

Riksförbundet Sällsynta diagnosers skuggstrategi

Detta är Sällsynta diagnosers "skuggversion" av Socialstyrelsens förslag till nationell strategi för sällsynta sjukdomar i rapporten "Sällsynta sjukdomar – En slutrapport om nationell funktion och förslag till strategi, 2012-10-31", som överlämnats till Socialdepartementet för fortsatt beredning.

Riksförbundet Sällsynta diagnosers bedömning av utkastet till ovanstående strategi i Socialstyrelsens slutrapport är att den framstår som en stor besvikelse. Eftersom strategiavsnittet varken anger några egentliga förslag på eller mål för hur vården och andra insatser ska utvecklas och förbättras är det svårt att ens betrakta detta som en "strategi". Givetvis kan man ha olika uppfattningar om vad som ska ingå i en strategi; framför allt hur pass detaljerad den bör vara. Men enligt definitionen "långsiktigt övergripande tillvägagångssätt" ska en strategi, värd namnet, innehålla anvisningar/direktiv för vad som behöver göras för att åstadkomma en förbättring.

I strategiavsnittet lyser initiativ till åtgärder med sin frånvaro. Det enda som finns är några allmänt hållna riktlinjer om vilka områden som särskilt bör uppmärksammas. Det är visserligen en början. Men sedan då?

Skuggstrategin utgår från avsnittet om **prioriterade områden** i Socialstyrelsens slutrapport, avsnittet "Förslag till nationell strategi", på sidorna 12-15. För varje område finns **kommentarer** samt **åtgärdsförslag** från förbundet. Dessutom ingår förslag till ytterligare ett par insatsområden. Med "förbundet" avses här genomgående Riksförbundet Sällsynta diagnoser.

Prioriterade områden

Prioriterade områden är, enligt Socialstyrelsen, de instrument som ska leda till att strategins vision förverkligas. I den officiella strategin ingår följande sju områden:

1. Enhetlig definition behövs
2. Vårdrekommendationer och vårdprogram
3. Forskning
4. Läkemedel
5. E-Hälsa
6. Nationella nätverk och regionala centra
7. Patientdelaktighet

SÄLLSYNTA "DIAGNOSER" RARE DISEASES SWEDEN

Riksförbundet Sällsynta diagnosers kommentarer och åtgärdsförslag till de insatsområden som ingår i Socialstyrelsens slutrapport:

1. Enhetlig definition behövs

Kommentarer:

Ingen enhetlig precisering av begreppet "sällsynt" diagnos finns, inte ens inom Norden. I EU-sammanhang används definitionen 5 på 10 000. Det är ett betydligt bredare begrepp än det svenska, 1 på 10 000, som förbundet utgår från. I EU-sammanhang kallas diagnosgrupper som faller inom den svenska definitionen för "ultra rare" ("extremt sällsynta"). Diskussioner förs inom och utanför förbundet om betydelsen av att ha en helt entydig begreppsdefinition och huruvida samma definition, i praktiken "EU-definitionen", borde användas överallt samt följderna av att Sverige skulle göra denna "EU-anpassning".

Nuvarande svenska kriterium 1 på 10 000 är att föredra, utifrån att det är betydelsefullt att fokusera på dem som är mest sällsynta och därför har minst tillgång till kunskapsbaserade vårdinsatser. Om kriteriet likväl ändras, för att uppnå enhetlighet, är det av stor vikt att primärt beakta de diagnoser som det är svårast att få information om och ge korrekta vårdinsatser till.

Inte heller finns någon enhetlig terminologi för de grundläggande begreppen inom området. "Ovanlig" används som synonymt med "sällsynt", så också "sjukdom" istället för "diagnos". Såväl Sällsynta diagnosers som andra funktionshinderförbunds grundprincip är att inte prata om "sjukdomar" när det gäller funktionsnedsättningar.

Förbundet avråder därför från begreppet "sjukdom" för tillstånd man inte tillfrisknar från. Följaktligen är "sällsynta sjukdomar" inte lämpligt ur den synpunkten. Vidare förordar förbundet ordvalet "sällsynt", eftersom detta ger större dignitet än "ovanlig".

Riksförbundet Sällsynta diagnosers åtgärdsförslag:

- Oavsett vilken antalsmässig definition som än tillämpas omfattar begreppet "sällsynt" diagnos, enligt förbundet, diagnoser som innebär komplexa funktionsnedsättningar, vilka är medfödda, livslånga och inte botbara. Tillstånden har företrädesvis genetiska orsaker och i regel är de syndromdiagnoser.
- Att den grundläggande terminologin ska vara "sällsynt" och "diagnos"; inte "ovanlig" och "sjukdom".

