



SUNDHEDSSTYRELSEN

27-04-2021

Sagsnr. 04-0400-489

## Visioner for indsatsen for børn og unge med kræft i Danmark

### *Vision*

Behandlingen af børn med kræft i Danmark er på et højt internationalt niveau, som et resultat af mange års arbejde med forskning og udvikling i et tæt samspil med det daglige kliniske arbejde. Selv om Danmark ligger på højt niveau i international sammenligning er der stadig potentiale for at udvikle området yderligere.

Det danske sundhedsvæsen giver gode forudsætninger for, at Danmark kan være spydspids på en række områder, hvor der fortsat er dårlig overlevelse.

Visionen for behandling af børn med kræft skal være, at vi i Danmark om 10 – 15 år:

- kan tilbyde udredning, behandling, pleje, rehabilitering og palliation som giver resultater i form af overlevelse, funktionsniveau og livskvalitet på allerhøjeste niveau, og på et niveau der kan måle sig med de allerbedste udenlandske centre
- kan tilbyde dette så tæt på hjemmet som muligt, uden at gå på kompromis med kvaliteten på baggrund af et helhedssyn på patientens og familiens psykosociale behov
- kan tilbyde lige adgang til den bedste behandling og ekspertise
- har forbedret overlevelsen for alle sygdomsområder og nedbragt forekomsten af komplikationer og senfølger
- er centralt placeret i internationale faglige miljøer
- har placeret Danmark som et naturligt valg, når der nedsættes internationale arbejdsgrupper, for at sikre adgang til den bedste og nyeste viden.

### *Udfordringer*

Den faglige udvikling på området de næste 10 – 15 år forventes at gå i retning af endnu større kompleksitet i diagnostik og behandling. Der udvikles nye behandlingsteknikker og ny medicin, som retter sig mod stadig mindre patientgrupper eller som er individuelt tilpasset den enkelte patient. Et eksempel herpå er behandling med CAR-T, hvor det er patientens egne celler, som modificeres og anvendes i behandlingen.

De nye behandlinger giver mulighed for mere 'personlig medicin', med præcisionsdiagnostik, individualiseret behandling og skræddersyede forløb til den enkelte patient, som giver perspektiver om forbedrede resultater i form af øget overlevelse og færre senfølger. Nye avancerede behandlinger, som er individuelt tilpassede, stiller nye krav til det organisatoriske og faglige setup i børneonkologien og i de samarbejdende specialer. Den samlede overlevelse efter kræftsygdom for børn og unge er steget, og antallet af dødsfald er lille, men 15% af børn og

unge med kræft dør i dag. Langt de fleste af disse dør af deres sygdom inden for de første 5 år. Ca. 20 % af dødsfaldene skyldes toksicitet, og for patienter med ALL er det 50 % af dødsfaldene, som kan forklares ved toksicitet til behandlingen.

Med nye lægemidler og behandlingsteknikker kommer nye bivirkninger og komplikationer, hvilket understreger behovet for højt specialiserede kompetencer med specialviden om de enkelte sygdomsgrupper.

Det er helt afgørende for forbedring af behandlingsresultatet, at vi i Danmark kan tilbyde alle børn og unge med kræft at blive inkluderet i internationale behandlingsprotokoller, så der er adgang til de seneste forskningsresultater og den højeste ekspertise på det pågældende sygdomsområde. Deltagelse i protokoller giver adgang til international faglig gennemgang (review) af diagnostiske undersøgelser, som kan give barnet stor sikkerhed for præcis diagnose og korrekt behandlingsplan. Langt hovedparten af børn og unge med kræft i Danmark inkluderes i protokoller, når der er mulighed for det. Dog er der for nogle sygdomsgrupper internationale protokoller, som ikke åbnes i Danmark, og for andre sygdomsgrupper findes der ikke protokoller. Det vil have stor betydning, at alle børn, der har mulighed for det, tilbydes deltagelse i en behandlingsprotokol.

For de deltagende børneonkologiske centre kan varetagelse af, og deltagelse i, behandlingsprotokoller medføre en stor administrativ byrde og et stort resursetræk. Samtidig kræver deltagelse i samarbejde om internationale protokoller, at der er stærke og robuste rammer for forskning, samt aktiv deltagelse i internationale faglige netværk med omfattende mødeaktivitet og internationalt samarbejde.

