



“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”

Napoli, 8 giugno 2015

***Gruppo A:
Focus sulla legislazione***

Mariarosaria Cillo - Francesco Enrico Bernardini

GROUP A

FOCUS SULLA LEGISLAZIONE



➤ OBIETTIVO

‘Mappare’ il panorama legislativo e le diverse modalità di erogazione di assistenza delle malattie rare nelle diverse Regioni, al fine di individuarne criticità e soluzioni comuni condivise.



“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE” , Napoli 8 giugno 2015

GROUP A

FOCUS SULLA LEGISLAZIONE



➤ MATERIALI E METODI

Condivisione e discussione con i partecipanti dei modelli organizzativi delle Regioni di appartenenza.

Discussione di alcuni aspetti significativi dei risultati della survey SIFOR.

Sintesi dei modelli di ciascuna Regione, attraverso la compilazione di un form che sarà poi condiviso in plenaria.

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE” , Napoli 8 giugno 2015

GROUP A

FOCUS SULLA LEGISLAZIONE



➤ RISULTATI ATTESI

Confronto dei vari modelli organizzativi e individuazione di differenze, similitudini, criticità e soluzioni in merito a indicatori definiti.



“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE” , Napoli 8 giugno 2015



**Delibera Recepimento
D.M. 279/01**

Rete regionale

Centri interregionali

**Commissione regionale/
Gruppo Tecnico/ Gruppo di
Coordinamento Regionale/
Strutture di coordinamento**

Associazioni di pazienti

FEEDBACK E CONDIVISIONE DEI DATI



Perché la domanda sulle delibere aziendali è stata saltata dall'80% dei farmacisti?

Legislazione sui prodotti che ogni Regione può dispensare con conseguente confronto

- Registro malattie rare dell'ISS:
- ✓ Lo utilizzi?
- ✓ Come accedi?
- ✓ Sei autenticato?
- ✓ Ci fornisci i dati che inserisci nel registro?

FEEDBACK E CONDIVISIONE DEI DATI

"PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE", Napoli 8 giugno 2015

AGENDA



- **NORMATIVA DI RIFERIMENTO**
- **MODELLI ORGANIZZATIVI REGIONALI**
 - **ABRUZZO**
 - **CAMPANIA**
 - **PUGLIA**
 - **SARDEGNA**
- **CONDIVISIONE DEI RISULTATI**

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

NORMATIVA NAZIONALE



Decreto Legislativo N° 124 del 29 aprile 1998

“Ridefinizione del sistema di partecipazione al costo delle prestazioni sanitarie e del regime delle esenzioni, a norma dell'articolo 59, comma 50, della legge 27 dicembre 1997, n. 449.”

Decreto Ministeriale N° 279 del 18 maggio 2001

“Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie ai sensi dell'articolo 5, comma 1, lettera b) del decreto legislativo 29 aprile 1998, n. 124”

Piano Nazionale Malattie Rare 2013-2016

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015



MODELLI ORGANIZZATIVI REGIONALI

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

Abruzzo



“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE ABRUZZO



Rete Regionale istituita con DGRA del 24.02.2007 n. 172:

Istituzione della rete regionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapie delle Malattie Rare, del Centro Regionale di Coordinamento, del Gruppo tecnico di Coordinamento Regionale per le Malattie Rare e dei Registri Regionali delle Malattie Rare e delle Malformazioni Congenite.

Determinazione Servizio Assistenza Pubblica e Privata Lucrativa e non Lucrativa del 11.05.2007 n DG9_13:

Costituzione Gruppo Tecnico di Coordinamento Regionale per le Malattie Rare.

Decreto del commissario ad acta del 05.09.2013 n. 64 :

Recepimento dell'accordo Stato-Regioni CSR 66 del 13 marzo recante indirizzi per i percorsi regionali o interregionali di assistenza per le persone affette da malattie emorragiche congenite.

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE ABRUZZO



Erogazione Farmaci: off label e Fascia C

DGRA del 25.05.2007 n. 489 :

legge 27.12.2006, . 296, art. 1, comma 796, lett z) impiego di medicinali, nell'ambito del servizio sanitario nazionale, per indicazioni terapeutiche diverse da quelle autorizzate - definizione delle modalità applicative a livello regionale.

Decreto del commissario ad acta del 22.05.2014 n. 71 :

Disposizioni in merito all'erogazione a carico del bilancio regionale di farmaci off label e farmaci di fascia C e C-bis per pazienti affetti da malattie rare.

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE ABRUZZO



il Centro Regionale di Coordinamento

1. coordinamento dei presidi della rete anche mediante l'adozione di specifici protocolli clinici condivisi;
2. promozione dell'informazione ai cittadini e della formazione degli operatori;
3. collaborazione con i Centri Interregionali di Riferimento e con l'Istituto Superiore di Sanità;
4. collaborazione con le Associazioni di Volontariato operanti nelle malattie rare;



Presidi Sanitari Regionali

1. operano secondo protocolli clinici concordati con i Centri Interregionali di Riferimento e collaborano con i servizi territoriali ed i medici di famiglia al fine di individuare e gestire il percorso diagnostico-assistenziale;
2. assicurano l'erogazione in regime di esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni finalizzate alla diagnosi e trattamento delle malattie rare. Qualora necessario assicurano, sempre in regime di esenzione, le indagini Genetiche sui familiari dell'assistito ai fini della diagnosi di malattia rara di origine ereditaria. I relativi oneri sono a totale carico della ASL di residenza dell'assistito;
3. comunicano ogni nuovo caso di malattia rara accertato al Centro di Riferimento interregionale competente ed al Registro Regionale, secondo le modalità stabilite in appositi disciplinari tecnici predisposti dall'Istituto Superiore di Sanità;

REGIONE ABRUZZO



il Gruppo Tecnico di Coordinamento Regionale per le Malattie Rare

1. Dirigente Servizio Ospedalità pubblica e privata con funzione di presidente;
2. Dirigente Servizio Programmazione o suo delegato;
3. Dirigente Servizio Osservatorio epidemiologico o suo delegato;
4. Dirigente Servizio Farmaceutico Regionale o suo delegato;
5. Direttore dell'ASR-Abruzzo o suo delegato;
6. Due esperti designati delle Facoltà di Medicina della Regione;
7. Tre esperti designati dall'Assessore Regionale alla Sanità tra i dirigenti medici ospedalieri delle ASL regionali con competenza in ambito di malattie rare (genetica, laboratorio, anatomia patologica);

elaborare la Rete Regionale delle Malattie Rare entro novanta giorni dalla pubblicazione della presente legge;
individuare il Centro di Riferimento Regionale;
individuare i Registri Regionali delle Malattie Rare e delle Malformazioni Congenite;
valutare e proporre l'integrazione dell'elenco allegato al DM 279/2001 con eventuali ulteriori malattie rare;
individuare e proporre eventuali Centri di Riferimento Interregionale presenti sul territorio della Regione Abruzzo;
collaborare con i Referenti delle regioni limitrofe per le malattie rare al fine di facilitare e favorire accordi ed integrazioni tra reti regionali anche per individuare centri di riferimento condivisi;

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015



Delibera Recepimento D.M. 279/01	DGRA del 24.02.2007 n. 172
Rete regionale	DGRA del 24.02.2007 n. 172
Centri interregionali	Decreto del commissario ad acta del 05.09.2013 n. 64 <i>Recepimento dell'accordo Stato-Regioni CSR 66 del 13 marzo recante indirizzi per i percorsi regionali o interregionali di assistenza per le persone affette da malattie emorragiche congenite</i>
Commissione regionale/ Gruppo Tecnico/ Gruppo di Coordinamento Regionale/ Strutture di coordinamento	Determinazione Servizio Assistenza Pubblica e Privata Lucrativa e non Lucrativa del 11.05.2007 n DG9_13
PDTA	<i>DGRA del 24.02.2007 n. 172 i presidi della rete operano secondo protocolli specifici concordati con i centri interregionali di riferimento e i collaborano con i servizi territoriali ed i medici di famiglia al fine di individuare e gestire il percorso diagnostico</i>



Esenzioni /Ticket/ Farmaci

DGRA del 25.05.2007 n. 489

legge 27.12.2006, . 296, art. 1, comma 796, lett z) impiego di medicinali, nell'ambito del servizio sanitario nazionale, per indicazioni terapeutiche diverse da quelle autorizzate - definizione delle modalità applicative a livello regionale

Decreto del commissario ad acta del 22.05.2014 n. 71

Disposizioni in merito all'erogazione a carico del bilancio regionale di farmaci offlabel e farmaci di fascia C e C-bis per pazienti affetti da malattie rare

l'erogazione gratuita di tutti i farmaci necessari alla cura delle predette patologie, ivi compresi i farmaci di fascia C e C-bis, nonché i farmaci prescritti in modalità "off label"

fermo restando la non erogabilità a carico SSR - l'erogazione a carico del bilancio regionale di farmaci utilizzati "off label" al proprio domicilio per paziente affetto da malattia rara inserita nell'elenco allegato al decreto ministeriale 18 maggio 2001, n. 279 ed in possesso di relativo codice di esenzione a seguito di diagnosi effettuata da un Presidio della Rete autorizzato ai sensi della normativa vigente-

