

Le malattie rare: esperienze a confronto

Genova, 15 dicembre 2016



La Rete Regionale Ligure Malattie Rare

**Maja Di Rocco
UOSD Malattie Rare
Dipartimento di Scienze Pediatriche
Generali e Specialistiche
IRCCS Giannina Gaslini
Genova**



Outline

Quale reti ?

Cosa abbiamo pescato?

Che cosa ci proponiamo di pescare?



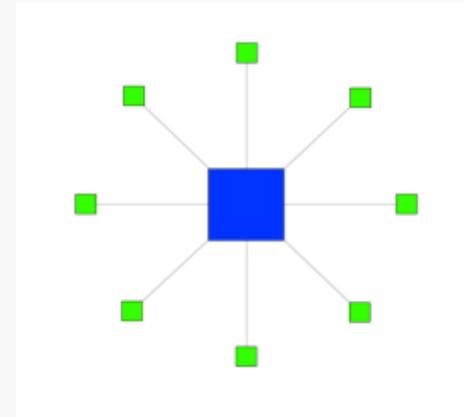
Piani Sanitari Regione Liguria

2006/2008 2008/2010

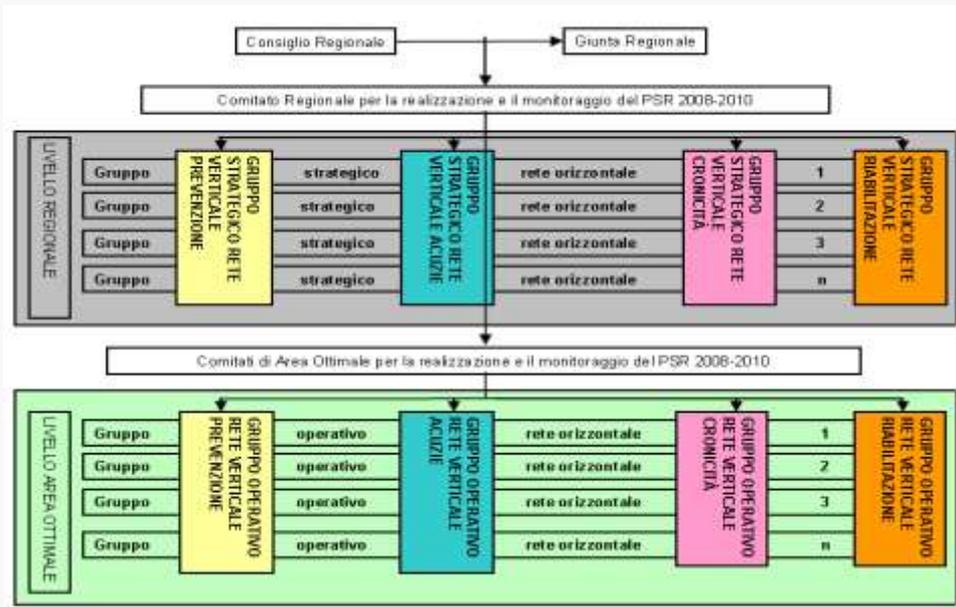
- La concertazione
- La pressione tecnico-scientifica
- La pressione-sostenibilità economica
- Forte Ruolo di coordinamento regionale delle aziende
- L'organizzazione a rete della sanità
- Reti verticali-reti orizzontali

