

REGOLE DI SISTEMA 2014 **TERRITORIO E CRONICITA'**

MALATTIE RARE: DEFINIZIONE DI UN PERCORSO CONDIVISO ASL/AO DI PRESA IN CARICO

Background

La Delibera della Giunta Regionale Lombarda n° VII/7328 del 2001 ha stabilito che i pazienti affetti dalle malattie rare esenti incluse nell'apposito elenco ministeriale hanno diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo per i farmaci necessari alla cura della malattia.

In particolare, possono essere forniti gratuitamente tutti i farmaci registrati sul territorio nazionale (classe A, H e classe C), i farmaci inseriti negli elenchi speciali predisposti dall'AIFA (legge 648/96 e relativi allegati) e i farmaci registrati all'estero (Decreto 11 febbraio 1997, "Modalità di importazione di specialità medicinali registrate all'estero").

La terapia farmacologica deve essere prescritta dallo specialista che opera nel Presidio della Rete Malattie Rare identificato per la specifica malattia, per mezzo della Scheda per la Prescrizione dei Farmaci. Tale scheda, conosciuta anche come Piano Terapeutico, ha validità massima di un anno ed è rinnovabile dal medico specialista del Presidio.

Ai fini dell'erogazione dei farmaci in regime di esenzione copie di detta scheda devono essere fatte pervenire al medico curante (Medico di Medicina Generale o Pediatra di Libera Scelta) e alla ASL di residenza dell'assistito.

Il presente documento vuole definire perciò il percorso del paziente al fine di facilitare l'accesso alle terapie appropriate, superare un percorso "ad ostacoli" ed uniformare il processo sul territorio regionale.

Infatti, nonostante siano trascorsi ormai 10 anni dalla delibera succitata, l'attuale situazione presenta alcune criticità correlata alle varie difficoltà incontrate dal paziente per ottenere un accesso veloce alle terapie, per la complessità della normativa, la diversità delle situazioni organizzative a livello territoriale ed ospedaliero e la molteplicità di esigenze assistenziali.

La gestione del trattamento delle Malattie Rare è strettamente connessa alle caratteristiche di complessità della specifica Malattia e dei farmaci prescritti, pertanto il raggiungimento del risultato implica il superamento degli ostacoli che si frappongono alla conoscenza ed alla capacità organizzativa delle strutture coinvolte.

Il documento vuole definire i ruoli delle ASL e delle Aziende Ospedaliere, evidenziando le competenze dei Presidi di Rete Malattie Rare (RMR) e delle strutture presenti nel luogo di residenza dell'assistito.

Premessa

E' necessario evidenziare che sia a livello nazionale che regionale i farmaci orfani non sono ad oggi inclusi in un "fondo specifico" ma partecipano alla spesa farmaceutica e alla definizione del tetto nazionale e regionale; la spesa per tali farmaci dovrebbe essere intesa come una "dote" che segue il paziente e non una spesa attribuibile solo alla singola struttura.

I fondi per i farmaci prescritti per le malattie rare non sono extrabudget, ma hanno un "tetto di sistema" a livello regionale in quanto ricompresi nel finanziamento sanitario nazionale.

Si specifica che il presente documento si applica a livello regionale per gli assistiti lombardi, ma che è interesse della DG Salute sottoporlo anche al tavolo della mobilità interregionale al fine di facilitare i percorsi degli assistiti in cura presso centri extraregione, la loro eventuale presa in carico per la cura e/o per l'erogazione delle terapie prescritte presso i presidi ospedalieri dell'ambito territoriale del paziente, sulla base di documentazione clinica esaustiva per la ASL di residenza.

RUOLI

Il Presidio di Rete Malattie Rare (RMR)

1. Dopo l'accertamento diagnostico il Presidio di Rete Malattie Rare (RMR) provvede a dispensare la terapia prescritta, così da valutarne l'efficacia e la tollerabilità. Il mancato inizio di terapia presso il Presidio di RMR può esporre l'assistito al rischio di rimanere privo della necessaria assistenza specialistica. Essere in grado di garantire l'erogazione di terapie per le malattie rare individuate è quindi requisito fondamentale per ciascun Presidio di RMR.

2. Successivamente, per ottimizzare l'eventuale trasferimento e presa in carico del paziente presso la struttura ospedaliera territoriale più vicina al domicilio, il Presidio di RMR prende contatti con i clinici di competenza della struttura e concorda le modalità di accesso, garantendo la continuità di cura ed informando il nucleo RMR dell'ASL di residenza.

Tale iniziativa potrà essere intrapresa solo nel caso di esplicita richiesta da parte del paziente o del legale rappresentante, e sarà subordinata al parere favorevole dello specialista di riferimento del Presidio di RMR.

3. Il Presidio di RMR si fa carico della fornitura delle terapie in fascia H e dei farmaci registrati all'estero che si possono somministrare a domicilio (orali e sottocutanee), dei farmaci caratterizzati da particolari difficoltà di reperimento e/o di gestione e di quelli inseriti nei Registri Farmaci sottoposti a Monitoraggio predisposti da AIFA. Per ridurre gli accessi del paziente si deroga dai 60 giorni previsti per la rendicontazione in File F, secondo quanto disposto dalla DGR n° X / 1185 del 20/12/2013, consentendo anche la copertura sino a 90 giorni, al fine di far coincidere la visita di controllo con la fornitura/erogazione della terapia.

