

Kunskapsstyrning för hälso- och sjukvården
Erika Anthony-Oscarson
erika.anthony-oscarson@socialstyrelsen.se

Beslut om nationell högspecialiserad vård för - viss vård vid systemisk amyloidos

Beslut

Socialstyrelsen beslutar att viss vård vid systemisk amyloidos, enligt tabellen nedan, ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra enheter, enligt punkten 2b i tabellen.

Den vård som avser avancerad analys/utvärdering av vävnadsmaterial (punkt 1) ska koncentreras ytterligare till två enheter och den vård som avser handläggning av ATTRv-amyloidos (ärfilig transtyretinamyloidos) (punkt 2a) ska koncentreras ytterligare till två enheter.

Den vård vid systemisk amyloidos¹ som ska bedrivs nationellt är:

- 1) Avancerad analys/utvärdering av vävnadsmaterial av misstänkt alternativt diagnosticerad systemisk amyloidos, oavsett komplikationsgrad
- 2) Utredning inför och ställningstagande till behandling, samt eventuellt genomförande av behandling och uppföljning av patienter med;
 - a) ATTRv-amyloidos, oavsett komplikationsgrad
 - b) oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidossjukdomar².

¹ Med systemisk amyloidos avses exempelvis: ATTRv-amyloidos (inkl. dominolevertransplanterade), ATTRwt-amyloidos (Förvärvad/åldersrelaterad transtyretinamyloidos), AL-amyloidos och AA-amyloidos.

² Med oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidossjukdomar menas: Diagnos som inte går att säkert fastställa (antingen amyloidosen i sig eller typen av amyloidos); Atypisk sjukdom (exempelvis ung patient, ovanligt aggressiv eller svårbehandlad sjukdom eller avvikande sjukdomsutveckling trots behandling); Misstanke om mer än en samtidig amyloidos (exempelvis AL och ATTR).

Följande undantag till definitionen gäller: Utöver analys av vävnadsmaterial kan all form av vård av patienter med icke komplex systemisk amyloidos, förutom ATTRv-amyloidos, utföras regionalt; Behandling och uppföljning av patienter med ATTRv-amyloidos och oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidossjukdomar kan utföras i patientens hemregion efter överenskommelse med NHVe (nationell högspecialiserad enhet); Vård av sköra och/eller multisjuka patienter kan, efter överenskommelse med NHVe, handläggas vid hemregion.

Ärendet

Sakkunniggruppens förslag om nationell högspecialiserad vård

Socialstyrelsen har den 17 mars 2021 gett en sakkunniggrupp i uppdrag att utreda om systemisk amyloidos ska utgöra nationell högspecialiserad vård och antal enheter sådan vård ska bedrivas vid. Sakkunniggruppen föreslår i sin utredning att Socialstyrelsen ska besluta att viss vård vid systemisk amyloidos ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid fyra enheter. Delar av den definierade vården ska också koncentreras ytterligare. Som skäl för förslaget anförs i huvudsak följande.

Detta bedöms vara vård som är komplex, sällan förekommande, kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården är multidisciplinär då bland annat kardiologer, neurologer, gastroenterologer, hematologer, neurofysiologer, patologer, kliniska genetiker och nefrologer behövs.

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

Konsekvenserna av att koncentrera denna vård är övervägande positiva. Internationella studier visar entydigt att en koncentration av vården kraftigt förbättrat överlevnaden vid amyloidos av lätta immunglobulinkedjor (AL-amyloidos). Försenad eller felaktig diagnos kan få katastrofala följder för den enskilda patienten. Kunskapen om adekvat behandling av dessa ovanliga tillstånd blir större vid koncentration, vilket bör leda till en bättre vårdkvalitet.

Utifrån patientunderlag, geografisk spridning och kunskapsläget anser sakkunniggruppen att fyra enheter behövs för ett adekvat omhändertagande av patienter med ärftlig transtyretinamyloidos (ATTRv-amyloidos) samt patienter med oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidossjukdomar. Vården för patienter med ATTRv-amyloidos kan begränsas till färre enheter än fyra utifrån inbördes överenskommelse mellan nationella högspecialiserade vårdenheter (NHVe). Att inte särskilja och koncentrera vården för ATTRv-amyloidospatienter på färre enheter än fyra syftar till att möjliggöra geografisk spridning och eventuella framtida samarbeten mellan samtliga fyra NHVe. Två av dessa totalt fyra enheter ska även ansvara för avancerad analys av vävnadsmaterial. Att bedriva vävnadsanalys på enbart en enhet bedöms vara sårbart och riskerar att medföra negativa konsekvenser på tillgängligheten.

Sakkunniggruppen bedömer att akutsjukvården inom detta område inte kommer påverkas nämnvärt av en koncentration då det rör sig om kroniska sjukdomar som sällan försämras akut.

Omkringliggande områden som kan påverkas är exempelvis andra neurologiska sjukdomar, mag-tarmsjukdomar eller hjärtsjukdomar. Dock bedömer sakkunniggruppen att undanträngningseffekterna inte blir särskilt stora.

Remissinstansernas yttranden

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

En majoritet av remissinstanserna tillstyrker definitionen och antal enheter. Ett antal remissinstanser anser dock att oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidossjukdomar, så som ATTRwt-amyloidos och AL-amyloidos, inte bör koncentreras. Region Uppsala och Uppsala universitet tillstyrker definitionen i sin helhet med tillägget att definitionen bör breddas för att även inkludera patienter med icke komplex ATTRwt-amyloidos. Två remissinstanser, Region Skåne och Lunds universitet föreslår regional vård. Ett antal remissinstanser anser att ATTRv-amyloidos bör koncentreras till två enheter.

