> <p>Studier av farmakologiska behandlingseffekter på kirurgiskt resultat.</p> <p>Närhet till reproduktionsmedicin och etiska diskussioner är ett nytt område där det idag finns kunskapsluckor – koncentration ger möjlighet för ökad kunskap.</p> <p>Mer lättillgängliga forskningsresurser.</p>
<p>Påverkan på närliggande områden</p> <p>Är det något som trängs undan om detta område blir NHVe?</p>	<p>Totalt sett skapar vi inte fler patienter, vi omfördelar dem.</p> <p>Det blir ett tydliggörande av könsdysforigruppen. Kanske mindre undanträngning eftersom denna grupp synliggörs.</p> <p>Kan finnas risk för undanträngning lokalt på ett NHVe t ex längre väntetider för benign elektiv kirurgi om inte NHVe blir adekvat resursatt. Denna risk finns även idag eftersom förslaget gäller samma antal enheter.</p> <p>I övrigt inga stora risker för undanträngning inom vuxen- eller barnendokrinologin.</p>
<p>Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.</p> <p>Blir en ökad volym en ökad belastning för akutsjukvården på NHVe?</p> <p>Beskriv också konsekvenserna för akutverksamheterna om denna vård försvinner från sjukhusen.</p>	<p>Ingen påverkan.</p>

<p>Påverkan på vårdkedjan</p> <p>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?</p>	<p>Bättre följsamhet till Nationella screeningprogram (mammografi, cellprov, bukaorta) som behöver initieras manuellt och är inte kongruent för personer som byter juridiskt kön eller för personer som genomgår könskonträr behandling utan att byta juridiskt kön.</p> <p>En möjlighet att med NHVe och en sammanhållande organisation för dessa föra ut gemensamma riktlinjer/rutiner för att uppmärksamma detta problem.</p> <p>Tydligare struktur ger en bättre vårdkedja.</p> <p>Större enheter kan bygga upp en bättre kommunikation och större tydlighet.</p> <p>Mindre incitament ute i regionen att upprätthålla basal kompetens.</p> <p>Kan finnas en risk för ökat antal egenremisser.</p>
<p>Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)</p> <p>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.</p> <p>Behöver vårdgivaren investera i något som inte finns idag? Medför det ökade kostnader att ansvara för NHVe? Observera att samverkan mellan tillståndsinnehavare och remitterter regleras i föreskrifterna.</p>	<p>Verksamheten kan eventuellt planeras bättre, ge bättre förutsägbarhet och trygghet ex hur många pt NHVe ska omhänderta.</p> <p>Konsekvenserna av att koncentrera denna vård är att vårdenheterna kommer bli större än de är idag. Detta skulle kunna leda till att man får organisatoriska problem med bland annat en startsträcka med längre väntetider. Stockholm är idag den största enheten och internationellt finns det ännu större enheter av mått som vi inte kommer se i Sverige.</p> <p>Med närhetsprincip finns risk för längre väntetid för någon. Då behöver patienter erbjudas att resa lite längre. Möjlighet att skapa en gemensam väntelista kontra närhetsperspektiv. Någon form av organisation behövs för patientflödet.</p> <p>Ekonomi kan eventuellt effektiviseras tack vare volym.</p> <p>Fördel med att ett högspecialiserat team verkligen kan arbeta som ett team.</p> <p>Kan vara svårt för ett NHVe att bedöma hur mycket man behöver förbereda sig för ex rekrytering. Endokrinologisk och psykiatrisk kompetens är idag ojämnt fördelat i landet. Om kompetenta/erfarna inte kan tänka sig att flytta till NHVe krävs utbildning av nya.</p> <p>Utebliven efterfrågad forskning utan NHVe.</p> <p>Att koncentrera vården och samla kompetens, öka möjligheterna att forska osv bidrar till att skapa en attraktiv arbetsplats.</p> <p>Professionen får en fysisk närhet till ett multidisciplinärt samarbete.</p>

Eventuella konsekvenser för sjuktransporter Är patienterna i behov av särskilda sjuktransporter? Akuta eller planerade?	Inte aktuellt.
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner  Finns det anledning att tro att vårdvolymer 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.	Volymerna har eventuellt börjat plana ut.  Osäker prognos. Viktigt med relativt täta uppföljningar av volymer. Även om patientflödet ökar så väljer en större andel att inte genomgå kirurgi.  Stabilitet för NHVe är viktigt för att kunna få ökad kunskap om området såsom volymer.
<b>Övriga kommentarer:</b>	Ökade möjligheter för samverkan med andra aktörer och myndigheter tex försäkringskassan

## 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). Uppföljningsmått ska utgå från mallen nedan. Uppföljningsmått kan komma att justeras av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Uppföljningsmått	Beskrivning
<b>Bakgrundsmått</b>	Antal remisser till ett NHVe <ul style="list-style-type: none"> <li>• Ålder</li> <li>• Kön</li> <li>• Region som remitterat</li> </ul>
<b>Bakgrundsmått</b>	Andel/antal personer (av de remitterade) som kommer på ett första besök
<b>Bakgrundsmått</b>	Andel/antal som får/inte får fastställd diagnos i samband med vidare remittering
<b>Bakgrundsmått</b>	Andel/antal av de som remitteras som går vidare/inte går vidare till könsbekräftande åtgärder <ul style="list-style-type: none"> <li>• Hormonell</li> <li>• Könsbekräftande kirurgi</li> </ul>
<b>Bakgrundsmått</b>	Vårdtid vid könsbekräftande kirurgiska åtgärder Datum för utskrivning minus datum för inskrivning
<b>Tillgänglighetsmått</b>	Tid från remiss till första besök Datum för första besök minus beslutsdatum för remiss till psykiatri
<b>Tillgänglighetsmått</b>	Tillgänglighetsmått för diagnostik, hormonell behandling samt övriga åtgärder bör tas fram i dialog med tillståndsinnehavarna.
<b>Tillgänglighetsmått</b>	Tid från remiss till första åtgärd (könsbekräftande kirurgi) Datum för första besök minus datum för emottagen remiss till plastikkirurgi <ul style="list-style-type: none"> <li>• Falloplastik</li> <li>• Vaginoplastik</li> </ul>
<b>Medicinska mått</b>	Uppföljning psykosocialstatus 5 år efter utredning och behandling
<b>Medicinska mått</b>	Uppföljning hormonellstatus 5 år efter utredning och behandling