DGRA del 24.02.2007 n. 172

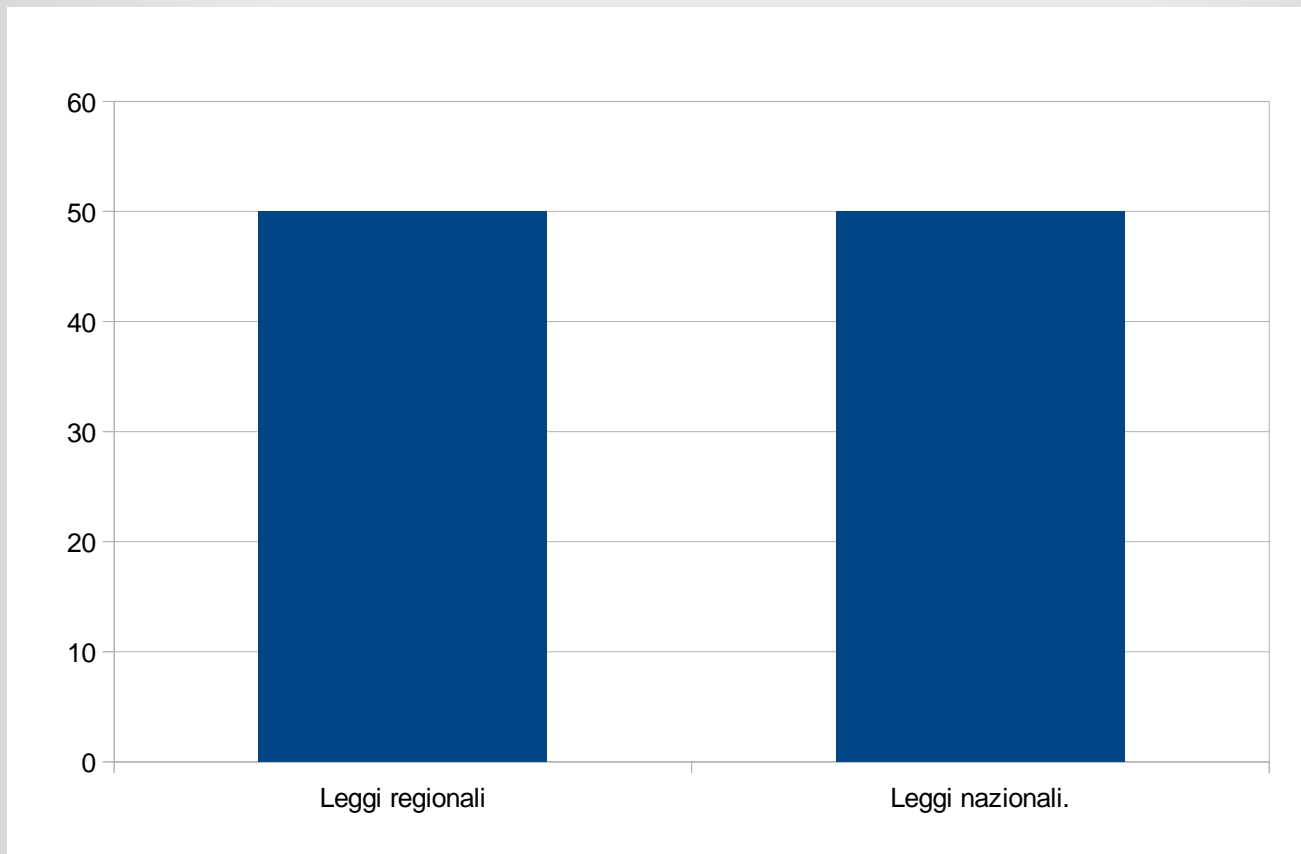
Vengono erogate in regime di esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni finalizzata alla diagnosi e al trattamento delle malattie rare. Per le malattie rare di origine ereditaria le indagini sono estese ai familiari in forma gratuita.

REGIONE ABRUZZO

...qualche dato dalla survey SIFO..



Qual è il supporto normativo per erogare i prodotti della domanda precedente (relativamente alle risposte da A a D)



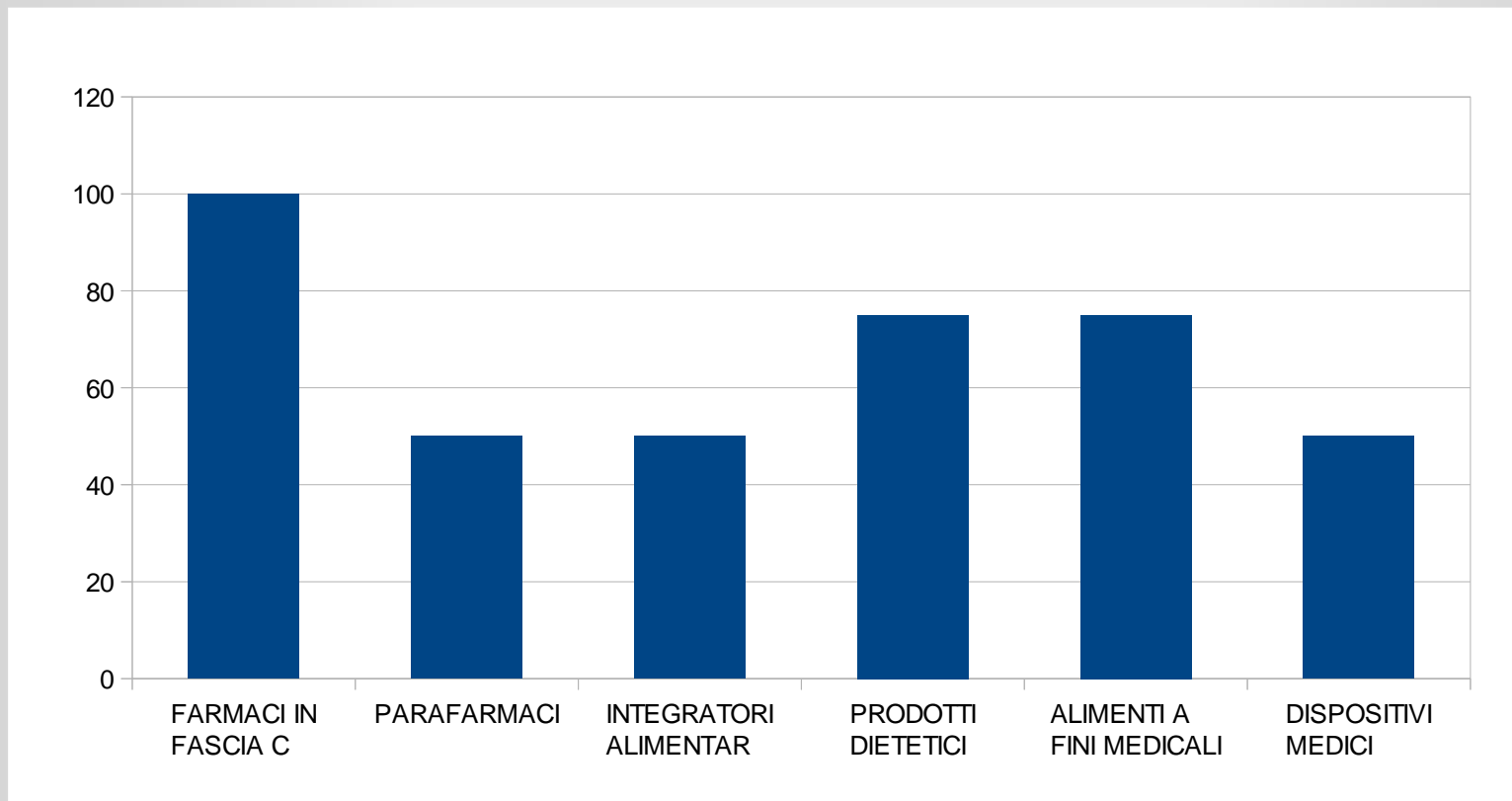
“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE ABRUZZO

...qualche dato dalla survey SIFO..



Quali altri prodotti, indicati dallo specialista come indispensabili e insostituibili, eroghi ad un paziente affetto da malattia rara? (Possibili risposte multiple)



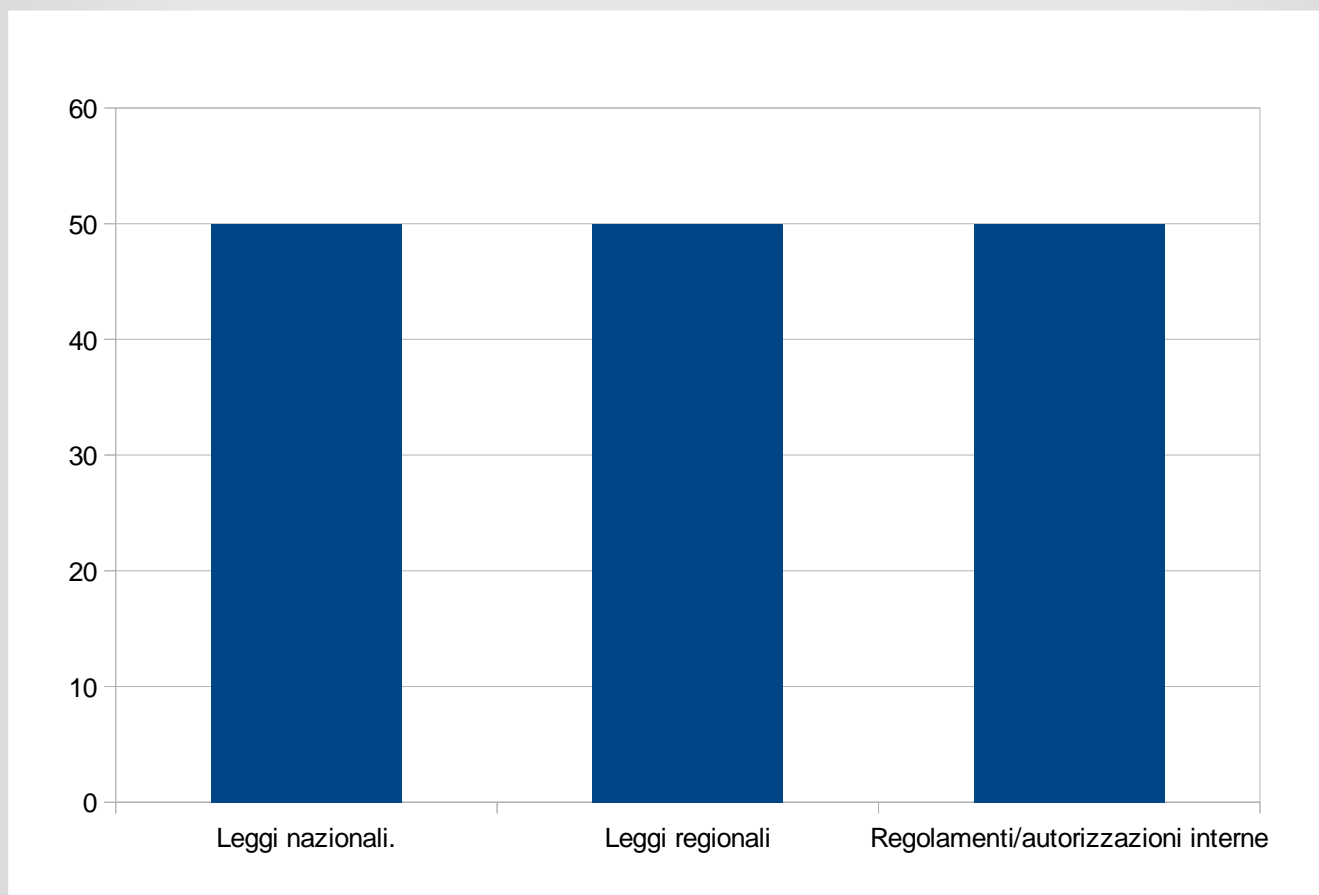
“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE” Napoli 8 giugno 2015

REGIONE ABRUZZO

...qualche dato dalla survey SIFO..



Qual è il supporto normativo per erogare i prodotti della domanda precedente.



