

OSSERVATORIO NAZIONALE SIFO

RELAZIONE DEL RESPONSABILE OSPEDALIERO anni 2012-2016

PROGETTO OSSERVATORIO SIFO: “Grandangolo Malattie Rare”

OSSERVATORIO NAZIONALE :

Gaetana La Bella (NA): Responsabile

Barbara Rebesco : Coordinatore ospedaliero

Stefania Dell’orco: Coordinatore territoriale

Brunella Piro (CS) Membro

Maria Chiara Silvani (BO) Membro

Adriano Vercellone (NA) Membro

Le Malattie Rare (MR) sono un ampio gruppo di patologie caratterizzate da una bassissima incidenza sulla popolazione. Ad oggi non esiste una definizione di MR, l’Unione Europea definisce rara una patologia che presenta una prevalenza non superiore a 5 abitanti ogni 10.000. Da sottolineare che, sul Piano Sanitario Nazionale 2013-2016, si stima che la prevalenza dei malati rari complessivamente considerati sia dal 50 al 100% superiore a quella stimata per il solo elenco del DM. 279/2001. Le MR sono circa 8.000 e sono caratterizzate da difficoltà diagnostica (in quanto molto poco conosciute), assistenziale.

Così come riportato nel DOF, la mission dell’ON è quella di: “... di analizzare ed evidenziare le disomogeneità che, a causa dell’ ampia eterogeneità dei comportamenti regionali in termini di assistenza farmaceutica ospedaliera e territoriale, limitano la corretta accessibilità alle cure.”

Stante la mission dell’ON abbiamo ritenuto che le MR rappresentassero una area che, per la intrinseca complessità e difformità , richiedesse un particolare approfondimento.

Da questa premessa è nato il progetto: “Grandangolo Malattie Rare” che si è posto come obiettivo quello di promuovere la “cultura delle MR” mappando il panorama legislativo italiano (nazionale e regionale) ed i modelli organizzativi tramite i quali si gestiscono i pazienti . Questo al fine di condurre una analisi delle difformità inter ed intraregionali sia relativamente al panorama legislativo che alle diverse modalità di erogazione dei farmaci e dei servizi al fine di individuare le principali criticità, soluzioni comuni condivise e promuovere un benchmark.

Il progetto, sottomesso ed approvato dal CS e dal CD e coordinato dalla sottoscritta, è stato realizzato grazie alla collaborazione dei membri dell’osservatorio e del gruppo di lavoro e alla attività svolta da dott Gardella.

Di seguito si descrivono le principali fasi attraverso cui il progetto si è sviluppato.

1) COSTITUZIONE del GdL

Al fine di creare una rete per massimizzare interazioni e e condivisione è sttao costituito un gruppo di lavoro ad hoc così costituito:-

Dott. P. Polidori Comitato Scientifico,

Dott. S. Creazzola Area Comunicazione,

Dott. MG Cattaneo Resp. Qualità

Dott. Maria Pia Salanitro Area Comunità Assistenziale H_T,

Dott. Carmen Vitali Area Farmaceutica territoriale,

Dott. Davide Zanon Area Galenica Clinica,

Dott. Elena Galfrascoli e Maria Rosaria Cillo Area Legislazione,

Dott. Felice Musicco Area Malattie Rare

Dott. F. Rapisarda Segretario Nazionale

Segretari Regionali

2) ELABORAZIONE della SURVEY

Il gruppo di Lavoro del Progetto ha redatto due survey:

1) una rivolta ai Segretari Regionali costituita da 17 domande finalizzate ad approfondire ciò che è stato attuato, prevalentemente dal punto legislativo, nelle varie regioni per rispondere alle esigenze di gestione delle MR; è stato ottenuto il 100% dei questionari attesi.

2) una rivolta ai soci costituita da 54 domande per approfondire:

- conoscenza generale sulle malattie rare

- i modelli organizzativi nelle varie aziende

- modelli organizzativi nella gestione di due farmaci specifici usati come traccianti.

3) SOTTOMISSIONE della SURVEY

Le survey sono state sottomesse tramite lo strumento survey monkey (dal 23 febbraio al 4 maggio) che ci ha permesso di avere una analisi preliminare delle risposte date.

Nonostante l'elevato numero di domande e il relativo impegno della compilazione, è stato ottenuto il 40% (148 questionari su 362) dei questionari attesi.

Per quanto riguarda i questionari rivolti ai SR il 100% di questionari è stato compilato.

Questa importante aderenza è stata ottenuta grazie al capillare lavoro svolto per promuovere la compilazione dei questionari e verificare in real time la qualità dei dati.

