

Kunskapsstyrning för hälso- och sjukvården
Lena Löqvist
Lena.lovqvist@socialstyrelsen.se

Beslut om nationell högspecialiserad vård – viss vård vid sällsynta njursjukdomar

Beslut

Socialstyrelsen beslutar att viss vård vid svåra sällsynta njursjukdomar, enligt definitionen nedan, ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra enheter.

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 glomerulopati, 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

Ärendet

Sakkunniggruppens förslag om nationell högspecialiserad vård

En sakkunniggrupp har på uppdrag av Socialstyrelsen gjort en genomlysning av vårdområdet sällsynta njursjukdomar. Sakkunniggruppen föreslår att Socialstyrelsen beslutar att viss vård vid sällsynta njursjukdomar enligt definitionen under rubriken beslut ska utgöra nationellt högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra enheter.

Aktuell vård bedöms vara komplex, sällan förekommande och kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården blir multidisciplinär eftersom inriktade barnnefrologer, nefrologer, dietister, sjuksköterskor, barnkirurger, barnurologer, neonatologer, barnanestesiologer, barnradiologer, kliniska fysiologer och njurpatologer kan vara aktuella. Eftersom det handlar om små patientvolym, framförallt inom barnsjukvården, blir det extra svårt att inhämta kunskap och erfarenhet kring särskilt högspecialiserade insatser. Patienterna har ofta en hög vårdtyngd framförallt i belastningen på personal vid ansvariga enheter. Komplexiteten i vården blir också extra stor då barnets tillväxt behöver beaktas. Vården kräver ett nära samarbete med hemmakliniken då en närhet till det sociala sammanhanget med anhöriga, förskola, skola och kamrater är extra viktigt. För att tillgodose dessa behov och krav behöver vården fördelas över fyra nationella högspecialiserade vårdenheter (NHVe) vilka även kan fungera som resurstöd till varandra.

Sakkunniggruppen finner att dagens struktur med fyra specialiserade barnnefrologiska enheter är en koncentration som bör formaliseras genom systemet för nationell högspecialiserad vård. Detta ökar förutsättningarna för att förbättra

kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås. Sakkunniggruppen föreslår att man även inför fyra nationella enheter för vuxna med svåra sällsynta njursjukdomar för att säkerställa att uppföljning av dessa sjukdomar och införandet av avancerade behandlingar blir mer strukturerad och jämlik. Dessa fyra enheter bör vara samlokaliserade till enheterna inom barnsjukvården för att man skall kunna komplettera varandra avseende kompetens och underlätta överföring från barn- till vuxensjukvård.

Konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva. Förändringen från nuläget är inte så stor men kan ge vissa negativa effekter på kunskapsläget vid enheter som utgör remittentenheter. Även akutsjukvården kan till viss del påverkas vid enheter som inte är NHVe då många av de allvarliga och ovanliga sjukdomarna kan debutera som akuta tillstånd. Sakkunniggruppen bedömer dock att dessa konsekvenser kan motverkas av att kunskapsläget ökar vid de nationella enheterna som i sin roll ska ansvara för kunskapspridning.

Omkringliggande områden bör inte påverkas då förslaget inte innebär så stor förändring från hur det ser ut idag.

Remissinstansernas yttranden

Socialstyrelsen har remitterat sakkunniggruppens underlag med förslag till koncentration av vårdområdet till berörda remissinstanser. Av remissinstansernas yttranden framgår i huvudsak följande.

En majoritet av remissinstanserna tillstyrker både definition och antal enheter (ibland med synpunkter). Några instanser (region Jämtland Härjedalen, Västerbotten, Västernorrland och Norrbotten) anser att man skulle kunna koncentrera mera till tre enheter och även att man tydliggör en uppdelning av diagnoser mellan enheterna för att öka möjligheterna för kunskapsuppbyggnad. Några instanser (bl.a. ovan nämnda samt Svensk Njurmedicinsk Förening) vill att man tydliggör de diagnoser som avses i förslaget. Det förekommer även kommentarer kring hur samarbete med det råd, aHUS-rådet, som ska godkänna eventuell förskrivning av ett avancerat läkemedel, ska se ut.

Sakkunniggruppens svar på remissinstansernas yttranden

Sakkunniggruppen har getts möjlighet att inkomma med synpunkter på remissinstansernas yttranden och har inkommit med i huvudsak följande synpunkter.

Sakkunniggruppen kvarstår vid sitt remitterade förslag om antal enheter men med vissa mindre justeringar och tillägg i definitionen.

