

2012-06-07

Inläga till den nationella strategin för sällsynta sjukdomar

Stiftelsen Leading Health Care (LHC) presenterar här resultatet av ett uppdrag som utförts för Socialstyrelsen i samråd med den nyinrättade Nationella funktionen för sällsynta diagnoser. Åtgärder för personer som lider av sällsynta sjukdomar utgör på många sätt en utmaning för vårt samhälle. Det arbete som på nationell nivå inrymmer den nyetablerade nationella funktionen, utredningen om prissättning på läkemedel och en nationell strategi för sällsynta sjukdomar är därför ett naturligt fokus för LHCs arbete med organisering, styrning och ledning av vården och omsorgen.

Ofta finner vi oss arbeta med mellanrummen i det livsvetenskapliga fältet – mellan landsting och kommun, mellan vård och omsorg, mellan patient och professioner, mellan sjukdom och hälsa/optimal funktion efter vars och ens förutsättningar. Balansen mellan klok resurshushållning och maximalt värde för individer och familjer som lever med en sällsynt sjukdom är inte enkel. Inte heller är det ett område där det finns en enkel lösning som i ett slag tar hand om problematiken.

Vi pekar i detta pm ut ett antal problemområden som måste hanteras och där en nationell strategi kan ge vägledning. Ofta är det fråga om att göra avvägningar mellan olika var för sig goda ambitioner där man inte samtidigt kan realisera alla. Det rör sig om äkta dilemman vilka kräver en väl reflekterad balansering. Vår förhoppning är att sammanställningen kan bidra till bättre dialoger som bättre stödjer patientgrupper som avviker från våra traditionella mallar för vård och omsorg.

Bakgrund

I enlighet med en rekommendation från Europeiska unionens råd har Regeringen gett Socialstyrelsen i uppdrag att ta fram ett underlag för en nationell strategi för sällsynta sjukdomar. Socialstyrelsen bedriver detta arbete i samarbete med den Nationella

funktionen för sällsynta diagnoser. Underlaget till den nationella strategin skall lämnas till Socialdepartementet för behandling under hösten 2012.

Som ett led i utarbetandet av strategin har Leading Health Care haft i uppdrag att 1) genomföra en hearing med aktörer som i olika avseenden kommer att beröras av strategin, och 2) att sammanställa och analysera de diskussioner som förts under hearingen, i syfte att identifiera avvägningar och utmaningar som behöver hanteras i strategin.

Hearingen genomfördes den 3 april 2012 med ett 50-tal deltagare från kommuner och landsting, myndigheter, olika typer av vård- och omsorgsgivare, läkemedelsindustri och patientorganisationer inriktade mot sällsynta sjukdomar. Nedan belyses ett antal frågeområden och diskussionsteman som, utifrån vår tolkning av samtalen, framstår som angelägna att beakta i det fortsatta strategiarbetet.

Uppdraget har letts av Hans Winberg, generalsekreterare vid LHC. För sammanställningen av materialet har Jon Rognes och Anna Krohwinkel Karlsson (båda LHC) svarat.

Upplägg och genomförande av hearingen

Inför hearingen hade sju centrala insatsområden för en svensk strategi för sällsynta sjukdomar identifierats på förhand, närmare bestämt: planer och strategier inom området sällsynta sjukdomar; adekvata definitioner, kodning och inventering av sällsynta sjukdomar; forskning kring sällsynta sjukdomar; centres of expertise och europeiska referensnätverk för sällsynta sjukdomar; samla expertisen om sällsynta sjukdomar, patientorganisationers ”empowerment”, och hållbarhet.¹

Inför hearingen gick en e-postförfrågan ut till de medverkande om att beskriva vilket av de sju insatsområdena man ansåg som prioriterat, och vilka två frågor man främst ville lyfta fram till diskussionen vid den förestående hearingen.

Av svaren framgick att det finns en bred konsensus kring relevansen i att ta fram en nationell strategi inom området sällsynta sjukdomar. När det gäller vilka frågor som ska prioriteras inom ramen för en sådan strategi var åsikterna mera spridda – som väntat givet de skilda verksamhets- och intresseområden som representerades inom deltagargruppen. I många av svaren påpekades samtidigt att arbetet med de olika insatsområdena i praktiken är överlappande och/eller beroende av varandra. Ett systemövergripande utvecklingsarbete kring sällsynta diagnoser förutsätter alltså samarbete mellan ett flertal aktörer med sinsemellan olika agendor och drivkrafter.