Udviklingen med stigende subspecialisering og individualiseret behandling betyder, at forskningen i tiltagende grad skal være tæt integreret med det kliniske arbejde, både for at sikre patienternes deltagelse i protokoller, at der sker en hurtig implementering af forskningsresultater i behandlingen, samt at de kliniske erfaringer kan smitte af på forskningen.

Fastholdelse og forbedring af behandlingsresultaterne i de kommende år forudsætter en målrettet indsats og øget samarbejde mellem de behandlende centre, så man understøtter håndteringen af den øgede kompleksitet og den stigende subspecialisering i faget, fastholder og udbygger forskning og internationalt samarbejde og giver enheder med de nødvendige kompetencer i et 10 – 15 årigt perspektiv, og med robusthed til at sikre faglig udvikling, forskning og uddannelse af fremtidens specialister.

Behandlingsforløbet er en stor belastning for patienten, forældre og søskende med negative konsekvenser for familiens trivsel og barnets skolegang og sociale trivsel. Forskningen viser, at sociale vilkår som indkomst, uddannelse og antal søskende har betydning for behandlingsresultatet. Forskning viser desuden, at behandlingsforløbet belaster familiens funktion i form af praktiske og logistiske udfordringer, herunder økonomiske belastninger, ændret familiedyamik samt ændrede relationer til skole, arbejdsplads og sociale netværk. Studier har vist, at optimal støtte fra sundhedsprofessionelle, kontinuitet i forløbet og kontakt med det samme personale igennem forløbet nedsætter den psykiske belastning hos forældrene.

Det er vigtigt, at organiseringen giver adgang til den bedste behandling uanset bopæl og ressourcer. På et højt specialiseret område med få patienter som kræft hos børn vil der være situationer, hvor hensynet til at yde den højeste kvalitet kommer før hensyn til nærhed. Her skal

organiseringen understøtte familierne i at mestre de langvarige og vanskelige behandlingsforløb med mindst mulige konsekvenser for patienter, forældre og søskende.

Målet skal være at familierne så vidt muligt kan fastholde deres normale liv i forhold til arbejde, skolegang og sociale relationer. Organiseringen skal finde en balance mellem adgang til den højeste ekspertise og hensynet til familiernes hverdag. Virtuelle konsultationer, behandling i hjemmet og tæt samarbejde mellem centrene kan være nogle af virkemidlerne til at opnå dette.

Udredning og behandling for hovedparten af sygdomsgrupperne består af en indledende fase på 1 – 3 måneder, hvor barnet er indlagt meget af tiden. Der er høj kompleksitet, mange samarbejdsflader til andre specialer og høj behandlingsintensitet med stor risiko for komplikationer. Korrekt diagnostik og stratificering har stor betydning for det endelige resultat, og der er brug for ekspertkompetencer i forhold til de enkelte sygdomsgrupper for at sikre dette. Dertil er det afgørende, at der er kompetencer til stede i forhold til sygdoms- og behandlingsrelaterede komplikationer og den korrekte håndtering af disse.

Den indledende fase efterfølges af en længerevarende fase, som for den største sygdomsgruppe ALL typisk er på 12 – 24 måneder, hvor behandlingsregimet er fastlagt og der er en mere stabil behandlingsintensitet med færre indlæggelsesdage og færre planlagte kontakter med sygehuset. Der er dog ofte behov for kontakt til sygehuset og evt. besøg/indlæggelse i forbindelse med episoder med feber eller spørgsmål omkring administration af medicin mv.

Patienter med svigt af den primære behandling på grund af resistens, progression eller recidiv af sygdommen udgør en gruppe med særlige udfordringer. Prognosen for denne patientgruppe er markant dårligere end for primær sygdom, idet omkring halvdelen af patienterne dør, for nogle undergrupper er mortaliteten endnu højere. Der er tale om 40 - 50 patienter årligt i Danmark. For de fleste undergrupper er der i gennemsnit mindre end én patient om året. Sygdomsbilledet for patientgruppen er heterogent betinget af lokalisation, tidspunkt for recidiv, mutation af tumor, resistens for tidligere anvendt terapi.