4. Va garantita l'integrazione delle informazioni sul paziente affetto da Malattia Rara, pertanto il Medico di Medicina Generale o Pediatra di Libera Scelta devono ricevere puntuale ed adeguata informazione circa la diagnosi e i trattamenti prescritti dal Presidio di RMR e/o gestiti dall'AO e ASL.

5. Farmaci inseriti nella Legge 648/96(Tipologia 3 del File F): l'erogazione dei farmaci inclusi nella 648/96 relativamente alle malattie rare, anche se classificati in fascia A, è unicamente di competenza del Presidio di RMR.

6 Si evidenzia inoltre che, nel caso di farmaci off-label(per quanto previsto dai PDTA o nell'ambito di un utilizzo off-label individuale), la prescrizione deve rispettare quanto disposto dalla legge 94/98 "Conversione in legge, con modificazioni, del decreto-legge 17 febbraio 1998, n. 23, recante disposizioni urgenti in materia di sperimentazioni cliniche in campo oncologico e altre misure in materia sanitaria", G.U.n. 86 del 14 aprile 1998.

7 I farmaci esteri possono essere forniti solo per le indicazioni registrate nei paesi di provenienza (ai sensi del D.M. 31 gennaio 2006 "Modificazioni al decreto 11 febbraio 1997, Modalità di importazione di specialità medicinali registrate all'estero") .

L'ospedale territoriale/periferico/vicino alla residenza

La struttura territoriale, individuata dal Presidio di RMR regionale ed in collegamento funzionale con esso, provvede all'infusione di terapie complesse che comportano assistenza ospedaliera, qualora venga richiesto dal paziente l'accesso alla terapia nel luogo più vicino alla residenza. Tale possibilità si applica anche per pazienti presi in carico da Presidi di RMR extraregione, qualora si verifichino le condizioni suddette. Si evitano così spostamenti che possono risultare economicamente onerosi e/o gravosi in termine di tempo necessario, con conseguente peggioramento della qualità della vita, in accordo con la normativa vigente (DGR. 20/1/09 n.VIII/8884, art.3 Burl.,1° suppl. straord al n.5 3/2/09).

La ASL di competenza territoriale

1. La ASL ha competenza e predispose, anche per il tramite delle farmacie territoriali, l'erogazione dei farmaci in fascia A e C e dei galenici prescritti (ricetta rossa) e di tutto quanto non richiede assistenza specialistica.

2. Per i pazienti lombardi, in cura presso Presidi di RMR extraregionali, la ASL assicura l'erogazione delle terapie non disponibili presso le farmacie al pubblico e l'importazione dei farmaci esteri eventualmente prescritti, sia non registrati che carenti sul territorio nazionale, anche per tramite dei Presidi di RMR regionali, ospedali territoriali, IRCCS o Fondazioni. L'allocazione presso strutture ospedaliere regionali va riservata alle terapie infusionali e/o che richiedono un complesso monitoraggio. La ASL garantisce la continuità assistenziale tramite farmaci disponibili in commercio, a bassa criticità di utilizzo, evitando duplicazioni di visite e controlli ospedalieri che si traducono in un aumento ingiustificato dei costi complessivi per il SSR.

Va sempre attentamente valutata e condivisa la necessità di indirizzare il paziente seguito da un centro extraregionale ad un centro di RMR regionale, ospedale territoriale, IRCCS o Fondazione, la scelta deve essere fatta tenendo conto delle necessità cliniche e nel rispetto delle scelte del paziente.

Qualora sia necessaria una specifica assistenza ospedaliera per l'assistito lombardo seguito da Presidi di RMR fuori regione, la ASL di competenza esercita un ruolo di coordinamento e di facilitazione all'accesso delle cure, coordina gli interventi, fornisce al clinico di competenza

dell'ospedale locale o del Presidio di RMR regionale tutta la documentazione necessaria e gli indispensabili contatti con lo specialista del Centro di riferimento di provenienza.

Tempi di adozione

Le ASL, le strutture sanitarie e i Presidi di RMR nel corso dell'anno 2014 dovranno attivarsi per rendere attuativa tale procedura prevedendo l'adozione di un protocollo d'intesa che verrà sottoscritto dalla ASL, dalle strutture sanitarie di competenza territoriale e dai suoi Presidi di RMR e che dovrà essere inviato al Centro di Coordinamento della Rete Regionale Malattie Rare e alla DG Salute, al fine di pubblicarlo sul sito regionale.

Documento a cura del gruppo di lavoro "Malattie rare e farmaci orfani":

Gedeone Baraldo
Daria Bettoni
Erica Daina
Mirosa Della Giovanna
Domenica Dibenedetto
Federica Maria Falcone
Ida Fortino
Sara Gamba
Carmen Nisticò
Maurizia Punginelli
Isabella Ruggeri
Marcello Sottocorno
Giancarlo Taddei
Tullio Testa
Adriana Turco
Claudio Zucchi