## Referenser

- 1) Socialstyrelsen. God vård av vuxna med könsdysfori, Nationellt kunskapsstöd. Stockholm: Socialstyrelsen; 2015a.
- 2) Socialstyrelsen. God vård av barn och ungdomar med könsdysfori, Nationellt kunskapsstöd. Stockholm: Socialstyrelsen; 2015b.
- 3) SFTH. Behandlingsriktlinjer för personer under 18 år - framtagna av barnendokrinologisk arbetsgrupp inom Svensk förening för transsexuell hälsa SFTH. Hämtad 2020-01-20 från <https://sfth.se/>
- 4) J Clin Endocrinol Metab, November 2017, 102(11):3869-3903
- 5) KDR. Årsrapport, Nationellt kvalitetsregister. Könsdysforiregistret 2018
- 6) SBU. "Könsdysfori hos barn och unga - En kunskapskartläggning" rapport 307. Diarienummer: SBU 2019/427

## Deltagare i sakkunniggrupp

Norra sjukvårdsregionen: Anna-Sara Sorsén, specialist inom barnpsykiatri

Sydöstra sjukvårdsregionen: Gunnar Kratz, specialist inom plastikkirurgi

Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Ricard Nergårdh, specialist inom barnendokrinologi

Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Cecilia Dhejne, specialist inom psykiatri

Västra sjukvårdsregionen: Konstantinos Georgas, specialist inom plastikkirurgi

Västra sjukvårdsregionen: Lennart Fällberg, specialist inom omvårdnad, registerhållare

Södra sjukvårdsregionen: Katarina Link, specialist inom endokrinologi

Patientföreträdare: Sara Bystam, FPES-föreningen för transpersoner

Vi vill även tacka för information från Stellan Hertegård (professor i foniatrici), Victoria Kelly (logoped), Emma Malmström (foniater), Ulrika Nygren (logoped och med dr) och Maria Södersten (professor i logopedi)

## 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  
vårdområde  
fertilitetsbevarande kirurgi  
vid livmoderhalscancer  
som nationell  
högspecialiserad vård

Sakkunniggruppens underlag  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen vårdområdet fertilitetsbevarande kirurgi vid livmoderhalscancer 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.

Detta underlag behandlar bedömning och eventuell kirurgi vid livmoderhalscancer, fertilitetsbevarande indikation.

# Innehåll

Förord.....	2
Sakkunniggruppens uppdrag .....	3
Ordlista .....	5
Sammanvägd bedömning .....	6
Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård.....	7
Bakgrund.....	9
Framåtblick.....	15
Förslag till särskilda villkor.....	17
Konsekvenser av rekommendationen .....	19
Uppföljning och utvärdering .....	22
Referenser .....	23
Deltagare i sakkunniggrupp.....	24
Om nationell högspecialiserad vård.....	25

# Ordlista

NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
Adjuvant	Tilläggsbehandling i syfte att motverka återfall
CT	Datortomografi
Cervix	Livmoderhals
HPV	Humant papillomvirus
Hysterektomi	Borttagande av livmoder
Kolposkop	Instrument som används vid undersökning av vagina och livmodertappen
Konisering/excision	En kägelformad liten bit av vävnaden ytterst på livmodertappen tas bort med en liten elektrisk värmeslynga (diatermi) eller laser.
MRT	Magnetresonanstomografi, medicinsk avbildningsteknik med s.k. magnetkamera
PET	Positronemissionstomografi, en medicinsk avbildningsteknik som bygger på användning av isotopmärkta preparat
Sentinel node	Portvaktskörtel
Trakelektomi	Vid en trakelektomi avlägsnas en del av livmoderhalsen med parametrier (stödjevävnad) och vaginalmanschett, medan övre del av livmoderhalsen och corpus uteri (livmodern) bevaras och en pelvin lymfkörtelutrymning genomförs med portvaktskörtel teknik. Vanligen anläggs ett permanent cerklage för att minska risken för förtidsbörd. På detta sätt uppnås radikal kirurgi samtidigt som fertiliteten bevaras och risken för förtidsbörd minimeras.

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet fertilitetsbevarande kirurgi vid livmoderhalscancer att det som framgår under rubriken Förslag till definition ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid högst tre nationella vårdenheter. Detta bedöms vara vård av komplex och sällan förekommande art, som kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens.

Vården är multidisciplinär eftersom bedömning, utredning och behandling kräver bland annat gynekologiska tumörkirurger, gynonkologer, patologer, radiologer och specialister inom reproduktionsmedicin, med erfarenhet av området. I det multidisciplinära teamet behövs även kontaktsjuksköterskor med särskild kompetens inom området.

Vårdvolymen för denna åtgärd är låg, idag genomgår bara 25–40 patienter fertilitetsbevarande kirurgi vid livmoderhalscancer per år. Sakkunniggruppen bedömer dock att kirurgiska åtgärder som trakelektomi kan vara under använda, och att en vårdkoncentration skulle kunna öka möjligheten att nå ut till rätt patienter.

