

# Tarmrehabilitering för barn

Sakkunniggruppens förslag på nationell  
högspecialiserad vård  
Remissversion

## Förord

I detta underlag genomlyser sakkunniggruppen för *Tarmsvikt hos barn* vårdområdet tarmrehabilitering för barn och lämnar sitt förslag till nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppens förslag remitteras öppet för synpunkter från alla intresserade. Genom att få in synpunkter på sakkunniggruppens förslag i processen, möjliggörs en bredare konsekvensanalys.

Inför Socialstyrelsens beslut om vad som ska utgöra nationell högspecialiserad vård och på hur många enheter vården ska bedrivas, kommer även en beredningsgrupp att lämna ett yttrande utifrån underlaget, inkomna synpunkter och konsekvensanalysen.

Socialstyrelsen leder arbetet med att koncentrera mer av den högspecialiserade vården på nationell nivå och ansvarar för arbetsprocessen för detta arbete. Socialstyrelsen vill tacka alla som har deltagit i arbetet med att ta fram detta underlag.

Thomas Lindén  
Avdelningschef

## Sakkunniggruppens uppdrag

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den eller de delar i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

# Innehåll

Förord .....	2
Sakkunniggruppens uppdrag .....	3
Ordlista .....	5
Sammanvägd bedömning .....	6
Definition .....	7
Vårdområde .....	9
Särskilda villkor .....	16
Konsekvensanalys .....	19
Uppföljning och utvärdering .....	22
Referenser .....	25
Deltagare i sakkunniggrupp .....	26
Om nationell högspecialiserad vård .....	27

## Ordlista

HPN	Hemparenteral nutrition
NHV	Nationell högspecialiserad vård
NHVe	Nationell högspecialiserad vårdenhet
PN	Parenteral nutrition (intravenös)
PIPO	Pediatrisk intestinal pseudoobstruktion

## Sammanvägd bedömning

Sakkunniggruppen föreslår efter genomlysning av vårdområdet att det som framgår under rubriken *Definition* ska utgöra nationell högspecialiserad vård och bedrivs vid fyra enheter.

Detta bedöms vara vård som är komplex, sällan förekommande, kräver en viss volym och multidisciplinär kompetens. Vården är multidisciplinär då bland annat, nutritionssköterska, barndietist, tarm- och stomiterapeut samt läkare inom barngastroenterologi behövs i vården av patienten. Utöver dessa är även exempelvis barnkirurg/-urolog, neonatolog och psykolog viktiga professioner i olika delar av vårdkedjan.

Sakkunniggruppen finner att en koncentration av aktuell vård ökar förutsättningarna för bibehållen kvalitet, patientsäkerhet och kunskapsutveckling samtidigt som ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser kan uppnås. Patientgruppen som avses i förslaget är diagnosmässigt heterogen då den inkluderar såväl barn med långvarigt behov av parenteral nutrition (PN) oavsett underliggande sjukdom, som barn med oklar och utredningskrävande tarmsjukdom med möjligt framtida PN-beroende.

Sakkunniggruppen föreslår fyra nationella tarmrehabiliteringsenheter då vården sker i anslutning till och är beroende av landets fyra enheter som har neonatologi tillsammans med barnkirurgi. Enheterna är ömsesidigt beroende av varandra och ändras antalet tarmrehabiliteringsenheter påverkas också motsvarande neonatal- och barnkirurgiska enheter. Systemkonsekvenserna skulle bli stora då neonatal- och barnkirurgiska enheter skulle behöva byggas upp eller stängas ner med stora negativa konsekvenser för svensk hälso- och sjukvård. Fyra enheter erbjuder också den tillgänglighet som krävs för en komplex och vårdtung patientgrupp. Färre enheter skulle sannolikt leda sämre förutsättningar för samarbetet med patientens lokala vårdgivare och till sämre vård för patienten. Erfarenheterna av att redan ha koncentrerat denna vård är övervägande positiva.

Sakkunniggruppen bedömer att barnakutsjukvården eller andra omkringliggande områden inte påverkas negativt av detta förslag.

## Definition

***Viss vård avseende tarmrehabilitering för barn upp till 18 år ska utgöra nationell högspecialiserad vård.***

För barn och ungdomar som förväntas vara i behov av långvarig (> 60 dagar) parenteral nutrition (PN), oavsett underliggande sjukdom eller med oklar och svårutredd tarmsjukdom, ska kontakt med nationell enhet tas så tidigt som möjligt för bedömning och eventuellt vidare utredning. Nationella enheter ska även ansvara för utformning av behandlingsplan och initiering, monitoring och uppföljning av lämplig behandling.

*Definitionen omfattar barn med etablerad eller hotande kronisk tarmsvikt oavsett orsak, exempelvis, men inte uteslutande, på grund av kort tarmsyndrom, aganglionos, pediatrik intestinal pseudoobstruktion (PIPO), medfödd enteropati, oklara sjukdomstillstånd där differentialdiagnostiken omfattar någon av tidigare nämnda diagnoser.*

## Antal enheter

Fyra enheter.

## Avgränsningar

*Sakkunniggruppen har i sin genomlysning gjort följande avgränsningar till området.*

Följande områden, med stark koppling till definitionen, ingår ej i definitionen och ska ej koncentreras på nationell nivå:

1. Kontakt med NHVe kan även tas gällande andra indikationer/diagnoser (utöver de definierade) där hjälp med bedömning och ordination av nutrition kan behövas, men dessa ingår ej i förslaget till NHV, exempelvis:
  - Prematurfödda barn där mer eller mindre långvarigt behov av PN pga. omogen tarm kan ge upphov till olika komplikationer
  - Metabola sjukdomar
  - Maligniteter där mer eller mindre långvarigt behov av PN pga. sjukdomstillståndet kan ge upphov till olika komplikationer

Följande områden bör nivåstruktureras inom varje samverkansregion:

1. Behandling av tarmsvikt med tillväxtstimulerande hormoner ska ske först efter samråd med någon av de fyra NHVe.

Följande områden har genomlysts separat:

1. Vård vid tarmsvikt hos vuxna
2. Rekonstruktiv kirurgi vid inflammatorisk tarmsjukdom (IBD)
3. Avancerad Crohns sjukdom
4. Visceral transplantation
5. Avancerad bäckenkirurgi



## Vårdområde

*”För fem år sedan drabbades Sebastian av en kärlekatastrof och förlorade all tunntarm och delar av tjocktarmen. Sedan dess har han varit totalt beroende av parenteral nutrition i hemmet, med olika näringslösningar, via tre pumpar. Vi föräldrar har ansvarat för all planering för på och avkoppling av nutritionen, hemma, såväl som när Sebastian är i skolan och på fritidsaktiviteter. Vi vågade aldrig låta någon annan ge näringslösningarna, och vi har ansvarat för att få rätt och nödvändig utrustning. Minsta förbiseende eller felaktighet, från oss eller någon annan, skulle kunnat bli livsfarligt för honom. Under perioder har vi behövt kämpa för att få detta att fungera säkert och bra.*

*Trots anpassad nutrition steg Sebastians leverprover. Han fick blåmärken, gulsot och minskad ork och vi stod inför en nödvändig tarmtransplantation. Transplantationen gav honom mycket av sitt liv och sin frihet tillbaka, men också nya utmaningar.*

*För att vi ska känna oss trygga med allt detta måste de vårdkontakter vi har kunna allt om Sebastians sjukdom. De måste vara tillgängliga, ha erfarenhet, veta och förstå hur man ska behandla barn och hantera familjer som befinner sig i en situation som vår. Detta har varit viktigt för oss så vi kunnat skydda Sebastian från att i allt för stor utsträckning identifiera sig med de bekymmer som tarmsviktsbehandlingen medfört.” (Källa: citat från Sebastians föräldrar.)*

## Nuläge

### Kronisk tarmsvikt och tarmrehabilitering

En rad olika tillstånd eller sjukdomar i mag-tarmkanalen hos barn kan leda till kronisk tarmsvikt, dvs. svår bestående funktionsnedsättning så att mag-tarmkanalen inte alls, eller endast i begränsad omfattning kan användas för näringstillförsel. Barnet är då beroende av parenteral nutrition (PN) för att bibehålla elektrolytbalans, normal tillväxt och utveckling.

#### Faktaruta: Diagnosspecifik information

##### Kronisk tarmsvikt hos barn

Långvarigt (mer än 60 dagar) nedsatt tarmfunktion med behov av parenteral (intravenös) vätska och/eller näring för att bibehålla adekvat elektrolytbalans, normal tillväxt och utveckling.

##### Kort tarmsyndrom hos barn (Short bowel syndrome, SBS)

Tillstånd efter tarmresektion med tarmlängd < 25% av förväntad (baserad på barnets längd, vikt eller gestationsålder). Vanligen neonatal debut, som medfödd tarmmissbildning (t.ex. tarmatresi, gastroschisis) eller förvärvad tarmsjukdom (t.ex. volvulus, nekrotiserande enterocolit (NEC)).

##### Aganglionos

Medfödd missbildning där nervvävnad saknas i tarmväggen från analkanalen och uppåt i tarmen i olika omfattning. Barn med utbredd aganglionos kan utveckla tarmsvikt. Diagnosen baseras på histopatologisk undersökning av biopsier från tarmväggen med avsaknad av enteriska nervsystemets

ganglioceller. Radiologisk respektive manometrisk undersökning kan ge vägledning och föregå biopsier i oklara fall men inte utesluta diagnosen.

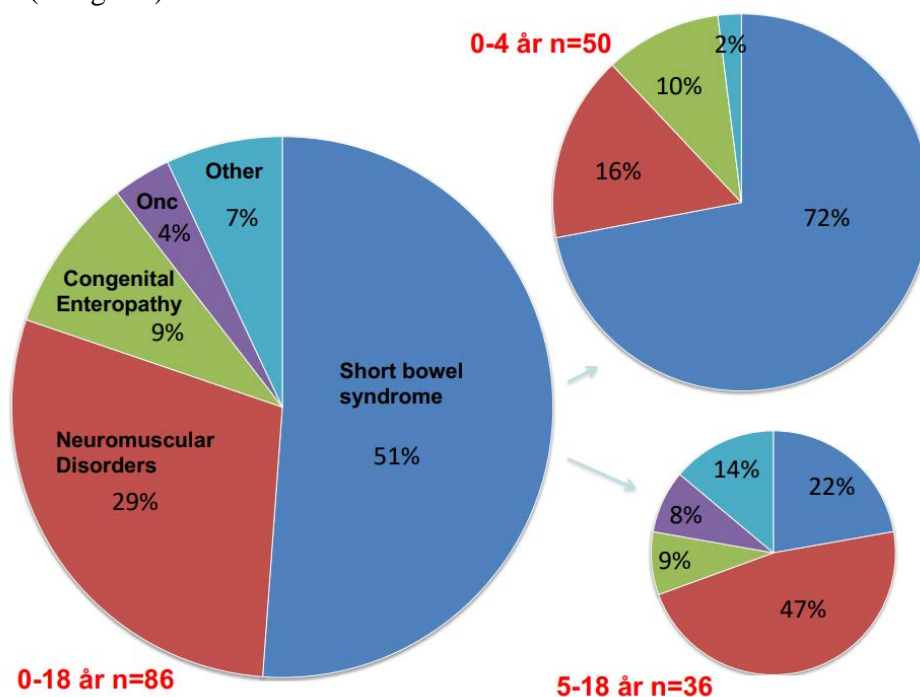
#### Pediatrisk intestinal pseudoobstruktion (PIPO)

Uttalad motilitetsrubbing i mag-tarmkanalen orsakad av dysfunktion i tarmväggens nervsystem eller muskulatur. Diagnosen baseras på den kliniska bilden med återkommande passagehinder där mekaniskt hinder utesluts, i kombination med minst två av följande: a) otillräckligt näringsupptag vid enbart peroral uppfödning, b) återkommande radiologiskt påvisad tunntarmsvidgning, c) objektivet påvisad neuromuskulär funktionsavvikelse i tunntarmen (transitstudier, manometri, histopatologi), d) säkerställd sjukdom som är associerad med PIPO.