¹ Områdesindelningen hade hämtats direkt från rådsrekommendationen. I arbetsutkast till den svenska strategin har sedermera en del justeringar skett, bland annat föreslås att ”hållbarhet” ska ses som ett aggregat av hur väl arbetet inom övriga insatsområden fungerar.

I relation till det styrinitiativ den nationella strategin utgör, kan det vara givande att analysera konstellationen av intressen i termer av dilemman. Dilemman kan ha sitt ursprung i konflikterande mål för olika aktörer, krockar mellan olika styrsignaler som aktörerna har att förhålla sig till, eller spänningar som uppstår på grund av kunskapsfördelningen mellan aktörerna. En viktig poäng är att detta är problem som inte enkelt kan redas ut och lösas - de kräver en balanserad hantering av dem som utformar styrningen.²

Frågor som behöver besvaras är till exempel hur arbetsdelningen ska se ut mellan aktörer på nationell, regional, lokal och individuell nivå, hur översättningen av kunskap bäst ska ske mellan dessa nivåer, vilken grad av standardisering som ska eftersträvas i organisationslösningarna, och vilka förutsättningar som behöver vara uppfyllda för att möjliggöra förbättringar utifrån patientperspektivet. När det gäller sällsynta sjukdomar är variationen i de verksamheter som berörs och bredden på de områden som man ska enas kring särskilda utmaningar som måste hanteras i strategiarbetet för att den samverkan som eftersträvas ska kunna uppnås.

Mot bakgrund av detta utformades hearingen utifrån syftet att synliggöra olika intressen som inte enkelt kan förenas i en lösning och som har relevans för formuleringen och genomförandet av den nationella strategin. Efter en kort inledning delades deltagarna in i 6 grupper om 5-8 personer, vilka gavs i uppgift att identifiera dilemman inom ramen för det egna arbetet respektive samarbetet med andra aktörer inom området. Avsikten var att skapa en bättre förståelse för vilka olika agendor som finns inom fältet sällsynta sjukdomar; något som i sin tur kan leda till bättre avvägningar kring hur uppgiftsfördelning och informationsutbyte ska se ut mellan olika berörda aktörer. Att redan på ett tidigt stadium bädda för en ömsesidig förståelse och kommunikation mellan involverade aktörer kring mål och prioriteringar kan givetvis också underlätta det faktiska samarbetet i senare steg.

Utgångspunkter för analysen

LHCs arbete vilar på en gedigen kunskapsgrund med bred förankring i den företagsekonomiska/organisationsteoretiska forskningen kring vård- och omsorgssystem.

En av våra utgångspunkter för detta uppdrag har varit att ta hänsyn till såväl själva strategiarbetet och dess utmaningar internt, som det kringliggande systemets inverkan på detta arbete. Den nationella strategin kan ses som ett centralt utformat styrinitiativ, vilket är beroende av kringliggande strukturer och konkurrerande styrsignaler i form av lagar och regler, ekonomiska incitament, medicinska föreskrifter, professionella

² Inom beslutsteori talar man om "ambiguity" och "uncertainty", alltså oklarhet/tvetydighet och osäkerhet. Osäkerhet kan reduceras med hjälp av mer kunskap, emedan genuin oklarhet kräver balansering.

normer med mera. En strategi som tar hänsyn till vilka krockar eller överlappningar som kan finnas med annan styrning som påverkar vården och omsorgen kring personer med sällsynta sjukdomar har större sannolikhet att få ett brett och hållbart genomslag i praktiken.

En annan utgångspunkt har varit att styrning, ledning och organisering av vårdverksamheter ytterst syftar till att rätt insats görs för rätt patient i rätt tid. Målet är att utredning, diagnosställning, behandling, bemötande och annat ska utföras på det i situationen bästa sättet. Detta kräver att olika resurser – kompetenser, teknik, budgetmedel och annat – koordineras och kopplas samman. Det största värdet för individen – och ytterst även för samhället – uppstår när vårdtagaren får rätt mix av resurser. Därmed är det önskvärt att även styrning och uppföljning utformas med hänsyn till vilka beroenden och synergier som finns mellan olika aktörer som på olika sätt bidrar tillhanteringen av sällsynta sjukdomar. Detta inkluderar i högsta grad även brukarna själva och deras företrädare.