Sakkunniggruppen bedömer att högst tre nationella vårdenheter behövs för att ta hand om dagens vårdvolymerna. Vårdvolymerna kan komma att öka, eftersom barnafödande i dag skjuts upp alltmer. Å andra sidan kan vårdvolymerna också komma att minska, eftersom allt fler vaccineras mot HPV. Tre vårdenheter skulle dock minska risken för redundans. Enheterna behöver samarbeta, för att kunna fördela patienter mellan sig om det uppstår väntetider. Sakkunniggruppen bedömer däremot inte att fyra nationella vårdenheter är aktuellt, eftersom varje enhet då skulle få för få patienter för att kunna bygga upp nödvändiga kunskaper och erfarenheter.

Konsekvenserna av att koncentrera vården är övervägande positiva. Forskning och utveckling skulle gynnas, och de nationella högspecialiserade vårdenheterna skulle sprida kunskap. Patienterna skulle också få tillgång till Sveriges bästa utförare av vården, vilket skulle ge en bättre vårdkvalitet och en mer jämlik vård, trots eventuella nackdelar med att resa längre. Påverkan på akutsjukvården är dessutom i princip obefintlig. All cancerkirurgi kan dock potentiellt tränga undan benign kirurgi.

# Förslag till definition av nationell högspecialiserad vård

Sakkunniggruppen föreslår att bedömning inför eventuell fertilitetsbevarande kirurgi samt utförande av denna på patienter med misstänkt eller verifierad livmoderhalscancer ska bedrivas som nationell högspecialiserad vård.

Antal enheter

3 enheter

## Avgränsningar

Vårdområdet som avses i detta underlag omfattar livmoderhalscancer diagnoskod ICD 10 C53.0–9.

1. Konisering/excisioner av tidiga stadier ska omhändertas enligt nationellt vårdprogram för livmoderhalscancer [1].
2. Kirurgisk behandling med radikal hysterektomi och behandling med kurativ radiokemoterapi anser sakkunniggruppen ska nivåstruktureras regionalt. Även medicinsk onkologisk behandling och postoperativ adjuvant radiokemoterapi av livmoderhalscancer anser sakkunniggruppen bör ske regionalt. Detta underlag omfattar inte dessa områden.
3. Detta underlag omfattar inte heller cancer in situ (ICD 10 D06.9) och cervixdysplasi (ICD 10 N87). Ett nationellt vårdprogram för livmoderhalscancerprevention finns sedan 2017.

# Bakgrund

## Medicinsk beskrivning och vårdkedjan

Den nedre delen av livmodern kallas livmoderhalsen, cervix. Livmoderhalsens funktion är att bland annat stå emot det ökade trycket nedåt som uppkommer då ett foster växer i livmodern liksom vara en barriär mot uppåtstigande infektion. Den nedersta delen av livmoderhalsen kallas livmodertappen och det är från den som prov tas vid den gynekologiska cellprovtagningen, vilken alla kvinnor i åldern 23 till 64 år regelbundet erbjuds. Vid så gott som all livmoderhalscancer är infektion med Humant Papillomvirus (HPV) bakomliggande orsak. Livmoderhalscancer drabbar ibland kvinnor i fertil ålder och där familjebildning inte är avslutad. Sjukdomen utvecklas ofta långsamt under flera år.

Under 2012 påbörjades skolvaccination av flickor i åldern 10–12 år och flickor upp till 18 år erbjuds gratis vaccination. Vaccinet som har använts skyddar mot HPV 16 och 18 som är bakomliggande orsak till cirka 70 procent av all livmoderhalscancer i Sverige. Hösten 2019 informerade regeringen att de avser att öka det allmänna vaccinationsprogrammet för barn med HPV-vaccination av pojkar. Vaccinationerna bedöms kunna starta från hösten 2020. Under 2023 kommer den första kohorten av skolvaccinerade flickor in i screeningprogrammet varav drygt 80 % är vaccinerade. Redan nu är cirka 60 procent av de kvinnor som går in i screeningprogrammet HPV-vaccinerade. Det finns nu även ett 9-valent HPV-vaccin som förutom skydd mot HPV 16 och 18 även skyddar mot ytterligare HPV-typer (31, 33, 45, 52, 58) som kan orsaka livmoderhalscancer. Vaccinationsprogrammet kommer på sikt att minska förekomsten av livmoderhalscancer. Det kan därmed bli aktuellt att både höja startåldern för screening samt övergå till HPV-test som primär screeningmetod med analys av cellförändring vid positiv HPV. Världshälsoorganisationen, WHO, planerar att anta global strategi för utrotning av livmoderhalscancer vid sitt World Health Assembly i maj 2020. WHO:s definition är incidens på färre än 4 nya fall per 100 000. Australien har redan antagit en strategi och förväntas nå detta mål 2028.

Det allra vanligaste symtomet på livmoderhalscancer är en blödning utan samband med menstruation men en del patienter med tidig livmoderhalscancer har inga eller diskreta symptom. I senare skeden av sjukdomen kan symptom från urinvägar och tarm förekomma, liksom viktnedgång, aptitlöshet, trötthet och smärtor i nedre delen av buken.

Prognosen har förbättrats avsevärt sedan screening med gynekologisk cellprovtagning infördes i Sverige i slutet av 1960-talet. Cellprovtagningen gör att man kan upptäcka cellförändringar och kan behandla dem med ett litet ingrepp som inte skadar livmodertappens funktion. Screeningprogrammet för också med sig att livmoderhalscancer kan upptäckas innan symptom uppkommer och de flesta kvinnor diagnostiseras i de tidigaste stadierna där prognosen är mycket god.

Incidensen av livmoderhalscancer i Sverige var 2018 10,67/100 000 med 540 nya fall (Socialstyrelsens Cancerregister). Antalet nya fall av cancer in situ/grav dysplasi ligger konstant kring 3000 fall per år i Sverige. Flertalet upptäcks genom screeningen för livmoderhalscancer och patienterna handläggs i enlighet med vårdprogrammet för livmoderhalscancerprevention. Incidensen av livmoderhalscancer har under senare år ökat med 17 procent, från ca 450 till ca 550 årliga fall i Sverige. Ökningen är begränsad till tidiga stadier av cancer (IA och IB).