#### Medfödd (kongenital) enteropati

En heterogen grupp sällsynta diagnoser som leder till svåra, kroniska diarréer debuterande före ett års ålder, oftast i nyföddhetsperioden. Diagnostiken baseras i första hand på genetisk utredning, men också på histologiska och elektronmikroskopiska fynd i slemhinnebiopsier från tunntarm. Orsaken kan i vissa fall också vara immunogent orsakad.

Tarmsvikt hos barn är ett ovanligt och livshotande tillstånd som tidigare varit förknippat med hög morbiditet och mortalitet. Beroende på underliggande sjukdomstillstånd kan det finnas andra samtidiga problem, som olika anomalier, smärta eller annan organsvikt. Många barn insjuknar i nyföddhetsperioden med kort tarmsyndrom (se ovan), medan andra debuterar senare med ett spektrum av ovanliga diagnoser som aganglionos, PIPO och tarmkatastrofer (se figur 1).



Figur 1. Fördelning av bakomliggande orsaker till kronisk tarmsvikt hos svenska barn november 2019. (Källa: Gastrokuriren 4, 2020).

Handläggning av dessa tillstånd kräver specifik kompetens och resurser som på grund av diagnosernas sällsynthet och komplexitet är svår att upparbeta och bibehålla utanför högspecialiserade enheter. Detsamma gäller vid vissa tarmsviktsrelaterade komplikationer som svår leversvikt eller svår tromboti-

sering av centrala kärl. Komplikationer i form av allvarliga infektioner/sepsis, trombosor och allvarlig leverpåverkan är vanliga och behöver aktivt förebyggas och tidigt behandlas.

Tidig diagnos och tidigt insatt adekvat behandling är avgörande för ett gynnsamt sjukdomsförlopp på kort och lång sikt. Genom utvecklingen av modern tarmrehabilitering har prognosen påtagligt förbättrats de senaste 10-20 åren. Nu överlever de flesta barn med kronisk tarmsvikt och, så småningom, kan många uppnå enteral autonomi (klara sig utan PN), eller klara sig med reducerad PN med lägre risk för svåra komplikationer. Patientgruppen har dock även idag ett mycket stort och komplext vårdbehov under lång tid.

Tarmrehabilitering är ett långsiktigt arbete som syftar till att bevara och optimera barnets mag-tarmfunktion samtidigt som dess nutritionsbehov tillgodoses och negativa effekter av sjukdom och behandling minimeras. Tarmrehabilitering för barn omfattar diagnostik, kartläggning av problembild, inklusive behov av behandling. Behandling innefattar både medicinsk och kirurgisk terapi samt nutritionsstöd i alla former, samt fortlöpande långsiktig uppföljning. Behandlingsåtgärderna är ofta invasiva, kan i sig ha negativa konsekvenser, och medföra risk för komplikationer. Vid kronisk tarmsvikt krävs långvarig PN där hemparenteral nutrition (HPN) utgör en hörnsten i behandling och rehabilitering. Tarmrehabilitering kräver noggrann, regelbunden och tät, såväl klinisk som biokemisk och radiologisk, monitorering. För att uppnå målen är det nödvändigt att behandling och uppföljning etableras i nära samverkan mellan tarmrehabiliteringscentrum, lokal barnklinik, patient och vårdnadshavare.

Vid neonatalt debuterande tarmsvikt inleds kontakt med tarmrehabiliteringscentrum redan på misstanke om ett sjukdomstillstånd med risk för utveckling av kronisk tarmsvikt. Barn med svår motilitetsrubbing i mag-tarmkanalen debuterar också vanligtvis tidigt men den kliniska bilden utvecklas ofta successivt varför dessa barn i nuläget inte tidigt knyts automatiskt till något tarmrehabiliteringscentrum.

### *Organisation*

I Sverige finns fyra tarmrehabiliteringscentra för barn, Uppsala, Stockholm, Malmö/Lund och Göteborg. Alla dessa enheter är kopplade till nödvändig barnkirurgisk och neonatologisk verksamhet (dygnet-runt-verksamhet).

Svenska barnläkarföreningens (BLF) barngastrosektion (SPGHN) har en nationell referensgrupp för omhändertagande av barn med kronisk tarmsvikt med representanter från dessa fyra tarmrehabiliteringscentra (den s.k. SPIS-gruppen). I överenskommelse inom professionen och SPGHN har därmed redan koncentration av vården till viss del skett. För barn med motilitetsrubbing i mag- tarmkanalen saknas organisatorisk styrning. Detta medför att det blir upp till enskild doktor/vårdenhet att avgöra vilket barn som hanteras på vilken vårdnivå, vilket riskerar ojämlik bedömning.

## Vårdvolym

En årlig nationell punktprevalensmätning av barn med kronisk tarmsvikt mer än 3 månader under de senaste åren visar att ungefär 80-90 barn lever med HPN vid en given tidpunkt (figur 1). Av de barn som utvecklar kronisk tarmsvikt neonatalt kommer merparten att uppnå enteral autonomi under de första levnadsåren, dvs. denna punktprevalensmätning visar inte det totala antalet barn med kronisk tarmsvikt som genomgår tarmrehabilitering över tid. Dessutom ingår i förslaget också barn med svåra motilitetsrubbningar som har en stor risk att utveckla tarmsvikt. Sakkunniggruppen bedömer därför att det bakom dessa siffror döljer sig 3-4 gånger så många barn har behov av PN mer än 2 månader, ett behov som antingen är övergående eller bestående.