“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE” Napoli 8 giugno 2015



	Lo utilizzi?
	Com'è il flusso per inserimento dei dati: Presidio accreditato → registro regionale → ISS oppure Centro accreditato → ISS → e poi al Registro Regionale oppure altro percorso (quale?)
	Chi inserisce i dati nel registro regionale?
	Nel registro regionale vengono certificate solo le malattie rare comprese nell'elenco 279/01?
Registro regionale	Vengono certificate anche altre malattie rare extra DM 279/01?
	Viene condiviso con altre regioni? Se si, quali?
	Come avviene l'integrazione delle informazioni?
Registri interregionali	Esiste una delibera che regola l'accordo/ convenzione?

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE” Napoli 8 giugno 2015

	Utilizzate anche altri registri come registri di patologia, o database per raccogliere informazioni differenti come il registro per i farmaci orfani?
Altri registri	Come avviene il record linkage delle informazioni?
	Come avviene la comunicazione tra i presidi della rete? (Esistono piattaforme informatiche, telemedicina, etc...)
	Com'è il modello di rete (es. modello Hub –Spoke come l'Emilia Romagna o come la Toscana con centri di coordinamento e presidi di riferimento).
	C'è un centro coordinatore?
	Esiste una legge regionale o aziendale?
	Come avviene la comunicazione tra presidio che rilascia il certificato di diagnosi di malattia rara e l'ASL di residenza che rilascia il certificato di esenzione?
Organizzazione Rete dei Presidi	Come si comporta la tua regione nei confronti dei non residenti con diagnosi di malattia rara?
Malattie	Esistono accordi tra la tua regione ed altre regioni per specifiche malattie o gruppi di malattie per regolamentare percorsi di cura condivisi?
	Esiste un Elenco di malattie rare non comprese nel DM 279/01?
	Tale elenco è normato con delibere regionali o aziendali? Esiste una procedura di inserimento della malattia nel registro regionale o in elenchi appositi con delibere apposite?
Come la regione gestisce i pazienti con diagnosi di malattia rara non inclusa nel decreto 279/01?	Quale è lo scopo dell'inserimento? (es. Epidemiologico per verificare il numero di malattie rare sul territorio? Inserire la malattia negli elenchi per l'esenzione?...)
	Sei a conoscenza di delibere extra LEA nella tua regione? Se sì, quali?





	Esistono delle delibere regionali o aziendali di gestione sulla modalità di erogazione farmaci Extra LEA?
	Esiste un gruppo tecnico che esamina le pratiche?
	Qual è l'iter della richiesta a livello aziendale e/o regionale
	Chi si occupa della richiesta nella tua azienda?
	Sono richieste per casi ad personam...singoli o specifiche malattie o gruppi di malattie?
	Il diritto all'esenzione è valido solo per i residenti o per tutti?
	Come si comporta la regione rispetto ai farmaci in fascia C?
Farmaci	Esiste una delibera o circolare regionale che ne regola l'erogazione?
	Sono presenti a livello regionale dei progetti di E-health? (strumenti di comunicazione, compresi quelli telematici, per l'attività di consulenza fra i Centri per la valutazione dei casi clinici, o fascicolo sanitario elettronico o cartella clinica informatizzata del paziente per la patologia rara.) Se sì, quali?
	Esistono delle forme di organizzazione idonee come sportelli o piattaforme aziendali che permettono a familiari e pazienti di trovare agevolmente informazioni?
	Sono stati sviluppati a livello regione dei PDTA?
	Quali? E' possibile reperirli sul sito dedicato alle malattie rare?
Ospedale/ territorio: PDTA	Esistono dei gruppi tecnici per elaborazione di PDTA o per gruppi di malattie a livello regionale o a livello aziendale?
	Esiste a livello regionale un piano di investimento per le malattie rare (fondi strutturali)
	Ritieni che la tua regione possa implementare un aspetto legato alle malattie rare? Se sì, quale?
Come vengono coinvolte le associazioni di pazienti	Esiste un rappresentante dei pazienti all'interno delle commissioni regionali?

Esiste nella tua Regione una delibera per lo screening neonatale?



Perché la domanda sulle delibere aziendali è stata saltata dall'80% dei farmacisti?

Legislazione sui prodotti che ogni regione può dispensare con conseguente confronto.

- **Registro malattie rare dell'ISS:**
 - ✓ **Lo utilizzi?**
 - ✓ **Come accedi?**
 - ✓ **Sei autenticato?**
 - ✓ **Ci fornisci i dati che inserisci nel registro?**

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

Campania



“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE CAMPANIA



DGR del 16.04.2002 n. 2751:

ha istituito il gruppo tecnico di lavoro con esperti sulle malattie rare

DGR del 21.10.2005 n. 1362 :

approvazione individuazione, in via provvisoria, dei presidi di riferimento regionale per malattie rare ai sensi del D.M. 18 maggio 2001 n. 279.

DGR del 10.03.2014 n. 61:

integrazione individuazione, in via provvisoria, dei presidi di riferimento regionale per malattie rare ai sensi del DM 18 maggio 2001 n. 279.

DGR .del 31.12.2008 n. 2109:

recepimento dell'accordo, ai sensi dell'articolo 4 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, sancito il 10 maggio 2007 tra il governo, le regioni e le provincie autonome di trento e bolzano sul riconoscimento di centri di coordinamento regionali e/o interregionali, di presidi assistenziali sovraregionali per patologie a bassa prevalenza e sull'attivazione dei registri regionali ed interregionali delle malattie rare. Istituzione centro di coordinamento regionale per le malattie rare e registro regionale malattie rare.

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE CAMPANIA



DGR del 10.07.2012 n. 329:

recepimento accordo, ai sensi dell'articolo 9 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, tra il Governo, le Regioni, le Province autonome di Trento e di Bolzano e le Autonomie locali concernente "Presenza in carico globale delle persone con malattie neuromuscolari o malattie analoghe dal punto di vista assistenziale". Rep. n. 56/CU del 25 maggio 2011 (11A07690). G.U. Serie Generale n.139 del 17 giugno 2011.

DGR del 08.02.2013 n. 34:

programma regionale sperimentale per persone affette da SLA e da altre malattie del motoneurone.

Decreto del Commissario ad Acta 01.12.2014 n. 145:

recepimento dell' Accordo tra il Governo, le Regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano per malattie emorragiche congenite (MEC). rep. atti n. 66/CSR del 13/03/2013 e dei "Principi di trattamento ed aggiornamento delle raccomandazioni per la terapia sostitutiva delle malattie emorragiche congenite(MEC)".

"PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE", Napoli 8 giugno 2015

REGIONE CAMPANIA



DGR del 16 02 2005 n. 234:

D.M. del 03/05/2003 - Specialità medicinale orfano

“Tracleer bosentan monoidrato” individuazione Centri Prescrittori.

DGR del 06.06.2006 n. 737:

regolamentazione farmaci di fascia H: modalita' di prescrizione ed erogazione.

DGR del 06.06. 2008 n 979:

DGR n. 737 del 06.06.2006 integrazione e modifica. Modalità di prescrizione, erogazione e controllo dei farmaci di fascia H specifici per malattie rare.

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE CAMPANIA



REGIONE CAMPANIA Giunta Regionale - Seduta del 14 giugno 2002 - Deliberazione N. 2751 - Area Generale di Coordinamento Assistenza Sanitaria - Istituzione di un Gruppo Tecnico di lavoro costituito da esperti in Malattie Rare.

DELIBERA

per tutto quanto espresso in premessa che qui si intende integralmente riportato:

di costituire presso l'Assessorato alla Sanità della Regione Campania - Settore Assistenza Sanitaria - un "Gruppo Tecnico di lavoro costituito da esperti in malattie rare" con i compiti di:

- a) verifica e valutazione dei requisiti posseduti dalle strutture Ospedaliere e Policlinici della -Regione Campania al fine dell'identificazione dei Presidi di Rete;
- b) individuazione dei Presidi di Rete specifici per le malattie o per gruppi di malattie rare da proporre all'Assessore alla Sanità entro e non oltre 60 (sessanta) giorni dalla data di inizio dei lavori del Gruppo.
- c) definizione del flusso informativo per il Registro Nazionale delle Malattie Rare;
 - definizione delle modalità di attuazione dell'esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie.

"PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE", Napoli 8 giugno 2015

REGIONE CAMPANIA



Il Gruppo Tecnico è costituito da:

- a. Dirigente del Settore Assistenza Sanitaria, o suo delegato, in qualità di Presidente;
- b. Dirigente del Settore Farmaceutico o suo delegato
- c. Dirigente dell'Osservatorio Epidemiologico o suo delegato;
- d. Responsabile Scientifico del Registro Campano delle Malformazioni Congenite;
- e. n. 6 Dirigenti Medici esperti nelle seguenti branche della medicina:
 - endocrinologia pediatrica
 - neurologia
 - ematologia
 - reumatologia
 - pediatria
 - genetica

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE CAMPANIA



Svolge funzioni di Segretario un funzionario dell'Assessorato alla Sanità - Settore Assistenza Sanitaria.

- alle designazioni e nomine dei componenti del Comitato provvede, con atto monocratico, il Presidente della Giunta Regionale, su proposta dell'Assessore alla Sanità;

- la partecipazione ai lavori del Comitato e delle eventuali sottocommissioni è a titolo gratuito;

- di incaricare il Settore Stampa e Bollettino Ufficiale della pubblicazione sul B.U.R.C. del presente atto;

- si incarica, per quanto di competenza l'A.G.C. Assistenza Sanitaria - Settore Assistenza Sanitaria.

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015



Delibera Recepimento D.M. 279/01	DGR del 21.10.2005 n 1362 Approvazione individuazione, in via provvisoria, dei presidi di riferimento regionale per malattie rare ai sensi del D.M. 18 maggio 2001 n. 279.	
Rete regionale.	DGR del 10.03.2014, n. 61 Integrazione individuazione, in via provvisoria, dei presidi di riferimento regionale per malattie rare ai sensi del DM 18 maggio 2001 n. 279	
Centri interregionali.	?	
Commissione regionale/ Gruppo Tecnico/ Gruppo di Coordinamento Regionale/ Strutture di coordinamento.	DGR del 24/5/2011 n. 190 Modifiche ed integrazioni della DGRC n. 2751 del 14/6/2002 di Istituzione di un Gruppo Tecnico di lavoro costituito da esperti in Malattie Rare Ha istituito un "Gruppo Tecnico di lavoro costituito da esperti in malattie Rare" relativi alle Malattie Rare.	
PDTA.	DGR del 10.03.2014, n. 61 Integrazione individuazione, in via provvisoria, dei presidi di riferimento regionale per malattie rare ai sensi del DM 18 maggio 2001 n. 279. si valutano le capacità assistenziali dei singoli reparti e dei "percorsi" aziendali predisposti.	