Cirka en tredjedel av drabbade kvinnor är under 40 år. Medianåldern för förstföderskor i Sverige har under en rad år ökat och var 2016 29,2 år med en ytterligare högre medianålder i storstadsområdena.

Diagnos av livmoderhalscancer sker vanligtvis inom öppenvårdsgynekologin och utredning sker enligt Standardiserat Vårdförlopp (SVF) och kan ske på länsnivå i samråd med eller direkt via universitetsklinik. Livmoderhalscancer kan inte bekräftas med enbart vaginal gynekologisk undersökning. För diagnos inspekteras livmoderhalsen via ett kolposkop och vävnadsprov tas från livmoderhalsen och provet analyseras därefter i mikroskop. I flertalet fall bedöms livmoderhalsen med dess nyupptäckta cancer med en gynekologisk undersökning då patienten är sövd. Sjukdomens utbredning utreds vidare med hjälp av datortomografi av bröstorg och buk samt magnetresonanskamera (MR) av bäcken enligt SVF.

Stadieindelningen är klinisk enligt FIGOs<sub>1</sub> klassifikation (se Tabell 1), och baseras på klinisk undersökning och bilddiagnostik som lungröntgen och urografi, för att möjliggöra internationella jämförelser med varierande tillgång till utredningsresurser.

Box 1 FIGO staging of carcinoma of the cervix uteri (2018).
<p><b>Stage I:</b> The carcinoma is strictly confined to the cervix uteri (extension to the corpus should be disregarded)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>IA</b> Invasive carcinoma that can be diagnosed only by microscopy, with maximum depth of invasion &lt;5 mm<sup>a</sup> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ <b>IA1</b> Measured stromal invasion &lt;3 mm in depth</li> <li>○ <b>IA2</b> Measured stromal invasion ≥3 mm and &lt;5 mm in depth</li> </ul> </li> <li>• <b>IB</b> Invasive carcinoma with measured deepest invasion ≥5 mm (greater than stage IA), lesion limited to the cervix uteri<sup>b</sup> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ <b>IB1</b> Invasive carcinoma ≥5 mm depth of stromal invasion and &lt;2 cm in greatest dimension</li> <li>○ <b>IB2</b> Invasive carcinoma ≥2 cm and &lt;4 cm in greatest dimension</li> <li>○ <b>IB3</b> Invasive carcinoma ≥4 cm in greatest dimension</li> </ul> </li> </ul>
<p><b>Stage II:</b> The carcinoma invades beyond the uterus, but has not extended onto the lower third of the vagina or to the pelvic wall</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>IIA</b> Involvement limited to the upper two-thirds of the vagina without parametrial involvement <ul style="list-style-type: none"> <li>○ <b>IIA1</b> Invasive carcinoma &lt;4 cm in greatest dimension</li> <li>○ <b>IIA2</b> Invasive carcinoma ≥4 cm in greatest dimension</li> </ul> </li> <li>• <b>IIB</b> With parametrial involvement but not up to the pelvic wall</li> </ul>
<p><b>Stage III:</b> The carcinoma involves the lower third of the vagina and/or extends to the pelvic wall and/or causes hydronephrosis or non-functioning kidney and/or involves pelvic and/or paraaortic lymph nodes<sup>c</sup></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>IIIA</b> Carcinoma involves the lower third of the vagina, with no extension to the pelvic wall</li> <li>• <b>IIIB</b> Extension to the pelvic wall and/or hydronephrosis or non-functioning kidney (unless known to be due to another cause)</li> <li>• <b>IIIC</b> Involvement of pelvic and/or paraaortic lymph nodes, irrespective of tumor size and extent (with r and p notations)<sup>f</sup> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ <b>IIIC1</b> Pelvic lymph node metastasis only</li> <li>○ <b>IIIC2</b> Paraaortic lymph node metastasis</li> </ul> </li> </ul>
<p><b>Stage IV:</b> The carcinoma has extended beyond the true pelvis or has involved (biopsy proven) the mucosa of the bladder or rectum. A bullous edema, as such, does not permit a case to be allotted to stage IV</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>IVA</b> Spread of the growth to adjacent organs</li> <li>• <b>IVB</b> Spread to distant organs</li> </ul>
<p><sup>a</sup>Imaging and pathology can be used, when available, to supplement clinical findings with respect to tumor size and extent, in all stages.  <sup>b</sup>The involvement of vascular/lymphatic spaces does not change the staging. The lateral extent of the lesion is no longer considered.  <sup>c</sup>Adding notation of r (imaging) and p (pathology) to indicate the findings that are used to allocate the case to stage IIIC. For example, if imaging indicates pelvic lymph node metastasis, the stage allocation would be stage IIIC1r and, if confirmed by pathological findings, it would be Stage IIIC1p. The type of imaging modality or pathology technique used should always be documented. When in doubt, the lower staging should be assigned.</p>

Tabell 1. FIGO stadier av livmoderhalscancer. Källa: International Journal of Gynecology Obstetrics 2019;1-7

Behandlingen varierar beroende på hur långt sjukdomen har hunnit utvecklas. I de tidigaste stadierna är behandlingen operation, med borttagande av livmodern och angränsande lymfkörtlar i bäckenet. Hos yngre kvinnor med en liten tumör och stark önskan om att bevara möjligheten att bli gravid kan man i vissa fall operera bort en del av livmoderhalsen (fertilitetsbevarande kirurgi). I de senare stadierna är en kombination av olika strålbehandlingsmetoder och cytostatika den mest effektiva behandlingen. Detta underlag avser dock endast fertilitetsbevarande kirurgi som förslag till nationell högspecialiserad vård.