2. Vårdrekommendationer och vårdprogram

Kommentarer:

Vårdprogram för behandling samt habilitering/rehabilitering saknas för många sällsynta diagnosgrupper. Det leder till att patienter vandrar runt i vården i sitt sökande efter vård eller behandling och svar på sina frågor. Dokumentationen av behandlingsinsatser för sällsynta diagnoser är för det mesta obefintlig, vilket kan orsaka felbehandling. Vårdprogram skapar förutsättningar för kontinuitet i vården. Dessutom underlättar programmen kunskapsöverföringen från de medicinska centren till vården på brukarens hemort.

Riksförbundet Sällsynta diagnosers åtgärdsförslag:

- Utformningen av nationella vårdprogram för sällsynta diagnosgrupper ska vara en arbetsuppgift för nationellt samordnade center vid universitetssjukhusen.

SÄLLSYNTA "DIAGNOSER" RARE DISEASES SWEDEN

- Framställningen av vårdprogram ska genomföras i samråd mellan de olika aktörer som berörs. Centren ska därför skapa konsensus mellan de inblandade parterna, vården och övriga berörda instanser samt brukarorganisationen, för att genomföra utvecklingen av vårdprogrammen, utifrån respektive diagnos eller kluster av diagnoser.
- De nationella vårdprogrammen utgör en bas för att ta fram individuella vårdprogram/behandlingsplaner, något som centren ska ge incitament till.

3. Forskning

Kommentarer:

Forskningsinsatser behövs inom alla områden som omfattar sällsynta diagnoser, såväl medicinska som icke-medicinska, från grundläggande till social forskning. En bred forskningssatsning inom detta område bidrar till kunskapsutveckling, ger bättre diagnostiska metoder, omhändertagande och läkemedelsutveckling.

Forskningen är därtill en grundpelare för att rådgivning ska kunna ges om prognos, skolgång, rehabilitering, hjälpmedel m.m. Därför är det väsentligt att underlätta forskning om hur det är att leva med en sällsynt diagnos, till exempel konsekvenser av diagnosen och vilka behandlingsmetoder som ger bästa resultat.

Riksförbundet Sällsynta diagnosers åtgärdsförslag:

- Koncentration av kunskap kring och vissa vårdinsatser för patientgrupperna bör samlas till center vid universitetssjukhusen. Detta är nödvändigt för att komma upp till den volym av erfarenheter som behövs för att bedriva forskning. Det gäller både medicinsk- och funktionshinderforskning som rör diagnoserna som ingår i centrets verksamhetsområde. I detta ingår även att uppmärksamma de relevanta forskningsområden som annars inte beforskas.
- Följaktligen ska de medicinska centren vara knutna till universitetssjukhusens forskning och kunskapsutveckling om de diagnoser som varje center ansvarar för.
- Centren ska även verka för gränsöverskridande forskning. Syftet är att få så stort patientunderlag som möjligt.

4. Läkemedel

Kommentarer:

Förbundets generella utgångspunkt är att läkemedel/särläkemedel ska betraktas som en självklar del av vården, precis som alla andra behandlingsinsatser. Därför ska särläkemedel inte uppfattas som en separat fråga, skild från allt annat som har med vården att göra.

Personer som har sällsynta diagnoser har rätt till vård på lika villkor och, då behovet är stort, även rätt till företräde i vården enligt Hälso- och sjukvårdslagen (HSL). De har rätt till samma kvalitet på behandling och, enligt särläkemedelsförordningen, läkemedel av samma kvalitet och ändamålsenlighet som andra patienter. Detta gäller även om läkemedel för sällsynta diagnoser, särläkemedel, kan vara dyrare än vanliga läkemedel.

SÄLLSYNTA "DIAGNOSER RARE DISEASES SWEDEN

Riksförbundet Sällsynta diagnosers åtgärdsförslag:

- Det måste vara tydligt vem som fattar beslut om sär läkemedel ska användas eller inte, och på vilka grunder dessa beslut tas. Medicinska center säkerställer tillgång till expertis och riktlinjer för effektivast möjliga behandling med sär läkemedel.
- Centren ska även beakta alternativa samhällskostnader som uppstår, ifall behandling inte ges.
- Det behöver tas fram besluts- och finansieringsmodeller som kan hantera att vissa läkemedel kostar betydligt mer än andra per patient och år, samt att vissa patienter har större behov än andra.
- Finansieringssystemet för läkemedel ska anpassas så att det underlättar tidig introduktion av och tillgång till behandling med sär läkemedel för patienter med sällsynta, allvarliga tillstånd.
- Särskilt kostsamma sär läkemedel finansieras med statliga medel, så de inte förväntas betalas av enskilda sjukhuskliniker.