DGR del 06.06.2006 n 737

Regolamentazione farmaci di fascia H: modalita' di prescrizione ed erogazione

DGR del 06.06. 2008 n 979

DGR n. 737 del 06.06.2006 integrazione e modifica. Modalità di prescrizione, erogazione e controllo dei farmaci di fascia H specifici per malattie rare.

I rimborso di tali farmaci somministrati in regime di ricovero ordinario o in Day Hospital o Day Surgery è ricompreso nel DRG della prestazione. I farmaci eventualmente somministrati ambulatorialmente o erogati in forma diretta per uso domiciliare saranno rimborsati attraverso le modalità della compensazione interaziendale con la procedura prevista dalla DGRC n. 1271 del 28.3.2005 secondo quanto già disposto dalle circolari dell'Assessore alla Sanità n. 5152 del 4.6.97 e n 8284 del 10.10.1997 - File F -. Il costo del farmaco deve corrispondere al prezzo di acquisto dei farmaci da parte dell'Ente.

Esenzioni /Ticket/ Farmaci.

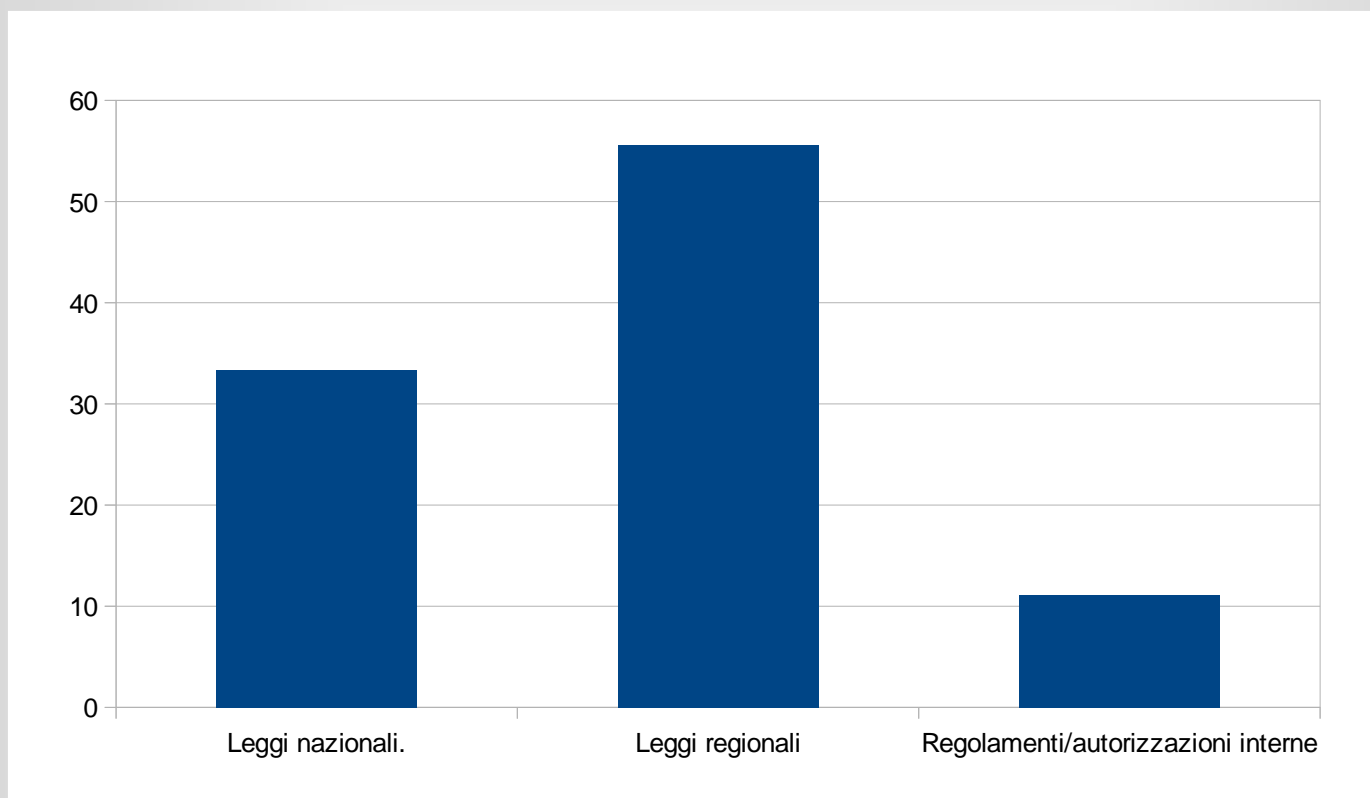
Altri progetti o gruppi di studio attivi

REGIONE CAMPANIA

...qualche dato dalla survey SIFO..



Qual è il supporto normativo per erogare i prodotti della domanda precedente (relativamente alle risposte da A a D)



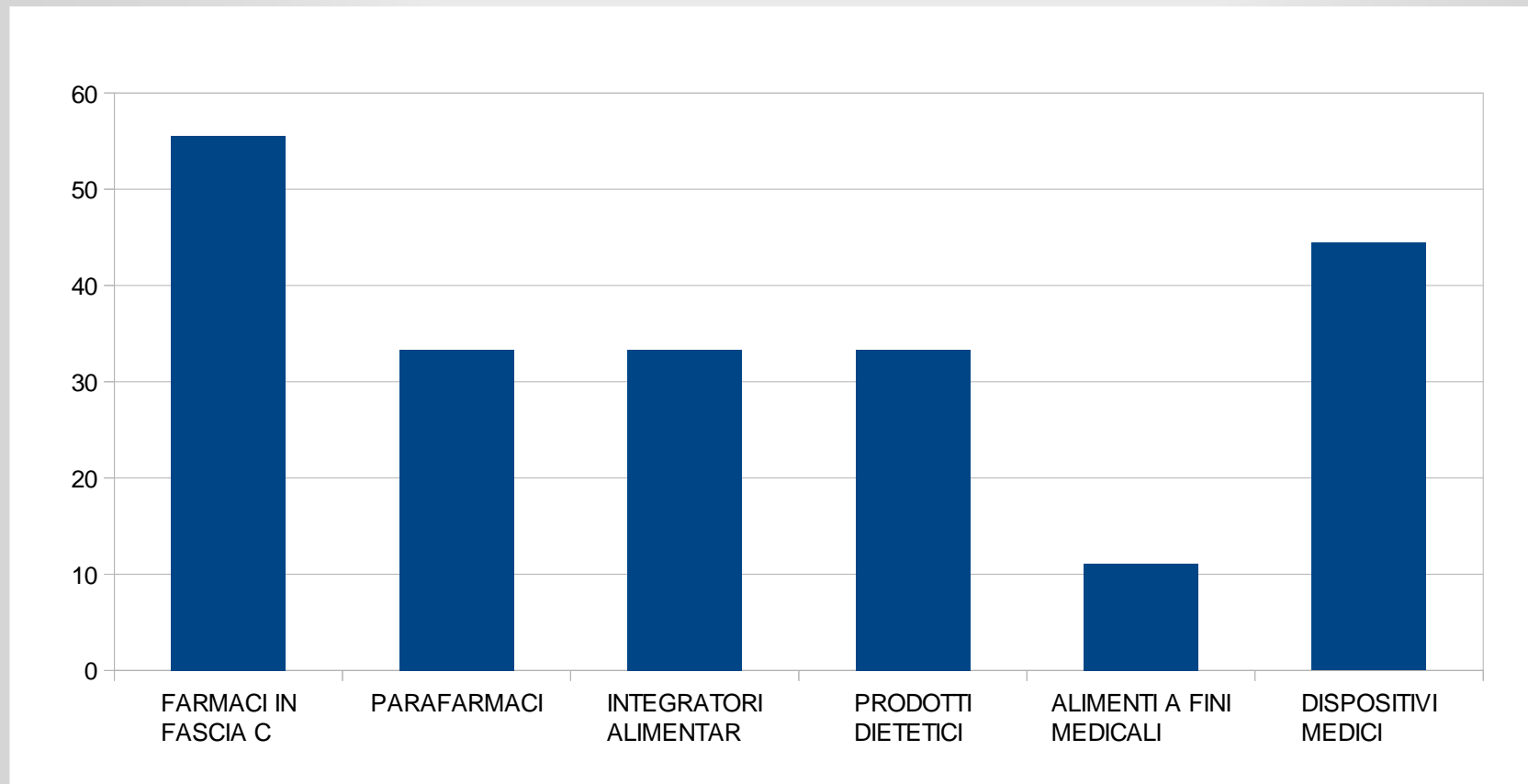
“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE CAMPANIA

...qualche dato dalla survey SIFO..



Quali altri prodotti, indicati dallo specialista come indispensabili e insostituibili, eroghi ad un paziente affetto da malattia rara? (Possibili risposte multiple)



