

8

Ansökan om nationell
högspecialiserad vård,

Viss vård vid
neuromuskulära
sjukdomar

VKN 2020-0111

Vårdens kunskapsstyrningsnämnd
Hälso- och sjukvårdsförvaltningen
Kunskapsstyrning och -stöd
Ameli Norling

TJÄNSTEUTLÅTANDE
2021-05-27

VKN 2020-0111

Vårdens
kunskapsstyrningsnämnd

Ansökan om nationell högspecialiserad vård, Viss vård vid neuromuskulära sjukdomar

Ärendebeskrivning

Socialstyrelsen har den 15 december 2020 beslutat att viss vård vid neuromuskulära sjukdomar ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra enheter. Vård som avser barn och ungdomar respektive riktade utredningar av metabola/mitokondriella sjukdomar ska koncentreras ytterligare till två av dessa enheter. Regionen föreslås ansöka om ett av fyra NHV-uppdrag samt uppdrag för barn och ungdomar respektive riktade utredningar av metabola/mitokondriella sjukdomar.

Beslutsunderlag

Hälso- och sjukvårdsdirektörens tjänsteutlåtande
Beslut om nationell högspecialiserad vård – viss vård vid neuromuskulära sjukdomar, Socialstyrelsen

Förslag till beslut

Vårdens kunskapsstyrningsnämnd beslutar följande:

1. Region Stockholm ska ansöka om ett av fyra uppdrag för nationell högspecialiserad vård för viss vård vid neuromuskulära sjukdomar
2. Region Stockholm ska ansöka om utökat ansvar med uppdrag för för barn och ungdomar.
3. Region Stockholm ska ansöka om utökat ansvar med uppdrag för riktade utredningar av metabola/mitokondriella sjukdomar.
4. Hälso- och sjukvårdsdirektören får i uppdrag att ansöka hos Socialstyrelsen om ovanstående uppdrag för Region Stockholm.
5. Hälso- och sjukvårdsdirektören får i uppdrag att återrapportera utfallet av ansökan till nämnden.

Förvaltningens motivering till förslaget

Bakgrund

Socialstyrelsen har den 15 december 2020 beslutat att viss vård vid neuromuskulära sjukdomar ska utgöra nationell högspecialiserad vård (NHV) och bedrivs vid fyra enheter. Uppdraget består i att utreda misstänkta fall av neuromuskulär sjukdom där diagnos inte kunnat fastställas samt att upprätta uppföljningsplaner och rekommendera och följa upp sjukdomsmodifierande behandling vid viss neuromuskulär sjukdom. Merparten av den regelbundna uppföljningen av patienter med viss neuromuskulär sjukdom kan även fortsättningsvis utföras på hemorten, utanför NHV-enheterna.

Den vård som avser barn och ungdomar respektive riktade utredningar av metabola/mitokondriella sjukdomar ska koncentreras ytterligare och bedrivs vid två av dessa fyra enheter.

Enligt sakkunniggruppens underlag uppskattas antalet diagnosticerade patienter med viss neuromuskulär sjukdom i Sverige till 6000-7000. Behovet av diagnostiska utredningar för att utreda misstänkt neuromuskulär sjukdom uppskattas till 800 nybesök, 1500 muskelbiopsier och 500 helgenom- eller helexomsekvenseringar årligen.

I Region Stockholm erbjuds vård vid neuromuskulära sjukdomar av flera vårdgivare, både offentliga och privata. Vad gäller den aktuella NHV-avgränsningen bedrivs vården främst av Karolinska Universitetssjukhuset. Viss vård av vuxna patienter bedrivs på Danderyds Sjukhus och viss vård av barn på Södersjukhuset. Diagnostiska utredningar med muskelbiopsier och helgenom-/helexomsekvensering utförs endast av Karolinska Universitetssjukhuset.