Som framgår av ovanstående utgår LHC:s organisationsperspektivfrån en bred ansats där förståelse för den horisontella processen mellan de parter som behöver samordnas är ett viktigt komplement till den vertikala (hierarkiska) dimensionen i styrningen. Perspektivet går också utöver en strikt ekonomisk analys. I centrum för vår framställning står frågor kring hur utvecklings- och samverkansarbetet kring sällsynta diagnoser ska organiseras, finansieras och följas upp, men inom ramen för detta tangeras även medicinska och brukarrelaterade hänsyn. Vi dock valt att inte ge oss in i detaljfrågor kring exempelvis adekvata definitioner av patientgruppen eller kriterier för kvalitetssäkring av forskning och behandling. Vi har inte heller omdefinierat eller omprioriterat de centrala insatsområden som strategiarbetet utgår ifrån.

Utmaningar och avvägningar av vikt för strategiarbetet

Vi har valt att sortera in utmaningar och avvägningar av vikt för strategiarbetet under två övergripande rubriker:

1. Systemövergripande utmaningar. Generella karakteristika hos hälso- och sjukvårdssystemet som resulterar i särskilda problem för gruppen sällsynta diagnoser. Dessa utmaningar kommer sannolika att kvarstå oavsett inriktningen på strategin, men måste beaktas för att sätta strategin i sitt sammanhang.
2. Avvägningar inom ramen för strategin. Frågor kring organisering, kunskapsdelning, finansiering och uppföljning av och mellan kompetenscentra. Huvudsakligen ”interna” valfrågor, men i relation till detta diskuteras även annan styrning som kan försvåra genomförandet.

De resonemang som presenteras nedan har alla sin utgångspunkt i frågor som dryftats i samband med hearingen. Den öppna diskussionen kring de frågor vi valt att fokusera på har dock varit av varierande omfattning och djup. Presentationen inbegriper inte heller samtliga frågor som lyfts. Valet av tyngdpunkt och inriktning i analysen är därmed en spegling av LHC:s inriktning mot styrnings-, lednings- och organisationsfrågor.

Systemövergripande utmaningar

Patienter med ovanliga sjukdomar kan särskiljas just på grund av att de är få till antalet, sällsynta. Detta bör dock inte påverka deras grundläggande rättigheter till vård utifrån behov precis som alla andra. Det är också ett och samma hälso- och sjukvårdssystem som ska tillgodose att både vanliga och sällsynta tillstånd diagnostiseras och behandlas. Skattemedlen, de övergripande organisationsstrukturerna och de breda utvecklingstendenserna är gemensamma – samtidigt finns det ett antal karakteristika hos systemet som tenderar att skapa särskilda problem för de sällsynta patienterna³ och deras vårdgivare. Två framträdande teman är individualiseringsproblematiken respektive samverkansproblematiken.

Individualiseringsproblematiken

Dilemmat kring individualisering har att göra med spänningen mellan strävan mot å ena sidan skalfördelar och effektivitet i vården, å andra sidan mot en patientcentrerad och personlig vård. Idag finns krafter som driver i båda dessa riktningar. När det gäller den medicinska utvecklingen finns en tydlig trend mot allt mer specifika lösningar för allt mindre grupper av patienter.⁴ Dessutom har vårdtagarna själva mer kunskap och ställer högre krav på personligt bemötande. När det gäller individer med sällsynta sjukdomar inträder denna ”särbehandling” närmast per automatik, just på grund av tillståndens ovanlighet och att kunskapen om dessa är koncentrerad till ett fåtal specialiserade aktörer (som dock sällan är dem som patienterna möter i första ledet). Detta utmanar vår sjukvårdsstruktur i grunden.

Samtidigt som sällsyntheten i sig är starkt förknippad med en individualiserad vård, finns en ambition om en högre grad av standardisering av definitioner, kvalitetsregister och vårdprogram för sällsynta sjukdomar. Inom hälso- och

³ I texten använder vi ibland uttrycket ”sällsynta patienter” som en synonym till patienter med sällsynta sjukdomar. Detta förutsätter inte nödvändigtvis att symptomen och/eller behandlingsformerna är ”ovanliga”.

