Region Stockholm

5
Ansökan om nationell högspecialiserad vård, Viss vård vid medfödd metabol sjukdom VKN 2022-0115

Vårdens kunskapsstyrningsnämnd
Hälso- och sjukvårdsförvaltningen
Kunskapsstyrning och -stöd
Britt Fälth

TJÄNSTEUTLÅTANDE
2022-09-07

VKN 2022-0115

Vårdens
kunskapsstyrningsnämnd

Ansökan om nationell högspecialiserad vård, Viss vård vid medfödd metabol sjukdom

Ärendebeskrivning

Socialstyrelsen har den 29 mars 2022 beslutat att viss vård inom vårdområdet medfödd metabol sjukdom ska utgöra nationell högspecialiserad vård (NHV) och bedrivas vid tre enheter med ansvar för att handha larm från nyföddhetsscreening, göra kliniska bedömningar och ta ställning till avancerad behandling. Den vård som avser verifiering av nyföddhetsscreening samt riktad utredning vid misstanke om medfödd metabol sjukdom ska koncentreras ytterligare till två enheter. Nyföddhetsscreening ska koncentreras till en av dessa två enheter.

Region Stockholm föreslås ansöka om ett av tre NHV-uppdrag enligt underlag nedan. Regionen föreslås söka ett av två undertillstånd avseende verifiering av nyföddhetsscreening och riktad utredning vid misstanke om medfödd metabol sjukdom. Vidare föreslås regionen söka det enda undertillståndet nyföddhetsscreening.

Beslutsunderlag

Hälso- och sjukvårdsdirektörens tjänsteutlåtande

Förslag till beslut

Vårdens kunskapsstyrningsnämnd beslutar följande:

1. Region Stockholm ska ansöka om ett av tre NHV-uppdrag för viss vård inom vårdområdet medfödd metabol sjukdom med ansvar för att handha larm från nyföddhetsscreening.

2. Region Stockholm ska ansöka om undertillstånd för verifiering av nyföddhetsscreening och riktad utredning vid misstanke om medfödd metabol sjukdom.

3. Region Stockholm ska ansöka om undertillstånd för nyföddhetsscreening.

4. Hälso- och sjukvårdsdirektören får i uppdrag att ansöka hos Socialstyrelsen om ovanstående uppdrag för Region Stockholm.

5. Hälso- och sjukvårdsdirektören får i uppdrag att återrapportera utfallet av ansökan till nämnden.

Förvaltningens motivering till förslaget

Bakgrund
Socialstyrelsen har den 29 mars 2022 beslutat att viss vård vid medfödd metabol sjukdom ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivas vid tre enheter. Delar av den definierade vården föreslås koncentreras till två enheter; verifiering av nyföddhetsscreening samt riktad utredning vid misstanke om medfödd metabol sjukdom. Nyföddhetsscreening i sig ska koncentreras ytterligare till en av dessa två enheter. Den hälso- och sjukvård som ska utgöra nationell högspecialiserad vård utgörs av följande:

- Handha larm från nyföddhetsscreening och dirigera den fortsatta handläggningen.
- Bistå med klinisk bedömning vid misstanke om medfödd metabol sjukdom. Av de kliniska bedömningarna som görs av alla patienter med säkerställd metabol sjukdom, ska minst en göras av en nationell enhet.
- Utredning inför, och ställningstagande till in- och utsättning av viss avancerad behandling, beslut om var behandlingen ska ske samt uppföljning och kontroller av sådan behandling.

Verifiering av nyföddhetsscreening samt riktad utredning vid misstanke om medfödd metabol sjukdom sker med exempelvis genetiska, biokemiska och histopatologiska analyser. Om oklara genetiska varianter har påvisats vid annan utredning ska nationell högspecialiserad vårdenhet (NHVe) kontaktas för fortsatt bedömning och om möjligt bekräfta diagnosen.