5. E-Hälsa

Kommentarer:

E-hälsa omfattar ett informationsutbyte om patienter och ett nätverk för hälsoinformation: elektroniska patientjournaler, telemedicin och andra tekniska hjälpmedel. E-hälsa bidrar sannolikt till att det blir möjligt att organisera sjukvården på andra sätt än det traditionella. Men eftersom e-hälsa endast är ett hjälpmedel, bland många andra, för vårdpersonal anser förbundet att e-hälsa inte har någon större betydelse för att förverkliga strategin.

Riksförbundet Sällsynta diagnosers åtgärdsförslag:

- E-hälsa bör likväl beaktas och, när det bedöms vara ändamålsenligt, tillämpas då nya arbetsformer för vården utvecklas inom området sällsynta diagnoser.
- Framför allt bör beaktas om e-hälsa kan bidra till att landstingsgränser, och andra geografiska faktorer, inte längre behöver utgöra hinder för optimal vård.

6. Nationella nätverk och regionala centra

Kommentarer till "Nationella nätverk":

Nationell samordning av vården

Specialistkunskap och samordning av hälso- och sjukvårdens resurser för personer med sällsynta diagnoser är grundläggande förutsättningar för rätt diagnos samt kompetent och likvärdig vård, oavsett var i landet man bor. Ofta kan flera specialiteter vara inblandande, varför det krävs ett samlat grepp med en centraliserad, samordnad och specialiserad vård. Enligt Sällsynta diagnosers åsikt är enda sättet att uppnå detta att centralisera vården, i första hand på nationell nivå.

Ett väl fungerande nationellt medicinskt center:

- erbjuder specialistvård, habilitering/rehabilitering utifrån ett helhetsperspektiv
- samordnar samtliga vårdinsatser i livets alla faser, inklusive specialistvårdsinsatser som inte kan ges vid centret
- ger stöd och utbildning till lokala vårdgivare
- upprättar vårdprogram för den behandling, habilitering/rehabilitering som sker på centret och/eller hemorten

SÄLLSYNTA "DIAGNOSER RARE DISEASES SWEDEN

- upprättar nationella kvalitetsregister
- bedriver forskning och kunskapsutveckling om de aktuella diagnoserna
- samverkar med andra forskare inom området, både nationellt och internationellt
- ger genetisk rådgivning/information

Etablerandet av medicinska center skapar förutsättningar för:

- rätt vård på lika villkor
- adekvat och högkvalitativ vård under hela livet
- kontinuitet och säkerhet i vården
- kunskapsuppbyggnad om och forskningsunderlag kring sällsynta diagnoser

Riksförbundet Sällsynta diagnosers åtgärdsförslag:

- **Inrätta nationella medicinska center med denna inriktning vid universitetssjukhusen.**
- **Centren ska ha en gemensam nationell styrning, med bred professionell kompetens och brukarinflytande.**
- **Varje medicinskt center ansvarar för flera olika sällsynta diagnoser som har likartade vårdbehov.**
- **Säkerställ att diagnosbärare verkligen får tillgång till vård vid centret. Den enskilde ska inte hindras av sina lokala vårdgivare, exempelvis genom att inte remitteras till centret av kostnadsskäl och/eller motiveringen "detta klarar vi själva här".**
- **Genetiker ska vara knutna till centren. Genetiker och läkare ska ges möjlighet att samarbeta när det är svårt att ställa diagnos.**
- **Centrens verksamhet bör säkerställas med öronmärkta medel: Antingen genom en solidarisk finansiering eller statliga resurser. Det förstnämnda alternativet innebär att varje landsting, utgående från innevånarantal, bidrar till den solidariska finansieringen av centren.**

Regionala centra

Kommentarer till "regionala centra":

Utveckling pågår nu i flera regioner att skapa syndromcenter för sällsynta diagnoser. Förbundet är i grunden positivt till etablerandet av regionala center. Men likväl håller vi fast vid våra åsikter om betydelsen av centraliserad vård på nationell nivå. Det är den ultimata lösningen för personer som har en sällsynt diagnos. Vi ser de regionala centren som ett första steg för att center på nationell nivå, med hela landet som upptagningsområde, ska kunna bildas, när det är mest ändamålsenligt med nationella center.