4) ELABORAZIONE DATI SURVEY

L'elaborazione dei questionari raccolti ha previsto due livelli di approfondimento:

- Livello Macroscopico nazionale, utilizzando lo strumento survey monkey, con la collaborazione del dott Tarantino al fine di avere dati sul numero di partecipanti per regione
- Livello Micro (regionale). Successivamente è stata condotta una analisi più approfondita predisponendo un foglio excell elaborato ad hoc in cui erano riportati per ogni record un questionario (totale 148) ed per ogni colonna una domanda e le possibili risposte che ha permesso di elaborare un'analisi di tipo regionale da poter restituire in maniera puntuale agli incontri in modo che tutte le regioni avessero la situazione specifica e il confronto con la media nazionale.

5) INCONTRI INTERREGIONALI

Parallelamente alla survey, con l'aiuto dei Segretari Regionali, sono stati organizzati quattro incontri ECM interregionali con l'obiettivo di:

- Restituire i dati dei questionari
- Validare i risultati della survey
- Effettuare approfondimenti e verifiche sulle singole situazioni regionali tramite i gruppi di lavoro ad hoc; in particolare sono stati identificati tre focus:
 - o legislazione,
 - o modelli organizzativi
 - o modelli di rendicontazione economica.
- Interagire e confrontarsi con le Istituzioni nazionali e locali e le Associazioni dei Malati condividendo le nostre esperienze;
- Costituire una rete (task force) di farmacisti sulle MR.

Gli incontri interregionali avevano un format comune che prevedeva la partecipazione di:

- Rappresentanti di Istituzioni Nazionali dott.ssa Taruscio (Direttore del Centro Nazionale Malattie Rare all'Istituto Superiore di Sanità) o suoi collaboratori
- Rappresentanti delle associazioni dei malati
- Rappresentanti di Istituzioni Locali
- Referenti SIFO
- Coordinatori dei Gruppi di lavoro tematici

Durante gli incontri sono stati presentati i risultati generali della survey e gli approfondimenti specifici dei risultati riferiti alle regioni cui gli incontri erano rivolti.

Perché i GdL fossero efficaci, si è realizzato un coordinamento con i coordinatori degli stessi per creare una check list di argomenti da trattare a tutti gli eventi in modo tale da poter far emergere eventuali disparità tra regioni e criticità partendo dalle informazioni delle elaborazioni preliminari dei questionari.

I corsi sono stati organizzati in quattro diverse date e location al fine di poter coinvolgere tutte le regioni d'Italia.

In particolare sono stati svolti a:

- Roma (3 giugno) Rivolto ai colleghi delle Regioni Emilia- Romagna, Lazio, Marche, Toscana e Umbria;
- Torino (5 giugno) Rivolto ai colleghi delle Regioni Friuli Venezia Giulia, Liguria, Lombardia, Piemonte e Valle d'Aosta, Trentino alto Adige e Veneto;
- Napoli (8 giugno) Rivolto ai colleghi delle Regioni Abruzzo- Molise, Campania, Puglia e Sardegna;
- Catanzaro (9 giugno) Rivolto ai colleghi delle Regioni Basilicata, Calabria e Sicilia.

PARTECIPANTI ROMA: totale 18

Regioni	n° rappresentanti
Lazio	10
Umbria	3
Campania	1
Emilia- Romagna	1
Marche	1
Toscana	1
Veneto	1
TOTALE	18

PARTECIPANTI TORINO: totale 26

Regioni	n° rappresentanti
Piemonte – Val d’Aosta	16
Liguria	6
Friuli Venezia Giulia	1
Lombardia	1
Trentino Alto Adige	1
Veneto	1
TOTALE	26

PARTECIPANTI NAPOLI: totale 20

Regioni	n° rappresentanti
Campania	16
Sardegna	2
Abruzzo- Molise	1
Puglia	1
TOTALE	20

PARTECIPANTI CATANZARO: totale 25

Regione	n° rappresentanti
Calabria	19
Sicilia	4
Basilicata	2
TOTALE	25

I quattro eventi hanno visto, in totale, la partecipazione di 89 farmacisti e sono state rappresentate tutte le regioni come mostra la seguente tabella di sintesi:

Regione	n° rappresentanti
Abruzzo	1
Basilicata	2
Calabria	19
Campania	16
Emilia- Romagna	1
Friuli Venezia Giulia	1
Lazio	10
Liguria	6
Lombardia	1
Marche	1
Piemonte- Valle d'Aosta	16
Puglia	1
Sardegna	2
Sicilia	4
Toscana	1
Trentino Alto Adige	1
Umbria	3
Veneto	2
Totale	89

Tutti gli incontri sono stati caratterizzati da:

- I Sessione con la quale si voleva contestualizzare l'argomento e presentare i dati della survey; quindi sono state previste le seguenti relazioni:
 - Centro Nazionale Malattie Rare dell' ISS (a Roma e a Napoli ha partecipato il Direttore del centro, Dottoressa Taruscio);
 - Dirigenti Regionali delle regioni coinvolte, dando priorità alla Regione ospitante;
 - Associazioni dei pazienti, con la partecipazione di UNIAMO, Consulta Nazionale delle Malattie Rare, Cittadinanzattiva, AMAR Piemonte.
 - Dott.ssa Rebesco Barbara, Coordinatore Ospedaliero Progetto Osservatorio Malattie Rare che ha presentato i dati della survey.
- TAVOLA ROTONDA con i Dirigenti Regionali
 Organizzata ad hoc per dare voce a tutti i dirigenti Regionali delle Regioni coinvolte ad ogni incontro per meglio evidenziare i diversi modelli organizzativi e legislativi di ciascuna regione; a Roma, grazie alla Dott.ssa Dell'orco, ha partecipato anche il Dott. Pagano (Medico Medicina Generale) che ha portato la sua esperienza presentandoci un ulteriore punto di vista.

- Il SESSIONE durante la quale sono stati organizzati tre gruppi di lavoro rivolti ai farmacisti discenti al fine di poter approfondire tre diverse tematiche:
 - Focus sulla legislazione;
 - Focus sui modelli organizzativi per l'erogazione delle prestazioni;
 - Focus sui modelli di rendicontazione economica e tracciabilità.

Questi gruppi di lavoro hanno previsto una check list di argomenti, individuati e validati da tutti i coordinatori dei gruppi di lavoro del focus dei quattro eventi insieme alla Coordinatrice Ospedaliera del progetto, da affrontare in tutti e quattro i corsi al fine di far emergere al meglio eventuali differenze e criticità.

The screenshot shows the SIFO website interface. At the top, there is a navigation bar with the SIFO logo and the text 'Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie'. Below this is a menu with items: HOME, CHI SIAMO, NEWS, ATTIVITÀ, EVENTI ED ECM, CONTATTI, STAMPA E COMUNICAZIONE, PUBBLICAZIONI, AREA SOCI. The main content area is titled 'Corsi nazionali' and features a dropdown menu for 'Visualizza n.' set to '15'. A list of courses is displayed with columns for course title and date. A sidebar on the right contains a 'News SIFO RSS' link and a list of event categories under 'Eventi ed ECM', including 'Congresso Nazionale', 'Eventi ECM provider SIFO', 'Formazione residenziale' (with sub-options for CERCA CORSO, CORSI INTERNAZIONALI, CORSI NAZIONALI, CORSI REGIONALI, and CORSI INTERREGIONALI), 'Formazione a distanza', 'SIFO e l'ECM', 'L'ABC dell'ECM', 'Organizzare un ECM SIFO', and 'Altri eventi'.

Titolo corso	Data
D. Lgs 19/2014 sulla prevenzione delle ferite da taglio o da punta: un anno dopo - Milano, 29 settembre 2015	29-09-15
HTA per la valutazione dei Dispositivi Medici - Torino, 25 settembre 2015	25-09-15
Gli antidoti nella pratica clinica: efficacia, sicurezza e modalità di impiego - Napoli, 16 settembre 2015	16-09-15
Corso Superiore SIFO in Farmacia Clinica - I anno (edizione 2015/2016) - Catania	22-06-15
HTA per la valutazione dei farmaci - Roma, 19 giugno 2015	19-06-15
HTA per la valutazione dei farmaci - Bari, 12 giugno 2015	12-06-15
Progetto Osservatorio Malattie Rare - Catanzaro, 9 giugno 2015	09-06-15
Progetto Osservatorio Malattie Rare - Napoli, 8 giugno 2015	08-06-15
Progetto Osservatorio Malattie Rare - Torino, 5 giugno 2015	05-06-15
Progetto Osservatorio Malattie Rare - Roma, 3 giugno 2015	03-06-15
Introduzione all'HTA: come farne uno strumento operativo. Dall'HTA all'Hospital Based HTA - Palermo, 27-29 maggio 2015	27-05-15
Introduzione all'HTA: come farne uno strumento operativo. Dall'HTA all'Hospital Based HTA - Roma, 14-16 maggio 2015	14-05-15

6. PUBBLICAZIONE SLIDES INCONTRI INTERREGIONALI

Al rientro dai corsi interregionali , durante i quali sono stati validati i dati della survey, le relazioni presentate ai corsi dalla Dott.ssa Rebesco sono state aggiornate ed integrate con i dati ottenuti sul campo; le slides finali, così implementate sono state inviate a Dott.ssa Creazzola (Responsabile SIFO Comunicazione) e alla Segreteria Organizzativa SIFO per la loro pubblicazione sul sito.

7. PUBBLICAZIONE “FORUM GRANDANGOLO MALATTIE RARE”

Grazie all’aiuto del Dott. Tarantino (Area SIFO web) e in collaborazione con la Dott.ssa Creazzola, è stato attivato un forum volto a costituire una rete comunicativa sulle MR tra i farmacisti SIFO.