⁴ En konsekvens av förfinad diagnosättning är att allt fler tillstånd kommer att klassas som sällsynta. Oberoende av detta höjs röster om att den svenska definitionen av sällsynthet är alltför restriktiv jämfört med EU-normen. Sammantaget kan detta komma att innebära en betydande ökning av antalet individer som innefattas av strategin.

sjukvården generellt motiveras standardisering av arbetssätt och behandlingsmetoder ibland i besparingstermer, men lika ofta som argument för likabehandling mellan patienter. Om alla ska behandlas lika minskar dock möjligheterna till individuella hänsyn. En harmonisering av vårdpraktiken kan därmed ge mindre utrymme för ett patientanpassat omhändertagande.

Styrning enligt alltför specifika riktlinjer kan också innebära att helhetsperspektivet kommer i skymundan. Ett ofta förekommande problem i dagsläget är att patienter med sällsynta (men ännu odiagnostiserade) sjukdomar faller mellan stolarna, trots att primärvården följer gällande rutiner för utredning av enskilda symptom. Samtidigt som medicinska och andra riktlinjer utgör en möjlighet att samla och sprida kunskap om behandlingsalternativ, så finns det alltså en risk att patienter med komplexa behov och sammansatta sjukdomsbilder definieras bort genom styrningens utformning.

Vårdprogram för sällsynta sjukdomar utgör inget undantag i detta hänseende, snarare tvärtom eftersom det är tillstånd av mycket varierande art och karaktär som ”klumpas samman” enbart utifrån den minsta gemensamma nämnaren att de är sällsynta. För att vårdprogram ska vara ändamålsenliga krävs sannolikt någon form av undergruppering av sällsynta diagnoser som inte enbart utgår från prevalens utan baseras på grad och art av funktionsnedsättning/vårdbehov, typ av behandling eller liknande. En annan möjlighet är att gemensamma vårdprogram definieras på en mer övergripande nivå där fokus ligger på principer för att säkerställa bästa tillgänglighet och information för de sällsynta patienterna, snarare än på specifik medicinsk utredningsmetodik. Då frågor kring kontaktvägar och kunskapsutbyte blir centrala i ett sådant styrdokument borde ambitionen vara att det även tas fram i samverkan mellan såväl medicinska som icke-medicinska instanser.

Samverkansproblematiken

Föregående resonemang leder in på en andra central problematik för patienter med komplex behovsbild – den kring samverkan. För en person med ovanliga och/eller flera symptom och funktionsnedsättningar kan kontakterna med olika vårdgivare och andra samhällsinstanser vara svåra att överskåda, och insatserna är inte alltid koordinerade sinsemellan. Brister i bemötande och omhändertagande tenderar att aktualiseras när när patienten rör sig över vissa problematiska ”gränssnitt”, till exempel mellan verksamheter som drivs av olika huvudmän och/eller utförs av personal med olika typ av professionell expertis. Den stora och ökande mångfalden som teknisk utveckling såväl som valfrihetsreformer, konkurrensutsättning och så vidare ger nya möjligheter till patientinflytande, men utgör samtidigt en utmaning då de aktörer som ska fås att samverka blir fler och alltmer olika. För sällsynta patienter som fått sina diagnoser tidigt kan 18-årsdagen innebära en stor omställning, då avsaknaden av en aktör med helhetssyn ofta större inom vuxenvården än inom barnsjukvården.

Formellt fastställs vårdgivares skyldighet att samverka kring den enskilde i en rad lagar, överenskommelser och avtal.⁵ Graden av faktisk interaktion i det vardagliga vård- och omsorgsarbetet påverkas dock även av annan formell och informell styrning, bland annat professionella normer och ekonomiska incitament. Varje element kan hypotetiskt bidra till både sammanlänkning och splittring. Innovativa arbetssätt och teamorganisering har visat sig välfungerande för att skapa samverkan kring vissa diagnoser, men lösningarna är inte allmänt spridda. Den interorganisatoriska konsensus som finns kring nyttan med en nationell strategi för sällsynta sjukdomar och samverkan inom ramen för denna kan utgöra en stark enande kraft, samtidigt som upprätthållandet yrkes- och områdesspecifika revir verkar i motsatt riktning.

En särskild utmaning när det gäller ovanliga sjukdomar är att främja interaktion och samverkan mellan dem som besitter spetskompetens kring vissa diagnoser – t ex forskare och kliniska specialister – och de allmänna instanser som patienterna och deras anhöriga är beroende av för den kontinuerliga vården och omsorgen. Medicinska landvinningar – vare sig de är sprungna ur forskning eller praktik – är ofta ett resultat av en mycket snäv nichning. Detta gäller i synnerhet sällsynta tillstånd där patientunderlaget är litet. Därmed finns det också poänger med en upprätthållen och kanske till och med förstärkt specialisering kring ovanliga sjukdomar.