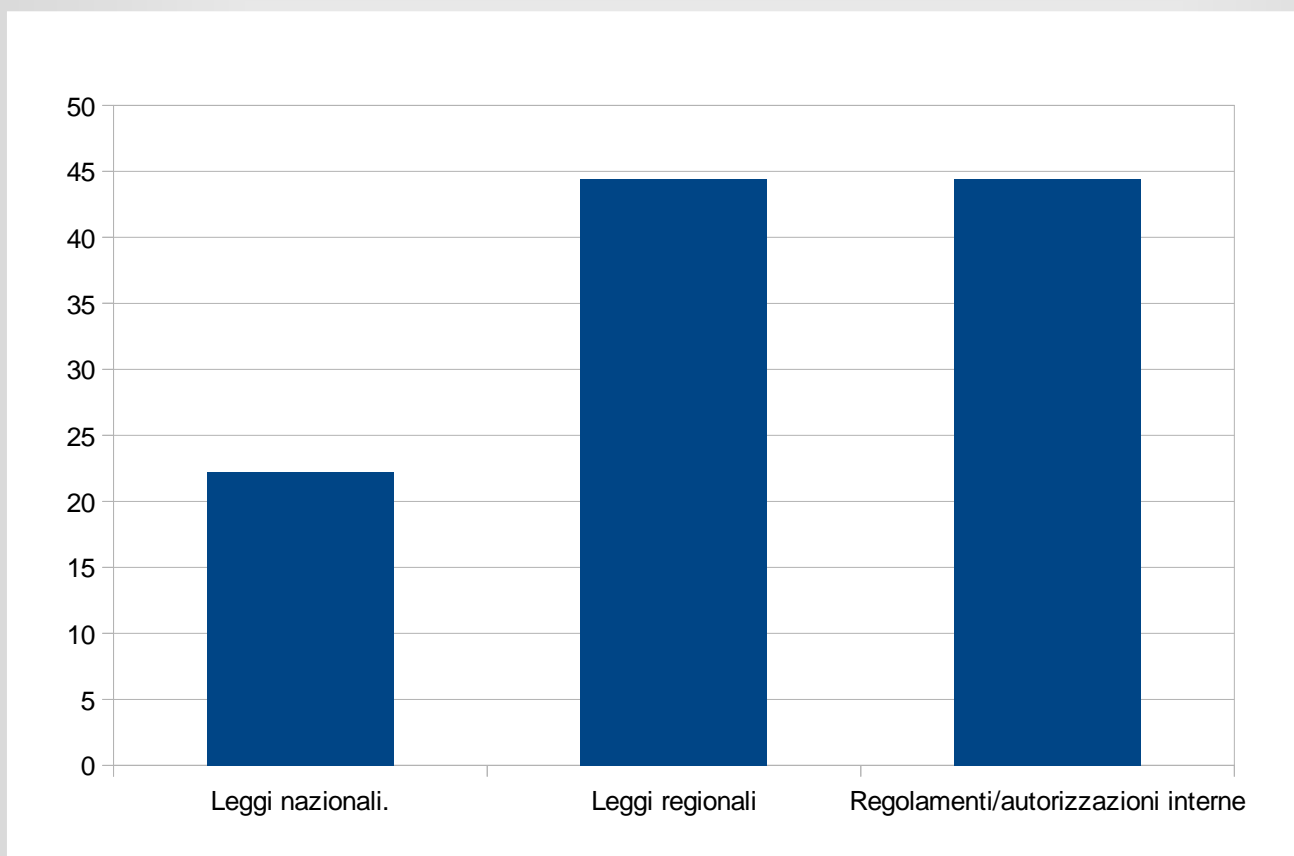
“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE CAMPANIA

...qualche dato dalla survey SIFO..



Qual è il supporto normativo per erogare i prodotti della domanda precedente.



“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015



	Lo utilizzi?
	Com'è il flusso per inserimento dei dati: Presidio accreditato → registro regionale → ISS oppure Centro accreditato → ISS → e poi al Registro Regionale oppure altro percorso (quale?)
	Chi inserisce i dati nel registro regionale?
	Nel registro regionale vengono certificate solo le malattie rare comprese nell'elenco 279/01?
Registro regionale	Vengono certificate anche altre malattie rare extra DM 279/01?
	Viene condiviso con altre regioni? Se sì, quali?
	Come avviene l'integrazione delle informazioni?
Registri interregionali	Esiste una delibera che regola l'accordo/ convenzione?

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE” Napoli 8 giugno 2015

	Utilizzate anche altri registri come registri di patologia, o database per raccogliere informazioni differenti come il registro per i farmaci orfani?
Altri registri	Come avviene il record linkage delle informazioni?
	Come avviene la comunicazione tra i presidi della rete? (Esistono piattaforme informatiche, telemedicina, etc...)
	Com'è il modello di rete (es. modello Hub –Spoke come l'Emilia Romagna o come la Toscana con centri di coordinamento e presidi di riferimento).
	C'è un centro coordinatore?
	Esiste una legge regionale o aziendale?
	Come avviene la comunicazione tra presidio che rilascia il certificato di diagnosi di malattia rara e l'ASL di residenza che rilascia il certificato di esenzione?
Organizzazione Rete dei Presidi	Come si comporta la tua regione nei confronti dei non residenti con diagnosi di malattia rara?
Malattie	Esistono accordi tra la tua regione ed altre regioni per specifiche malattie o gruppi di malattie per regolamentare percorsi di cura condivisi?
	Esiste un Elenco di malattie rare non comprese nel DM 279/01?
	Tale elenco è normato con delibere regionali o aziendali? Esiste una procedura di inserimento della malattia nel registro regionale o in elenchi appositi con delibere apposite?
Come la regione gestisce i pazienti con diagnosi di malattia rara non inclusa nel decreto 279/01?	Quale è lo scopo dell'inserimento? (es. Epidemiologico per verificare il numero di malattie rare sul territorio? Inserire la malattia negli elenchi per l'esenzione?...)
	Sei a conoscenza di delibere extra LEA nella tua regione? Se sì, quali?





	Esistono delle delibere regionali o aziendali di gestione sulla modalità di erogazione farmaci Extra LEA?
	Esiste un gruppo tecnico che esamina le pratiche?
	Qual è l'iter della richiesta a livello aziendale e/o regionale
	Chi si occupa della richiesta nella tua azienda?
	Sono richieste per casi ad personam...singoli o specifiche malattie o gruppi di malattie?
	Il diritto all'esenzione è valido solo per i residenti o per tutti?
	Come si comporta la regione rispetto ai farmaci in fascia C?
Farmaci	Esiste una delibera o circolare regionale che ne regola l'erogazione?
	Sono presenti a livello regionale dei progetti di E-health? (strumenti di comunicazione, compresi quelli telematici, per l'attività di consulenza fra i Centri per la valutazione dei casi clinici, o fascicolo sanitario elettronico o cartella clinica informatizzata del paziente per la patologia rara.) Se sì, quali?
	Esistono delle forme di organizzazione idonee come sportelli o piattaforme aziendali che permettono a familiari e pazienti di trovare agevolmente informazioni?
	Sono stati sviluppati a livello regione dei PDTA?
	Quali? E' possibile reperirli sul sito dedicato alle malattie rare?
Ospedale/ territorio: PDTA	Esistono dei gruppi tecnici per elaborazione di PDTA o per gruppi di malattie a livello regionale o a livello aziendale?
	Esiste a livello regionale un piano di investimento per le malattie rare (fondi strutturali)
	Ritieni che la tua regione possa implementare un aspetto legato alle malattie rare? Se sì, quale?
Come vengono coinvolte le associazioni di pazienti	Esiste un rappresentante dei pazienti all'interno delle commissioni regionali?

Esiste nella tua Regione una delibera per lo screening neonatale?



Perché la domanda sulle delibere aziendali è stata saltata dall'80% dei farmacisti?

Legislazione sui prodotti che ogni regione può dispensare con conseguente confronto.

- **Registro malattie rare dell'ISS:**
 - ✓ **Lo utilizzi?**
 - ✓ **Come accedi?**
 - ✓ **Sei autenticato?**
 - ✓ **Ci fornisci i dati che inserisci nel registro?**

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

Sardegna



“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE SARDEGNA



DGRS del 23.08.2003 n. 30-11:

individuazione dei presidi regionali per le malattie rare e adempimenti regionali in attuazione del Decreto Ministeriale 18 Maggio 2001, n ° 279.

DGRS del 26.11.2013 n. 49-34:

revisione della rete regionale per le malattie rare.

Decreto dell'Assessore dell'Igiene e Sanità e dell'Assistenza sociale del 17 luglio 2006 n. 15:

istituzione del Comitato tecnico-scientifico per le malattie rare .

Decreto dell'Assessore dell'Igiene e Sanità e dell'Assistenza sociale del 14.10.2009 n. 50:
modifica composizione del Comitato tecnico-scientifico per le malattie rare.

Direzione generale della Sanità servizio assistenza distrettuale, ospedaliera, farmaceutica e osservatorio epidemiologico regionale nota prot 14/07/2008 nr 0015449 classifica XV 87: *adempimenti in capo ai centri di riferimento regionali per patologie e ai centri assistenziali della rete regionale delle malattie rare in materia d'esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni e assistenza farmaceutica, in attuazione della DGR n 26/15 del 06/05/2008.*

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE SARDEGNA



DGRS. del 29.3.2011 n. 15/12:

estensione dello screening neonatale delle malattie metaboliche ereditarie

DGRS del 26.11.2013 n. 49/40:

programma sperimentale di interventi a favore di alcune categorie di pazienti affetti da malattia rara. Erogazione di prestazioni aggiuntive a carico del Servizio Sanitario Regionale. Euro 275.000. Bilancio regionale 2013, UPB S05.01.005 -Cap. SC05.0117.

DGRS del 2.12.2014 n. 48/33:

programma di interventi a favore di alcune categorie di pazienti affetti da malattia rara. Erogazione di prestazioni aggiuntive a carico del Servizio Sanitario Regionale. € 300.000. Bilancio regionale 2014. UPB S05.01.005 - Cap. SC05.0117.

Decreto dell'Assessore dell'Igiene e Sanità e dell'Assistenza sociale del 14 febbraio 2014 n. 9:

aggiornamento parziale del Prontuario Terapeutico Regionale di cui alla DGR n. 56/94 del 29 dicembre 2009.

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

Organizzazione della rete

La rete regionale per le malattie rare è organizzata nel seguente modo:



- Un Centro di Riferimento Regionale Malattie Rare (CRRMR - II Clinica Pediatrica dell'ospedale Regionale per le Microcitemie secondo piano sanitario regionale)
- Uno o più Centri di Riferimento per Patologia (CRP) per ciascuna malattia rara.
 - Per le patologie molto rare, rispetto alle quali non è stata riscontrata alcuna casistica, è stato confermato quale unico CRP la II Clinica Pediatrica del Presidio Ospedaliero per le Microcitemie dell'Azienda Sanitaria Locale n. 8 di Cagliari, che assicurerà la presa in carico dell'assistito per gli aspetti diagnostici e clinici.
 - A supporto delle attività dei CRP sono stati individuati la struttura di Genetica Medica ASL 8 Cagliari, P.O Binaghi, i laboratori di Genetica Clinica AOU Sassari e il Centro Screening della II Clinica Pediatrica del P.O. Microcitemico, con funzioni prevalentemente di consulenza genetica ed ausilio diagnostico specialistico.

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015



CENTRO DI RIFERIMENTO REGIONALE PER LE

MALATTIE RARE

800 050 040
Ospedale Pediatrico Microcitemico
2^a Clinica Pediatrica
Via Jenner, 09100 Cagliari



Competenze del CRRMR

- Gestire la Convenzione con il Registro Regionale Malattie Rare della Regione Veneto che consentirà alla Regione Sardegna di acquisire un sistema informativo sulle malattie rare con struttura e funzionalità analoghe con quanto implementato in Veneto
- Supportare la Regione per soddisfare il debito informativo nei confronti del Registro Nazionale Malattie Rare presso l'ISS
- Promuovere, d'intesa con la Regione Sardegna, rapporti di collaborazione con l'Istituto Superiore di Sanità (ISS) e con altre Regioni

- Coordinare la Rete dei Presidi per le malattie rare
- Definire e promuovere i protocolli clinici e diagnostici con il coinvolgimento e il supporto dei CRP
- Costituire riferimento privilegiato per le Associazioni dei pazienti e dei loro familiari
- Consulenza e supporto ai pazienti e ai medici del SSN in ordine alle Malattie Rare

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

Organizzazione della rete

La rete regionale per le malattie rare è organizzata nel seguente modo:



- Uno o più Centri di Riferimento per Patologia (CRP) per ciascuna malattia rara.