Questo con lo scopo di:

- consolidare la task force di farmacisti SIFO sul tema delle malattie rare nata durante i corsi interregionali;
- permettere di sviluppare il confronto nato sempre durante gli incontri interregionali.

Per fare ciò sono stati profilati ad accedere al forum tutti i farmacisti discenti che hanno partecipato ai quattro corsi al fine di poter condividere criticità o presentare best practice.

8. DOCUMENTO “Primo rapporto Grandangolo Malattie Rare” Osservatorio Nazionale SIFO

La redazione del Documento è stata conclusa nel mese di settembre e, nel mese di ottobre, è stato inviato a tutto il GdL e ai Segretari Regionali per la validazione dei dati raccolti.

Per raggiungere tali obiettivi alcuni segretari regionali hanno condiviso il documento con i referenti regionali per le MR (vedi Dott. Testa che ha condiviso il documento con la Dott.ssa Daina e Dott. Pasut che lo ha condiviso con il Dott. Bembi) e la Dott.ssa Rebesco ha pensato che fosse importante dividerlo anche con i principali interlocutori conosciuti durante questo percorso (Professoressa Facchin e Signora Galuppi rispettivamente responsabile Registro Consorzio Veneto e Presidente Onorario di UNIAMO), il documento è stato quindi integrato con i loro contributi

Il documento che è stato sottomesso al GdL e ai Segretari Regionali presenta:

- Introduzione in cui viene delucidata l’attività dell’Osservatorio SIFO ed il motivo della scelta delle malattie rare;
- Progetto delucidando gli obiettivi, il disegno e lo stato di avanzamento dello stesso;
- Risultati dove si presentano i dati ottenuti dalla survey sia dei SR che dei soci;

- Discussione in cui vengono affrontate le criticità salienti individuate in questi mesi (erogazione dei farmaci, registri regionali, PDTA, e rendicontazione e tracciabilità economica) e viene affrontata la situazione organizzativa e normativa regione per regione al fine di esplicitare, in maniera capillare, l'attività del Registro Regionale, l'attività del Centro/Gruppo di coordinamento e la normativa che regola l'erogazione delle diverse classi di farmaci.
- Nella discussione è presente anche una sintetica parte relativa alla progettualità 2016. condivisa con le Istituzioni (Centro Nazionale Malattie Rare) e le Associazioni dei pazienti (UNIAMO) al fine di consolidare ulteriormente le collaborazioni e realizzare progetti che siano effettive riposte ai bisogni.

Nel mese di gennaio è stata conclusa definitivamente la redazione del Documento con la validazione delle informazioni raccolte durante questi mesi di attività e gli aggiornamenti delle normative regionali comunicateci.

Poichè che non abbiamo ricevuto un riscontro da parte di tutte le regioni, negli ultimi mesi è stata svolta un'attività di ricerca web al fine di individuare le delibere comprovanti quanto dichiarato. Questa ricerca è stata molto utile perché diverse regioni presentano il sito web del centro di coordinamento regionale/coordinamento regionale per le malattie rare che ci ha permesso di raccogliere diverse ed importanti informazioni/delibere relative alla gestione del paziente affetto da malattia rara. Proprio partendo da queste informazioni abbiamo deciso di dedicare una parte della discussione del Documento alle Regioni e, nello specifico, abbiamo deciso di approfondire tre aspetti cruciali di cui due strettamente correlati all'attività del farmacista:

- Istituzione del centro di coordinamento regionale/coordinamento regionale;
- Registro regionale
- Esenzioni.

9. XXXVI CONGRESSO NAZIONALE SIFO (Catania 22-25 ottobre 2015)

Il Congresso Nazionale è stato un'importantissima opportunità per dare visibilità al nostro progetto; infatti oltre alla sessione dedicata è stato previsto un desk ad hoc dove i diversi interlocutori (colleghi e rappresentanti di aziende) hanno potuto chiedere informazioni e documentarsi a riguardo. Inoltre il giorno 24 ottobre è stata condotta la riunione del GdL per condividere l'avanzamento dei lavori e la progettualità 2016.

Vengono di seguito descritte in maniera più approfondita le attività realizzate in seno al congresso nazionale.

a. Sessione dedicata

La Sessione dal titolo "OSSERVATORIO SIFO: GRANDANGOLO MALATTIE RARE" (svolta il giorno 23 ottobre dalle ore 15.15 alle 16.45) ha presentato il seguente programma:

- Moderatori: Dott.ssa Ciancaleoni Bartoli (Direttore Osservatorio MR)
Dott. Cattel (SR Piemonte);
- Relatori: Dott.ssa Rebesco (Coordinatore Ospedaliero Progetto Osservatorio SIFO MR)
Dott.ssa Polizzi (Centro Nazionale Malattie Rare dell'Istituto Superiore Sanità) in sostituzione della Dott.ssa Taruscio (Direttore del CNMR.)
Sig.ra Galuppi (Presidente di UNIAMO, Federazione Italiana MR)
Prof.ssa Facchin (Responsabile Registro Consorzio Veneto)

La sessione ha visto la partecipazione di moltissimi discenti e dei referenti delle ditte che hanno sponsorizzato il progetto ad indicare il loro attivo coinvolgimento.