Reti orizzontali

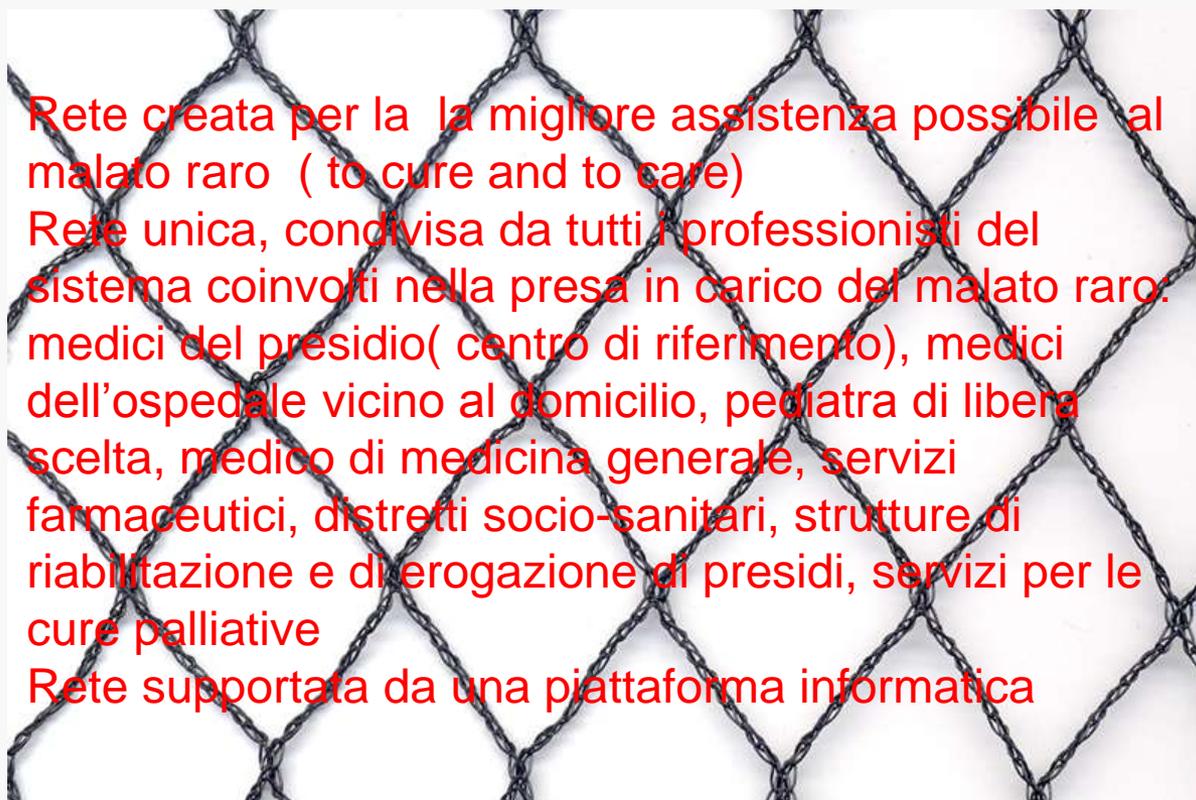
- processualizzazione dei percorsi diagnostico terapeutici
- realizzazione dei corretti flussi informativi fra nodi delle reti
- scambio e condivisione costante delle informazioni fra nodi nell'ordine definito dal percorso diagnostico terapeutico
- matrice delle responsabilità per la corretta presa in carico
- traduzione informatica dei punti precedenti



Come si struttura il rapporto tra le reti: gruppi strategici e gruppi operativi, reti orizzontali e reti verticali



L'obiettivo della prima rete assistenziale malattie rare della Liguria



Rete assistenziale malattie rare: peculiarità

- 6000 malattie appartenenti a tutti i gruppi nosologici
- Impossibilità di EBM per gran parte delle malattie rare
- Consensus su percorsi diagnostici e terapeutici in rapida evoluzione
- Costi degli orphan drugs
- Necessità di formazione del personale medico e non medico che opera nelle strutture territoriali , dei medici di MG e dei pediatri di libera scelta
- Interazione con le Associazioni di pazienti



Rete Nazionale delle malattie Rare (DM 279/2001)

- **Il DM 279/2001 definisce la rete per:**
 - la prevenzione
 - la sorveglianza
 - la diagnosi e la terapia
- **Istituisce il registro nazionale presso ISS, implementato dai registri regionali**
- **Decreta l'esenzione dalla partecipazione al costo per le malattie rare**
- **Delega alle regioni l'identificazione dei presidi e l'organizzazione della rete di assistenza regionale**

Registro regionale ligure delle malattie rare

- **DGR n. 321 del 28 marzo 2008 :
formalizzazione dell' adesione al
Registro Malattie Rare della
Regione Veneto per attivare una
collaborazione interregionale
(Area Vasta)**

Registro della Liguria e Registro dell'Area Vasta

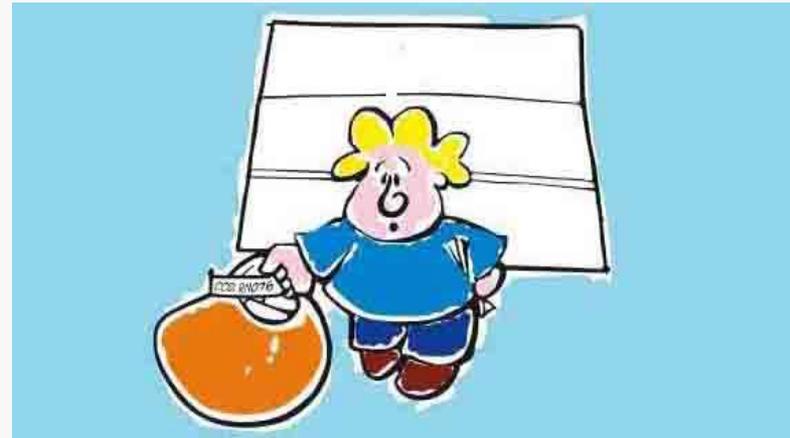
- **Nel 2008 si decise di mettere i presidi in rete solo per quanto riguarda la certificazione informatica di malattia rara**
- **Il sistema informatico a tutt'oggi non collega i presidi con le altre strutture ospedaliere delle ASL liguri, i servizi farmaceutici, i distretti socio-sanitari, i pediatri di libera scelta**

