

Bilaga: Metodbeskrivning

**Förslag till nationell strategi inom området
sällsynta hälsotillstånd 2025**

Denna publikation skyddas av upphovsrättslagen. Vid citat ska källan uppges. För att återge bilder, fotografier och illustrationer krävs upphovspersonens tillstånd.

Publikationen finns som pdf på Socialstyrelsens webbplats. På begäran kan vi ta fram publikationen i ett alternativt format för personer med funktionsnedsättning. Skicka frågor om alternativa format till alternativaformat@socialstyrelsen.se.

Innehåll

Beskrivning av uppdraget	4
Dialog för ändamålsenlig samverkan	4
Förslag på utveckling, stöd och uppföljning	5
Varför behöver vi en nationell strategi för sällsynta hälsotillstånd?	6
Uppdragets genomförande	7
Erfarenhetsutbyte och diskussioner om samarbete	7
Förankring och kommunikation	8
Om återredovisningen	8
Referenser.....	9

Beskrivning av uppdraget

Regeringen beslutade den 11 januari 2024 om att ge Socialstyrelsen i uppdrag att ta fram ett förslag till en nationell strategi inom området sällsynta hälsotillstånd. Enligt uppdraget ska förslaget

- utgå från patientgruppernas behov och bidra till att skapa samsyn kring mål och prioriteringsområden för inriktningen framåt
- bygga vidare på befintliga hälso- och sjukvårdsstrukturer och beakta berörda aktörers olika roller i arbetet med sällsynta hälsotillstånd, med fokus på att tydliggöra samordnande och kunskapsspridande funktioner
- avgränsas till de ansvarsområden inom hälso- och sjukvården som aktualiseras inom ramen för detta uppdrag.

Observera: Det ingår inte i uppdraget att inkludera läkemedel för behandling av sällsynta hälsotillstånd i förslaget till nationell strategi.

Dialog för ändamålsenlig samverkan

Socialstyrelsen ska under uppdraget föra dialog och inhämta kunskap och synpunkter från relevanta aktörer där urvalet bör representera olika instanser och nivåer inom sjukvården. Viktiga instanser och aktörer är bland andra

- patientorganisationer
- Ågrenska
- Centrum för sällsynta diagnoser (CSD)
- anhörigorganisationer
- nationella orofaciala (mun och ansikte) kunskapscentrum.
- nationella programområden (NPO), som Nationellt programområde sällsynta sjukdomar
- Sveriges Kommuner och Regioner (SKR)
- andra organisationer och myndigheter med relevans för uppdraget.

Socialstyrelsen ska även beakta de synpunkter som har lämnats till Regeringskansliet (Socialdepartementet) under hearingen om sällsynta hälsotillstånd den 29 november 2023.

Det ska framgå hur statliga myndigheter, kommuner, regioner, civilsamhälle och andra berörda aktörer kan inkluderas i arbetet med sällsynta hälsotillstånd. Förslaget ska bidra till goda förutsättningar för en mer sammanhållen och ändamålsenlig samverkan mellan berörda aktörer. Man ska också ta hänsyn till utvecklingen i fråga om sällsynta hälsotillstånd inom EU och på internationell nivå, om det är lämpligt.

Förslag på utveckling, stöd och uppföljning

I uppdraget ingår att föreslå vilka mål och prioriteringar som bör fastställas för den nationella strategin. Det ska framgå vilka strukturer som finns för personer med sällsynta hälsotillstånd, och förslag ska lämnas på utvecklingsinsatser som bidrar till att patientgruppen får en ändamålsenlig hälso- och sjukvård. I uppdraget ingår även att beakta hur andra länder arbetar med strategier för sällsynta hälsotillstånd.

Socialstyrelsen ska lämna förslag på

- vilken typ av stöd vi kan ge vid genomförandet av den nationella strategin
- mått för uppföljning
- hur uppföljningen kan genomföras.

Varför behöver vi en nationell strategi för sällsynta hälsotillstånd?

I avsaknad av vårdprogram, riktlinjer, rutiner och vårdförlopp som tas fram för mer vanligt förekommande sjukdomar och hälsotillstånd behöver området sällsynta hälsotillstånd en nationell strategi för att patienterna ska uppmärksammas och få likvärdig vård som patienter med andra mer vanliga hälsotillstånd.

Många patienter med sällsynta hälsotillstånd får tyvärr inte den hjälp de behöver idag, trots alla insatser som skett sedan tidigt 2000-tal. Komplexiteten inom sällsynta hälsotillstånd är stor, och samordningen i hälso- och sjukvården och tandvården måste bli bättre, både lokalt, regionalt och nationellt.

En nationell strategi inom området sällsynta hälsotillstånd behövs för att områdets aktörer ska få en gemensam bild av vilket gemensamt ansvar vi har, och för att samordna oss inom sjukvården, mellan kommuner, regioner och myndigheter, tillsammans med patientorganisationer och privata aktörer.

En strategi skapar överblick, tydliggör utmaningar – men också möjligheter – och sätter igång handling.