## Forskning

Sedan några år tillbaka har nuvarande fyra pediatrika tarmrehabiliteringscentra påbörjat ett samarbete för att bland annat kartlägga barn med tarmsvikt i Sverige. Detta är ett första steg mot ett komplett kvalitetsregister som sedan kan användas till kvalitetsuppföljning och forskning. Eftersom det rör sig om ett begränsat antal patienter, som dessutom har ett stort antal olika diagnoser, krävs det nationella och internationella samarbeten både för att kunna erbjuda bästa vård men även för att bedriva forskning. Denna typ av samarbete finns redan idag via SPIS-gruppen inom barnläkarföreningen samt via europeiska referensnätverk (ERNICA – European Reference network for rare Inherited and Congenital (digestive and gastrointestinal) anomalies), NITE (Network of Intestinal Failure and Intestinal Transplantation in Europe) och IRTA (Intestinal Rehabilitation and Transplant Association).

Arbetet på gemensamma patientregister och större samverkan med drabbade familjer sker just nu inom ERNICA där representanter från det svenska SPIS-nätverket är aktiva.

## Internationell utblick

Den internationella utvecklingen är entydig både inom Europa och i övriga delar av västvärlden. För att förbättra överlevnad och minska sjuklighet hos barn med kronisk tarmsvikt behövs kompetenta multidisciplinära team, vilka i praktiken endast finns på större sjukhus. De strukturella och organisatoriska lösningarna varierar dock mellan olika länder.

I Frankrike, har vården av barn med tarmsvikt centraliserats till fem centra, vardera med ansvar för ca 13 miljoner invånare, som de enda som får ordnara HPN. Storbritannien har 12 pediatrika tarmsviktscentra på samma folkmängd och har istället en inofficiell supercentralisering av de mest komplicerade patienterna. I Danmark sköts tarmsvikt vid två centra (motsvarande ca ett centrum per 2,9 miljoner invånare). Norge däremot, saknar officiell centralisering, men i praktiken är de flesta patienter på ett eller annat sätt kopplade till universitetssjukhuset i Oslo. I Finland har Universitetssjukhuset i Helsingfors huvudansvaret för patienter med HPN, medan patienterna huvudsakligen följs på övriga fyra universitetssjukhus.

Liksom i de nordiska länderna förekommer nationella samarbeten kring patienter med tarmsvikt, där nationella videokonferenser används av vissa centra (Mount Sinai Hospital, New York), både för utbyte av kunskap men också för diskussion och konkret rådgivning angående aktuella patienter.

Sammanfattningsvis behövs samarbete både nationellt och internationellt. Hur detta löses bäst beror dels på lokala traditioner, nationellt sjukhussystem och i viss mån på geografiska förhållanden.

## Framåtblick

### *Varför nationell högspecialiserad vård?*

Tarmrehabilitering för barn är en högradigt komplex verksamhet som är både tekniskt och personellt resurskrävande samtidigt som patientvolymerna är relativt små. Målet med rehabiliteringen är att bevara och optimera barnets mag-tarmfunktion samtidigt som dess nutritionsbehov tillgodoses och negativa effekter av sjukdom och behandling minimeras. I Sverige har tarmrehabilitering redan till viss del koncentrerats till fyra enheter, alla kopplade till nödvändig barnkirurgisk och neonatologisk verksamhet för att minska morbiditet och mortalitet inom patientgruppen. Prognostiska faktorer på kort och lång sikt, som förbättrats via denna koncentration har varit ökad och snabbare enteral autonomi, lägre frekvens av komplikationer som sepsis och leversjukdom, och ett lägre behov av visceral transplantation. För barn med ett progressivt sjukdomsförlopp och hög risk för utveckling av kronisk tarmsvikt påverkas prognosen också av hur tidigt i sjukdomsförloppet kontakten med ett tarmrehabiliteringscentrum etableras. Idag behandlas barn med kort tarmsyndrom framför allt vid dessa tarmrehabiliteringscentra. Genom en centralisering till fyra högspecialiserade tarmsviktscentra i Sverige vill sakkunniggruppen att alla barn, oavsett bakomliggande orsak, men i samma behov av högspecialiserad tarmrehabilitering ska få tillgång till denna vård. En formalisering av dessa nationella högspecialiserade vårdenheter tydliggör den struktur som behövs för att öka förutsättningarna för en jämlik vård, oavsett var i landet man bor. Dedikerade nationella centra ökar också förutsättningarna för bättre logistik och beredning gällande HPN samt bibehållande och utveckling av kunskap inom området liksom ett effektivt nyttjande av vårdens resurser.

### *Resonemang kring antal enheter*

Sakkunniggruppen föreslår att den definierade vården ska utföras vid fyra nationella vårdenheter. Att föreslå färre eller fler enheter skulle inte ge större patientnytta. Tvärtom skulle det orsaka stora systemkonsekvenser då antingen fler neonatal- och barnkirurgiska enheter (dygnet-runt-verksamhet) skulle behövas byggas upp eller att existerande enheter skulle behöva stänga ner vilket skulle ha för stora negativa konsekvenser för svensk hälso- och sjukvård. Det skulle inte vara resurseffektivt och det skulle vara svårt att upprätthålla kompetens i hela teamet om fler enheter (både inom kirurgi och tarmrehabilitering) skulle byggas upp. Med färre enheter skulle undanträngningseffekterna på NHVe, av annan läns- och regionsjukvård, inkl. påverkan på personal, belastningen på vårdplatser och intensivvård, bli för hög. För patienten skulle det kunna orsaka sämre behandling och högre risk för komplikationer om integrationen mellan barnkirurgisk enhet och barngastroenhet, skulle försvinna.

Med färre enheter skulle det också bli svårare att bygga upp ett välfungerande samarbete med patientens lokala vårdgivare och få till det helt avgörande delade ansvaret för vården. Närhetsprincipen bör också eftersträvas för

ett optimalt omhändertagande av patienter och deras familjer. Patientgruppen behöver många gånger, både tidigt och senare i förloppet, akut och avancerad inläggande vård och behandling pga. komplikationer till sjukdomen eller behandlingen.

Sammantaget förordar sakkunniggruppen fyra nationella tarmrehabiliteringscentra enligt nuvarande organisation. Vidare föreslås att de nationella enheterna i överenskommelse sinsemellan fördelar vissa specifika tillstånd för att kunskap och kompetens ska förstärkas inom de specifika sällsynta hälsotillstånden vid något eller några av de nationella tarmrehabiliteringscentra.