Behandling av livmoderhalscancer baseras på tillgänglig diagnostik, t.ex. MRT och PET-CT och utförs på specialiserade enheter för gynekologisk tumörkirurgi och gynekologisk onkologi. Undantaget är stadium IA1 utan vare sig lymfkärlinväxt (LVSI) eller högmalign histopatologi som diskuteras mellan gynekolog i länssjukvården och universitetskliniker, men där behandling och uppföljning på vissa ställen sker på länsnivå. Dessa patienter behandlas med konisation/excision alternativt med enkel hysterektomi.

Under 2017 genomfördes 30 trakelektomier i Sverige. Trakelektomi är en sällsynt operation och variationer mellan år finnas därför. De FIGO-stadier som idag är aktuella för denna kirurgi är: IA2-IB1 och IA1 med Lymph vascular space invasion (LVSI). Sakkunniggruppen bedömer att variationerna mellan åren ligger på 25-40 ingrepp/år.

Om nedanstående urvalskriterier, etablerade indikationer för fertilitetsbevarande kirurgi, tillämpas är det onkologiska resultatet mycket gott med en recidivrisk på 1,9–2,9 %.

- Önskan om bevarande av fertilitet hos kvinna i fertil ålder
- Tumör < 2 cm
- Cervixlängd och lokalisation av tumör tillåtande adekvat kvarlämnade av cervix/ marginal mot cancer
- Skivepitelcancer, adenocarcinom eller adenoskvamös cancer.

Det fertilitetsbevarande ingreppet trakelektomi är således ett ovanligt ingrepp som utförs i relativt liten utsträckning. Då volymen är liten och ingreppet och bedömningen inför ingreppet kan vara komplexa anser sakkunniggruppen att det är viktigt att koncentrera detta till färre enheter. Det är ett ingrepp där det krävs multidisciplinär kompetens kring patienten så som gynekolog, gynekologisk tumörkirurg och patolog. Syftet med ingreppet utöver att behandla cancersjukdomen är att kvinnans fertilitet kan bevaras med en så låg risk för förtidsbörd som möjligt. Det är därför viktigt att de som utför ingreppet har erfarenhet av detta och kan följa upp patienten korrekt.

## Vårdvolym

Rörande volym av fertilitetsbevarande kirurgiska åtgärder, trakelektomi, som utförs vid livmoderhalscancer så har sakkunniggruppen ställt fråga till respektive enhet om antalet fall under åren 2015 – 2017.

Totalt görs idag cirka 25-40 st radikala trakelektomier per år i Sverige. 2017 genomfördes 30 st trakelektomier i Sverige. Ingreppen genomfördes på fem olika universitetssjukhus (Sahlgrenska universitetssjukhuset, Universitetssjukhuset i Linköping, Skånes universitetssjukhus, Karolinska Universitetssjukhuset och Akademiska sjukhuset i Uppsala).

## Forskning

Den kliniska forskningen i Sverige inom livmoderhalscancer följer flera utvecklingslinjer. Dels translationella studier inom HPV och livmoderhalscancerprevention liksom epidemiologiska studier relaterat HPV och livmoderhalscancer inom ramen för det Nationella Kvalitetsregistret för Livmoderhalscancerprevention (NKCx). Vidare bedrivs kliniska studier avseende sentinel node och onkologiska resultat vid minimalinvasiv och traditionell kirurgi liksom studier kring metodutveckling och kliniska resultat efter fertilitetsbevarande kirurgi. Forskning kring seneffekter och livskvalitet efter strålbehandling bedrivs också. Molekylärbiologiska studier planeras så snart tillräckligt material finns samlat i regionala biobanker. Samtliga kliniska studier och inte minst insamlade av biologiskt material (biobanking) kräver etablerade rutiner och en god volym av patienter och förutsätter därför en

koppling till universitetssjukhus. Med tanke på den ökade incidens av livmoderhalscancer som har setts i Sverige de senaste åren samt de ändrade behandlingsmetoderna som kommit under de senaste 10 åren, särskild med övergång till mindre invasiva ingrepp och radiokemoterapi är klinisk forskning ytterst angelägen.

Generellt är fertilitetsbevarande kirurgi vid livmoderhalscancer ett lågfrekvent ingrepp. Förutsättningarna för prospektiva randomiserade studier avseende till exempel kirurgisk approach relativt primära utfallsparametra som onkologiska resultat, fertilitet och obstetriskt utfall är därför dåliga. Sedan 2011-01-01 finns ett delregister för cervix- och vaginalcancer inom svenska kvalitetsregistret för gynekologisk cancer (SQRGC). Alla regioner deltar i registreringen och registret är uppbyggt på INCA-plattformen. Via INCA-systemet görs täckningskontroll gentemot Cancerregistret. Dataanalys sker i samråd med Regionalt cancercentrum Väst som är stödteam. Tyvärr föreligger som tidigare nämnts brister i täckningsgrad i registret. Det finns i vissa regioner en eftersläpning av registreringen och dataöverföringen från Gynopregistret och Gynekologiska kvalitetsregistret har inte avslutats. Antalet fall för vissa regioner är mycket få varför jämförelser t ex vad gäller aspekter av jämlikvård inte säkert kan göras. Kvalitetsregistret för cervixcancer bör således valideras och resultat bör tolkas med försiktighet. Kvalitetsregistret kan emellertid användas som utgångspunkt till fördjupade studier med specifika frågeställningar förutsatt kontroll av data. För en detaljerad analys av relevanta kliniska parametra för en begränsad patientgrupp av fertilitetsbevarande kirurgi lämpar sig prospektiva studier med definierade utfallsparametra bäst medan kvalitetsregistret kan användas för att avspegla övergripande definierade kvalitetsparametra.