Ett problem uppstår i och med att denna specialisering inte sällan innefattar ett protektionistiskt element, som kan hämma benägenheten att spontant dela med sig av kunskap till utomstående aktörer. Tendensen till ett rivaliserande snarare än kooperativt förhållningssätt förstärks också av konkurrensen kring forskningsmedel och den ökande omfattningen konkurrensupphandlingar, inklusive de av rikssjukvård för vissa ovanliga behandlingar.

Detta komplicerar bilden och gör att strategins genomslag är beroende av någon form av framväxande konsensus inte bara kring nyttan och de övergripande målen med en nationell strategi för sällsynta sjukdomar, utan även kring hur systemet ska anpassas för att åstadkomma förbättringar för patientgruppen. Tilltro till att ”det löser sig i de bästa av världar” är en lovvärd men kanske något orealistisk utgångspunkt. En central utmaning för strategin och den nationella funktionen blir därmed att skapa strukturer som underlättar delning av kunskap och information mellan de aktörer som ska samverka kring de sällsynta patienterna – strukturer som samtidigt motverkar och/eller kan hantera tvister kring ansvar och resurser. Givet komplexiteten och

⁵ Exempelvis samverkansklausulerna i SoL och HSL, överenskommelser om samverkansrutiner i vissa specifika vårdsituationer, och samverkansuppdrag i utföraravtal för primärvården och socialtjänsten.

variationen i de verksamheter som ska styras samman, är det dock inte på förhand givet hur detta bäst kan åstadkommas. Nedan diskuteras några viktiga avvägningar i arbetet.

Avvägningar inom ramen för strategin

Organisationsstruktur och organisering

För att nå målet om en bättre vård utifrån sällsynta patienters behov framhålls ofta samlandet av expertis som en nyckelfaktor. I rådsrekommendationen nämns både centrumbildningar, internationella nätverk och IT-plattformar som potentiella (del)lösningar; den svenska diskussionen har framförallt koncentrerats kring vikten av att identifiera nationella och/eller regionala kompetenscentra (mer om den geografiska aspekten nedan). Den nybildade nationella funktionen för sällsynta diagnoser är också en del i den nya struktur som avses hantera de sällsynta sjukdomarna. Det framstår dock än så länge som ganska öppet hur det konkreta samarbetet mellan lokala vårdgivare, enskilda kompetenscentra och den nationella samordningsfunktionen ska organiseras.

En nyckelfaktor när man frågar sig vilken organisering som är lämplig, är vilka behov som ska tillgodoses av respektive aktör i systemet. Forskningsbaserad kunskapsutveckling i internationell samverkan, likvärdiga möjligheter till specialistvård över landet, stöd till primärvården och andra samhällsinstanser, och kunskapsdelning till och med patienter och deras företrädare är några sinsemellan ganska olika funktioner som alla framstår som nödvändiga att utveckla.

En inventering av vilka av ovan nämnda uppgifter som redan idag kan anses falla inom befintliga aktörers ansvarsområden skulle underlätta diskussionen kring hur kompetenscentra ska lokaliseras och bemannas. Det möjliggör att organisatoriskt utveckla det som finns och fungerar, som komplement till ett tänkbart bör-läge.⁶ Det finns dock inga på förhand givna definitioner eller kriterier för vad kompetenscentra ska göra, och givet att inga statliga resurser ännu dedikerats inom området så faller det inom det regionala självstyret att utse kompetenscentra och tilldela dem roller och resurser. Detta lämnar det i mångt och mycket öppet om centra kommer att ha forsknings- eller behandlingsfokus, vilka deras arbetssätt och samarbetsformer med vårdgrannar kommer att vara, osv. I vilken mån det handlar om att identifiera existerande expertkluster kontra att inrätta nya har hittills också lämnats

⁶ Här är det på sin plats med en utveckling om begreppen. Organisationsteorin kan bidra med väsentligt mycket mer kunskap än vilken struktur (läs: organigram) och budgetmodell som är lämplig. Att synliggöra olika aktörer (inbegripet patienten och dennes sociala nät), vilka resurser och kompetenser de har och hur dessa kan kombineras är sådana exempel. Detta är en grund för att förstå regelverk, ansvarsfördelning, kommunikationsmönster och konstellationer för samverkan.