### *Förslag till vårdkedja/flöde*

Alla NHVe ska kunna erbjuda avancerad utredning och diagnostik, ge individuellt utformade behandlingsplaner inklusive adekvat näring och lämpligt nutritionsstöd som HPN, utföra alla planerade, invasiva och kirurgiska behandlingsåtgärder, samt erbjuda stöd till hemmakliniken vid komplikationer eller faktisk handläggning av dessa. Därutöver rekommenderas periodiskt återkommande fysisk uppföljning vid NHVe, som årskontroller för att standardisera och kvalitetssäkra tarmrehabiliteringen samt att upprätthålla en vårdrelation till patient och vårdnadshavare.

NHVe förväntas ha hög tillgänglighet för samarbetspartners och en välutvecklad distansmedicin där merparten av mottagningsbesök vid NHVe kan ersättas med digitala mötesformer. NHVe ska också erbjuda vårdnadshavarutbildning för HPN och ansvara för förankring och fortlöpande dialog med hemmaklinikens nutritionsteam. Sakkunniggruppen vill betona att det är av största vikt att vården bedrivs med delat ansvar för den långsiktiga uppföljningen och monitoreringen av patientens tarm- och nutritions rehabilitering. Utifrån denna grundmodell får individuellt upplägg avgöras från fall till fall. NHVe kan även med fördel samordna vårdinsatser efter den enskilde patientens behov och i praktiken bör detta ske i fortlöpande dialog mellan koordinerande vårdpersonal vid hemmaklinik och NHVe.

Sakkunniggruppen vill också påtala behovet av att upprätta ett nationellt kvalitetsregister (eventuellt som del av ett internationellt kvalitetsregister) för att långsiktigt säkerställa att tarmrehabilitering för barn i Sverige håller högsta kvalitet. Det skulle även vara ett sätt för att effektivt identifiera, analysera och vid behov åtgärda orsaker bakom eventuella regionala skillnader och skillnader i resultat mellan de olika NHVe. Ett kvalitetsregister kan bidra till den nationella forskningen kring barn med behov av tarmrehabilitering.

Sakkunniggruppen anser även att NHVe bör ta ett särskilt ansvar för att utveckla fungerande vårdkedjor i övergången från barn- till vuxensjukvården för dessa patientgrupper oavsett om patienten har ett bestående behov av PN eller ej.

## Särskilda villkor

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till särskilda villkor. Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilka särskilda villkor som ska gälla för tillstånden. De generella villkoren regleras i Socialstyrelsens [föreskrifter](#) (HSLF-FS 2018:48) om nationell högspecialiserad vård. Sakkunniggruppen ansvarar för att ta fram förslag till särskilda villkor för respektive område. Förslagen ska återspegla definitionen och i viss mån vara vägledande vid tilldelning av tillstånd. De föreslagna särskilda villkoren för aktuellt tillstånd kan komma att justeras av nämnden när beslut om tillstånd fattas.

De villkor som anges under respektive rubrik ska vara unika saker som det definierade området kräver. Vård som kan ges på alla sjukhus i Sverige behöver inte framgå som ett särskilt villkor.

### Kritisk personalkompetens

Här ska det framgå vilken typ av personal som är specifik för detta område. Samtliga specialister/professioner i det multidisciplinära teamet ska ha specifik erfarenhet/kunskap/kompetens inom det definierade området

- Nutritionssjuksköterska
- Barn gastroenterolog
- Barndietist
- Barn gastrokirurg
- Tarm- och stomiterapeut
- Klinisk apotekare/farmaceut

### Kritisk utrustning, lokaler

Här ska det framgå om det är någon typ av utrustning som inte tillhör standardutbudet på ett sjukhus som behövs för att diagnosticera och/eller vårda patienter inom definitionen. Endast om utrustningen/lokalen är ovanlig eller starkt kopplad till definitionen ska den anges.

- Beredningsapotek och utrustning (t.ex. sterilbänk) för PN

### Andra förutsättningar för att vården inom det definierade området ska kunna bedrivas

Här beskrivs behov av andra medicinska områden eller vårdåtgärder som inte är definierade som NHV, men som måste finnas för att vård inom definitionen ska kunna bedrivas. Det kan exempelvis gälla tillgång till akuta konsultationer inom något område, någon särskild behandling som behöver finnas eller tillgång till annan resurs (lekterapi etc.). Dessa behöver ej finnas att



tillgå fysiskt på samma sjukhus som NHVe, men en ansökande enhet behöver kunna visa hur de ska säkra att dessa områden finns tillgängliga för en överskådlig tid.

- Neonatal-/barnkirurgisk avdelning
- Koordinator (koordinera vårdinsatser enligt ”delat ansvar-principen”)
- Registrator (registrera kvalitets-/uppföljningsmått, bör samordnas med koordinatorfunktionen)
- Neonatalavdelning
- Uroterapi
- Barnintensivvård
- Logoped
- Kurator
- Psykolog
- Barninfektionskonsult
- Barnnefrologi
- Lekterapi
- Koagulationskonsult
- Fysioterapi
- Klinisk genetik
- Nuklearmedicin/klinisk fysiologi/barnradiologi
- Kompetens (apotekare/farmaceut) för PN

## Övrigt

- NHVe ska bidra till att forskning inom det aktuella sjukdomsområdet bedrivs
- NHVe ska ansvara för en strukturerad uppföljning
- NHVe ska ansvara för överrapportering till remitterande enheter samt följa upp patientrapporterade mått
- NHVe ska ha hög tillgänglighet för samarbetspartners
- NHVe ska erbjuda vårdnadshavarutbildning till HPN
- NHVe ska verka för förankring och fortlöpande dialog med lokal vårdgivares nutritionsteam
- NHVe ska i samarbete verka för en koncentration och fördelning av sällsynta hälsotillstånd inom definitionen
- NHVe ska samarbeta kring att ta fram nationell utredningsgång och PM
- NHVe – ska ta fram en standardiserad process för när barnen inom definitionen övergår till vuxensjukvården

- NHVe ska ansvara för att ta fram en medicinsk vårdplan i dialog med patienten och dess lokala vårdgivare

# Konsekvensanalys

Nedan följer sakkunniggruppens konsekvensanalys av sitt förslag till att koncentrera definierad vård.