Di seguito un piccolo sunto dei quattro interventi:

- L'intervento della Dott.ssa Polizzi ha visto una prima parte in cui ha presentato i numeri delle MR, le difficoltà dell'identificazione della diagnosi, la difformità legislativa regionale che regola l'esonero e la possibilità di fare screening neonatali ed, in ultimo, ha rimarcato l'attenzione sull'importanza della transizione da età pediatrica ad età adulta che nelle MR purtroppo è quasi inesistente. Successivamente ha affrontato il tema degli ERN (Reti Riferimento Europee) come possibilità da parte del nostro Paese di divenire un riferimento per tutta Europa (così come in realtà già siamo dal punto di vista della normativa)
- L'intervento della Dott.ssa Rebesco ha previsto una prima parte di presentazione del progetto e del suo stato di avanzamento per poi mostrare i risultati dello stesso non solo in termini di risultati/ dati della survey e degli incontri interregionali ma risultati ottenuti come SIFO e come figura del farmacista che è stata riconosciuta come un partner ed alleato dai principali stakeholder (Associazione dei pazienti e ISS)
- L'intervento della Sign.ra Galuppi ha visto la presentazione del paziente come colui che può essere parte integrante del percorso dell'Italia verso gli ERN (Reti Riferimento Europee). In particolare, è stato sottolineato come il paziente spesso si senta abbandonato e che grazie

alle associazioni e facendo empowerment la figura del paziente stia diventando sempre più quella del paziente esperto che è in grado di fornire il suo contributo

- L'intervento della Prof.ssa Facchin ha dato modo a tutti di vedere che la disorganizzazione, la disomogeneità di comportamento, la disuguaglianza nell'erogazione si stanno in realtà muovendo verso un processo organizzato e comune. La Professoressa ha infatti mostrato come l'utilizzo del Registro del Consorzio del Veneto, laddove utilizzato in tutte le sue potenzialità, permetta di attivare dei modelli organizzativi se non uguali molto simili; stessa cosa anche per quanto riguarda le Regioni appartenenti all' "Area Vasta".

b.Desk "Grandangolo MR"

Durante tutto il Congresso Il Desk è stato un'opportunità per dare visibilità al progetto e al tema affrontato presentando le attività svolte e offrendo la possibilità di approfondire temi/argomenti cruciali per il lavoro quotidiano a coloro che , purtroppo nonostante gli sforzi di tutti , non sono stati raggiunti da questa attività .

Al desk abbiamo reso disponibile a tutti il materiale informativo che è stato consegnato a chi abbia manifestato interesse; si tratta di un documento sinottico in cui schematicamente è stato descritto il nostro progetto sottolineando i punti di forza dello stesso.

c. Riunione Gruppo di Lavoro

Il giorno 24 ottobre abbiamo organizzato la riunione del GdL per condividere insieme la progettualità del 2016. Anche in questa occasione la partecipazione è stata maggiore rispetto alle aspettative iniziali sia da un punto di vista numerico che da un punto di vista del coinvolgimento degli stessi partecipanti.

Alla riunione hanno partecipato non solo Segretari Regionali (come ad esempio Calabria, Piemonte e Puglia) ma anche Responsabili di diverse Aree scientifiche SIFO (come area comunicazione, area galenica e area HTA) e soci; in quest'ultimo caso si sottolinea nuovamente l'importanza del desk che ha permesso di coinvolgere anche soci che non avevano partecipato agli eventi interregionali ma che comunque, molto interessati, hanno deciso di prendere parte a tale riunione portando punti di vista ed esperienze personali.

10. COLLABORAZIONE con UNIAMO.

10.1 Invito alla presentazione **“PRIMO RAPPORTO SULLA CONDIZIONE IN ITALIA DELLE PERSONE CON MALATTIA RARA”** presso Palazzo Montecitorio, Camera Dei Deputati. Roma, 23 luglio 2015.

La SIFO nella persona della Dott.ssa Rebesco è stata invitata a partecipare alla tavola rotonda *“Cura e qualità della vita”* durante la Presentazione del 1° Rapporto sulla condizione della Persona affetta da patologia rara organizzata da UNIAMO presso Palazzo Montecitorio, Camera dei Deputati.