Competenze del CRP

- Presa in carico del paziente e rilascio di certificati d'esenzione
- Alimentazione del registro
- Prevenzione e sorveglianza
- Promozione dell'informazione al cittadino
- Attività di supporto e formazione degli operatori sanitari
- Collaborazione con Associazioni di pazienti e di volontariato
- Collaborazione con servizi territoriali e con medici di medicina generale e pediatri di libera scelta.
- Assistenza psico-sociale

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015



Delibera Recepimento D.M. 279/01	DGRS del 23.08.2003 n 30-11 <i>individuazione dei presidi regionali per le malattie rare e adempimenti regionali in attuazione del Decreto Ministeriale 18 Maggio 2001, n ° 279</i>
Rete regionale.	DGRS del 26.11.2013 n 49-34 <i>Revisione della rete regionale per le malattie rare</i>
Centri interregionali.	?
Commissione regionale/ Gruppo Tecnico/ Gruppo di Coordinamento Regionale/ Strutture di coordinamento.	Decreto dell'Assessore dell'Igiene e Sanità e dell'Assistenza sociale del 17 luglio 2006, n. 15 <i>istituzione del Comitato tecnico-scientifico per le malattie rare e smi è costituito da rappresentanti dell'Assessorato dell'Igiene e Sanità e dell'Assistenza Sociale, delle Aziende Sanitarie Locali e delle Università degli Studi di Cagliari e di Sassari e dai rappresentanti delle Associazioni dei pazienti.</i>
PDTA	<i>i protocolli diagnostico terapeutici sono definiti dal CRP sulla base dei criteri stabiliti dal Centro Regionale di Riferimento</i>
	DGRS. del 29.3.2011 n 15/12 <i>Estensione dello screening neonatale delle malattie metaboliche ereditarie</i>



Direzione generale della Sanità servizio assistenza distrettuale, ospedaliera, farmaceutica e osservatorio epidemiologico regionale nota prot 14/07/2008 nr 0015449 classifica XV 87 adempimenti in capo ai centri di riferimento regionali per patologie e ai centri assistenziali della rete regionale delle malattie rare in materia d'esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni e assistenza farmaceutica, in attuazione della DGR n 26/15 del 06/05/2008

regime d'esenzione le prestazioni finalizzate alla diagnosi della malattia rara. Per le malattie rare di origine ereditaria le indagini sono estese ai familiari in forma gratuita.

Esenzioni /Ticket/ Farmaci.

le terapie farmacologiche prescritte ai pazienti devono essere previste nei protocolli clinici definiti dai CRP sulla base dei criteri stabiliti dal centro di riferimento regionale. Sono erogati

I farmaci di fascia A ricompresi nel PTN

I farmaci di fascia H registrati in Italia e PTN

i farmaci inseriti nell'elenco predisposto ai sensi della L.648/1996

i farmaci non registrati in Italia ma registrati all'estero per la patologia trattata, previsti dai protocolli clinici definiti dai centri regionali di riferimento per le patologie sulla base di criteri definiti dal Centro Regionale di Riferimento

i farmaci orfani

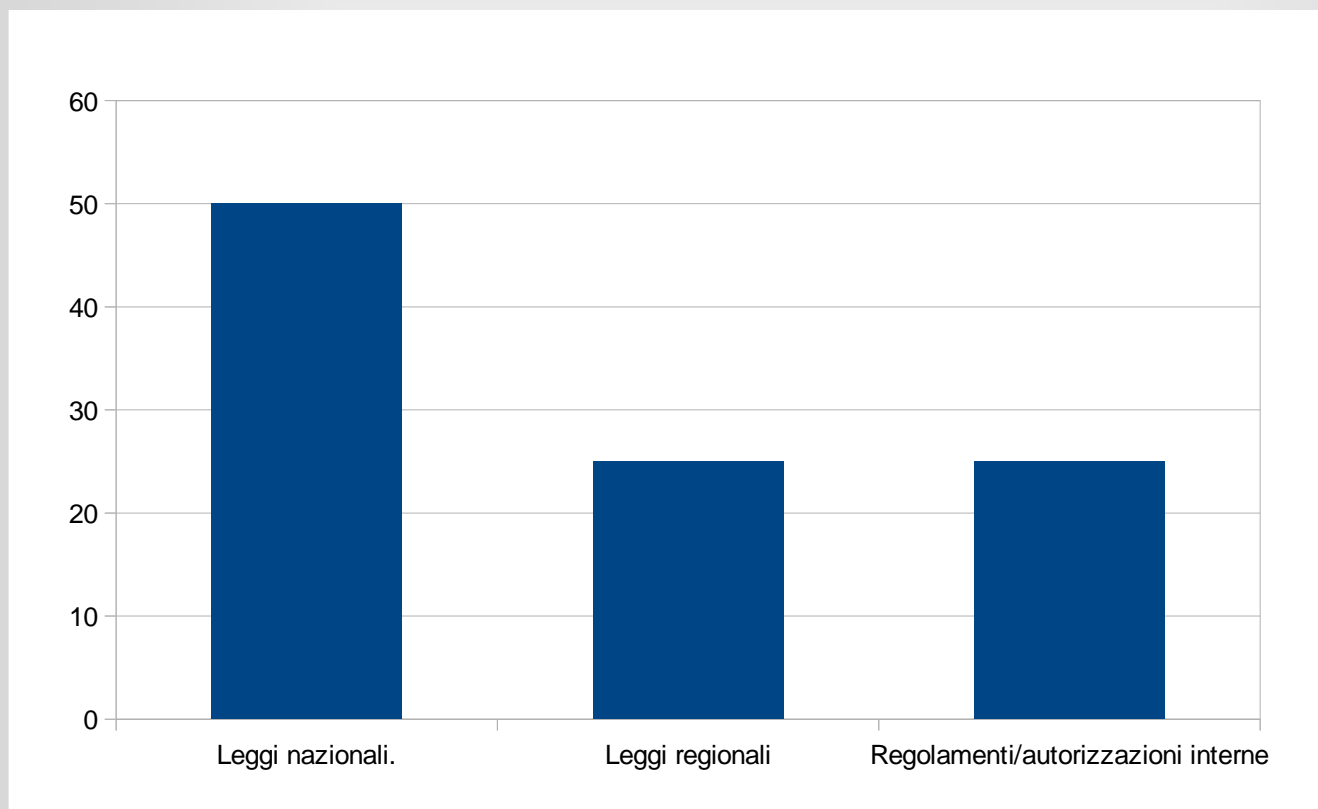
i farmaci di fascia C

REGIONE SARDEGNA

...qualche dato dalla survey SIFO..



Qual è il supporto normativo per erogare i prodotti della domanda precedente (relativamente alle risposte da A a D)



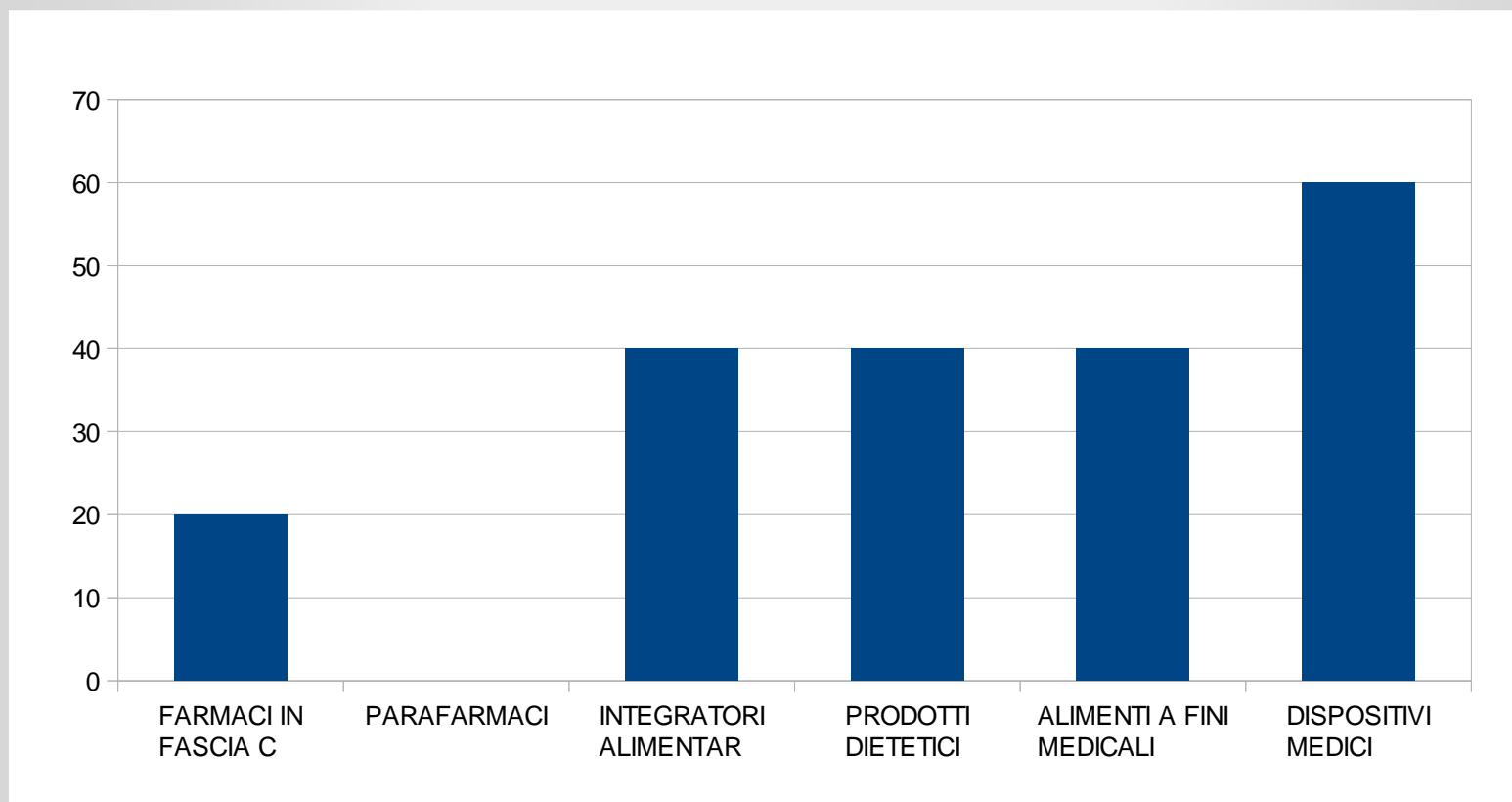
“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE SARDEGNA

...qualche dato dalla survey SIFO..