Uppdragets genomförande

Socialstyrelsen har inhämtat kunskap och underlag till strategin genom enskilda samtal, flera informationsmöten, och ett stort antal bilaterala möten. Totalt har underlag inhämtats från drygt ett hundra möten. Alla har haft möjlighet att lämna inspel genom att skriva till en funktionsbrevlåda till och med den 20 december 2024. Resultaten av Socialstyrelsens intervjuer och dialoger med sakkunniga och berörda aktörer presenteras utan att specifika personer eller aktörer namnges.

Utöver de möten vi själva har organiserat har vi deltagit vid en hearing anordnad av Socialdepartementet och referensgruppsmöten anordnat av NPO sällsynta sjukdomar under hösten 2023 samt 2024. Vi har också varit inbjudna vid ett flertal dialog- och informationsforum för att informera och samtala om vårt arbete.

Vi har även utfört omvärldsbevakning och sökt information gällande pågående arbeten, andra uppdrag och initiativ.

Erfarenhetsutbyte och diskussioner om samarbete

Medverkande under hela uppdraget har varit ett stort antal aktörer med både lång och djup erfarenhet inom området. Vi har även samarbetat med andra aktörer och tillsammans medvetandegjort beröringspunkter och diskuterat förutsättningar för eventuellt framtida samarbete.

Vi har fört dialog med och inhämtat inspel från andra myndigheter, Sveriges Kommuner och Regioner (SKR) och representanter för andra utredningar med beröringspunkter för sällsynta hälsotillstånd. Under arbetet har vi med regelbundenhet stämt av tankar och idéer med framförallt Riksförbundet Sällsynta Diagnoser, Ågrenska, NPO sällsynta sjukdomar och representanter från Centrum för Sällsynta Diagnoser (CSD).

Dialog om tillgång till läkemedel

I uppdraget ingår inte att inkludera förslag och åtgärder om läkemedel för behandling av sällsynta hälsotillstånd. Utifrån patientens perspektiv är dock tillgången till läkemedelsbehandling en viktig del utifrån flera perspektiv. Det kan till exempel handla om att stärka vårdstrukturer för att patienten ska få vård på rätt nivå, och att patienten ska få möta expertis för att få rätt bedömning inför insättning och uppföljning av ett läkemedel eller annan behandling. En dialog har därför förts med berörda aktörer även om tillgång till läkemedel.

Förankring och kommunikation

Genom nämnda dialoger har förslagets prioriterade områden och förslag till insatser förankrats bland de aktörer de berör. Förslaget till nationell strategi har även remitterats till berörda aktörer och andra intressenter.

Socialstyrelsen bjöd därefter in till ett remissmöte för att beskriva de synpunkter som inkommit och hur dessa eventuellt omhändertagits.

Kommunikation om uppdraget har skett via digitala och fysiska möten samt genom information om uppdraget på Socialstyrelsens webbsidor för sällsynta hälsotillstånd. Externa aktörer har genom egen kommunikation i valda medier informerat om pågående arbete.

Socialstyrelsen har löpande informerat regeringskansliet (Socialdepartementet) om hur arbetet med uppdraget fortskrider.

För uppdraget att ta fram ett förslag till en nationell strategi inom området sällsynta hälsotillstånd har Socialstyrelsen beviljats 1 300 000 kr från anslag 1:6 ap 3 under 2024. Den totala kostnaden för uppdraget under 2024 var 1 877 630 kronor. Av dessa belastar 1 300 000 kronor anslag 1:6 och Socialstyrelsens förvaltningsanslag med 577 630 kr.

Om återredovisningen

Socialstyrelsens redovisning består av en slutrapport och fyra bilagor:

- **Förslag: Stärk den nationella samordningen** ger exempel på hur uppdrag för nationell samordning skulle kunna utformas.
- **Kunskapsunderlaget** ger en övergripande bild av vårdstrukturer och kunskapsspridande funktioner som är relevanta inom området.
- **Omvärldsbevakningen** ger en utblick i vår omvärld för att sätta uppdraget i ett sammanhang.
- **Metodbeskrivningen** visar hur vi har gått till väga för att samla kunskap och synpunkter kring de förslag till fokusområden och insatser vi presenterar.

Slutrapporten inklusive bilagor ska fungera som underlag för att

- utforma och besluta om en nationell strategi för området sällsynta hälsotillstånd
- vidareutveckla regeringens satsningar inom området
- underlätta ett mer fokuserat arbete med styrning och förbättring på nationell, regional och lokal nivå.

Referenser

Rubrik	Adress	Datum
Regeringen - Uppdrag att ta fram ett förslag till en nationell strategi inom området sällsynta hälsotillstånd, Diarienummer: S2024/00038	https://www.regeringen.se/regeringsuppdrag/2024/01/uppdrag-att-ta-fram-ett-forslag-till-en-nationell-strategi-inom-området-sallsynta-halsotillstand/	hämtad 240830
Riksdagen, En handlings- och samordningsplan för sällsynta sjukdomar tas fram (SoU13), betänkande 2022/23:SoU13	https://www.riksdagen.se/sv/dokument-lagar/dokument/betankande/prioriteringar-inom-halso-och-sjukvarden_ha01sou13/	hämtad 241104