Sakkunniggruppen har under arbetet med detta utlåtande ställt fråga till samtliga enheter hur många patienter som inkluderats i strukturerad behandlingsstudie under 2017 eftersom den rapporterade siffran till registret endast avsåg kvartal 1–2 2017 och i tillägg inte bedömdes vara representativ. För att kunna medräknas skulle den kliniska studien vara godkänd av etikprövningsnämnd och studien skulle vara registrerad på "ClinicalTrials.gov" eller på "Cancerstudier i Sverige". Vad gäller behandlingsstudier relaterade till kirurgisk behandling inkom svar från åtta enheter av totalt nio. Av dessa svarade sex enheter att ingen patient hade inkluderats i studie enligt ovanstående kriterier, en enhet informerade att studier hade gjorts, en enhet svarade att 89 % av patienterna (totalt 24 stycken) hade inkluderats i klinisk studie registrerad på Clinicaltrials.gov. Avseende gynekologiska studier inkom svar från fem av totalt sju centra och sammanlagt hade patienter 30 inkluderats i olika studier, ingen av dessa studier fanns representerade på "Cancerstudier i Sverige". Huruvida studierna var registrerade på "ClinicalTrials.gov" kommenterades inte. Slutsatsen av denna inventering är att registerdata sannolikt visar på för låg andel men att ytterligare engagemang hos de behandlade enheterna är helt nödvändigt för att möjliggöra för fler patienter att delta i kliniska studier.

Ungefär hälften av patienterna som idag genomgår en fertilitetsbevarande kirurgi med trakelektomi i Sverige ingår i kliniska studier som är registrerade på ”ClinicalTrials.gov”.

Sakkunniggruppen bedömer att det finns utrymme till förbättring inom forskning inom livmoderhalscancer och fertilitetsbevarande kirurgi vid livmoderhalscancer. Bedömningen är att nationella enheter skulle bidra till förbättrad forskning och utveckling inom området.

## Internationell utblick

Vid jämförelse med våra nordiska grannländer med en förhållandevis likartad demografi och likartat sjukvårdssystem kan vi notera att i Norge och Danmark med snarlik incidens utförs trakelektomier på ett centrum i respektive land. Finland hade en tidigare centralisering av trakelektomier men nu utförs detta på alla fem universitetssjukhus.

# Framåtblick

## Övergripande beskrivning av verksamheten på ett nationellt centrum

Livmoderhalscancer drabbar ibland kvinnor i fertil ålder och där familjebildning inte är avslutad. Dessa kvinnor skall erbjudas adekvat och uppdaterad information om de kirurgiska och onkologiska förutsättningarna för säker fertilitetsbevarande kirurgi och även informeras om de fertilitetsmässiga/obstetriska förutsättningarna. En nationell enhet (NHVe) som handhar dessa patienter måste därför ha tillgång till och nära samarbete med ett akademiskt förankrat reproduktionsmedicinskt centrum i de fall andra fertilitetsbevarande åtgärder kan bli aktuella även ur ett längre perspektiv. Ett multidisciplinärt team inkluderande gynekologiska reproduktionsmedicinare, tumörkirurger och onkologer med uppdaterad kunskap om möjliga och framtida fertilitetsåtgärder bör finnas till hands. Informationen är svår och kräver stor vana av bedömning av den kliniska/ kirurgiska situationen för att en adekvat och tillförlitlig information skall kunna ges. Man bör ha i åtanke att den unga kvinnan kan komma att bli friskförklarad efter fem år och leva många år därefter.

NHVe bör se till att det finns en tydlig vårdkedja. Arbetsfördelning och kontaktvägar mellan hemort och NHVe måste vara tydliga. En vårdplan skall upprättas där det ska framgå när och till vilken enhet patienten skall vända sig vid definierade problem, för planläggning vid tidig graviditet och vid senare graviditetsproblem, i synnerhet vid hotande förtidsbörd. Detta kan lämpligen beskrivas i ett vårdprogram och i en patientinformation som NHVe tar fram tillsammans. Det är viktigt att alla praktiska detaljer gällande resor och boende när patienten ska komma för bedömning och behandling är tydliga och att patienten kan vända sig till någon som är ansvarig för att koordinera detta.

Det är av stort värde att NHVe kan erbjuda stöd och råd till hemorten gällande behandling av lymfödem och rehabilitering efter operationen även om det inte ingår i definitionen. Det är också viktigt att NHVe kan stödja hemorten om patienten drabbas av perioperativa komplikationer sexuella problem eller inte lyckas bli gravid.

Idag anses fertilitetsbevarande kirurgi i form av trakelektomi adekvat i en selekterad population. Det är vid fertilitetsbevarande kirurgi särskilt viktigt att tekniker för detektion av sentinel nodes samt rutiner för fryssnitt, ultrastaging och immunhistokemi av sentinel nodes och rutiner för hantering av preparat, vid fryssnitt såväl som slutlig histologi, är väl etablerad och utförs av gynekologisk referenspatolog.

NHVe som utför fertilitetsbevarande kirurgi vid livmoderhalscancer bör bedriva och delta i klinisk cancerforskning, såväl nationellt som internationellt. För att bedriva klinisk cancerforskning krävs närhet till universitetsresurser för bl.a. translationell forskning. Utanför universitetssjukhusen är kringresurserna otillräckliga. Det bör sålunda finnas en aktiv forskningsmiljö på

NHVe där nya utvecklingsprojekt kan genomföras i ett tätt samarbete med de övriga NHVe för att skaffa tillräckligt patientmaterial för de respektive kliniska forskningsstudierna och gemensamma nationella studier.

Eftersom behandlingen är multidisciplinär bör också forskningen vara det. Detta innebär att alla specialiteter bör vara representerade i den akademiska miljön. Ett forum som skulle gynna akademisk diskussion och förmodligen även forskning är införande av nationella multidisciplinära konferenser (MDK).