öppet. I vissa fall blir utfallet troligen beroende av profilen och intresset hos de individer som i nuläget besitter den medicinska expertkompetensen kring enskilda sjukdomar.

En intressant avvägning är om kompetenscentra primärt ska vara specialist- eller patientcentrerade, det vill säga om deras huvuduppgift ska vara att organisera smidiga vårdvägar för (vissa undergrupper av) sällsynta patienter, eller om det blir en organisering som syftar till att effektivisera produktionen av forskning alternativt behandling i vissa delar av vårdkedjan. I EU-rådsrekommendationen anges att det ”i princip och om möjligt är det expertisen som ska förflytta sig, inte patienterna”. Ett bakomliggande antagande är att IT i högre grad kan användas för att förflytta kunskapen till patienterna. I samband med detta poängteras också patientorganisationernas och patienternas egna perspektiv som en viktig och nödvändig resurs.

Inom de svenska diskussionerna har det hitintills lagt större vikt vid att samlokaliseraspecialisterna själva, förslagsvis vid universitetssjukhusen. Ett argument för att samla medicinsk sakkunskap i lokala kluster är att det kan minska personberoendet och ge en bättre hållbarhet över tid. Samtidigt uppmärksammas potentiella tillgänglighetsproblem, då den nationella patientrörligheten av strukturella och individuella orsaker inte är total. Speciellt för glesbygdslandstingen kan avvägningen mellan nationell specialisering och lokal tillgänglighet framstå som svår.

En övergripande reflektion på organiseringstemat är att system som får växa fram utifrån lokala prioriteringar och befintliga strukturer kan få bredare acceptans från start, speciellt hos redan starka och etablerade aktörer. Detta kan underlätta genomförandet, men å andra sidan finns risken att de faktiska förändringarna blir mindre än med en mer systemövergripande ansats. I synnerhet framstår det som svårt att säkra att ett tvärvetenskapligt och sektorsövergripande förhållningssätt ska växa fram spontant.

Kunskapsproduktion och -delning

En annan central fråga är vad det är som ska delas mellan de aktörer som berörs av strategin, och hur denna delning ska främjas. Som beskrivits ovan är de rådande incitamentsstrukturerna för samverkan inte entydiga. En del av dilemmat har att göra med hur kunskap kring sällsynta sjukdomar tas fram, och vilken typ av kunskap som anses relevant att utveckla och sprida. Forskningsbaserad specialistkunskap och klinisk sakkunskap är otvetydigt viktiga beståndsdelar för att säkerställa en adekvat och modern vård, men en alltför ensidig fokusering på det medicinska kompetensområdet medför samtidigt en risk är att kunskapsdelningen blir endimensionell och/eller enkelriktad.

Läkarkåren är en mycket specialiserad professionsgrupp som av hävd och nödvändighet har en mycket stark position inom vården. Detta medför att

utvecklingsarbete oftare sker vid avgränsade enheter än på tvären över funktionsgränserna. Detta gäller inom specialistvården, mellan specialistvården och andra vårdområden, och i högsta grad mellan vården och andra verksamheter som exempelvis socialtjänsten. För att kunskaperna ska kunna spridas brett krävs att strukturerna för innovation kompletteras med mekanismer som särskilt riktar in sig på att underlätta kunskapsdelning till icke-specialister.

Om medicinsk expertkunskap ska bli användbar exempelvis primärvårdens och patienternas perspektiv krävs ofta någon form av anpassning av kunskapen till målgruppen. Att göra denna översättning och popularisering utan att sakinhållet förvanskas kräver i sin tur en specifik typ av kompetens. Ett förslag som uppkommit är att inrätta någon typ av central rådgivning (lämpligtvis inom ramen för den nationella funktionen) som vårdgivare och/eller patienter kan vända sig till framför allt vid oklar diagnostisering. Givet de mycket olika typer av tillstånd som en sådan funktion skulle ha att hantera så är det rimligt att tänka sig att råden får karaktären av ”beslutsstöd” på övergripande nivå, snarare än specifika behandlingsriktlinjer.