Quali altri prodotti, indicati dallo specialista come indispensabili e insostituibili, eroghi ad un paziente affetto da malattia rara? (Possibili risposte multiple)



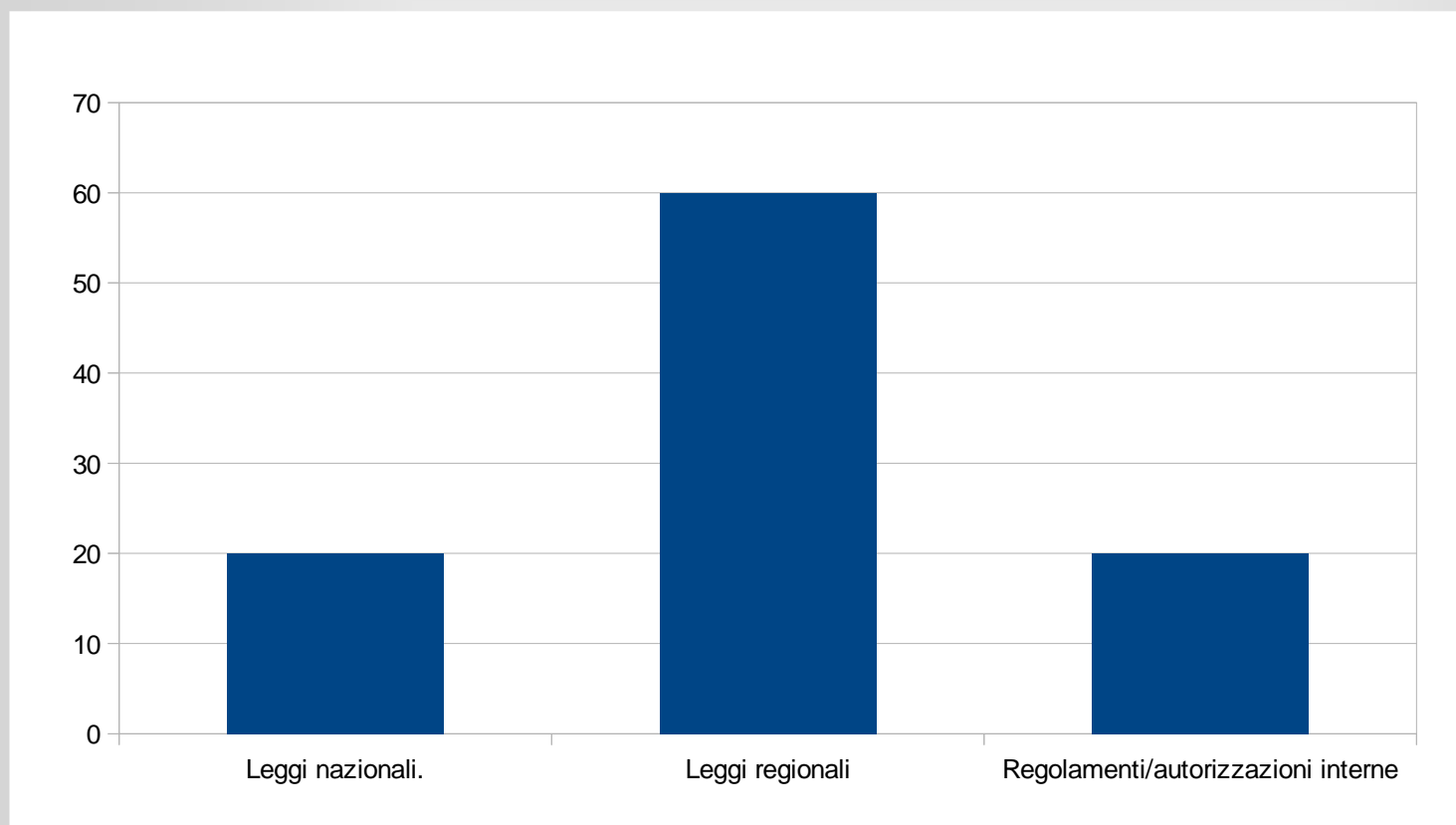
“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE SARDEGNA

...qualche dato dalla survey SIFO..



Qual è il supporto normativo per erogare i prodotti della domanda precedente.



“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015



	Lo utilizzi?
	Com'è il flusso per inserimento dei dati: Presidio accreditato → registro regionale → ISS oppure Centro accreditato → ISS → e poi al Registro Regionale oppure altro percorso (quale?)
	Chi inserisce i dati nel registro regionale?
	Nel registro regionale vengono certificate solo le malattie rare comprese nell'elenco 279/01?
Registro regionale	Vengono certificate anche altre malattie rare extra DM 279/01?
	Viene condiviso con altre regioni? Se si, quali?
	Come avviene l'integrazione delle informazioni?
Registri interregionali	Esiste una delibera che regola l'accordo/ convenzione?

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE” Napoli 8 giugno 2015

	Utilizzate anche altri registri come registri di patologia, o database per raccogliere informazioni differenti come il registro per i farmaci orfani?
Altri registri	Come avviene il record linkage delle informazioni?
	Come avviene la comunicazione tra i presidi della rete? (Esistono piattaforme informatiche, telemedicina, etc...)
	Com'è il modello di rete (es. modello Hub –Spoke come l'Emilia Romagna o come la Toscana con centri di coordinamento e presidi di riferimento).
	C'è un centro coordinatore?
	Esiste una legge regionale o aziendale?
	Come avviene la comunicazione tra presidio che rilascia il certificato di diagnosi di malattia rara e l'ASL di residenza che rilascia il certificato di esenzione?
Organizzazione Rete dei Presidi	Come si comporta la tua regione nei confronti dei non residenti con diagnosi di malattia rara?
Malattie	Esistono accordi tra la tua regione ed altre regioni per specifiche malattie o gruppi di malattie per regolamentare percorsi di cura condivisi?
	Esiste un Elenco di malattie rare non comprese nel DM 279/01?
	Tale elenco è normato con delibere regionali o aziendali? Esiste una procedura di inserimento della malattia nel registro regionale o in elenchi appositi con delibere apposite?
Come la regione gestisce i pazienti con diagnosi di malattia rara non inclusa nel decreto 279/01?	Quale è lo scopo dell'inserimento? (es. Epidemiologico per verificare il numero di malattie rare sul territorio? Inserire la malattia negli elenchi per l'esenzione?...)
	Sei a conoscenza di delibere extra LEA nella tua regione? Se sì, quali?





	Esistono delle delibere regionali o aziendali di gestione sulla modalità di erogazione farmaci Extra LEA?
	Esiste un gruppo tecnico che esamina le pratiche?
	Qual è l'iter della richiesta a livello aziendale e/o regionale
	Chi si occupa della richiesta nella tua azienda?
	Sono richieste per casi ad personam...singoli o specifiche malattie o gruppi di malattie?
	Il diritto all'esenzione è valido solo per i residenti o per tutti?
	Come si comporta la regione rispetto ai farmaci in fascia C?
Farmaci	Esiste una delibera o circolare regionale che ne regola l'erogazione?
	Sono presenti a livello regionale dei progetti di E-health? (strumenti di comunicazione, compresi quelli telematici, per l'attività di consulenza fra i Centri per la valutazione dei casi clinici, o fascicolo sanitario elettronico o cartella clinica informatizzata del paziente per la patologia rara.) Se sì, quali?
	Esistono delle forme di organizzazione idonee come sportelli o piattaforme aziendali che permettono a familiari e pazienti di trovare agevolmente informazioni?
	Sono stati sviluppati a livello regione dei PDTA?
	Quali? E' possibile reperirli sul sito dedicato alle malattie rare?
Ospedale/ territorio: PDTA	Esistono dei gruppi tecnici per elaborazione di PDTA o per gruppi di malattie a livello regionale o a livello aziendale?
	Esiste a livello regionale un piano di investimento per le malattie rare (fondi strutturali)
	Ritieni che la tua regione possa implementare un aspetto legato alle malattie rare? Se sì, quale?
Come vengono coinvolte le associazioni di pazienti	Esiste un rappresentante dei pazienti all'interno delle commissioni regionali?

Esiste nella tua Regione una delibera per lo screening neonatale?



Perché la domanda sulle delibere aziendali è stata saltata dall'80% dei farmacisti?

Legislazione sui prodotti che ogni regione può dispensare con conseguente confronto.

- **Registro malattie rare dell'ISS:**
 - ✓ **Lo utilizzi?**
 - ✓ **Come accedi?**
 - ✓ **Sei autenticato?**
 - ✓ **Ci fornisci i dati che inserisci nel registro?**

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

Puglia



“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE” , Napoli 8 giugno 2015

REGIONE PUGLIA



DGRP del 10.02.2015 n. 158:

Accordo Conferenza Stato – Regioni del 16/10/2014 “Piano Nazionale per le Malattie Rare 2013-2016”– RECEPIMENTO - Piano Programmatico 2013-2016 del Coordinamento Regionale Malattie Rare (CoReMaR) Puglia – APPROVAZIONE - Linee Guida ed Istruzioni operative in materia di Assistenza ai pazienti affetti da Malattia rara – APPROVAZIONE.

DGRP del 31.07.2012 n. 1591:

D.M. 18 maggio 2001, n. 279 – Rete regionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi, la terapia delle malattie rare – Ricognizione dei Centri interregionali di riferimento (CIR) e dei Presidi della Rete Nazionale (PRN) di cui alla deliberazione di Giunta regionale n. 2238 del 23.12.2003 e s.m.i.

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE” , Napoli 8 giugno 2015

REGIONE PUGLIA



DGRP del 07-08-2012 n. 1695:

Art. 39 L.R. 4/2010. D.M. 279/2001. DGR n.2283/2003 e s.m.i. DGR n. 2845/2009. Avvio del Sistema Informativo delle Malattie Rare della Regione Puglia (SIMaRRP).

DGRP del 15 dicembre 2009 n. 2485:

malattie rare – D.M. n. 279 del 18 maggio 2001 – Accordo Stato-Regioni del 10 maggio 2007 – Istituzione Centro di assistenza e ricerca sovraziendale – Costituzione Coordinamento regionale

Legge regionale Puglia n. 23 del 19/10/2008:

Piano regionale della salute.