Sakkunniggruppen förtydligar att patientgruppen ”svåra sällsynta njursjukdomar” alltid kommer att vara relativ och även kunna förändras över tid. Därav kvarstår den remitterade diagnoslistan under rubriken ”Förtydliganden till definitionen” med endast mindre justeringar. En volymmässigt sällsynt sjukdom kan vara ”enkel” att handlägga medan andra är mer komplexa. Det kommer att

handla om en sammanvägd bedömning som remittent och NHVe kan föra en dialog kring. Kriterierna för nationell högspecialiserad vård och definitionen för sällsynt hälsotillstånd bör då båda beaktas. För att underlätta för framtida remitterter har två särskilda villkor lagts till angående fördelning av patienter mellan NHVe och remisskriterier. Även en ansvarsfördelning gällande samarbete med aHUS-rådet har tydliggjorts i de särskilda villkoren.

Sakkunniggruppens förslag bygger på en idag välfungerande struktur där forskning och samarbeten inom vård och utbildningsfrågor finns etablerade. Denna struktur bör kvarstå och stärkas för att säkra fortsatt god utveckling. Sakkunniggruppen ser en större risk i att koncentrera vården till färre enheter än fyra, då det finns andra beroenden, så som barnkirurgi, att beakta. Övergången från barnsjukvård till vuxensjukvård behöver bli bättre och fördelarna med att utveckla nationella enheter med ansvar för både barn vuxna med svår sällsynt njursjukdom ger förutsättningar för en säkrare transition.

Den särskilda beredningsgruppens yttrande

I ärendet har även en särskild beredningsgrupp yttrat sig över sakkunniggruppens förslag; om de positiva effekterna av den föreslagna koncentrationen överväger eventuella negativa effekter för hälso- och sjukvårdssystemet.

I analysen har påverkan på akutsjukvården, närliggande områden, geografiska aspekter, transporter, utbildning och forskning beaktats. Av beredningsgruppens yttrande framgår i huvudsak följande.

Beredningsgruppen bedömer att det inte kommer bli någon påverkan på de ovan nämnda systemfaktorerna. De bedömer vidare att det heller inte finns några geografiska aspekter att ta hänsyn till i relation till förslaget.

Beredningsgruppen tillstyrker därför sakkunniggruppens förslag att viss vård vid sällsynta njursjukdomar ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid fyra enheter. Beredningsgruppen har i denna bedömning beaktat bl.a. följande. Den del som gäller vård av barn är till stor del redan koncentrerad till fyra enheter idag och att den nationella vården även ska omfatta vuxna bedömer de logiskt, eftersom enheterna kommer att kunna dra nytta av att all vård inom definitionen bedrivs vid samma enheter. Vidare anser beredningsgruppen att det kan bli utmanande att identifiera rätt patienter, framförallt på vuxensidan, som ska remitteras till de nationella enheterna eftersom strukturen inte finns på samma sätt som i barnsjukvården idag. Detta kommer de blivande nationella enheterna behöva arbeta med, exempelvis genom vårdförlopp och framtagande av inklusionskriterier.

Skälen för beslutet

Rättslig reglering

Av 2 kap. 7 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) framgår att med nationell högspecialiserad vård avses offentligt finansierad hälso- och sjukvård som behöver koncentreras till en eller flera enheter men inte till varje samverkansregion 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 sällsynta njursjukdomar enligt definitionen under rubriken beslut, ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid fyra enheter.

Socialstyrelsen konstaterar att en majoritet av remissinstanserna har tillstyrkt sakkunniggruppens förslag. Sakkunniggruppen har endast gjort mindre justeringar och förtydliganden till definitionen.

Vidare konstaterar Socialstyrelsen att den särskilda beredningsgruppen tillstyrker sakkunniggruppens förslag efter de justeringar som gjorts av sakkunniggruppen.

Socialstyrelsen instämmer i sakkunniggruppens förslag att ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid fyra enheter. Utredningen i ärendet visar enligt Socialstyrelsens bedömning att aktuell vård är komplex, sällan förekommande och kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens.

Socialstyrelsen instämmer även i sakkunniggruppens förslag att aktuell vård ska koncentreras till fyra 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 vikten av att övergången från

barn- till vuxensjukvård ska underlättas för patienter med sällsynta njursjukdomar då det ställs särskilda villkor på de nationella enheterna att samordna överföringen av patienter med svåra njursjukdomar.

Socialstyrelsen finner att en koncentration av aktuell vård till fyra enheter ökar förutsättningarna för att upprätthålla kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås.

Mot bakgrund av ovanstående beslutar Socialstyrelsen att viss vård vid sällsynta njursjukdomar, enligt definitionen under rubriken beslut, ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid fyra enheter.

Detta beslut får inte överklagas.

Beslut i detta ärende har fattats av generaldirektören Olivia Wigzell. I den slutliga handläggningen har tillförordnade avdelningschefen Kristina Wikner och avdelningschefen Pär Ödman deltagit. Utredaren Erika Anthony Oscarson har varit föredragande.

SOCIALSTYRELSEN

Olivia Wigzell

Erika Anthony Oscarson