Överväganden

Vid ansökan ska en ansvarig vårdenhet anges för regionen. Karolinska Universitetssjukhuset har förutsättningar för att utföra uppdraget och föreslås därmed anges som tilltänkt NHV enhet. Karolinska Universitetssjukhuset har ett komplett vårderbjudande för denna patientgrupp, och unika kompetenser som genom ett NHV-tillstånd kan komma hela landet till del. Karolinska Universitetssjukhuset är vidare ett av två centra i Sverige som deltar i det Europeiska referensnätverket för neuromuskulära sjukdomar, samt ett av två centra som erbjuder genmodifierande behandling av spinal muskelatrofi.

Om Region Stockholm ansöker och tilldelas NHV-tillståndet kommer det sannolikt att innebära en ökning av antalet patienter som får vård i regionen. I dagsläget är ca 1500 vuxna och 250 barn inom avgränsningen under behandling eller uppföljning på Karolinska Universitetssjukhuset. Om regionen erhåller ett NHV-tillstånd uppskattas dessa volymer öka med upp till 50%. Delar av denna ökning väntas ske genom centralisering inom regionen och delar genom ökad utomlänsvård. Volymerna av muskelbiopsier och helgenom- och helexomsekvenser väntas inte öka signifikant, då Karolinska Universitetssjukhuset redan idag utför en stor andel av denna diagnostik nationellt. En ökning av patientvolymerna kommer kunna ge ett förstärkt patientunderlag för forskning, utbildning och utveckling liksom för kompetensutveckling.

Om Region Stockholm inte ansöker kommer viss utredning och vård vid neuromuskulära sjukdomar att upphöra inom Region Stockholm och dessa patienter skulle därmed behöva remitteras till annan NHVe. Befintlig forskning och vårdutveckling inom området skulle äventyras.

Ekonomiska konsekvenser

Det nationella systemet för högspecialiserad vård som sköts av Socialstyrelsen saknar ännu en beskrivning av hur den ekonomiska ersättningen ska beräknas för NHV uppdrag. Det tidigare systemet med rikssjukvårdsuppdrag omfattar inte ersättning för overheadkostnader i samband med administration av ett nationellt uppdrag. Det är svårt att prognosticera de ekonomiska effekterna innan nationellt beslut om ersättningssystem. Det är rimligt att förvänta sig att intäkterna för utomlänspatienter täcker vårdkostnaderna men att NHVe-relaterade overheadkostnader kan öka något. Om regionen inte ansöker om uppdraget kommer regionen få betala för vården i annan region.

Konsekvenser för patientsäkerhet

Förslaget till beslut om att ansöka om NHV-uppdrag för viss vård vid neuromuskulära sjukdomar skulle innebära en bibehållen hög patientsäkerhet som därtill kan utvecklas för ytterligare patienter. Att inte ansöka innebär att tillgängligheten till behandlingen riskerar att försämrats för patienter inom regionen.

Konsekvenser för jämlik och jämställd vård

Förslaget till beslut förväntas ha oförändrade konsekvenser för jämlik och jämställd vård.

Miljökonsekvenser

En ökad transport av patienter inom nationen kan innebära negativa konsekvenser för miljön. För icke-akuta transporter kan klimatvänliga alternativ prioriteras. Det är ett mindre antal patienter som kommer få längre transporter från andra regioner ökar varför miljöeffekten troligtvis är liten.

Administrativa konsekvenser

Utvecklingen av en NHV enhet innebär en ökad administration vid uppstart, under drift och vid uppföljning. Regionen har tillskjutit medel i budget 2020-2023 för ett kansli vid Karolinska Universitetssjukhuset som kommer stötta i detta arbete. En del av administrationen kommer skötas av vårdgivarna direkt. Antalet patienter som omfattas förväntas öka i liten omfattning varför administrationen som ska skötas av vårdgivarna förväntas kunna hanteras inom ordinarie verksamhet. Samlingen av vården till fyra NHVe kan innebära vinster i form av samordnad administration.