Identificazione dei presidi: dall'autoreferenzialità ai criteri oggettivi (SDO)

- **DGR n.1413 del 22 novembre 2002 aveva accreditato i presidi sulla base dell'autoreferenzialità**
- **DGR n. 1519 del 21 novembre 2008 "revisione dei presidi e centri di riferimento della rete regionale per la prevenzione, sorveglianza, diagnosi e terapia delle malattie rare" accredita i presidi sulla base delle SDO**
- **Sono presidi accreditati le aziende; le aziende identificano nel loro ambito le strutture che si prendono cura dei pazienti in funzione del gruppo di malattie rare**

Gruppo di consultazione malattie rare Liguria

- Istituito nel 2008
- Costituito da Rappresentati Regionali di differenti Associazioni di soggetti con malattie rare e familiari di soggetti affetti.
- «Con mandato consultivo e propositivo a supporto dell'attività regionale in tema di malattie rare, che è esercitato a titolo gratuito»



Sportello malattie rare

- **Inaugurato il 9 novembre 2009 presso l'IRCCS
Giannina Gaslini**
- **Nato per sollecitazione del gruppo di consultazione
regionale**
- **Offre consulenza telefonica a pazienti e famiglie con
recente diagnosi di malattia rara sui diritti esigibili in
base alla 279/2001 e su altri eventuali diritti
(invalidità , assegni d'accompagnamento, legge 104
etc)**
- **Offre supporto nell'interazione con i presidi
accreditati e le strutture socio-sanitarie del
territorio sia a pazienti o famiglie che chiedono
secondo parere su malattia rara già diagnosticata sia
a pazienti e famiglie a cui è stata prospettata
l'ipotesi di una malattia rara da diagnosticare sia a
associazioni di pazienti sia a medici delle cure
primarie**



Piano strategico 2009-2011

- **Reti orizzontali, reti verticali , reti di sistema**
- **Rete malattie rare: coordinamento accentrato a funzionario dell'ARS**
- **Obiettivo della rete malattie rare per il biennio: piani diagnostico-terapeutici**

Piano socio-sanitario integrato 2013-2015

Varie integrazioni e revisioni dei presidi/ recepimento del piano nazionale per le malattie rare e teleconsulenza

- DRG 1503 7 dicembre 2012 (integra presidi)
- DRG 391 21 /03/2015 (domanda all'ARS la revisione dei presidi)
- DRG 401 06/05/2016 (revisione dei presidi)
- DRG 664 08/05/2015 (recepimento piano nazionale malattie rare e accordo stato-regioni sulla teleconsulenza al fine di potenziare il funzionamento delle reti regionali per malati rari)

**Quale rete Malattie Rare
/quale coordinamento
regionale in questo
momento?**

Problemi aperti (1)

- **Partecipazione al coordinamento regionale della rete da rappresentanti delle singole ASL che siano anche referenti malattie rare per l'ASL**
- **I nodi della rete**

Problemi aperti (2)

- **Implementazione del sistema informativo nell'ambito del Registro Malattie Rare**
- **Accessibilità di questo sistema a tutti gli operatori e a tutti i servizi socio-sanitari coinvolti nella presa in carico della persona con malattia rara**

Problemi aperti (3)

- **Identificazione di farmaci , dispositivi medici erogabili con onere a carico del servizio sanitario regionale a soggetti affetti da malattie rare per governare la spesa farmaceutica delle malattie rare**
- **Delibera di giunta per integrazione LEA(integrazione per protocollo e integrazione per esigenze indispensabili)**
- **Piani terapeutici in rete**

Il governo della spesa di farmaci e dispositivi medici per le malattie rare è una questione di:

- **Equità**



- **Sostenibilità del sistema**



Ad ogni soggetto con malattia rara niente di meno di quello a cui ha diritto

Terapie domiciliari

- **Documento della conferenza stato regioni sul diritto alla somministrazione a domicilio di farmaci ad alto costo per persone con malattia rara. Le Regioni possono decidere di attivare il servizio con le proprie risorse, oppure possono appoggiarsi ai programmi domiciliari finanziati dalle case farmaceutiche, purché rispettino gli standard che il documento sancisce (2014)**
- **Necessità di una posizione ufficiale del coordinamento regionale Ligure**

Problemi aperti (4)

- **Offrire un servizio di sportello più rapido e puntuale (per esempio integrando le modalità abituali di accesso telefonico attraverso un accesso on-line con un medico in grado di dare una risposta non mediata)**

Problemi aperti (5)

- **Incentivare la certificazione di malattia rara**
- **Dare pubblica rendicontazione annualmente delle certificazioni e delle attività del registro**

Alone we are rare.



Together we are

STRONG.TM

Grazie per l'attenzione !