

Corso di formazione sul campo
a cura dell'Osservatorio Nazionale SIFO
PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE

Roma, 3 Giugno 2015

Tavola rotonda:

Rete Nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare: dove siamo, possiamo fare di meglio

Mariangela Rossi
Sezione Assistenza Farmaceutica e Integrativa
Regione Umbria
mrossi@regione.umbria.it

D.M. 18 maggio 2001, n. 279

Istituisce la Rete Nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare. La Rete è costituita da presidi accreditati, appositamente individuati dalle Regioni.

I presidi inclusi nella Rete operano secondo protocolli clinici concordati con i Centri interregionali di riferimento e collaborano con i servizi territoriali e i medici di famiglia ai fini dell'individuazione e della gestione del trattamento.

La prescrizione delle prestazioni erogabili in esenzione dalla partecipazione al costo è effettuata secondo criteri di efficacia e di appropriatezza rispetto alle condizioni cliniche individuali, con riferimento ai protocolli, ove esistenti, definiti dai centri di riferimento e in collaborazione con i presidi della Rete.

Le principali criticità riscontrate in questi anni....

1. Difficoltà e incertezze nell'individuare le strutture per la presa in carico quando diverse dai Presidi accreditati.
2. Apparente contraddizione: il D.M. 279/2001 riconosce quale specifica tutela alle persone affette da MR il diritto ad ottenere a carico del SSN qualsiasi prestazione diagnostica o terapeutica appropriata per il loro trattamento, limitandola, nel contempo, alle prestazioni incluse nei LEA.
3. In considerazione della complessità di diagnosi e trattamento delle MR la norma non definisce puntualmente le prestazioni erogabili in esenzione per le malattie rare, aggiuntive rispetto a quelle già analiticamente indicate per le altre patologie. L'ambito di applicazione del D.M. 279/2001 non riguarda l'assistenza farmaceutica né integrativa e protesica che sono regolamentate da norme specifiche anche per gli esenti.

4. Eccessiva onerosità dei trattamenti dei nuovi farmaci orfani e biologici in commercio per le malattie rare e loro impatto nei tetti di spesa sulla farmaceutica.
5. L'elenco di farmaci off-label o acquistati all'estero, concordato tra AIFA e Regioni, in attuazione della legge 326/2003, art. 48, c. 19, che costituiva un elenco di riferimento e garantiva una certa uniformità di trattamento a livello nazionale, non è più stato aggiornato dal 2010 e il rimborso della spesa sostenuta dalle Regioni non è più stato erogato.
6. Conseguenza: disparità di trattamento a livello regionale sia per il rispetto dei tetti di spesa che per l'esclusione dai LEA di alcune prestazioni che riguardano anche molti farmaci, (esteri, off-label, classe C).

Il Piano Nazionale Malattie Rare (PNMR)

1. Definisce in maniera più puntuale l'articolazione della Rete delle malattie rare per garantire l'effettiva presa in carico delle persone con MR:

“I Presidi della rete sono collegati, in modo diversificato in base alle differenti organizzazioni sanitarie regionali, ai servizi ospedalieri e territoriali più prossimi ai luoghi di residenza dei malati. (...) I Presidi compresi nella rete operano secondo protocolli clinici concordati e collaborano con i servizi territoriali e i medici di famiglia per la presa in carico e la gestione del trattamento.”

Il Piano Nazionale Malattie Rare (PNMR)

2. *“In base alla diagnosi di malattia e al profilo dei bisogni assistenziali, il Presidio accreditato formulerà il Piano assistenziale individuale che può comprendere in regime di gratuità tutte le prestazioni incluse nei LEA nazionali o nei livelli eventualmente garantiti in ambito regionale (farmaci, dietetici, presidi, ausili, protesi, trattamenti riabilitativi, interventi chirurgici programmati ecc...”.*

3. *“Le prestazioni indicate nel piano e comprese nei LEA, nazionali o regionali, dovranno essere garantite dalla ASL di residenza del paziente ed erogate o direttamente dai suoi servizi o dalla rete regionale o interregionale....”*

Permangono le criticità e le disparità per l'assistenza farmaceutica ... Quali possibili soluzioni ?

In una recente audizione presso la Commissione Affari Sociali della Camera dei Deputati, nell'ambito di un'indagine conoscitiva sulle malattie rare, le Regioni hanno presentato un documento approvato dalla Conferenza delle Regioni, in cui, per la farmaceutica, sono state indicate le seguenti azioni:

1. Costituire un apposito elenco della legge 648/96 per le malattie rare;
2. Consentire di reinvestire per le malattie rare una parte della spesa risparmiata rispetto all'annualità precedente con azioni di appropriatezza prescrittiva nell'ambito dei Centri per le malattie rare;

3. Emendare la normativa vigente consentendo di importare dall'estero farmaci in commercio per un'indicazione diversa da quella per cui sono in commercio;
4. Immettere in una lista a parte i nuovi farmaci orfani e biologici messi in commercio, al di fuori dei tetti per la farmaceutica attuali, finanziando almeno parzialmente il loro costo.