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 kvarstår vid sitt förslag till definition rörande ATTRv-amyloidos, vilket de flesta remissinstanser också tillstyrker. Sakkunniggruppen kvarstår även vid sitt förslag till definition rörande ”avancerad analys/utvärdering av vävnadsmaterial av misstänkt alternativt diagnosticerad sjukdom”. Sakkunniggruppen har dock i sitt förslag till definition justerat avgränsningarna för den definierade vården.

Sakkunniggruppen vill förtydliga att om en patient är i behov av en avancerad analys/utvärdering av vävnadsmaterial så är det önskvärt att detta sker vid en nationell enhet och därför står sakkunniggruppen kvar vid sin ursprungliga definition. Sakkunniggruppen lyfter att patienter kan få vävnadsdiagnostik vid nationella enheter både när diagnosen ännu inte är ställd så väl som när det finns frågetecken vid en redan satt diagnos.

Det finns ett behov av att skärpa och strukturera upp vävnadsdiagnostiken för dessa patienter. Sakkunniga ser att de enheter som får tillstånd att utföra avancerad analys/utvärdering av vävnadsmaterial kan driva utvecklingen av diagnostiken genom sammanlagd utveckling av olika metoder, samverkan och kunskaps-spridning. De nationella enheterna kan även fungera som ett stöd för vårdgivare vid hemorten att omhänderta patienter med systemisk amyloidos på bästa sätt.

Sakkunniggruppen kvarstår även vid sitt förslag till definition kring ”oklara/komplexa fall av övriga systemiska amyloidossjukdomar”, trots att vissa remissinstanser invänt mot detta. Sakkunniggruppen vill förtydliga att tanken med definitionen inte är att all vård för AL-amyloidos och ATTRwt-amyloids

ska koncentreras, utan i själva verket rör det sig enbart om de oklara/komplexa fallen. Sakkunniggruppen vill förtydliga att icke komplexa amyloidoser, bortsett från ATTRv-amyloidos, inte ska koncentreras.

Sakkunniggruppen instämmer med flertalet remissinstanser att två enheter skulle räcka sett till patientvolymen för ATTRv, men föreslår att lägga till ”minst”, i syfte att möjliggöra för ett ytterligare center att eventuellt öppnas i framtiden om patientvolymen skulle öka.

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 akutsjukvården, närliggande områden, geografiska aspekter, transporter, utbildning och forskning beaktats. Av beredningsgruppens yttrande framgår i huvudsak följande.

Beredningsgruppen tillstyrker sakkunniggruppens förslag att handläggning av oklara/komplexa fall av systemiska amyloidosjukdomar ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra enheter varav två enheter även ska utföra avancerad analys/utvärdering av vävnadsmaterial, och minst två enheter ska handlägga ATTRv-amyloidos. Dock anser beredningsgruppen att antalet enheter som ska handlägga ATTRv-amyloidos ska anges som ”två enheter”. De anser att de positiva effekterna av att koncentrera aktuell vård överväger eventuella negativa effekter för hälso- och sjukvårdssystemet.

Beredningsgruppen bedömer att en koncentration av aktuell vård inte bör påverka varken akutsjukvården eller närliggande områden i någon stor utsträckning. Beredningsgruppen bedömer dock att det vid tillståndsgivningen kan komma behöva tas hänsyn till den geografiska aspekten främst gällande handläggningen av ATTRv-amyloidos där det exempelvis finns en stor patientvolym i norra delen av landet. Utöver detta skulle forskning och utbildning inom området gynnas av en koncentration.

Beredningsgruppen finner att en koncentration av aktuell vård till fyra enheter, varav två enheter även ska utföra avancerad analys/utvärdering av vävnadsmaterial, och två enheter ska handlägga ATTRv-amyloidos, ökar förutsättningarna för att förbättra kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås.

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 (2017:30) och på hur många enheter sådan vård ska bedrivas.

Socialstyrelsens bedömning

Av utredningen i ärendet framgår att sakkunniggruppen föreslår att viss vård vid systemisk amyloidos enligt definitionen under rubriken Beslut, ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid fyra enheter. Delar av den definierade vården föreslås koncentreras ytterligare.

Socialstyrelsen konstaterar att en majoritet av remissinstanserna har tillstyrkt sakkunniggruppens förslag samt att sakkunniggruppen har justerat sitt förslag till antal enheter för ATTRv-amyloidos efter beaktande av remissynpunkterna. Vidare konstaterar Socialstyrelsen att den särskilda beredningsgruppen tillstyrker det justerade förslaget.

Socialstyrelsen instämmer i sakkunniggruppens förslag att viss vård vid systemisk amyloidos, 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, sällan förekommande, kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vidare instämmer Socialstyrelsen i sakkunnigas yttrande att en koncentration av vården kan leda till bättre förutsättningar för utveckling och vara ett stöd för vårdgivare vid hemorten i omhändertagandet av denna patientgrupp.

Socialstyrelsen instämmer även i sakkunniggruppens bedömning att aktuell vård ska koncentreras till fyra enheter och att den vård som avser avancerad ana-

lys/utvärdering av vävnadsmaterial, enligt definitionen ovan, koncentreras ytterligare till två enheter. När det gäller den vård som avser ATTRv-amyloidosis, instämmer Socialstyrelsen i beredningsgruppens förslag att vården 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 finner att en koncentration av aktuell vård 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. Utredaren Erika Anthony-Oscarson har varit föredragande.

SOCIALSTYRELSEN


Olivia Wigzell


Erika Anthony-Oscarson