

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

## **Beslut om nationell högspecialiserad vård -viss vård vid stamcellstransplantation vid systemisk skleros**

### **Beslut**

Socialstyrelsen beslutar att viss vård vid stamcellstransplantation vid systemisk skleros ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid två enheter.

### *Definition*

Patienter med tidig diagnosticerad systemisk skleros, där prognosen bedöms vara allvarlig på grund av inre organpåverkan och/eller mycket snabb och utbredd hudprogress, ska remitteras till en nationell enhet för bedömning, vidare utredning och eventuell blodstamcellstransplantation.

### **Ärendet**

#### *Sakkunniggruppens förslag om nationell högspecialiserad vård*

Socialstyrelsen har den 25 augusti 2020 gett en sakkunniggrupp i uppdrag att utreda om stamcellstransplantation vid särskilda tillstånd, t.ex. autoimmun sjukdom ska utgöra nationell högspecialiserad vård och antal enheter sådan vård ska bedrivs på. Sakkunniggruppen föreslår i sin utredning att Socialstyrelsen ska besluta att autolog blodstamcellstransplantation vid systemisk skleros ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid tre enheter. Som skäl för förslaget anför i huvudsak följande.

Stamcellstransplantation vid systemisk skleros bedöms vara vård som är komplex, sällan förekommande, kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården är multidisciplinär eftersom reumatologer och hematologer, med stöd av radiologer, lungmedicinare och kardiologer behövs i bedömningen av vilka patienter som har bäst nytta av stamcellstransplantation och där fördelarna överväger riskerna för patienten.

Sakkunniggruppen bedömer att med rätt urval av patienter för transplantation kan behandlingen signifikant förbättra överlevnad och livskvalitet för en grupp av patienter med systemisk skleros. För att få mer kunskap och erfarenhet behöver denna vård därför koncentreras. Sakkunniggruppen finner att en koncentrat-

ion av aktuell vård till tre enheter ökar förutsättningarna för att förbättra vårdkvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås.

Konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva då det idag saknas ett strukturerat vårdflöde för patienter med systemisk skleros där stamcellstransplantation kan vara ett behandlingsalternativ. Sakkunniggruppen bedömer att akutsjukvården inte kommer påverkas av förslaget.

Omkringliggande områden, som annan hematologisk transplantationsverksamhet, förväntas inte påverkas nämnvärt om tre vårdenheter delar på ansvaret nationellt.

#### *Remissinstansernas yttranden*

Socialstyrelsen har remitterat sakkunniggruppens utredning till berörda remissinstanser. Av remissinstansernas yttranden framgår i huvudsak följande.

De flesta remissinstanserna tillstyrker definitionen och antal enheter. Västra götalandregionen och Svensk reumatologisk förening tillstyrker inte antal enheter. De anser med hänvisning till det relativt låga patientantalet att definierad vård bör koncentreras till två enheter istället för tre. Region Uppsala och Uppsala Universitet anser att vårdområdet inte bör definieras som nationell högspecialiserad vård utan istället endast centraliseras genom överenskommelser mellan regioner.

#### *Sakkunniggruppens synpunkter på remissinstansernas yttranden*

Socialstyrelsen har gett sakkunniggruppen möjlighet att inkomma med synpunkter på remissinstansernas yttranden. Sakkunniggruppen har inkommit med i huvudsak följande synpunkter.

Sakkunniggruppen har efter genomgång av remissinstansernas synpunkter justerat definitionen samt förtydligat att syftet med förslaget framförallt är att ge patienter inom kriterierna i definitionen en säker bedömning och utredning inför en eventuell stamcellstransplantation.

Sakkunniggruppen kvarstår i förslaget om tre enheter. Med endast två enheter blir verksamheten i landet mer sårbar om en tillståndsinnehavare skulle få problem att utföra autologa stamcellstransplantationer. Med tre enheter säkras kontinuiteten. Vidare anser sakkunniggruppen att även om patientvolymen är begränsad till ett 40-tal bedömningar och 10-20 transplantationer årligen så kan syftet med koncentrationen uppnås om dessa fördelas jämnt på tre enheter.

#### *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 beaktats. Av beredningsgruppens yttrande framgår i huvudsak följande.

Beredningsgruppen tillstyrker sakkunniggruppens förslag att stamcellstransplantation vid systemisk skleros ska utgöra nationell högspecialiserad vård. Beredningsgruppen avstyrker sakkunniggruppens förslag när det gäller antal enheter och föreslår att vården ska bedrivas vid två enheter. Beredningsgruppen har i denna bedömning beaktat bl.a. följande. De små volymerna, ungefär 40 bedömningar per år och ca tio transplantationer per år motiverar inte fler än två enheter. Beredningsgruppen anser att aktuell vård är komplex och sällan förekommande och kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens.

Beredningsgruppen konstaterar att det av sakkunniggruppens underlag framgår att det är bedömningarna i fråga om vem som ska stamcellstransplanteras som är det mest komplexa.

Beredningsgruppen anser att de positiva effekterna av att koncentrera aktuell vård överstiger eventuella negativa effekter för hälso- och sjukvårdssystemet. Gällande utbildning och forskning är området begränsat varvid beredningsgruppen bedömer att de regioner som inte tilldelas tillstånd inte kommer att påverkas av detta. Koncentrationen kommer att möjliggöra forskning och utveckling i större utsträckning än idag.

### **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 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 efter en justering av definitionen föreslår att viss vård vid stamcellstransplantation vid systemisk skleros, enligt definitionen under rubriken beslut, ska utgöra nationell högspecialiserad vård.

Socialstyrelsen konstaterar att en majoritet av remissinstanserna och beredningsgruppen tillstyrker sakkunniggruppens förslag till definition.

Socialstyrelsen instämmer i sakkunniggruppens förslag att stamcellstransplantation vid systemisk skleros, enligt definitionen under rubriken beslut, ska utgöra nationell högspecialiserad vård. Enligt Socialstyrelsens bedömning utvisar utredningen i ärendet att den vård som föreslås utgöra nationell högspecialiserad är komplex, sällan förekommande samt kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens.

Av utredningen i ärendet framgår att sakkunniggruppen har föreslagit att aktuell vård ska bedrivas vid tre enheter, vilket även en majoritet av remissinstanserna har tillstyrkt.

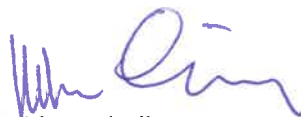
Vidare konstaterar Socialstyrelsen att den särskilda beredningsgruppen inte tillstyrker sakkunniggruppens förslag gällande antal enheter och har föreslagit att aktuell vård ska bedrivas vid två enheter. Beredningsgruppen har i bedömningen bl.a. beaktat de små vårdvolymerna, vilket inte motiverar fler än två enheter.

Socialstyrelsen instämmer i den särskilda beredningsgruppens bedömning, som även delas av ett par remissinstanser, att aktuell vård ska bedrivas vid två enheter med anledning av de låga vårdvolymerna. Socialstyrelsen finner att en koncentration av aktuell vård 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 ställföreträdande generaldirektören Urban Lindberg. I den slutliga handläggningen har avdelningschefen Thomas Lindén, biträdande chefsjuristen Lars Hobert och enhetschefen Kristina Wikner deltagit. Utredaren Erika Anthoney-Oscarson har varit föredragande.

SOCIALSTYRELSEN



Urban Lindberg