Sakkunniggruppen anger i sitt underlag att cirka 5000 patienter i Sverige lever med en medfödd metabol sjukdom. Cirka 5-10% av dessa patienter är i behov av någon form av avancerad behandling utöver kostregim. Inom nyföddhetsscreeningen hanteras årligen c:a 80 larm. Omkring 60% utgör falska positiva larm som kan få lugnande besked efter vidare testning.

Sakkunniggruppen ser ett behov av att formalisera ett tydligt ansvar för nyföddhetsscreeningen samt att öka förutsättningarna för metodutveckling och kompetensförsörjning inom diagnostik och behandling. Utöver nyföddhetsscreening är volymerna inom detta område svårbedömda. Riktad diagnostik utförs redan idag vid två enheter. Trots viss förväntad ökning av patientgruppen, anses bedömning, avancerad uppföljning och ställningstagande till avancerad behandling kunna utföras vid tre nationella högspecialiserade enheter.

I Region Stockholm erbjuds vården enbart av Karolinska Universitetssjukhuset, vid centrum för medfödda metabola sjukdomar (CMMS). Redan idag har Karolinska universitetssjukhuset en nationellt ledande position inom området. CMMS ansvarar bland annat för den nationella nyföddhetscreeningen med det så kallade ”PKU-provet”. CMMS har också ett uppdrag som nationellt kompetenscentrum med Porfyricentrum. Sedan 40 år bedrivs utredning och uppföljning av behandling av porfyri (tillstånd med rubbningar i kroppens produktion av det järnbindande molekylen hem) vid centrat.

Överväganden
Om Region Stockholm ansöker och tilldelas NHV-tillståndet förväntas ingen större förändring av patientvolymer. Om regionen erhåller NHV uppdraget samt de två underuppdragen kan nuvarande verksamhet fortsätta. En koncentrering av vården kan främja kompetens- och kunskapsutveckling. Ett fortsatt, och växande arbete inom metabola sjukdomar kan även ge positiva effekter för patienter i närliggande områden genom utveckling och forskning.
Om Region Stockholm inte ansöker kommer viss vård vid medfödd metabol sjukdom att upphöra inom Region Stockholm. Regionens ansvar för det nationella uppdraget för nyföddhetscreening och Porfyricentrum skulle då inte kunna fortsätta.

Ekonomiska konsekvenser
Det nationella systemet för högspecialiserad vård som sköts av Socialstyrelsen saknar ännu en beskrivning av hur den ekonomiska ersättningen ska beräknas för NHV uppdrag. Denna vård bedrivs idag vid föreslaget antal enheter, varav en i regionen och kostnaderna regleras som utomlänsvård mellan regionerna. Om regionen inte ansöker om uppdraget kommer regionen få betala för vården i andra regioner.

Konsekvenser för patientsäkerhet
Förslaget till beslut om att ansöka om NHV uppdrag skulle innebära en bibehållen hög patientsäkerhet.

Konsekvenser för jämlik och jämställd vård
Förslaget till beslut om att ansöka om NHV uppdrag har oförändrade konsekvenser för jämlik och jämställd vård.

Miljökonsekvenser
En ansökan och tilldelning av NHV uppdrag medför inga förändrade patientvolymer, resor eller förbrukning av material och förväntas därmed ha oförändrade konsekvenser för miljön.

Administrativa konsekvenser
Utvecklingen av en NHV enhet innebär en ökad administration vid uppstart, under drift och vid uppföljning. Regionen har tillskjutit medel i budget 2020-2023 för ett kansli vid Karolinska Universitetssjukhuset som kommer stötta i detta arbete. En del av administrationen kommer skötas av vårdgivarna direkt. Antalet patienter som omfattas förväntas öka i liten utsträckning. Administrationen som ska skötas av vårdgivarna förväntas öka något men bedöms kunna hanteras inom ordinarie verksamhet.

Magnus Thyberg
Avdelningschef

Beslutet ska skickas till
Klicka här för att fylla i vilka beslutet ska skickas till

Godkänd av Magnus Thyberg, 2022-09-07