In questa giornata sono intervenuti esponenti istituzionali molto rilevanti come:

- Senatore Sacconi il quale ha sottolineato l'importanza della componente della vita lavorativa anche per i pazienti affetti da malattia rara, sottolineando che nel nuovo job's act è presente una parte relativa al collocamento dei pazienti affetti da malattie rare.
- Onorevole Binetti oltre sottolineare l'importanza dell'attività lavorativa, ha affrontato i temi della ricerca scientifica e degli ERN sottolineando la necessità che gli ottimi centri italiani possano e debbano diventare centri di expertise non solo italiana ma soprattutto europeo. In conclusione ha dichiarato che avrebbe presentato il documento conclusivo nell'ambito dell'indagine conoscitiva sulle malattie rare alla commissione Affari Sociali della Camera per la approvazione.
- Sottosegretario De Filippo il quale ha ricordato che sia la commissione Affari Sociali (tramite il documento dell'Onorevole Binetti) che il Ministero della Salute (grazie all'individuazione di 110 MR da inserire nell'elenco del DM 279/01) si stanno muovendo sul tema MR. Inoltre ha ricordato che l'Italia è una delle Nazioni Europee meglio organizzata sia dal punto di vista della legislazione che dei Centri di Riferimento.
- Dott. Andersen (presidente di EURORDIS, Rare Diseases Europe) e Dott. Spinelli (vice presidente UNIAMO) hanno sottolineato l'importanza che il rapporto ha nel presentare alle istituzioni il contesto delle malattie rare in quanto ai numeri statistici sono stati associati i reali problemi incontrati dai pazienti.
- Dott Astolfo (Sinodè s.r.l.) che ha presentato gli *“Highlights del primo rapporto sulla condizione delle persone con malattia rara in Italia”*.

Al termine della presentazione sono state aperte e coordinate due tavole rotonde una dedicata al tema della ricerca a cui hanno partecipato referenti di Assobiotec, AIFA, CNMR dell'ISS, Orphanet Italia, Fondazione Telethon e BBMRI Italia mentre la seconda, dedicata alla cura e qualità della vita, ha previsto la partecipazione di rappresentanti di Ministero della Salute, Tavolo Tecnico Interregionale MR, Age.na.s, CARD, FIMMG, SIGU, SIP, SIMG, FIMP, SIMGePeD e SIFO. Durante queste tavole rotonde essendo presenti rappresentanti di diverse istituzioni sono stati affrontati diversi temi e SIFO ha portato il proprio contributo con l'esperienza acquisita grazie alla realizzazione del progetto grandangolo MR.

10. 2 Condivisione progettualità 2016.

Al termine di questa giornata di formazione SIFO ed UNIAMO si sono incontrate per discutere della progettualità 2016 al fine di consolidare ulteriormente questa partnership.

10.3. Aggiornamento CARTE “PLAY DECIDE”

UNIAMO ha chiesto la partecipazione attiva di SIFO alle 3 tappe dell'edizione 2015, per i malati rari, di playdecide in occasione della settimana European Bioetch Week 2015. Questa ricorrenza è stata, per le malattie rare, un'occasione per celebrare insieme un compleanno di vitale importanza: nel 2000 si stabilisce ed entra in vigore il Regolamento (CE) n. 141/2000 concernente i medicinali orfani.

In questa collaborazione siamo stati coinvolti per aggiornare le carte del gioco relativamente a farmaci orfani. Al fine di descrivere in maniera efficace il nostro lavoro si forniscono delle indicazioni, in estrema sintesi, su come si gioca; ad ogni partecipante del tavolo (farmacista, clinico, paziente, rappresentante dei malati, malato raro) vengono consegnate alcune carte dei fatti e carte delle storie (diverse per ogni partecipante); questo permette ad ogni partecipante di esprimere il suo parere relativamente a quanto ricevuto e da ciò inizia il confronto/ condivisione delle esperienze al fine di poter esplicitare la propria posizione.

Al termine delle condivisioni ogni gruppo di lavoro predispone un verbale finale che, in sessione plenaria, viene condiviso con gli altri gruppi di lavoro.

Tornando al nostro coinvolgimento in questa attività UNIAMO ci ha chiesto di:

- analizzare le carte dei fatti modificandole o integrandole in base ai risultati ottenuti con il nostro progetto “Grandangolo malattie rare”. Questo nostro lavoro, relativamente ai farmaci orfani, è stato inviato dalla Federazione Italiana Malattie Rare al Centro coordinatore Europeo di Play decide per renderle ufficiali;

10.4 Partecipazione attiva ai GdL playdecide in occasione della settimana European Bioetch Week 2015

SIFO è stata invitata a partecipare attivamente ai gruppi di lavoro in qualità esperti e alle tavole rotonde conclusive delle giornate che prenderanno spunto dagli esiti dei tavoli playdecide.

Nelle date

- 12 OTTOBRE 2015 A TORINO PRESSO L'UNIVERSITÀ' DEGLI STUDI
- 14 OTTOBRE 2015 A FIRENZE PRESSO AUO CAREGGI
- 16 OTTOBRE 2015 A CAMPOBASSO PRESSO L'HOTEL RINASCIMENTO

10.5 Camera dei Deputati 26 luglio 2016 farmaci orfani

E' stato richiesto il contributo di SIFO nella discussine sui farmaci orfani organizzata alla camera dei deputati da Uniamo il 26 luglio 2016 . A tale incontro, come rappresentante di SIFO, ha partecipato dott MG Cattaneo, membro del Gruppo Di lavoro Grandangolo MR.