Likaså ska kvalitetsregisterforskningen utvecklas vilket torde vara lämpligt att göra inom ramen för Svenska Kvalitetsregistret för Gynekologisk Cancers etablerade akademiska forskningsgrupp Swedish Gynecologic Cancer Group (SweGCG). Sakkunniggruppen vill även påpeka vikten av att pågående kliniska studier med aktuell rekrytering av patienter registreras på [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov) eller motsvarande internationella forskningsdatabaser. I tillägg kan databasen "Cancerstudier i Sverige" övervägas. Databasen "Cancerstudier i Sverige" är framtagen i ett samarbete mellan Regionala cancercentrum i samverkan (RCC) och Nätverket för universitetssjukhusens prövningsenheter inom onkologi (NASTRO). Sakkunniggruppens förslag till nationell nivåstrukturerad av fertilitetsbevarande kirurgi till högst tre enheter bedöms kunna påverka möjligheten till klinisk forskning positivt.

Värt att notera är att den europeiska organisationen för forskning och behandling av cancer (EORTC) i sina rekommendationer för gynekologisk tumörkirurgi anger som minimikrav att varje kirurg bör utföra minst 10 och att varje enhet utför minst 20 radikala hysterektomier på indikationen livmoderhalscancer per år. I Sverige var det 2017 fem enheter som utförde minst 20 radikala hysterektomier på indikationen livmoderhalscancer per år. Internationella rekommendationer för trakelektomier saknas men det finns anledning att förmoda att antalet ligger under det rekommenderade antalet för radikala hysterektomier.

## 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.

<b>Kompetens och resurser</b>	
Kritisk medicinsk kompetens (läkare)	För nedan kompetenser gäller att det ska finnas en särskild erfarenhet inom området: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Gynekologisk tumörkirurger certifierade inom gynekologisk tumörkirurgi med cancervård</li> <li>• Specialister inom gynekologisk onkologi</li> <li>• Specialister inom bild- och funktionsmedicin</li> <li>• Specialister inom gynekologisk patologi</li> <li>• Specialister inom reproduktionsmedicin</li> </ul>
Andra typer av kompetens (t.ex. specialkompetent sjuksköterska, kurator, psykolog, fysioterapeut)	För nedan kompetenser gäller att det ska finnas en särskild erfarenhet inom området: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Kontaktsjuksköterska</li> <li>• Kurator</li> <li>• Fysioterapeut</li> <li>• Psykolog</li> <li>• Lymftherapeut</li> <li>• Sexologisk kompetens</li> </ul>
Kritiska medicinska resurser (utrustning, lokaler etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Utrustning för avancerad minimalinvasiv kirurgi och sentinel lymfnode (SLN) detektion</li> <li>• Utrustning för videokonferens</li> </ul>
Andra områden (ffa medicinska) som är en förutsättning för att den utredda vården ska kunna bedrivas	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Urologi</li> <li>• IVA</li> </ul>
Kritiska diagnostiska metoder	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Tekniker för detektion av sentinel nodes samt rutiner för fryssnitt, ultra-staging och immunhistokemi av sentinel nodes och rutiner för hantering av preparat, vid fryssnitt såväl som slutlig histologi, är väl etablerad och utförs av gynekologisk referenspatolog</li> </ul>

Behandling (t.ex. medicinsk, kirurgisk, interventionell radiologi)	<ul style="list-style-type: none"> <li>Vid en NHVe ska det finnas möjlighet och förutsättning till annan adekvat kirurgisk och onkologisk behandling vid livmoderhalscancer baserat på den enskilda patientens behov.</li> </ul>
Rehabilitering (särskilt anpassad till behovet)	
Övrigt (krav på NHVe att utveckla t.ex. vårdplaner etc.)	<ul style="list-style-type: none"> <li>Enheten ska bemannas med erfarna gynekologiska tumörkirurger dygnet runt, året runt</li> <li>Utveckling av vårdprogram som bland annat bör ta upp uppföljning och återkoppling till hemortsjukhuset</li> <li>Ansvara för att varje patient har en vårdplan (inkl rutiner för uppföljning) med sig vid utskrivning från NHVe</li> <li>Stötta patientens hemsjukhus med rehabplan</li> <li>Ansvara för nationell MDK avseende de patienter som ingår i definitionen. Denna MDK skulle kunna samordnas med den MDK som redan idag drivs inom området vulvacancer.</li> <li>Enheterna ska ha ett etablerat nationellt och internationellt forskningssamarbete</li> <li>Överrapportering till hemortsläkare/sjukhus med tydliga kontaktvägar och kriterier för hur kontakt ska ske</li> <li>NHV ska erbjuda videomottagning eller motsvarande för uppföljande samtal</li> <li>NHVe ska överrapportera till remitterande enheten samt följa upp patientrapporterade mått.</li> </ul>

# 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.)	<p>Patienterna känner att det blir en ökad förståelse för deras behov och sjukdom.</p> <p>Patientgruppen är yngre kvinnor i fertil ålder och kan således resa lättare än vad som är fallet för äldre patienter.</p> <p>Avståndet till behandlande center kan öka något. Detta kan innebära vistelse på annan ort under längre eller kortare tid för vissa patienter.</p> <p>Fördelarna överväger nackdelarna med längre resor. Det förutsätts en organisation som kan bistå med logistisk och administrativ hjälp. Kompetens och kunnsighet hos vårdpersonal överväger långa avstånd till vården.</p>
Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring	<p>NHV innebär ett större samlat patientunderlag och därmed bättre förutsättningar för en bra klinisk verksamhet, forskning och undervisning.</p> <p>Möjlighet till erfarenhetsutbyte mellan NHVe och remittenter via MDK. Möjlighet till auskultation på NHVe.</p> <p>En viss kompetensförlust hos de som inte längre får utföra denna typ av kirurgi.</p> <p>Ingen konsekvens för vidareutbildning av läkare då patientgruppen är begränsad och bara en liten del av gynekologiska tumörkirurgers patientunderlag</p>

