



Holbergsgade 6  
DK-1057 København K

T +45 7226 9000  
F +45 7226 9001  
M sum@sum.dk  
W sum.dk

Dato: 06-08-2020  
Enhed: SPOLD  
Sagsbeh.: DEPSEL  
Sagsnr.: 2009255  
Dok. nr.: 1293411

## Folketingets Sundheds- og Ældreudvalg

Folketingets Sundheds- og Ældreudvalg har den 26. juni 2020 stillet følgende spørgsmål nr. 1417 (Alm. del) til sundheds- og ældreministeren, som hermed besvares. Spørgsmålet er stillet efter ønske fra Liselott Blixt (DF).

Spørgsmål nr. 1417:

”Hvad er ministerens holdning til, at patienter med fremskreden diagnose Lebers kan risikere at blive blinde, mens de venter på, at Sundhedsstyrelsen beslutter, hvor behandlingen skal ske, hvilket til dato har varet to måneder?”

Svar:

Til brug for min besvarelse af spørgsmålet har ministeriet anmodet om bidrag fra Sundhedsstyrelsen, som oplyser følgende:

”Sundhedsstyrelsen har, i henhold til sundhedsloven, til opgave at fastsætte specialfunktioner i sygehusvæsenet og deres placeringer på sygehuse. Dette sker gennem de af Sundhedsstyrelsen udmeldte specialevejledninger for hvert enkelt speciale, der tilsammen udgør den samlede specialeplan. Ifølge sundhedslovens § 208 fastsætter Sundhedsstyrelsen krav til specialfunktioner (i loven benævnt lands- og landsdelsfunktioner) på regionale og private sygehuse og godkender placeringen af specialfunktioner på sygehusene. Sundhedsstyrelsen har således den lovgivningsmæssige kompetence til at oprette og nedlægge specialfunktioner, samt til at tildele og fratage godkendelser af varetagelsen af specialfunktioner. Dette kaldes specialeplanlægning.

Formålet med specialeplanlægningen er at sikre høj faglig kvalitet i behandlingen og helhed i patientforløbene under hensyn til en effektiv ressourceudnyttelse. Et grundlæggende udgangspunkt for specialeplanlægningen er, at ’øvelse gør mester’ ud fra en erkendelse af sammenhængen mellem sundhedsfaglig erfaring, kvalitet og volumen på både individ-, enheds- og sygehusniveau. Et andet afgørende udgangspunkt er, at borgerne sikres ensartet behandling af høj kvalitet i hele landet. I det omfang hensyn til høj faglig kvalitet og til nærhed er indbyrdes modstridende, vægtes hensynet til den faglige kvalitet højest.

Medicinerådet har den 27. april 2020, godkendt lægemidlet Luxturna som mulig standardbehandling til patienter med arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi. Som følge heraf har Sundhedsstyrelsen modtaget en anmodning fra Region Hovedstaden om etablering af højt specialiseret funktion i oftalmologi vedrørende generterapi for arvelig blindhed.

Sundhedsstyrelsen kan oplyse, at en patient med RPE65-relateret nethindedystrofi typisk vil få en af de kliniske diagnoser: Lebers kongenitte amaurose eller retinitis pigmentosa. Dette er meget sjældne og komplekse tilstande, der i dag udredes og følges på Århus Universitetshospital og Rigshospitalet, Glostrup. Behandling af Lebers kongenitte amaurose og retinitis pigmentosa omfatter et meget lille volumen af patienter.

ter. Derudover er det en ny og kompleks behandling, der kræver betydelige ressourcer i form af kirurgiske kompetencer og udstyr til selve indgrebet og specifik oplæring af plejepersonalet i at håndtere genmodificerende materiale.

På baggrund af sjældenheden og kompleksiteten af behandlingen er det relevant at Sundhedsstyrelsen vurderer behandling med Luxturna. Sundhedsstyrelsens vurdering er, at behandling med Luxturna skal reguleres gennem specialevejledningen for oftalmologi i højt specialiseret funktion 19:

- "Kirurgi for medfødt grå stær hos børn under 6 år (40 procedurer), nethinde- og glaslegemekirurgi hos børn under 16 år (16 procedurer), kirurgi for medfødt grøn stær (10 procedurer) samt kirurgi på patienter med sjældne sygdomme. Varetages i tæt samarbejde med pædiatri og Center for sjældne sygdomme".

Rigshospitalet, Glostrup og Aarhus Universitetshospital er godkendt til at varetage behandlinger, der hører under denne funktion. Rigshospitalet, Glostrup har i forvejen opbygget erfaring med de specifikke behandlingsteknikker, der er relevante for behandling med Luxturna fra dyreeksperimentelle studier. Rigshospitalet, Glostrup godkendes til fuld varetagelse af behandlingen, og Århus Universitetshospital godkendes til at varetage udredning og opfølgning af patienterne. Regionerne er underrettet via mail om, at placeringen effektueres 6. juli 2020. Ændringen i specialevejledningen for oftalmologi effektueres 6. juli 2020.

Sundhedsstyrelsen kan oplyse, at der som vanlig praksis er indhentet rådgivning undervejs fra fageksperter og fra det Rådgivende Udvalg for Specialeplanlægning, som Sundhedsstyrelsen er forpligtet til i henhold til sundhedsloven.

Grunden til at der er gået to måneder fra behandlingen blev godkendt i Medicinrådet er, at vi i Sundhedsstyrelsen har indhentet faglig rådgivning og været i en proces med faglig afklaring af funktionen, ligesom vi i henhold til sundhedsloven er forpligtet til at høre det Rådgivende Udvalg for Specialeplanlægning i sådanne sager. Dertil har vi været optaget af opgaver relateret til COVID-19.

Sundhedsstyrelsen kan oplyse, at godkendelser og formuleringer i specialevejledningen kan revurderes efter noget tid i forhold til at følge den faglige udvikling på området og ændringer i patientvolumen."

Jeg kan henholde mig til Sundhedsstyrelsens oplysninger.

Med venlig hilsen

Magnus Heunicke / Sofie Elsborg Larsen