Socialstyrelsens beslut föregås av en bred remiss och beredning för att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet. Beredningsgruppen (B1) utgår från sakkunniggruppernas underlag och remissvaren för att göra en övergripande analys av systemeffekterna, framför allt förmågan att bedriva akut sjukvård.

Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp (B2). Beredningsgruppen ska tillsammans representera följande perspektiv: länssjukvård, akut vård, universitetssjukhusvård och medicinsk fakultet. Systemkonsekvenser t.ex. påverkan på akutsjukvården, patienttransporter samt utbildning och forskning får beaktas vid en fördelning av tillståndet/tillstånden om det är för att säkerställa patientens bästa.

(\* obligatoriska)

## Patientperspektiv (vårdkvalitet, tillgänglighet, närhet etc.)\*

Inrättande av NHVe kan innebära fler resor och utökad vård längre från hemmet för patient och vårdnadshavare, dvs. för den patientgrupp som idag behandlas på sitt regionsjukhus/ lokala barnklinik. Genom att bibehålla de fyra inofficiella NHVe som redan etablerats minskar dock denna risk. I gengäld förväntas NHVe ge en högkvalitativ vård, med förbättrad utredning och behandling, vilket innebär snabbare diagnos, färre komplikationer och kortare tid till enteral autonomi, och därmed snabbare och säkrare återgång till hemmiljö. Ett gott och mer formaliserat samarbete mellan NHVe och lokal vårdgivare, t.ex. genom användande av digitala lösningar när det är möjligt, ger barn i Sverige med tarmsvikt, eller hotande sådan, en ökad kvalitet på vården med samtidigt ökad tillgänglighet till information.

## Påverkan på utbildning, kunskaps- och kompetensöverföring

Den övervägande delen av den högspecialiserade vården för tarmsvikt hos barn ges redan idag vid ett fåtal centra. Genom ett mer formaliserat samarbete mellan lokal vårdgivare och NHVe kommer kunskapsöverföringen att förbättras och förutsättningarna öka för engagerade och kunniga vårdgivare även lokalt. På sikt borde detta innebära ett tryggare lokalt omhändertagande, liksom att barn med potentiell tarmsvikt sannolikt tidigare uppmärksammas

för bedömning på NHVe. Kunskap som inte är högspecialiserad inom området borde snarare påverkas positivt eftersom basen för behandling och uppföljning/monitorering fortsatt utgår från hemkliniken.

Påverkan på forskning (t.ex. forskarutbildning, forskningsmeriterade medarbetare, kliniska prövningar)?

Med nationella enheter med multidisciplinär högspecialiserad vård runt tarmrehabilitering förbättras förutsättningarna för nationell forskning bland annat genom ett planerat nationellt register. Det innebär att kunskap samlas och att nya behandlingar kan utvärderas bättre genom samarbeten mellan NHVe i kliniska studier.

Påverkan på närliggande områden\*

Eftersom det rör sig om få patienter där den största delen av vården sker i hemmiljö eller lokalt så förväntas undanträngningseffekterna bli små på andra verksamheter som finns i anslutning till NHVe.

Eventuella konsekvenser för akutsjukvård för detta området i stort\*

Med detta förslag, med bibehållna fyra enheter, kommer akutsjukvården inte påverkas, vare sig vid NHVe eller regionalt.

Påverkan på vårdkedjan

En förutsättning är även fortsättningsvis nära samarbete mellan lokal vårdgivare och NHVe. Patienter ska även framöver vända sig till lokala vårdgivare i första hand, som vid behov kontaktar NHVe.

Om inte tillstånden avgränsas tydligt finns risk att lokala vårdgivare vänder sig till NHVe även för tillstånd som inte ska koncentreras vilket skulle innebära dåligt utnyttjande av resurser som finns på regionsjukhus och länsjukhus.

Verksamhetsperspektiv (konsekvenser av utökad/minskad verksamhet på vårdkvalitet, resursförbrukning, kostnader, kompetensförsörjning etc.)

En tydligare struktur kan ge ökade förutsättningar för resursplanering vid NHVe. En förutsättning för att vara ett NHVe för tarmrehabilitering hos barn är att det finns neonatal kirurgi vid enheten och en förutsättning för att vara ett center med neonatal kirurgi är att det finns kompetens för att behandla tarmsvikt hos barn som ofta uppstår sekundärt till neonatal kirurgi.

Eventuella konsekvenser för sjuktransporter\*

Bra organisation för sjuktransporter är redan idag nödvändigt för modern och säker barnsjukvård. Centralisering till NHVe ställer dock ytterligare krav på

tillgänglighet för att målen med förändringen ska nås. Det blir troligen viss ökning av planerade transporter, främst via landsväg. Behovet av flyg, helikopter borde inte öka i någon nämnvärd omfattning av detta förslag till NHVe. Transporterna kommer troligen delvis ske via vårdnadshavarens egen bil, från hemmet till NHVe.

### Förutsättningar att utöka aktuell verksamhet och framtidsplanering

Vi kommer eventuellt att se viss ökning av antalet patienter med tarmsvikt pga. att vården i alla led förbättras, dvs. att fler patienter överlever. Fyra enheter kommer att kunna hantera detta. Barn med misstanke om sjukdom som kan leda till kronisk tarmsvikt som hamnar fel idag kan med en ökad kunskapsspridning komma till rätt vårdnivå tidigare. Det är viktigt att de tilltänkta fyra NHVe har de resurser som krävs för att upprätthålla högspecialiserad vård, både i när- och fjärrtid.

### Övriga kommentarer

För barn med ovanliga diagnoser som leder fram till tarmsvikt, där sjukdomarna i sig liksom risken för komplikationer både på kort och lång sikt kan vara livshotande, är NHVe en förutsättning för att dels minska morbiditet och mortalitet och därmed lidande för patient och vårdnadshavare dels minska kostnaden på sikt för samhället.