De sällsynta diagnoserna är många. Därför vore det, ur såväl patientens som sjukvårdens perspektiv, sannolikt effektivast om åtminstone diagnoser med ett begränsat patientunderlag kunde behandlas vid ett regionalt center, som för den diagnosen skulle bli nationellt för att säkerställa ett tillräckligt stort antal patienter vid centret.

Tills vidare är det grundläggande att de regionala centren samverkar, så de kan dra nytta av varandras erfarenheter och så många diagnosgrupper som möjligt får tillgång till center. Finansieringen ska vara solidarisk, för att minimera problemen med utebliven remittering.

SÄLLSYNTA "DIAGNOSER" RARE DISEASES SWEDEN

Förbundet anser att det är väsentligt att center för sällsynta diagnoser håller en så hög nivå på sin verksamhet, att det accepteras även i internationella sammanhang. När detta kvalitetskriterium uppfyllts, medför det att centret anses vara väl fungerande och etablerat. Det innebär i sin tur att centret är en godkänd partner även på internationell nivå.

Denna metod för kvalitetssäkring stärker vår åsikt att regionala center måste utvecklas vidare till nationell nivå, när patientunderlaget är otillräckligt för ett center i regional regi; för att verksamheten ska uppnå en godtagbar standard.

Riksförbundet Sällsynta diagnosers åtgärdsförslag:

Följande kriterier ska tillämpas för att en regional verksamhet ska få kallas "regionalt medicinskt (syndrom)center för sällsynta diagnoser". Verksamheten ska:

- Bedrivs genom teamsamverkan. Alla professioner som behövs utifrån centrets verksamhetsområden ska ingå i teamet.
- Inneha specialistkompetens, med mål för vårdutvecklingen angivna.
- Långsiktigt arbeta för att säkerställa kompetens och hållbarhet över tiden, genom kompetensutveckling och personalrekrytering.
- Utveckla och förankra en plan för kommunikationen kring patientvård. Planen är avsedd för vårdgivare på patientens hemort och andra center som kan vara berörda.
- Ingå i nätverk med andra motsvarande center, både nationellt och internationellt.
- På sikt bör utvecklingen av regionaliserad vård leda till nationella center för de diagnoser, eller kluster av diagnoser, där patientunderlaget är för litet för att det ska vara möjligt att bygga upp optimal vård regionalt.

Tillämpningen av nationell cancerstrategi – en förebild

Kommentarer:

Den nationella cancerstrategin håller på att implementeras i Sverige. Syftet är att förbättra vården för vissa patientgrupper med cancer. Strategin handlar bland annat om att etablera regionala cancercenter; det finns ett center per sjukvårdsregion. De regionala centren samordnas av resurser vid Sveriges Kommuner och Landsting (SKL). Kvalitetskriterier måste uppfyllas för att sjukhusen ska få medel till verksamheten som omfattas av strategin.

I strategiarbetet ingår även en analys av hur vården genomförs nu, samt hur ansvarsfördelningen skulle se ut i en "idealisk" vårdprocess.

Riksförbundet Sällsynta diagnosers åtgärdsförslag:

- Genomförandet av den nationella cancerstrategin påvisar möjligheterna att komma tillrätta med brister som ojämlik vård och fragmentiserade vårdkedjor.
- Därför vill förbundet att ett arbetssätt med cancerstrategin som förebild används även för att förbättra vården för personer som har sällsynta diagnoser.

7. Patientdelaktighet

Kommentarer:

Patientdelaktighet är när patienten är delaktig i sin egen vård, alltså på individuell nivå. Förbundet vill dock här framhålla begreppen "patient empowerment" och "brukarmedverkan", vilket är något helt annat och betydligt mera omfattande än "patientdelaktighet".

SÄLLSYNTA "DIAGNOSER" RARE DISEASES SWEDEN

Brukarmedverkan

I vårt arbete som brukarorganisation genereras kunskap genom medlemsundersökningar, möten och kontinuerliga diskussioner med förbundets medlemmar. Denna omfattande och väl underbyggda kunskap är viktig att föra fram i verksamheter för sällsynta diagnoser. Att läkaren tar del av patientens personliga åsikter om hur vården fungerar, och hur vården bör genomföras för den enskilde patienten, är något helt annat. Sådana informella samtal får inte förväxlas med, och ersätta, brukarmedverkan.

Brukarmedverkan bidrar till att skapa ökad opinionsbildning och hälsokunskap utifrån patientens/närståendes perspektiv. Därtill är brukarmedverkan grundläggande vid uppbyggnaden och bedrivandet av verksamheten vid regionala/nationella center.