10.6 invito agli eventi organizzati in occasione della settimana European Bioetch Week 2016.

La collaborazione di SIFO con UNIAMO si è recentemente consolidata , come dimostra la lettera formale che SIFO ha inviato ad UNIAMO (luglio 2016); è stata inoltre inviata comunicazione al GdL per la partecipazione agli eventi PLAYDECIDE 2016.

11. COLLABORAZIONE con ASSOBIOTEC

Riunione con ASSOBIOTEC 12 novembre 2015. Durante la presentazione del Primo rapporto di UNIAMO sulla condizione del malato raro in Italia, svoltasi il 23 luglio presso la Camera dei Deputati e a cui la Dott.ssa Rebesco è stata invitata a partecipare alla tavola rotonda in qualità di Coordinatore Ospedaliero dell'Osservatorio SIFO, alla dottoressa è stato presentato il Dott. Moretti di Assobiotec (associazione di bioindustria che opera in Italia e rappresenta oltre 135 imprese attive in tutti i campi applicativi delle biotecnologie: farmaceutica, diagnostica, chimica, agroalimentare, impiantistica, strumentale e ambientale nonché parchi scientifici e tecnologici).

Questa associazione si è dimostrata molto interessata al nostro progetto e nel mese di ottobre è stata organizzata una riunione/call conference per poter condividere le nostre attività.

Proprio durante questa telefonata, alla quale hanno partecipato referenti di diverse aziende già sponsor (come Shire e Chiesi) ed altre non sponsor (come Genzyme) la dottoressa ha avuto l'opportunità di presentare sinteticamente i principali risultati ottenuti.

In quel contesto i rappresentanti di Assobiotec hanno avuto modo di rappresentare quali sono, per loro, le principali criticità e quindi le aree su cui sarebbe importante rivolgere le attenzioni future come ad esempio il problema dell'erogazione dei farmaci e la rendicontazione degli stessi.

La collaborazione di SIFO con assobiotec si è recentemente consolidata , come dimostra la richiesta formale di Assobiotec e la risposta che SIFO ha inviato ad Assobiotec (luglio 2016)

12. PARTECIPAZIONE A CONVEGNI

La collaborazione tra SIFO ed UNIAMO ha portato anche al coinvolgimento di SIFO a diversi eventi tra cui:

1) 12 giugno 2015 , Roma

“CONCETTI E LINGUAGGI DELL'INNOVAZIONE FARMACOLOGICA” presso Sapienza Università di Roma

“LABORATORIO MALATTIE RARE: EPIDEMIOLOGIA E UTILIZZAZIONE DEI SERVIZI SANITARI NEL CONTESTO DELLE MALATTIE RARE” presso Palazzo Montecitorio, Camera Dei Deputati

- *“Concetti e linguaggi dell'innovazione farmacologica”* presso Sapienza Università di Roma; in cui il tema dell'innovazione farmacologica è stato analizzato da tre punti di vista differenti:
 - d. il valore dell'innovazione dando voce al Dott. Pammolli (Presidente Fondazione MSD e Professore Ordinario di Economia e Management presso IMT Alti studi Lucca), al Dott. Scaccabarozzi (Presidente di Farmindustria) e al Dott. Pani (Direttore Generale AIFA);
 - e. l'impatto economico dell'innovazione dando voce alla Dott.ssa d'Angela (in sostituzione del Dott. Spandonaro Direttore Crea Sanità dell'Università di Torvergata) e l'importanza della comunicazione nell'innovazione dando voce al Dott. Gaudio (Segretario Generale di Cittadinanzattiva), Dott. Brancati (Presidente Unione Nazionale Medico Scientifica di Informazione) e Dott.ssa Minerva (L'Espresso);
 - f. l'impatto dell'innovazione nel trattamento delle patologie. A questo proposito sono stati analizzati due focus: le patologie rare e le malattie infettive. Relativamente alle patologie rare il tema de: “il grande valore per piccoli numeri” è stato affrontato da: Dott.ssa

Taruscio (Direttore Centro Nazionale Malattie Rare dell' ISS) e da Sign.ra Galuppi (Presidente di UNIAMO, Federazione Italiana Malattie Rare);