Magnus Thyberg
Avdelningschef

Beslutet ska skickas till

Klicka här för att fylla i vilka beslutet ska skickas till

Godkänd av Magnus Thyberg, 2021-05-27

Kunskapsstyrning för hälso- och sjukvården
Mattias Magnusson
mattias.magnusson@socialstyrelsen.se

Beslut om nationell högspecialiserad vård - viss vård vid neuromuskulära sjukdomar

Beslut

Socialstyrelsen beslutar att viss vård vid neuromuskulära sjukdomar ska utgöra nationell högspecialiserad vård, enligt definition nedan, och bedrivs vid fyra enheter. Den vård som avser barn och ungdomar och riktade utredningar av metabola/mitokondriella sjukdomar ska koncentreras ytterligare och bedrivs vid två enheter.

Definition

Muskelbiopsidiagnostik (patologiutredning) och tolkning av helgeom/helexom sekvensering i samband med utredning av misstänkt neuromuskulär sjukdom.

Bedömning och eventuell fortsatt diagnostisk utredning, vid misstänkt neuromuskulär sjukdom där diagnos inte kunnat fastställas.

Med neuromuskulär sjukdom avses sjukdomar med primär sjukdomsprocess i någon del av den motoriska enheten: i framhornscellerna, i perifer nervtråd, i ändplattan eller i själva muskeln.

Bedömning och upprättande av uppföljningsplan efter behov vid viss neuromuskulär sjukdom.

Rekommendation om och uppföljning av sjukdomsmodifierande behandling (såsom genetisk och stamcellsbehandling och enzymsubstitution) när sådan är aktuell vid viss neuromuskulär sjukdom.

Med *viss neuromuskulär sjukdom* avses exempelvis men inte uteslutande personer med

- ärftliga motorneuronsjukdomar såsom spinal muskelatrofi
- ovanliga och/eller komplexa fall av polyneuropatier; ärftliga former samt immunologiskt medierade former som är behandlingsrefraktära
- primära icke-inflammatoriska muskelsjukdomar
- neuromuskulära transmissionsrubbningsar; ärftliga former, immunologiskt medierade former som är behandlingsrefraktära samt myastenia gravis hos barn

- metabola/mitokondriella muskelsjukdomar samt jonkanalssjukdomar med neuromuskulär manifestation.
- ataxisjukdomar med neuromuskulära manifestationer såsom Friedreich ataxi.

Definition av den vård inom neuromuskulära sjukdomar som ska utgöra nationell högspecialiserad vård. Avgränsning från ovanstående: Patienter diagnosticerade med amyotrofisk lateral skleros (ALS) bedöms och behandlas generellt inom regionala ALS-team.

Ärendet

Sakkunniggruppens förslag om nationell högspecialiserad vård

Socialstyrelsen har den 22 oktober 2019 gett en sakkunniggrupp i uppdrag att utreda om vårdområdet neuromuskulära sjukdomar ska utgöra nationell högspecialiserad vård och antal enheter sådan vård ska bedrivas på. Sakkunniggruppen föreslår i sin utredning att Socialstyrelsen ska besluta att viss vård vid neuromuskulära sjukdomar ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid fyra enheter. Som skäl för förslaget anförs bl.a. följande.

Viss vård vid neuromuskulära sjukdomar bedöms vara vård som är komplex och sällan förekommande, kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården är multidisciplinär då neurolog, neurofysiolog, patolog och klinisk genetik ofta behöver samarbeta för att ställa diagnos.

Antalet patienter är begränsat till ca 6000-7000 patienter per år, med heterogen sjukdomsbild och mycket varierande vårdbehov. Därmed är det svårt för vårdpersonalen att tillägna sig tillräcklig kompetens och för huvudmannen 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. Med hänsyn taget till vårdens resurser, tillgänglighet och framtida patientvolym föreslår sakkunniggruppen fyra enheter. 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 vid ovanliga diagnoser förväntas också förbättra kunskapsutvecklingen.

