

# Le malattie rare: esperienze a confronto

Genova, 15 dicembre 2016



## **Il punto di vista dei pazienti: bisogni e aspettative**

**Nicola Spinelli Casacchia**

**Presidente UNIAMO FIMR Onlus**

**[presidente@uniamo.org](mailto:presidente@uniamo.org)**

... se fosse un vocabolario ?

**B** = Bisogno

Il Bisogno ci ha fatti nascere come  
**Movimento dei pazienti**

**B** = Bisogno

Conoscersi

Essere conosciuti

Essere riconosciuti

Essere tutelati

Essere responsabilizzati

**P** = PNMR 2013-2016

Raccomandazioni del Consilium UE  
del 2009

**Approvato in Italia nel 2014**

# P = PDTA

Definizione di PDTA dal *Rapporto Finale Europlan 2012-215*

Sono uno strumento di gestione clinica usato per definire il migliore processo assistenziale finalizzato a rispondere a specifici bisogni di salute, sulla base di raccomandazioni riconosciute (linee guida) adattate al contesto locale.

Scopo dei PDTA è di favorire l'integrazione fra gli operatori, ridurre la variabilità clinica, contribuire a diffondere la medicina basata sulle evidenze, utilizzare in modo congruo le risorse e permettere di valutare le prestazioni erogate mediante indicatori.

# P = Presidio della Rete malattie rare. Centri di Competenza

I Centri di Competenza sono unità funzionali, costituiti da una o più unità organizzative/operative, dove si gestisce il percorso diagnostico per giungere il più precocemente possibile all'individuazione della patologia e dove si definisce il percorso socio-sanitario globale individuale della persona con malattia rara. Tali Centri devono garantire competenze specialistiche multidisciplinari diagnostiche, terapeutiche e assistenziali, finalizzate al mantenimento delle funzioni e dell'autonomia, alla qualità della vita, alla dignità della persona e all'inserimento nei diversi contesti familiari e sociali. Devono quindi necessariamente avere un ampio bacino d'utenza e sviluppare ricerca clinica. I Centri di Competenza devono mantenere i legami tra le azioni poste in atto dai diversi attori coinvolti nell'assistenza comprese le reti ospedaliere e quelle territoriali per l'assistenza primaria e riabilitativa, mantenere la storia clinica e l'evoluzione sanitaria del malato anche nel passaggio tra età pediatrica ed età adulta

**R** = Regioni

La dinamica e l'assetto  
Stato-Regioni

Lo Stato deve garantire l'omogeneità e  
l'uguaglianza dei servizi per i pazienti.

Ha gli strumenti per garantire ciò, ma  
non li usa



**R** = Regolamento  
UE 536/2014

Publicato nel 2014

**Moratoria fino al 2018**

**Obbligatorio dal 2019**

**R** = Registri

Per quali scopi?

Dato globale del paziente

**G** = Galenica

Galeno Help. L'aiuto del farmacista  
per i malati rari

# M = Modelli organizzativi



**L = LEA**

Schema di dPCM Nuovi LEA in  
esame in Parlamento

**110 nuove entità inserite in elenco  
malattie rare, DM 279/2001**

**L** = LEA

Aggiornare i Lea con particolare  
attenzione ai bisogni assistenziali  
dei malati rari

Dal PNMR 2013-2016

**F** = Formazione

Di tutti gli attori del sistema

Empowerment personale,  
organizzativo, di comunità

**A** = Alleanze

UNIAMO è parte di

**EURORDIS**

**Rare Diseases International**

**Rare diseases Italy**



**A** = Aspettative

Una grande **Conversazione con**  
**e per** i Malati Rari che coinvolga  
tutti!

# A = Aspettative

Costruire una strategia europea **unica globale integrata a lungo termine** rispondente ai **bisogni delle persone affette da patologie rare** in tutto il mondo capace di mettere a sistema la **complessità degli interventi**

**UNIAMO**

FEDERAZIONE ITALIANA  
MALATTIE RARE

ONLUS

**Rare Diseases Italy**

[www.uniamo.org](http://www.uniamo.org)  
[www.malafirari.it](http://www.malafirari.it)  
[www.uniamolavoce.org](http://www.uniamolavoce.org)