Givet att rekommendationerna ska ha bäring även på andra vårdområden än specialistvården, och kanske till och med på områden utanför vården, så verkar det också rimligt att kunskapsbasen för styrningen breddas utöver det rent medicinska. Att ta ambitionen om helhetssyn utifrån patientperspektivet på allvar innebär att den medicinska kunskapen enbart är en av de kompetenser som ska koordineras. Det framstår därmed som nödvändigt att produktion av vårdprogram sker i samråd mellan de olika typer av aktörer som berörs av strategin. I idealfallet borde detta även medföra ett flervägsutbyte av kunskap mellan vården, omsorgen och de berörda myndigheterna. Måhända finns bättre förutsättningar för perspektivsammanmältning om det övergripande ansvaret för utformning av programmen läggs utanför de allra mest specialiserade instanserna. I samband med detta uppkommer även frågan hur om delning av andra typer av resurser utöver information och sakkunskap ska hanteras inom ramen för den nya strukturen för sällsynta diagnoser.

Finansiering

En utmaning med den nationella strategin i sin nuvarande utformning är att den förväntas att stimulera nya utvecklings- och samverkansinitiativ, men utan att utlova tillskott av finansiella resurser. Finansiella lösningar som spänner över

I detta hänseende utgör den nya myndighetsstruktur för kunskapsstyrning som nyligen har föreslagits både en möjlighet och en risk. Möjligheten består i en mer integrerad och helhetsinriktad styrning när framtagandet av vetenskapliga underlag, behandlingsriktlinjer och nationella prioriteringsbeslut samlas inom ramen för en om samma organisation. Samtidigt blir konfliktande åsikter och utgångspunkter i dessa frågor interna, med vidhängande risk att dilemman och intressekonflikter inte i tillräcklig mån synliggörs och diskuteras.

huvudmannagränser (inom såväl som mellan regioner) blir därmed en central aspekt i diskussionen.

Delad finansiering av kompetenscentra mellan landsting är en möjlighet som antagligen skulle lösa en del av problematiken kring regional samverkan och likvärdighet (idag bestämmer varje landsting nivån och inriktningen). Att innefatta sårbarhetsmedel i överenskommelsen inom SKL om solidarisk finansiering är ett annat förslag som motiveras på liknande grunder.

I fråga om kompetenscentra är tidsbegränsade stimulansmedel (till exempel inom ramen för en särskild statlig satsning) en möjlig finansieringsform som skulle kunna användas för att "få fart på" verksamheterna. En väsentlig risk är dock att de insatser som initieras blir kortsiktiga och dåligt integrerade i de ordinarie verksamheterna. Kompetenscentra och den nationella funktionen är dessutom bara en liten del av det system som ska tillgodose de sällsynta patienternas behov. Framgent bör man därför också utreda möjligheten till att påverka ersättningsmodellerna för vården och omsorgen i stort. Sådana förändringar skulle kunna leda till bättre kvalitet för patienterna utan att nödvändigtvis medföra kostnadsökningar.

I dagsläget ges ersättning till vård- och omsorgsgivare till övervägande del utifrån organisationsspecifika uppdrag och prestationer. Detta får flera negativa konsekvenser just i relation till sällsynta patienters vård. Dels kan det finnas direkta snedvridande incitament som nedprioriterar gruppen och komplicerar processen för den enskilde. Om primärvården ersätts per besökstillfälle kan det till exempel upplevas som svårt att hinna med en mer tidskrävande helhetsbedömning av patientens sammantagna symptombild. Dels skapar dagens ekonomistyrning på olika sätt verksamhetsmässiga revir som främjar enhetsvis resursoptimering på bekostnad av samverkan mellan vårdgrannar. Obenägenhet att remittera patienter vidare och/eller dela patientinformation är exempel på konsekvenser. Sist men inte minst kan en alltför snäv och detaljerad ekonomistyrning minska utrymmet för de vårdprofessionellas autonomi och flexibilitet, vilket i förlängningen försämrar förutsättningarna för situationsbaserat och patientorienterat arbetssätt.

En förhoppning som har uttryckts är att annorlunda utformade ersättningssystem skulle kunna avhjälpa många av de brister som finns i vården och omsorgen om patienter med komplexa behov. Det gäller kanske i synnerhet samverkansproblematiken, men även möjligheterna till individanpassning. För att åstadkomma verklig integrering (snarare än koordinering av fortsatt separata verksamheter) krävs sannolikt justering av ekonomiska incitament och befogenheter som berör flera vårdgivare samtidigt. En möjlighet är att ge ersättning gemensamt till flera utförare, utifrån vårdepisoder snarare än per enskild insats. Möjligheterna är störst för de diagnoser där sammanhållna vårdkedjor kan identifieras. Koncentrerat kostnadsansvar hos en aktör som för patientens räkning får köpa in relevant vård och omsorg är ett annat alternativ som skulle kunna utredas vidare, till exempel i kombination med frågan om ett nationellt kundvalssystem för sällsynta sjukdomar.