	Däremot måste det finnas en struktur för kunskapsöverföring inom NHVe för att kunna tillgodose återväxten av personal.
Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?	En koncentration av patientgruppen ökar möjligheterna till att bedriva klinisk forskning och att delta i multicenterstudier för NHVe.
Påverkan på närliggande områden	Då det är en begränsad volym är risken för undanträngning av annan cancerkirurgi eller kirurgi för godartade sjukdomstillstånd försumbar.
Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort.	Då detta är en begränsad patientvolym är risken för påverkan på akutsjukvården obefintlig, både för de enheter som får bedriva vården samt för de som blir av med vården.
Påverkan på vårdkedjan	Vårdkedjan tydliggörs och det finns möjlighet att utveckla denna.  Det finns risk att vårdkedjan kan se anorlunda ut i vissa regioner.
Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)	Lättare att planera då det blir mer förutsägbart gällande volym och vilken kompetens som krävs.  Att starta upp NHVe kan medföra viss ekonomisk belastning i uppstartsfasen.  Det kan vara så att en nationell MDK skulle kunna bli en administrativ pålagring. Dock skulle detta kunna undvikas om MDK:n samordnades med redan existerande nationell MDK för vulvacancer.  För vissa regioner kan koncentrationen innebära ökade kostnader för att remittera patienter (resor osv).  Det kan innebära en större administration runt remitteringsförfarande för de regioner som tidigare genomfört denna vård själva men nu måste remittera den.  Risk för förlängda väntetider om inte NHV får tillräckligt med resurser (operationsutrymme, vårdplatser)
Eventuella konsekvenser för sjuktransporter	Sjuktransporterna är planerade och inte akuta. Patienterna kan öka med kollektiva färdmedel till NHVe. Några patienter kommer att behöva sjuktransporter hem.
Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsvisioner	Det kan vara så att volymerna för ingreppet i framtiden skulle kunna minska relaterat till att fler idag vaccinerats mot HPV.

<b>Övriga kommentarer:</b>	

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

### Förslag till uppföljningsmått (översikt)

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått	Antal bedömningar Ålder Remitterande region
Bakgrundsmått	Andel som efter bedömning går vidare till behandling
Bakgrundsmått	Vårdtid (inneliggande) Utskrivningsdatum minus inskrivningsdatum
Tillgänglighetsmått	Tid från remiss till bedömning
Tillgänglighetsmått	Tid från bedömning till behandling
Medicinskt mått	Andel som genomgått behandling och fått recidiv eller avlidit inom fem år
Medicinskt mått	Bevarad fertilitet Andel patienter med postoperativ fertilitetsönskan som blir gravida:  På naturlig väg Med assisterad befruktning
Medicinskt mått	Antal patienter som fått sent missfall eller prematurt kejsarsnitt och som behandlats inom definitionen uppdelat på: <ul style="list-style-type: none"> <li>• graviditetsvecka 15+0- 22+6,</li> <li>• graviditetsvecka 23+0 - 25+6,</li> <li>• graviditetsvecka 26+0 - 29+6</li> <li>• graviditetsvecka 30+0 - 35+6</li> <li>• Andel som kejsarsnittas vid planerad fullgången tid</li> </ul>

## Referenser

1. Gällande vårdprogram livmoderhals och vagina. Hämtad 2019-12-09 från Vårdprogram <https://www.cancercentrum.se/samverkan/cancer-diagnoser/gynekologi/livmoderhals-vagina/vardprogram/gallande-vardprogram/>

## Deltagare i sakkunniggrupp

Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion: Charlotta Sävblom specialistkompetens inom gynekologi och obstetrik

Sydöstra sjukvårdsregionen: Preben Kjölhede specialistkompetens inom gynekologi och obstetrik, specialist i gynekologisk onkologi

Norra sjukvårdsregionen: Ulrika Ottander specialistkompetens inom gynekologi och obstetrik, subspecialist i gynekologisk tumörkirurgi

Södra sjukvårdsregionen: Jan Persson specialistkompetens inom gynekologi och obstetrik, subspecialist i gynekologisk tumörkirurgi

Västra sjukvårdsregionen: Pernilla Dahm-Kähler specialistkompetens inom gynekologi och obstetrik, subspecialist i gynekologisk tumörkirurgi

Uppsala-Örebros sjukvårdsregion: Karin Stålberg specialistkompetens inom gynekologi och obstetrik

Patientföreträdare: Barbro Sjölander, Nätverket mot gynekologisk cancer

# 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).

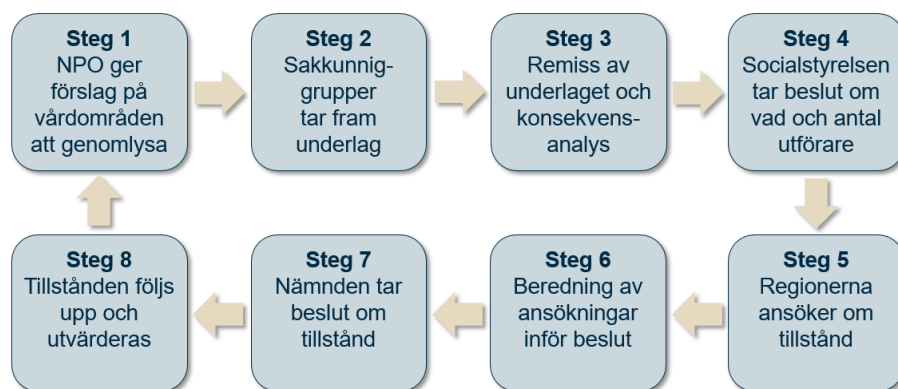
Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

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.