# Uppföljning och utvärdering

Nedan följer sakkunniggruppens förslag till uppföljningsmått för årlig rapportering av den definierade vården. Uppföljningsmåttan genomarbetas och fastställs av Socialstyrelsen i dialog med framtida tillståndsinnehavare.

Tillståndsinnehavarna av nationell högspecialiserad vård ansvarar för inlämning av årsrapporter till Socialstyrelsen samt uppföljning av sina verksamheter (egenkontroller). Socialstyrelsen ansvarar för fördjupad utvärdering av tillstånden för nationell högspecialiserad vård.

Uppföljningsmått	Beskrivning
Bakgrundsmått – Antal patienter*	<p><b>Antal patienter, a) totalt, b) nyttillkomna under året, c) avslutade under året</b>            -med tarmsvikt med PN&gt;60d            -med tarmsvikt med PN 14-60 d            -med kort tarmsyndrom (även lista underliggande diagnoser)            -med medfödd enteropati (eller misstanke om)            -med PIPO (eller misstanke om)            -med aganglionos (eller misstanke om)</p> <p><i>Fråga: hur göra med neobarnen med övergående tarmsvikt</i></p> <p><b>Totalt antal bedömningar</b>  <i>Fråga: hur definiera vilka bedömningar som är relevanta</i></p> <p><b>Totalt antal behandlingar</b>  <i>Fråga: hur definiera vilka behandlingar som är relevanta</i></p> <p><b>Totalt antal remisser till NHVe</b>  <i>Fråga: hur definiera vilka remisser som är relevanta?</i></p>
Bakgrundsmått – Antal behandlingar	<p><b>Antal operationer/behandlingar vid NHVe</b>  <i>Fråga: hur definiera vilka behandlingar som är relevanta? Dessa som vi väljer måste sen kopplas till underliggande diagnos, t ex frekvens STEP-kirurgi vid SBS</i></p> <p>Ev även uppdelat på diagnos eller behandling om det finns behov            Ja det är nödvändigt för att det ska bli relevanta mått</p>
Bakgrundsmått - Vårdtid	<p><b>Vårdtid (i dygn) ineliggande patienter per patient (relaterat till diagnos)</b></p>

	Detta är fr a relevant för tarmsviktsbarn, hur lång vårdtid med PN på neo vid NHv respektive utlokaliserat på annat sjukhus.
Tillgänglighetsmått – tid till bedömning	<p><b>Tid (i dagar) från remiss till bedömning</b> Beror helt på sjukdomens svårighetsgrad, alltifrån akut omedelbart till låggradigt</p> <p>Datum för bedömning minus datum för remiss</p>
Tillgänglighetsmått – tid till behandling	<p><b>Tid (i dagar) från remiss (alt bedömning) till behandling/åtgärd</b> Beror helt på sjukdomens svårighetsgrad, alltifrån akut omedelbart till låggradigt</p> <p>Datum för behandling/åtgärd minus datum för remiss (alt bedömning)</p> <p>Alternativt: Andel patienter (i procent) som behandlats inom vårdgarantin (rekommenderad tid) - ej relevant mått, eller?</p>
Medicinska resultat (sökbar i journalsystem? t.ex. diagnosnummer, alt. kvalitetsregister) - Kräver Koordinator/Registrator	<p><b>Grad av nutritionell rehabilitering</b> mätt med tillväxt (positiv z-score, komplett catch up i längdtillväxt (subjektivt))</p> <p><b>Andel PN (%) av totala nutritionsbehovet</b> relaterat till diagnos -Förändring relaterat till patient och föregående år (positiv/negativt)</p> <p><b>Behandlingstid med PN</b> (relaterat till diagnos)</p> <p><b>Stomier</b> (tillförande/frånförande) relaterat till diagnos (ja (inklusive typ)/nej)</p> <p><b>GLP2-analog</b> (Teduglutid) - antal patienter, antal månader - relaterat till diagnos</p> <p><b>Transplantationsfrekvens</b></p> <p><b>Livskvalitet</b> (hur mäta?)</p> <p><b>Överlevnad</b></p>
Medicinska resultat (allt relaterat till antal patienter vid enheten respektive relaterat till diagnos) (sökbar i journalsystem? t.ex. diagnosnummer, alt. kvalitetsregister) - Kräver Koordinator/Registrator	<p><b>Komplikationer</b></p> <p><b>Tillväxthämning</b>, ja/nej/grad (Target height minus 1SD)/uppnådd födelsevikt/-längd i SD. efter 2 års ålder relaterat till föräldrars längd <b>Tecken till överbelastad tarm (antal dagar/PN-dagar):</b></p>

	<p>- Tarmsviktssymtom(diarréer/ökade flöden (&gt; 20 ml/kg/d, tarmdilatation (radiologisk), SIBO- Score?</p> <p><b>IFALD</b></p> <p>-Övergående kolestas (tidsaspekt?)utan behandling, med behandling)</p> <p>-Bestående kolestas (trots behandling)</p> <p>-Leversvikt</p> <p>-End-stage liver disease</p> <p><b>Trombos</b></p> <p>-Frekvens trombos i centrala kärl per år hos PN-patienter (&gt;60 d PN/14d- 60 d PN), antal dagar med aktiv trombosbehandling/år</p> <p>-Frekvens kärlrekonstruktionper år hos PN-patienter</p> <p><b>Kateterrelaterad sepsis</b></p> <p>-Frekvens sepsis hos PN-patienter</p> <p>Totalt antal dagar med antibiotika iv pga kateterrelaterad sepsis (odlingsverifierad/bedömd som sepsis )</p> <p>Byte av central infart/år pga. Komplikationer (sepsis/trombos, etc.)</p> <p>Nedsatt bentäthet/Osteopeni (mätt med rtg/DEXA) (tecken till rakit alt.&lt; 1 SD i förhållande till ålder??)</p> <p>Övriga komplikationer: Frekvens endokardit, stroke, lungemboli</p>
<p>*För patienter inom NHV följs demografisk data upp:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Ålder (om relevant: Ja relevant, även gestationsålder vid födseln)</li> <li>• Kön</li> <li>• Patientens hemregion (folkbokföringsadress)</li> </ul>	



## Referenser

Detta underlag är ett förslag på vilken vård som bör koncentreras till nationella enheter. Referenser som beskriver fördelar eller nackdelar med att koncentrera viss vård är relevanta att hänvisa till i underlaget. Referenser till forskningsstudier som beskriver patientgrupper, vårdformer, behandlingsmetoder och liknande är ej relevanta för frågeställningen. Däremot kan det vid behov vara lämpligt att hänvisa till eventuella nationella riktlinjer eller vårdprogram, i stället för att i detalj beskriva dessa i underlaget.

