

KHS  
HV  
NHV-ansokan@socialstyrelsen.se

## **Ansökningsförfrågan angående att bedriva viss vård inom vårdområdet sällsynta njursjukdomar som nationell högspecialiserad vård**

Socialstyrelsen utlyser härmed möjligheten för samtliga regioner att ansöka om tillstånd att bedriva nationell högspecialiserad vård inom vårdområdet sällsynta njursjukdomar.

### **Bakgrund**

Socialstyrelsen har den 19 december 2023 beslutat att viss vård vid sällsynta njursjukdomar, enligt definitionen nedan, ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra vårdenheter.

### **Definition:**

Följande ska utgöra nationell högspecialiserad vård vid svåra njursjukdomar hos barn:

1. Bedömning samt vård av svårt njursjuka barn där njurersättningsterapi är nära förestående.  
Alla svårt njursjuka barn, där sjukdomen gått så långt att njurersättningsterapi (kronisk dialysbehandling eller njurtransplantation) snart behövs, ska komma till en NHVe för utredning inför start av behandling, t.ex. transplantationsutredning. Inledande bedömning ska ske senast vid CKD stadium 4.
2. Uppstart och övergripande ansvar för kronisk dialysbehandling hos barn.  
All kronisk dialysbehandling av barn ska ske i samråd med NHVe, inkl. val av dialysform. Ansvar för behandlingen och uppföljningen ligger på NHVe men utförandet kan av NHVe delvis delegeras till hemortssjukhus.
3. Bedömning och eventuell fortsatt utredning när diagnos inte kunnat fastställas vid misstanke om svår njursjukdom hos barn.
4. Bedömning och upprättande av behandlings- och uppföljningsplan för barn med fastställd svår njursjukdom.  
Barn med svår kronisk njursjukdom (i enlighet med listan på sjukdomar nedan) ska få bedömning och vårdplan av NHVe. Detta innebär inte att barnet fysiskt måste komma till NHVe.

5. Utredning inför, och ställningstagande till in- och utsättning av viss avancerad behandling samt uppföljning och kontroller av sådan behandling av barn.

Följande ska utgöra nationell högspecialiserad vård vid svår sällsynt njursjukdom hos vuxna:

1. Bedömning av vuxna patienter med fastställd svår sällsynt njursjukdom.  
NHVe ska erbjuda fysiskt besök vid bedömning av vuxna patienter men om förutsättningarna finns regionalt kan det i samråd beslutas att patienten inte måste komma till NHVe. Med kännedom om patienten kan NHVe ta sitt ansvar för strukturerad uppföljning t.ex. genom kvalitetsregister.
2. Utredning inför, och ställningstagande till in- och utsättning av viss avancerad behandling samt uppföljning och kontroller av sådan behandling av vuxna.

#### *Förtydliganden till definitionen*

Listan nedan är inte komplett utan visar en bild kring vilka patientgrupper som kan ha nytta av nationell högspecialiserad vård.

- Med ”barn” avses barn upp till 18 årsdagen.
- Med ”svår njursjukdom eller misstanke om sådan hos barn” avses exempelvis men inte uteslutande:
  - Recidiverande och sällsynta stensjukdomar såsom cystinuri, xantinuri, APRT-brist
  - svåra tubulopatier (såsom Fanconis syndrom, Bartter, ärftlig nefrogen diabetes insipidus)
  - svåra njursjukdomar hos barn som leder till njursvikt såsom autosomt recessiv polycystisk njursjukdom (ARPKD), kongenitalt nefrotiskt syndrom, behandlingsrefraktärt nefrotiskt syndrom, renala ciliopatier ex nefronoftis och andra tillstånd/syndrom med hög risk för progredierande njurfunktionsnedsättning under barndomen
  - vissa komplementmedierade njursjukdomar, såsom C3 glomerulopatier och aHUS
  - vissa metabola sjukdomar med njurengagemang såsom primär hyperoxaluri, cystinos, Cobalamin-C methylmalonic acidemia
  - vaskulit och andra inflammatoriska systemsjukdomar med njurengagemang hos barn
  - njurfunktionsnedsättning hos spädbarn med bilaterala kongenitala njuravvikelser (CAKUT)
  - terapiresistent hypertoni (stadium II).
- Med misstänkt avses ”där grundläggande utredning på hemortssjukhus inte kunnat sätta diagnos, men stark misstanke finns kvar om svår njursjukdom”.
- Med ”svår sällsynt njursjukdom hos vuxna” avses exempelvis men inte uteslutande följande diagnoser:

- sällsynta stensjukdomar såsom cystinuri, xantinuri, APRT-brist
  - svåra tubulopatier så som Bartter, ärftlig nefrogen diabetes insipidus
  - vissa komplementmedierade njursjukdomar såsom genetiskt orsakad C3 glomerulopatier, aHUS
  - vissa metabola sjukdomar med njurengagemang såsom primär hyperoxaluri, cystinos, Cobalamin-C methylmalonic acidemia.
- Med avancerade behandlingar för barn och vuxna inom njurmedicin avses t.ex. nyligen introducerade, dyra läkemedel t.ex. genterapier, siRNA (small interfering RNA)-baserade läkemedel, vissa komplementhämmare och enzymläkemedel.