I modsætning til ved primær sygdom foreligger der i de fleste tilfælde ikke en anbefalet behandling til disse patienter, og selv når der foreligger en anbefalet behandling, er resultaterne for disse patienter fortsat langt dårligere end for patienter med primær sygdom. Derfor tilbydes et stigende antal patienter eksperimentel behandling i regi af den nationale fase 1/2 enhed.

### *Målsætninger*

Grundlaget for behandlingen udgøres af internationale behandlingsprotokoller, der samtidig sikrer tilgang til den nyeste viden om effekt og bivirkninger, adgang til international sparring om komplekse patientforløb og en vurdering af eksempelvis skanningsbilleder ved internationale multidisciplinære teamkonferencer. Organiseringen af børneonkologien skal understøtte, at alle børn, der har mulighed for det, tilbydes at blive inkluderet i en behandlingsprotokol. Børn, som ikke kan inkluderes i en protokol, skal sikres højest mulig kvalitet i udredning og behandling, og adgang til den højeste ekspertise i forhold til behandlingen af deres sygdom.

Børn og unge med resistens eller recidiv kan være en gruppe, som der fremadrettet skal være særligt fokus på. Således bør patientforløb med resistens eller recidiv, som ikke kan inkludere

res i en protokol, drøftes ved national MDT konference mhp. at sikre, at patienter fra hele landet tilbydes den bedst mulige behandling, det være sig eksperimentel behandling i fase 1/2 regi i Danmark eller i udlandet, rådføring med internationale eksperter, off-label behandling baseret på detaljeret karakteristik af patienterne og international ekspertise, under hensyntagen til både faglig ekspertise og nærhed.

Forskning er en forudsætning for at få adgang til deltagelse i internationale behandlingsprotokoller og adgang til international ekspertise, samt en forudsætning for at blive centralt placeret i internationale arbejdsgrupper og i det internationale forskningsmiljø. Organiseringen af børneonkologien skal understøtte et stærkt og samarbejdende forskningsmiljø og et tæt samspil mellem forskning og klinik, som fundament for Danmarks deltagelse i det internationale samarbejde og forbedring af resultaterne i de kommende 10 – 15 år.

Sygeplejen på de børneonkologiske centre er i dag på højt specialiseret niveau, og er central i forhold til den daglige håndtering af patienterne i den indledende høj-intensive fase, i monitoreringen og plejen, og i håndteringen af livskrisen familierne befinder sig i, men også i det lange forløb, hvor det har stor betydning ift. blandt andet at imødekomme den sociale ulighed i behandlingsresultaterne. Dertil vil udviklingen med øget kompleksitet i behandlingen og nye muligheder for fx hjemmebehandling i dele af behandlingsforløbet, stille yderligere krav til sygeplejen i fremtiden. Der er grundlag for en systematisk styrkelse af det sygeplejefaglige samarbejde mellem de børneonkologiske centre.

De ofte betydelige psykosociale belastninger hos barnet og familien betyder, at der i de børneonkologiske centre skal være faglig ekspertise, herunder psykologer og socialrådgivere, som kan støtte familierne gennem tidlig information om de psykosociale implikationer af behandlingsforløbet, rådgivning og psykosociale indsatser. Centrene skal sikre, at der kan ydes undervisning til barnet/den unge under indlæggelse der varer mere end 8 dage, og at dette sker i samarbejde med egen skole. Centrene skal desuden sikre, at der er ansat pædagogisk ekspertise til at yde pædagogisk støtte til de indlagte børn. Der bør desuden være fysiske rammer, som understøtter familiernes mulighed for familieliv under indlæggelse. Den psykosociale støtte er et udviklingsområde, og der skal være et fagligt samarbejde mellem afdelingerne om udviklingen af ensartede psykosociale tilbud. Eksempler er indsatser for at bevare barnets tilknytning til skole og kammerater, og tilbud der tilgodeser unge kræftpatienters særlige behov.

Der er allerede i dag et tæt samarbejde mellem de børneonkologiske centre i Danmark både i form af formaliserede aftaler og i det daglige arbejde. For at styrke samarbejdet yderligere, kan der være brug for at anvende andre elementer som fx systematisk brug af MDT konferencer, etablering af udefunktioner, fælles uddannelsesforløb, udveksling af personale og fælles vejledninger, herunder både lægefaglige og sygeplejefaglige.