Sakkunniggruppen har inte genomfört någon strukturerad litteratursökning som undersöker frågeställningen om koncentration av viss vård inom området "Tarmrehabilitering". Deras bedömning utgår från internationell utblick, klinisk erfarenhet och kunskap om den svenska sjukvårdens struktur inom området.

## Deltagare i sakkunniggrupp

Samverkansregion Stockholm: Henrik Arnell, specialist inom pediatrik gastroenterologi

Samverkansregion Linköping: Annika Klänge Lind, specialist inom pediatrik gastroenterologi samt onkologi

Samverkansregion Umeå: Olof Sandström, specialist inom pediatrik gastroenterologi

Samverkansregion Lund/Malmö: Pia Karlsland Åkeson, specialist inom pediatrik gastroenterologi

Samverkansregion Göteborg: Nils Ekvall, specialist inom pediatrik gastroenterologi, Gustaf Herlenius specialist inom kirurgi (transplantation)

Samverkansregion Uppsala/Örebro: Niklas Nyström, specialist inom pediatrik gastroenterologi

Henrik Almlöf, Mag- och tarmföreningen för Stockholms län inom Mag- och tarmförbundet har fortlöpande under arbetets gång tagit del av sakkunniggruppens underlag, gett inspel och deltagit vid ett visst antal möten.

## Om nationell högspecialiserad vård

Den 1 juli 2018 genomfördes ändringar i hälso- och sjukvårdslagen (2017:30), HSL, som innebär en ny beslutsprocess för den nationella högspecialiserade vården. I 2 kap. 7 § HSL definieras nationell högspecialiserad vård som offentligt finansierad hälso- och sjukvård som behöver koncentreras till en eller flera enheter men inte till varje sjukvårdsregion för att kvaliteten, patientsäkerheten och kunskapsutvecklingen ska kunna upprätthållas och ett effektivt användande av hälso- och sjukvårdens resurser ska kunna uppnås.

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 (se 7 kap. 5 § HSL).

Syftet med att koncentrera den högspecialiserade vården nationellt är att det ska leda till ökad kvalitet och säkerhet för patienterna. En ökad samordning av specialiserade sjukvårdsinsatser bör även ge bättre förutsättningar för en jämlik vård i hela landet och ett mer effektivt resursutnyttjande.

För vården innebär denna nivåstrukturering en möjlighet att profilera sig inom olika områden och bygga upp olika specialistcentra. Ett större patientunderlag för en högspecialiserad verksamhet skapar nödvändiga förutsättningar för att bedriva hög-kvalitativ forskning, utbildning och rekrytera spetskompetens.

Socialstyrelsen samarbetar med regionernas system för kunskapsstyrning i hälso- och sjukvård och engagerar profession och patientrepresentanter i arbetet med att definiera vilken vård som ska anses vara av nationell karaktär.

Hänsyn ska tas till hela vårdkedjan. Riktlinjer, vårdprogram, vårdresultat och register-data ska beaktas i definition av vårdområden och framtagande av kunskapsunderlag för nationell högspecialiserad vård.

Arbetsprocessen för att nivåstrukturera vården på nationell nivå består av åtta steg:



Representanterna i nationella programområdet (NPO) förväntas ha särskilt god kunskap inom sitt vårdområde för att kunna ge underlag till steg 1 i arbetsprocessen. NPO ansvarar för uppgiften att ta fram förslag på vårdområden som ska genomlysas samt att ge förslag på personer till de sakkunniggrupper som i steg 2 tar fram underlag inför beslut om nationell högspecialiserad vård.

NPO ska inhämta kunskapsläget nationellt och internationellt och därefter föreslå områden som skulle kunna utgöra nationell högspecialiserad vård. För att stödja arbetet med att ta fram förslag på områden (t.ex. en diagnostisk metod, ett kirurgiskt ingrepp, en avancerad medicinsk behandling, en rehabiliterande insats) vid ett visst hälso- eller sjukdomstillstånd har Socialstyrelsen tagit fram kriterier som arbetet ska utgå ifrån.

Sakkunniggruppens huvuduppdrag är att beskriva den del i vårdkedjan som är aktuell för nationell högspecialiserad vård samt rekommendera hur många enheter denna vård bör bedrivas på. Sakkunniga ska ha ett nationellt perspektiv med patientens bästa som främsta målsättning.

Sakkunniggruppernas underlag skickas ut på en bred remiss. Socialstyrelsen sammanställer inkomna synpunkter och därefter kan sakkunniggruppen komplettera sitt underlag eller göra eventuella förtydliganden.

Sakkunniggruppens underlag och remissvar lämnas över till en beredningsgrupp vars uppdrag är att säkerställa att koncentration av den föreslagna vården inte ska ge stora negativa konsekvenser för hälso- och sjukvårdssystemet.

Efter beredning beslutar Socialstyrelsen vilken vård som ska nivåstruktureras samt antalet enheter i landet som får bedriva den tillståndspliktiga vården.

Nämnden för nationell högspecialiserad vård beslutar om vilken/vilka region/regioner som ska få bedriva definierad vård på nationell nivå. Inför nämndens beslut kommer Socialstyrelsen också att inhämta ett yttrande från en av regionerna utsedd beredningsgrupp.