*Avgränsningar till definitionen (gäller endast barn):*

Följande ska ej ingå i definitionen för nationell högspecialiserad vård:

- Intensivvårdsdialys på vitalindikation
- Barn med svår hypertoni med känd bakomliggande etiologi annan än njursjukdom kan skötas vid annan enhet med adekvat kompetens och erfarenhet av hypertoni behandling.
- IgA (HSP) vaskulit med lindrigt njurengagemang

### **Tillståndsprocessen**

Det är Nämnden för nationell högspecialiserad vård (nämnden) som beslutar om vilken eller vilka regioner som beviljas tillstånd att bedriva nationell högspecialiserad vård samt beslutar om de särskilda villkoren för tillståndet. En sakkunniggrupp har fått i uppdrag av Socialstyrelsen att utreda och ge förslag på vilken hälso- och sjukvård som ska utgöra nationell högspecialiserad vård och hur många enheter sådan vård ska bedrivas på. Sakkunniggruppen föreslår i sin utredning de särskilda villkoren som bör gälla för aktuellt tillstånd, se bilaga 1. Socialstyrelsen har remitterat sakkunniggruppens utredning. De särskilda villkoren för aktuellt tillstånd kan komma att justeras av nämnden när beslut om tillstånd fattas.

Regionen ska även uppfylla de generella villkoren som framgår av 4 kap. Socialstyrelsens föreskrifter (HSLF-FS 2018:48) om nationell högspecialiserad vård, se bilaga 2.

Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen att inhämta ett yttrande från en särskild beredningsgrupp.

När nämnden fattar beslut om vilken eller vilka regioner som ska få tillstånd att bedriva nationell högspecialiserad vård ska patientens bästa vara utgångspunkten vid bedömningen (se prop. 2017/18:40 s. 51 f.). Även 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.

**Hur ansökan om tillstånd görs**

- Fyll i ansökningsblanketten
- Till ansökan bifogas en verksamhetsplan
- Ansökan ska ha inkommit till Socialstyrelsen **senast den 26 april 2024** på adress Socialstyrelsen, 106 30 Stockholm eller NHV-ansokan@socialstyrelsen.se. Märk ansökan med det tillstånd som ansökan gäller.

Om en region avser att ansöka om flera tillstånd ska regionen fylla i en ansökningsblankett och verksamhetsplan för varje tillstånd.

**Bilagor**

1. Förslag till särskilda villkor

**Kontakt**

Vid eventuella frågor eller funderingar kring ansökningsförfarandet kontakta:  
NHV-ansokan@socialstyrelsen.se

## **Bilaga 1. Förslag till särskilda villkor – viss vård vid sällsynta njursjukdomar**

### ***Kritisk personalkompetens***

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

- Specialist inom barn- och ungdomsmedicin (barnnefrolog)
- Specialist inom neonatologi
- Specialist inom njurmedicin
- Barnspecialistsjuksköterska med dialyskompetens

### ***Andra kompetenser eller förutsättningar för att vården inom det definierade området ska kunna bedrivas***

- Specialister inom t.ex. barnkardiologi, barnkirurgi, barnurologi, barnneurologi, barnreumatologi, barnradiologi, barnanestesiolog, obstetrik (fostermedicin), njurpatologi, klinisk genetik, klinisk fysiologi samt andra professioner med kompetens inom njursjukvård så som sjuksköterska, dietist, farmaceut och psykosocialt team samt resurs för vårdadministration kopplat till NHV-uppdraget.

### ***Kritisk utrustning eller lokaler***

- Barnintensivvårdsenhet (BIVA) och neonatal intensivvård
- Hemodialysenhet, vattenreningsanläggningar och adekvata lokaler, anpassade för behandling av pediatrika och vuxna patienter.
- PD för behandling dygnet runt (personal och lokaler)
- NHVe måste ha möjlighet att erbjuda vårdplatser för att kunna ta emot inneliggande patienter

### ***Övriga villkor***

- NHVe bidra till utbildning och fortbildning av läkare och andra professioner från remitterande regioner
- NHVe ska bidra till att forskning och utveckling inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs.
- NHVe ska verka för strukturerad uppföljning av patienter med sällsynt njursjukdom, t.ex. genom kvalitetsregister
- NHVe ska verka för framtagning av vårdprogram inom det definierade området.
- NHVe ska ta fram förlossnings- och postnatalplanering för patienter
- NHVe ska kunna erbjuda prenatal multidisciplinär bedömning, föräldrainsformation och planering när intrauterin fostergranskning påvisat misstänkt allvarlig njuravvikelse hos foster

- NHVe ska verka för samordning vid överföring från barn- till vuxensjukvård
- NHVe bistå hemsjukhuset i transitionsprocessen och överlämning till regional sjukvård för de patienter vars diagnoser omfattas av definitionen när de är barn, men inte när de är vuxna
- NHVe ska erbjuda rådgivning (även akut) vid utredning av misstänkt sällsynt njursjukdom hos vuxna
- NHVe ska ansvara för barnnefrologisk jourverksamhet för barn med svåra njursjukdomar
- NHVe ska samarbeta om fördelning av ansvar för vissa sjukdomstillstånd då volymerna kan vara för små för att alla fyra NHVe ska kunna upprätthålla kunskapen
- NHVe ska samarbeta om att ta fram gemensamma remisskriterier
- NHVe ansvarar för att meddela och föra fortsatt dialog med Rådet för nya terapier (NT-rådet) om beslutet gällande nationell högspecialiserad vård.