- *“Laboratorio Malattie Rare: epidemiologia e utilizzazione dei servizi sanitari nel contesto delle malattie rare”* presso Palazzo Montecitorio, Camera dei Deputati in cui l'Onorevole Binetti (Commissione Affari sociali Camera dei Deputati) ha aperto e coordinato una tavola rotonda alla quale erano presenti: Dott.ssa Taruscio (Direttore Centro Nazionale Malattie Rare dell' ISS) e alla Sig.ra Galuppi (Presidente di UNIAMO, Federazione Italiana Malattie Rare), Dott.ssa Daina (Coordinamento Malattie Rare Regione Lombardia, IRCCS- Istituto di Ricerche farmacologiche “Mario Negri”), Prof. Dallapiccola (direttore Scientifico Ospedale Pediatrico Bambino Gesù) e il Dott. Zocchetti (Ufficio Struttura Sistemi di Remunerazione ed Epidemiologia Regione Lombardia). Sempre nella stessa giornata è stato presentato lo studio realizzato da prof Spandonaro (Laboratorio Malattie Rare: epidemiologia e utilizzazione dei servizi sanitari nel contesto delle malattie rare.)

2) 28 luglio 2015, Milano

“ANNUAL MEETING DI BBMRI.it NODO ITALIAMO DI BBMRI-ERIC” presso Università Di Milano Bicocca

Durante questa giornata sono state presentate le attività di BBMRI italia e di BBMRI-ERIC (Europa) con precisi riferimenti ai progetti nazionali, europei ed al training. Inoltre sono stati presentati il common service ELSI (legale, etico e sociale) e qualità.

3) 30 ottobre 2015 Roma

“PROSPETTIVE DI CURA E DI RICERCA PER I TUMORI RARI”

Il giorno 30 ottobre a Roma si è svolto l'evento promosso da FAVO (Federazione Italiana delle Associazioni di Volontariato in Oncologia) “Prospettive di cura e di ricerca per i tumori rari”.

Durante questa giornata è stato affrontato il tema dei tumori rari ed, in particolare, è stata sottolineato che tali tumori sono prevalentemente di età pediatrica. A questo riguardo si evidenzia l'importanza dell'associazionismo e della rete che ne deriva che permette da una parte l'attivazione di più strutture in maniera tempestiva per analizzare quale di queste sia a più idonea alla diagnosi e al trattamento e dall'altra parte rappresenta un supporto importante per i familiari. L'Onorevole Binetti a questo riguardo interviene sottolineando anche l'importanza delle istituzioni in questo percorso risulta fondamentale al fine di poter permettere al paziente, in questo caso al genitore, di avere una visione a 360° del percorso da seguire.

4) 12 dicembre 2015 Bari

“FARMACI ORFANI E MALATTIE RARE: REGISTRI, MODELLI ORGANIZZATIVI E PROSPETTIVE DI CURA IN PUGLIA”

Durante questa giornata sono stati affrontati, da parte di autorevoli relatori, diversi nodi cruciali delle malattie rare:

- Modelli organizzativi già in atto nella regione Puglia (Dott.ssa Annicchiarico)
- Il Registro Regionale Malattie Rare (Prof.ssa Facchin)
- Associazioni pazienti UNIAMO e EURORDIS (Sign.ra Galuppi)
- L'importanza della comunicazione con i pazienti affetti da MR (Dott. Calamo-Specchia)

– Transitional care (Dott. Tangolo).

- L'Osservatorio SIFO e il Progetto: "Grandangolo Malattie Rare" (Dott.ssa Rebesco- Dott.ssa Gardella)

5) Roma 11-12 maggio 2016

La SIFO è stata invitata a portare il proprio contributo al congresso organizzato a ROMA sul tema della MR che ha visto la partecipazione dei più rilevanti stakeholders. A tale incontro, come rappresentante di SIFO, ha partecipato dott B. Piro, membro del Gruppo Di lavoro Grandangolo MR.

ATTIVITA in PROGRESS: PROGETTO OSSERVATORIO 2016

Di seguito si sintetizza il progetto in corso : partendo dalle criticità individuate, dagli scambi di idee con i principali stakeholder delle MR (Associazioni dei pazienti ed Istituzioni), dalle problematiche emerse durante la riunione svolta durante il Congresso Nazionale SIFO, è emersa la necessità di effettuare un approfondimento sui PDTA nell'ambito delle MR.

A tal fine è stato redatto il progetto, in corso di attuazione , che prevede, nella prima parte, la effettuazione di una ricognizione dei PDTA elaborati nelle diverse regioni d'Italia al fine di creare una piattaforma in cui gli stessi siano resi accessibili e condivisibili e quindi costruire una sorta di bacheca dei PDTA per malattia rara per promuovere il benchmark , la standardizzazione e l'implementazione di quanto già esistente, promuovendo azioni a favore dei malati rari. Nella seconda il progetto prevede che venga fatta una analisi HTA dei percorsi già esistenti al fine di individuare gli step fondamentali che un paziente deve percorrere e definire un modello ideale di percorso che possa essere facilmente utilizzato da tutti per lo sviluppo di nuovi specifici PDTA.

Genova, 30 luglio 2016

Il coordinatore ospedaliero Osservatorio Nazionale SIFO

Dott. Barbara Rebesco