Uppföljning

En sista punkt rör hur förändrad uppföljning kan stödja de mål som eftersträvas inom ramen för den nationella strategin. När det gäller förbättring av vården för sällsynta patienter sätts stort hopp till utvecklingen av nationella kvalitetsregister.

Kvalitetsregister är utan tvivel en viktig komponent i att följa upp och jämföra specifika utfall per diagnos och mellan vårdgivare, och kan även fungera som datakälla för forskningen. Kvalitetsregister stödjer dock inte per automatik den nödvändiga och eftersträvade samordningen mellan aktörer. För att samverkan ska främjas behöver uppföljning av resultat på systemnivå utvecklas som komplement till den verksamhetsspecifika uppföljningen. Exempelvis kan mått på total livskvalitet och mått på funktionsförmåga vara exempel på sådana generella komplement.

Också vid sidan av kvalitetsregistren är det önskvärt att satsa på utveckling av metoder för gemensam och/eller överlappande uppföljning av olika kvalitetsdimensioner, från övergripande hälso- och sjuktal till livskvalitet och patientupplevd nytta. Sådan uppföljning skulle stödja ett helhetsperspektiv som tar hänsyn till hur samspelet ser ut mellan olika delar av insatsportföljen för sällsynta patienter.

Avslutande reflektioner

Ovanstående framställning av utmaningar och avvägningar inbegriper diskussioner som går längre än vad som sannolikt kommer att rymmas inom ramen för den första nationella strategin för sällsynta sjukdomar. Det är varken praktiskt rimligt eller principiellt önskvärt att alla förslag som kommit upp på banan skyndsamt ska implementeras på bred front – i synnerhet inte inom ramen för ett centralt utformat styrningsinitiativ.

Viktigt är dock att de öppna diskussioner som nu initierats fortsätter att föras på många olika nivåer. En viktig utgångspunkt för förändringar är att överläggningar på lokal nivå initieras kring specifika förutsättningar och prioriteringar. I detta inkluderas även att sätta olika kvalitetsdimensioner (medicinska resultat, kostnadseffektivitet, patientsäkerhet, kontinuitet osv.) i relation till varandra. Detta kräver i sin tur att kunskapsbasen för styrningen breddas, från det strikt medicinska till en helhetssyn med utgångspunkt i varje individs unika situation.

En ambition med denna inlägg har varit att lyfta diskussionerna från att fastna i detaljer kring definitioner och indikatorer. I samband med detta lyfter vi fram några utvecklingsmöjligheter som utmanar vedertagna modeller för vårdens och omsorgens styrning, inklusive systemen för kunskapsproduktion och finansiering. På sikt tror vi att systemövergripande förändringar är nödvändiga för att få till en styrning som fungerar bättre kring de sällsynta patienterna. En nationell strategi som tar hänsyn till ofrånkomliga – men hanterbara – dilemmakan bli ett gott första steg på vägen.

Sammanfattning av avvägningar som måste göras

- Individualisering vs standardisering av vård
- Professions- vs patientcentrerad organisation och insatsplanering
- Centralt styrd vs lokalt framväxande struktur
- Specialisering/arbetsdelning vs samverkan mellan vårdenheter/regioner
- Koncentrerad spetskunskap vs allmän kännedom
- Poolade resurser vs fragmenterad finansiering

Om LHC

Stiftelsen Leading Health Care (LHC) är en akademisk tankesmedja för fördjupad dialog om framtidens hälso- och sjukvård. LHC ska främja forskning och kunskapsutveckling som är relevant för organisering, styrning och ledning inom hälso- och sjukvårdsområdet samt sprida information om detta.

Tillsammans med våra partners och vårt akademiska nätverk genomför vi seminarier, forskningsprojekt och workshops om utmaningar och nya vägar för hälso- och sjukvården. Genom ett öppet och generöst samtalsklimat och genom att sprida forskningsbaserad kunskap bidrar vi med idéer om hur hälso- och sjukvårdssystemen kan utvecklas på både policy- och verksamhetsnivå.

Det yttersta uppdraget för LHC är att bidra till att patienterna får en bättre vård och omsorg.