

Definizione di un modello di presa in carico del paziente portatore di malattie emorragiche congenite finalizzato alla prevenzione e riduzione dell' impatto socio-sanitario della malattia e delle sue complicanze

*ISS 11 luglio 2013*

**IL PIANO NAZIONALE MALATTIE RARE**



*Ministero della Salute*

# II PNMR

Un provvedimento di cornice, organico e coerente con le strategie già in atto nel Paese, in grado di dare unitarietà alle azioni

Nasce dalla Raccomandazione europea 2009/C 151/02

serve a delineare meglio le strategie

Riprende contenuti già posti all'attenzione del MdS da diversi portatori di interesse

assume criticità e valori espressi da Conferenza finale EUROPLAN



*Ministero della Salute*

# Il contesto normativo

---

- **Regolamento del Parlamento europeo e del Consiglio concernente i medicinali orfani n. 141/2000**
- **decreto legislativo n. 124/1998 → dm n. 279/2001**
- **Legge costituzionale n. 3/2001**
- Accordi in Conferenza tra Stato e Regioni
  - 2002 su istituzione tavolo interregionale con MdS e ISS
  - 2007 criteri per individuare le strutture per malattie ultra rare
  - 2013 (Accordo di marzo su MEC)



# Il contesto

---

Conformemente ai principi **che reggono il SSN**

universalità, equità e solidarietà

Servizi e prestazioni per le MR sono “Livelli Essenziali di Assistenza” (LEA) che il SSN assicura attraverso i SSR finanziati con le risorse ordinariamente assegnate al SSN e ripartiti annualmente tra le Regioni

- secondo efficacia, qualità ed appropriatezza
- nel rispetto di standard quantitativi e qualitativi dei servizi e delle prestazioni
- secondo adeguate modalità di erogazione



# I contenuti

---

Richiamo alle norme europee e nazionali

- Livelli essenziali di assistenza
- Organizzazione
  - Rete nazionale delle MR
  - Registro Nazionale Malattie Rare (RNMR) e Registri regionali e il flusso informativo
  - Tavolo Interregionale
  - Centro Nazionale Malattie Rare (CNMR)
  - Nomenclatura e Codifica
  - Registri di patologia e Biobanche
- Percorso diagnostico e assistenziale
- Strumenti per l'innovazione terapeutica: farmaci (orfani) e legge n. 648/1996



*Ministero della Salute*

# I contenuti

---

- Assistenza transfrontaliera
- Le Associazioni
- Ricerca
- Formazione ed Informazione
- Prevenzione

Non è contenuto del PNMR l'area degli interventi sociali



# La rete nazionale: funzioni

---

Già oggetto del dm n. 279/2001 (RDG020 «Difetti ereditari della coagulazione»)

- collaborazione tra le strutture individuate dalle regioni
- logica di coordinamento sovraregionale delle strutture “esperte”
- gestione del paziente vicino al domicilio (scambio di esperienze e buone pratiche)

## Garantire contemporaneamente

- Funzioni altamente specialistiche e derivanti da competenze specifiche
- Funzioni assistenziali generali diffuse nel territorio



# La rete nazionale: struttura

---

Presidi accreditati appositamente individuati dalle Regioni:

- a) preferibilmente ospedalieri
- b) in possesso di documentata esperienza in diagnosi e cura di specifiche MR o gruppi
- c) idonea dotazione di strutture di supporto e servizi complementari (es. gestione delle emergenze e diagnosi biochimica, genetica e molecolare) **anche in collegamento funzionale**

I Presidi 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.





# La rete nazionale

---

Requisiti definiti dalle Raccomandazioni europee su ERNs e Centri di “expertise” e dal Comitato europeo EUCERD

parte integrante delle reti assistenziali regionali

processo di valutazione continua della qualità dell'assistenza

In collaborazione con le Associazioni dei malati



# Strumenti di governo

---

Il PNMR propone di

istituire un Comitato Nazionale

con la partecipazione di tutti i soggetti coinvolti (il Ministero della salute e gli altri Ministeri secondo le competenze, le Regioni, l' AIFA, l' ISS, l' Agenas e le Associazioni dei pazienti)

con il compito di

delineare le linee strategiche

indicare le priorità di impiego delle risorse

svolgere attività di monitoraggio

introdurre il tema delle MR tra gli adempimenti da sottoporre al controllo del tavolo nazionale per la verifica dell' erogazione dei LEA



*Ministero della Salute*

# Criticità

---

Finanziamenti dedicati dovranno essere posti all'attenzione del Ministro e del livello governativo secondo opportune valutazioni rispetto alla particolare contingenza economica







# Strumenti di governo

---

## Comitato Nazionale

con la partecipazione di tutti i soggetti coinvolti (il Ministero della salute e gli altri Ministeri per competenza, le Regioni, l' AIFA, l' ISS, Agenas e le Associazioni dei pazienti)

con il compito di

delineare le linee strategiche

indicare le priorità di impiego delle risorse

svolgere attività di monitoraggio

Suggerimento di introdurre il tema delle MR tra gli adempimenti da sottoporre a verifica del tavolo nazionale per la verifica dell' erogazione dei LEA



*Ministero della Salute*