Remissinstansernas yttranden

Socialstyrelsen har remitterat sakkunniggruppens utredning till berörda remissinstanser. Överlag är remissinstanserna positiva till att koncentrera viss vård vid neuromuskulära sjukdomar. Dock har flertalet remissinstanser invändningar mot vilka patienter inom neuromuskulära sjukdomar som omfattas av definitionen. Dels finner många instanser beskrivningen av patientgruppen otydlig, dels vänder sig många emot att sakkunniggruppen tydligt exkluderat vissa diagnoser.

Flera regioner lyfter i sina remissyttranden att det idag endast finns två region-sjukhus som erbjuder högspecialiserad vård av barn med neuromuskulära sjukdomar. De finner det därför anmärkningsvärt att sakkunniggruppen föreslår fyra enheter för nationell högspecialiserad vård inom neuromuskulära sjukdomar utan att tydliggöra arbetsfördelning vad gäller vård av barn och vård av vuxna. Vidare påpekas att endast två regionsjukhus erbjuder avancerad diagnostik av metabola/mitokondriella neuromuskulära sjukdomar.

Sakkunniggruppens synpunkter på remissinstansernas yttranden

Socialstyrelsen har gett sakkunniggruppen möjlighet att inkomma med synpunkter på remissinstansernas yttranden. Utifrån remissynpunkterna har sakkunniggruppen justerat sitt förslag till att även omfatta flera av de diagnoser som remissinstanserna ansåg saknades. Det rör sig om en rad sällsynta tillstånd vars volymer inte tros påverka patientvolymerna för åtgärder inom nationell högspecialiserad vård mer än marginellt. Sakkunniggruppen har i sitt svar på remissynpunkterna också förtydligat att patientens behov snarare än exakt diagnos ska vara vägledande för vem som ska remitteras till nationell högspecialiserad vård. I sakkunniggruppens justerade förslag till definition ges därför exempel på sjukdomstillstånd som ska remitteras till nationell högspecialiserad vård utan att utelåta andra komplexa neuromuskulära tillstånd där behov av nationell högspecialiserad vård finns.

Utifrån remissynpunkter gällande antal enheter föreslår sakkunniggruppen fortsatt fyra enheter men med tillägget att vård av barn och ungdomar ska koncentreras ytterligare till två till tre enheter och riktade utredningar av mitokondriella/metabola sjukdomar ska koncentreras till två enheter. Sakkunniggruppen förordar att vården av barn och ungdomar samlokaliseras med ansvar för riktade utredningar av mitokondriella/metabola sjukdomar.

Den särskilda beredningsgruppens yttrande

Socialstyrelsen har begärt in ett yttrande från en särskild beredningsgrupp angående sakkunniggruppens utredning och förslag. Beredningsgruppen består av ledamöter med expertis i hälso- och sjukvårdssystemet samt företrädare för det nationella programområdet Akut vård.

Socialstyrelsen har begärt att beredningsgruppen ska yttra sig över om de positiva effekterna av den föreslagna koncentrationen överväger eventuella negativa effekter för hälso- och sjukvårdssystemet. I den analysen har påverkan på akut-sjukvården, närliggande områden, geografiska aspekter, transporter, utbildning och forskning beaktas.

Av beredningsgruppens yttrande framgår i huvudsak följande. Beredningsgruppen tillstyrker sakkunniggruppens förslag att viss vård vid neuromuskulära sjukdomar ska utgöra nationell högspecialiserad vård. Beredningsgruppen anser att aktuell vård är vård som är komplex och sällan förekommande, som kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens.

Beredningsgruppen tillstyrker även sakkunniggruppens förslag att vården ska bedrivas vid fyra enheter. Beredningsgruppen gör dock bedömningen att den vård

som avser barn och ungdomar och riktade metabola/mitokondriella utredningar koncentreras ytterligare, till två enheter. Den relativt begränsade vårdvolymen och utgångsläget gällande hur vården bedrivs idag gör att beredningsgruppen förordar två enheter.

Beredningsgruppen anser att de positiva effekterna av att koncentrera aktuell vård överstiger eventuella negativa effekter för hälso- och sjukvårdssystemet.