Definition av "Empowerment"

"Empowerment är ett uttryck som används när man talar om grupper eller personer som vill förändra, och agerar för att förstärka sin sociala, kulturella, ekonomiska eller psykiska styrka och status inom ett visst sammanhang. Empowerment blir möjligt genom att en grupp människor eller en person tar makten över den egna situationen. En vanlig metod är att använda kunskap och positiv självbild och arbeta parallellt med processer hos både grupp och individ."

(Från förbundets studiematerial "Jag kan det jag kan")

Ytterligare ett synsätt på empowerment är att dela upp begreppet i tre nivåer:

- Utveckling på individnivå (den enskilde personen)
- Utveckling av vården utifrån en specifik diagnos (organisationsnivån)
- Vara delaktig i en generell vårdutveckling på politisk nivå (samhällsnivån)

Denna nivåindelning är en bra förebild och något att ta efter.

Riksförbundet Sällsynta diagnosers åtgärdsförslag:

- **Brukarmedverkan ska säkerställas på alla plan som är av betydelse och där samverkan krävs mellan dem som ansvarar för centret och brukarorganisationerna.**
- **Utbildning av brukare är nödvändig, för att de ska kunna agera och motivera sina ställningstaganden angående centren när dessa byggs upp och därefter drivs.**
- **En ekonomisk grund behövs för att ge brukarorganisationerna möjlighet att verka både utåt (brukarmedverkan) och inåt i organisationen (internt föreningsarbete/empowerment).**
- **Brukarmedverkan fordrar mötesplatser, vilket i sin tur förutsätter en stabil ekonomisk grund för brukarnas organisationer. Det gäller både förbundet och de rikstäckande diagnosföreningarna.**

Tillägg som, enligt förbundet, bör göras till avsnittet "prioriterade områden"

- Kvalitetsregister

Kommentarer:

I kvalitetsregister lagras uppgifter om enskilda patienters problem, åtgärder och resultat. Registreringen gör det möjligt för vården att följa resultat över tid och identifiera kliniska förbättringsområden. Flera kvalitetsregister utformas för att användas som checklista så att alla delar av vården beaktas.

Kvalitetsregister ger ökad möjlighet till kunskapsöverföring och bidrar med strukturerad data till forskning. Nationella medicinska center möjliggör även bättre bedömning och uppföljning av behandlingseffekter.

Riksförbundet Sällsynta diagnosers åtgärdsförslag:

- Centren skapar nationella kvalitetsregister i syfte att förbättra vårdkvaliteten och patientsäkerheten.

- Tillgång till befintlig vård över landstingsgränserna

Kommentarer:

Ett av de största hindren i vården för personer som har sällsynta diagnoser och tillstånd är landstingsgränserna, samt enskilda läkares svårigheter och/eller bristande vilja att remittera till rätt specialistvårdsinstans, i den mån sådan finns.

Dagens system för specialistvårdsremisser, som kan vara landstingsöverskridande, är inte optimalt för dem som har sällsynta diagnoser. Remittering bekostas i regel endast av hemlandstinget, om motsvarande vård visserligen finns i det egna landstinget men anses vara otillräcklig. I det gängse sällsynta scenariot finns ingen lokal vårdgivare att jämföra med. Detta utgör ett grundläggande hinder för att diagnosbäraren ska kunna få specialistvårdsremiss till ett annat landsting.

Riksförbundet Sällsynta diagnosers åtgärdsförslag:

- Centraliserad vård för små brukargrupper, vid regionala/nationella medicinska center är det bästa sättet att göra vården mer jämlik och säker. Därför är det nödvändigt att utveckla ett nytt system, där de sällsynta vårdtagarna har rätt att få vård där den finns – oavsett landstingsgränser eller befintlig vård lokalt.

- Fokus bör vara på de diagnoser vars vårdbehov inte tillgodoses i det befintliga vårdsystemet.

- Ett nytt begrepp introduceras: "LandstingsÖverskridande vård (LÖV)"

- Denna typ av samordnad vård över landstingsgränserna förutsätter emellertid samordning mellan landstingen. Finansieringen sker genom en nationell pott dit landstingen betalar ett schablonvärde, utifrån antal invånare.

- Initiativet för remissen till denna typ av vård ska kunna tas både av behandlande vårdgivare och vårdtagaren (egenremiss). Även mottagande vårdgivare ska kunna ta initiativ till en egenremiss, för att kringgå problematiken med läkare som inte kan eller vill remittera.