Fremadrettet bør de faglige rammer for behandlingen af børn og unge med kræft i Danmark have fokus på rekruttering og fastholdelse af tværfaglige specialistkompetencer på alle matrikler, der varetager børn og unge med kræft.

*Model for styrket nationalt samarbejde om børneonkologi*

For at fasholde og sikre en endnu højere kvalitet fremadrettet, og for at tilpasse organiseringen til den udvikling, der ses inden for børneonkologien, med tiltagende kompleksitet og diversitet, er der behov for at se på nye modeller for organisering, med fokus på yderligere styrkelse af ekspertise og samarbejde, samt fokus på at sikre robusthed i de faglige miljøer.

Udgangspunkter for modellen er den eksisterende struktur med fire højt specialiserede børneonkologiske centre, hvoraf to varetager udvalgte funktioner i et formaliseret samarbejde med et af de to andre centre. Modellen vil styrke samarbejdet på tværs af landet, så der kan tilbydes behandling i hele forløbet så tæt på hjemmet som muligt for en del af patienterne, herunder den største sygdomsgruppe (ALL). For de sygdomsgrupper, hvor der i dag er aftalt samling af jf. de formaliserede samarbejdsaftaler skal Sundhedsstyrelsens specialevejledninger opdateres, så dette afspejles. Hertil videreføres de konkrete aftaler om varetagelse af patientforløb med særlige karakteristika, indgået som led i det formaliserede samarbejde mellem centrene, som ikke fremgår af specialevejledningerne.

Det tværgående samarbejde styrkes yderligere, f.eks. med faste rammer for nationale MDT-konferencer på de enkelte sygdomsområder. Rammerne for afvikling af MDT-konferencerne kan aftales med fast deltagerkreds fra alle centre, der varetager behandling af det pågældende sygdomsområde, for at sikre stabile samarbejdsrelationer, lokal forankring af arbejds gange og udveksling af viden. Der bør være repræsentation af relevante samarbejdende specialer (fx patologi, radiologi, kirurgi, nuklearmedicin mv). Rammerne for sådanne nationale MDT-konferencer kan med fordel beskrives i præcise arbejds gange, herunder forhold vedrørende henvisning til konferencen, hvilke undersøgelser, der bør foreligge, præsentation og gennemgang af patienter på konferencen samt den tekniske opsætning og faglige ledelse af konferencerne. Beskrivelsen bør desuden indeholde rammer for ad hoc MDT konferencer ved akut behov herfor.

Fremadrettet bør der sikres mere systematik og fastere rammer for gennemførelse af faglig audit på f.eks. dødsfald under behandlingsforløb for børn og unge med kræft i Danmark med henblik på læring og kvalitetsudvikling. Der bør drøftes rammer for audits således at dette sker i et samarbejde mellem centre, og med deltagelse af en eller flere børneonkologer fra andre centre, som ikke har deltaget i patientens behandlingsforløb.

De nuværende senfølgeklinikker bør danne grundlag for et samarbejde om identifikation og behandling af senfølger, herunder nye former for bivirkninger og senfølger i relation til f.eks. immunterapi.

Tilbuddet til patienter med svigt af den primære behandling på grund af resistens, progression eller recidiv skal styrkes, samtidig som kompetenceopbygning og forskningsdeltagelse understøttes. Alle patienter med recidiv, progression eller resistens som ikke kan indgå i protokollet tilbagefaldsbehandling eller i bridge behandling til SCT/Car-T, gennemgås på den nationale MDT med inddragelse af den nationale Fase 1/2 enhed.

Gennemgangen skal sikre, at patienterne får adgang til den seneste internationale viden og tilbud om deltagelse i eksperimentel behandling i internationale forsøg, samt at forældrene informeres om muligheden for dialog med Fase 1/2 enheden om eventuelle yderligere behandlingstilbud. Samtidig sikres øget kvalitet i behandlingen og lighed i sundhed ved, at alle tilbydes samme rådgivning og behandlingsmuligheder. Der bør dog også tages højde for, at familiernes behov for at være hjemme så meget som muligt bliver imødekommet.