Beredningsgruppen instämmer i sakkunniggruppens bedömning att detta inte kommer att påverka akutsjukvården i någon större utsträckning då patienterna till största delen kommer att bli omhändertagna på hemorten.

Beredningsgruppen konstaterar att det kan komma att bli påverkan på exempelvis diagnostik hos de enheter som får uppdraget att bedriva nationell högspecialiserad vård. Detta då en ganska stor mängd patienter kommer att bedömas på dessa enheter. Denna påverkan kommer dock att minska med tiden när det endast är nydiagnostiserade som bedöms.

Beredningsgruppen anser att den geografiska fördelningen av enheterna spelar mindre roll då det handlar om enstaka besök för varje patient.

Beredningsgruppen anser att då vården som koncentreras inte är av akut karaktär kommer resorna att till största del handla om planerade transporter. Varje patient kommer inte att behöva resa så ofta vilket medför att avstånden inte är av största betydelse.

Beredningsgruppen instämmer i sakkunniggruppens bedömning att en koncentration av såväl svår diagnostik, komplexa bedömningar och sjukdomsmodifierande behandling, som alla är sällan förekommande, förväntas öka möjligheterna till forskning och kunskapsutveckling.

Skälen för beslutet

Rättslig reglering

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

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

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

Socialstyrelsens bedömning

Av utredningen i ärendet framgår att sakkunniggruppen föreslår att viss vård vid neuromuskulära sjukdomar ska utgöra nationell högspecialiserad vård.

Socialstyrelsen konstaterar att remissinstanserna överlag är positiva till att koncentrera viss vård vid neuromuskulära sjukdomar men att det finns invändningar mot sakkunniggruppens förslag angående vilka patientgrupper inom neuromuskulära sjukdomar som ska omfattas av definitionen av nationell högspecialiserad vård.

Socialstyrelsen konstaterar att sakkunniggruppen har justerat sitt förslag angående vilka patientgrupper som omfattas av nationell högspecialiserad vård enligt definitionen och att beredningsgruppen tillstyrker sakkunniggruppens justerade förslag till definition.

Socialstyrelsen instämmer i sakkunniggruppens förslag att viss vård vid neuromuskulära sjukdomar, enligt definitionen under rubriken beslut, ska utgöra nationell högspecialiserad vård. Enligt Socialstyrelsens bedömning utvisar utredningen i ärendet att de åtgärder som föreslås utgöra nationell högspecialiserad vård är vård som är komplex och som kräver viss volym och multidisciplinär kompetens. Det är också vård som i vissa fall medför höga kostnader.

Socialstyrelsen instämmer även i sakkunniggruppens förslag att aktuell vård ska koncentreras till fyra enheter. När det gäller den vård som avser barn och ungdomar med neuromuskulära sjukdomar och vård som avser riktade utredningar av metabola/mitokondriella sjukdomar delar Socialstyrelsen beredningsgruppens bedömning att vården ska koncentreras ytterligare till två enheter.

Socialstyrelsen har vid denna bedömning särskilt beaktat den aktuella patientvolymen och behovet av att säkerställa att läkare och andra professioner ska kunna upprätthålla sin kompetens och tillhandahålla vård av god kvalitet. Socialstyrelsen har även beaktat utgångsläget gällande hur vården bedrivs idag och att en koncentration av aktuell vård kan stärka förutsättningarna för forskning och kunskapsutveckling.


Socialstyrelsen finner att en koncentration av aktuell vård till fyra enheter samt ytterligare koncentration av den vård som avser barn och ungdomar och riktade utredningar av metabola/mitokondriella sjukdomar till två enheter, ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås.

Detta beslut får inte överklagas.

Beslut i detta ärende har fattats av generaldirektören Olivia Wigzell. I den slutliga handläggningen har avdelningschefen Thomas Lindén, chefsjuristen Pär Ödman och enhetschefen Kristina Wikner deltagit. Biträdande enhetschef Per-Henrik Zingmark har varit föredragande.

SOCIALSTYRELSEN


Olivia Wigzell


Per-Henrik Zingmark