Når der, efter den primære diagnostik/kirurgi, i samråd med patienten/familien i form af en samtale (evt virtuel) med Fase 1/2 enheden, er valgt behandling for den enkelte patient med resistens eller recidiv, gennemføres fornyet konference med den regionale børneonkologiske afdeling eller nationale MDT-konference for at tilrettelægge det bedst mulige behandlingsforløb for den enkelte patient og familie, herunder ambulant og/eller regional behandling.

Protokoldeltagelse for alle børn, som kan inkluderes i en åben protokol, styrkes gennem den nationale kliniske forskningsenhed (KFE), som samarbejder med de kliniske afdelinger om tilmelding til protokoller og de administrative opgaver og krav, som er en forudsætning for deltagelse i protokollerne. KFE bør sikres gennem en fast bevilling, så den nuværende fonds-baserede finansiering kan afvikles. Der udarbejdes fælles tværregionale retningslinjer for kontraktindgåelse, anmeldelse til myndigheder og opfyldelse af krav til datarapportering mv. for at fremme en hurtig og smidig proces for protokolansøgning. Se bilag 1 for et konkret forslag til koordineret sagsbehandling og godkendelse af behandlingsprotokoller

Som led i en styrkelse af samarbejdet etableres et Nationalt Forum for Børnekræft (NFB) som et overordnet forum for samarbejde om den faglige og organisatoriske udvikling på børnekræftområdet i Danmark.

Sundhedsstyrelsen varetager sekretariat og formandskab for NFB, der får deltagelse af en børneonkolog og en ledelsesrepræsentant fra hver af de fire børneonkologiske centre samt en repræsentant fra DAPHO, DBCR, DPS og sygeplejen (DAPHOS, se nedenfor). NFB mødes med fast kadence 3-4 gange årligt. Fokus er at sikre national koordinering ift. at styrke det kliniske og forskningsmæssigt samarbejde på tværs af de fire centre, herunder at sikre gode rammer for samarbejde om patientforløb, visitation, nationale MDT'er, varetagelse af specialfunktioner, løbende justeringer af specialevejledninger, rammer for special- og ekspertuddannelser, rammer for protokoller og internationalt samarbejde, det psykosociale område mv.

En af de centrale opgaver for NFB vil være løbende at understøtte en videreudvikling af den kliniske børneonkologiske forskning, således at Danmark fortsat kan være på højeste internationale niveau om 10-15 år. NFB og Sundhedsstyrelsen skal i den forbindelse have særligt fokus på nationale tiltag, der kan fremme denne udvikling, herunder lettelse af administrative og juridiske byrder, tilførsel af ressourcer m.v.

NFB er således en national overbygning, der ikke skal erstatte det allerede veletablerede faglige samarbejde om kliniske retningslinjer, forskning og kvalitet m.v. i regi af DAPHO m.v. Opgaverne for NFB, herunder afgrænsningen i forhold til DAPHO, beskrives i et kommissorium.

Den højt specialiserede sygepleje styrkes gennem et nationalt samarbejde, Dansk Pædiatrisk Hæmatologisk Onkologisk Sygepleje (DAPHOS) som oprettes under DAPHO, med deltagelse af alle fire centre. I regi heraf udarbejdes fælles kliniske vejledninger samt en fælles beskrivelse af den højt specialiserede sygepleje på de fire centre, herunder standarder for overlevering af patienter mellem centrene og etablering af ensartede tilbud med fokus på tidlig rehabilitering. Der kan etableres en efteruddannelse i sygepleje til børn og unge med kræft, hvilket vil understøtte fastholdelse af erfarne sygeplejersker på centrene og sikre kompetencer til forskning og udvikling af sygeplejen. Ligeledes kan der med fordel etableres uddannelse i evidensbaseret kommunikation specifikt til børn og familier nationalt. Endvidere vil det være

hensigtsmæssigt med studiebesøg med henblik på erfaringsudveksling samt optimering af patientforløb der går på tværs. Der etableres forsknings- og udviklingsaktiviteter på alle fire centre med afsæt i det nationale samarbejde i DAPHOS og Danmark deltager i nordiske forskningsprojekter i Nordic Society of Pediatric Haematology and Oncology Nurses.