DGR del 23 dicembre 2003 n.2238:

"Rete regionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi, la terapia delle malattie rare ai sensi del Decreto Ministeriale n. 279/01".

"PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE", Napoli 8 giugno 2015

REGIONE PUGLIA



DGR del 23 dicembre 2003 n 2238

"Rete regionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi, la terapia delle malattie rare ai sensi del Decreto Ministeriale n. 279/01"
la delibera istituisce la rete regionale.

Legge regionale Puglia n. 23 del 19/10/2008

"Piano regionale della salute"

ha istituito un Centro di coordinamento regionale in grado di assicurare il collegamento funzionale con ogni singolo presidio della rete, di raccogliere le richieste dei medici e dei pazienti per smistarle verso i Presidi, di rendere disponibili ed efficaci reti operative di comunicazione, di supportare l'attività di raccolta e di smistamento delle informazioni e l'inserimento in rete di notizie, attribuendo al predetto Centro le funzioni di cui al D.M. 279/2001.

"PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE", Napoli 8 giugno 2015

REGIONE PUGLIA



DGRP del 07-08-2012 n. 1695
Art. 39 L.R. 4/2010. D.M.
279/2001. DGR n.2283/2003 e
s.m.i. DGR n. 2845/2009. Avvio
del Sistema Informativo delle
Malattie Rare della Regione
Puglia (SIMaRRP).

Linee Guida Regionali ed Istruzioni
Operative in Materia di Assistenza ai
pazienti affetti da malattie Rare in
ottemperanza al
Piano Nazionale Malattie Rare 2013-
2016 del 16 ottobre 2014
coordinamento regionale malattie
rare

DGRP del 15 dicembre 2009 n 2485
malattie rare – D.M. n. 279 del 18 maggio 2001 –
Accordo Stato-Regioni del 10 maggio 2007 –
Istituzione Centro di assistenza e ricerca
sovraziendale – Costituzione Coordinamento
regionale
Ha funzioni di collegamento in fatto di assistenza
(ambulatoriale ed ospedaliera), di diagnosi prenatale (
presa in carico della gestante, raccordo con ginecologi
e con il laboratorio di genetica), di ricerca e di contact
center (attività diurna e registrazione contatti). La
stessa deliberazione n. 2485/2009 ha identificato quale
Centro di assistenza e ricerca sovraziendale per le
malattie rare il Centro Interregionale di riferimento per la
Teleangectasia Emorragica Ereditaria (HHT) (cfr.
deliberazione G.R. n. 2238 del 23.12.2003) .

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015



Esenzioni /Ticket/ Farmaci.

DGR n. 1389/2011 e DGR n. 1391/2011

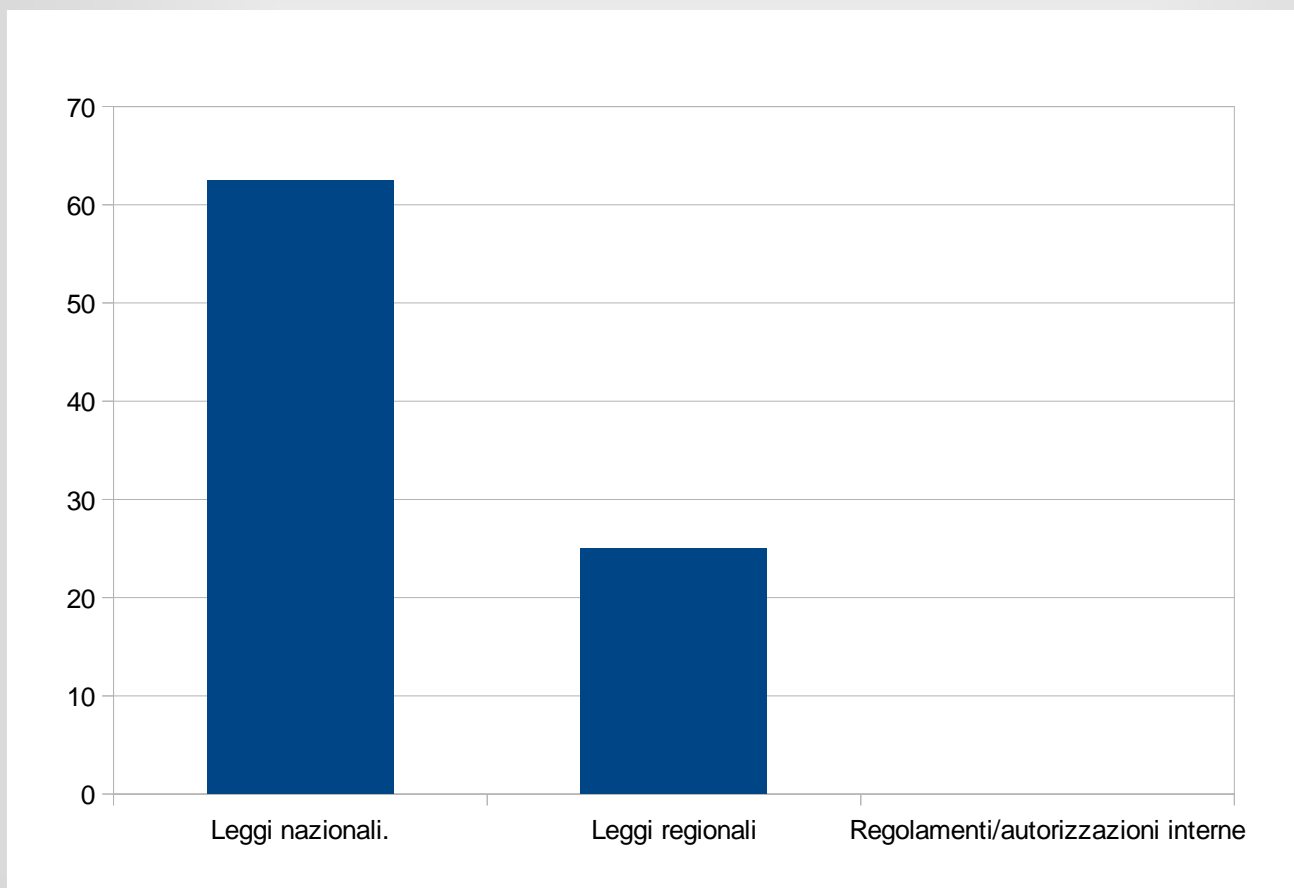
Esenzione totale sul totale farmaci correlati strettamente alla propria patologia. Quota fissa ricetta 1 euro e pagamento della Differenza tra prezzo di vendita al pubblico e prezzo rimborso

REGIONE PUGLIA

...qualche dato dalla survey SIFO..



Qual è il supporto normativo per erogare i prodotti della domanda precedente (relativamente alle risposte da A a D)



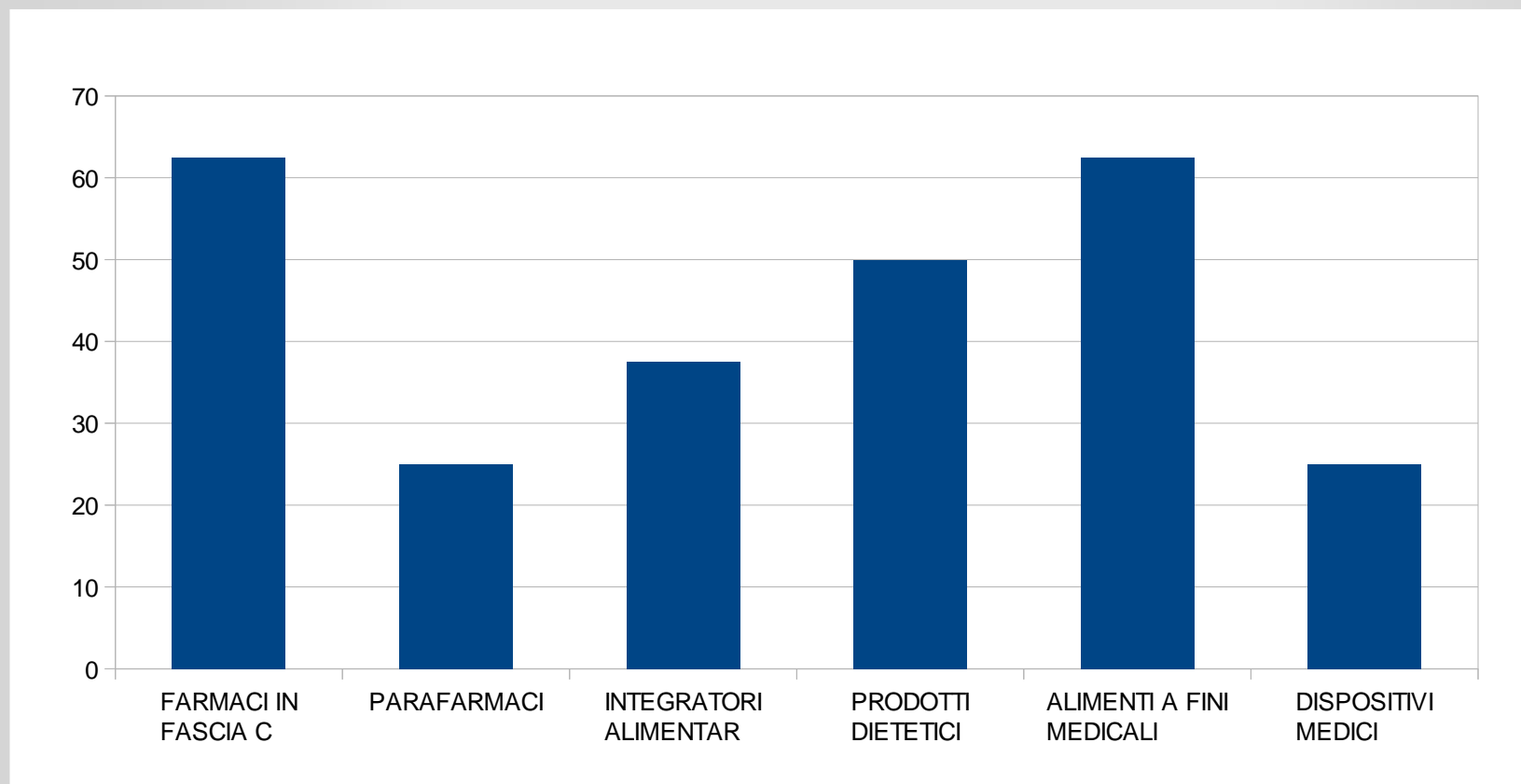
“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE PUGLIA

...qualche dato dalla survey SIFO..



Quali altri prodotti, indicati dallo specialista come indispensabili e insostituibili, eroghi ad un paziente affetto da malattia rara? (Possibili risposte multiple)



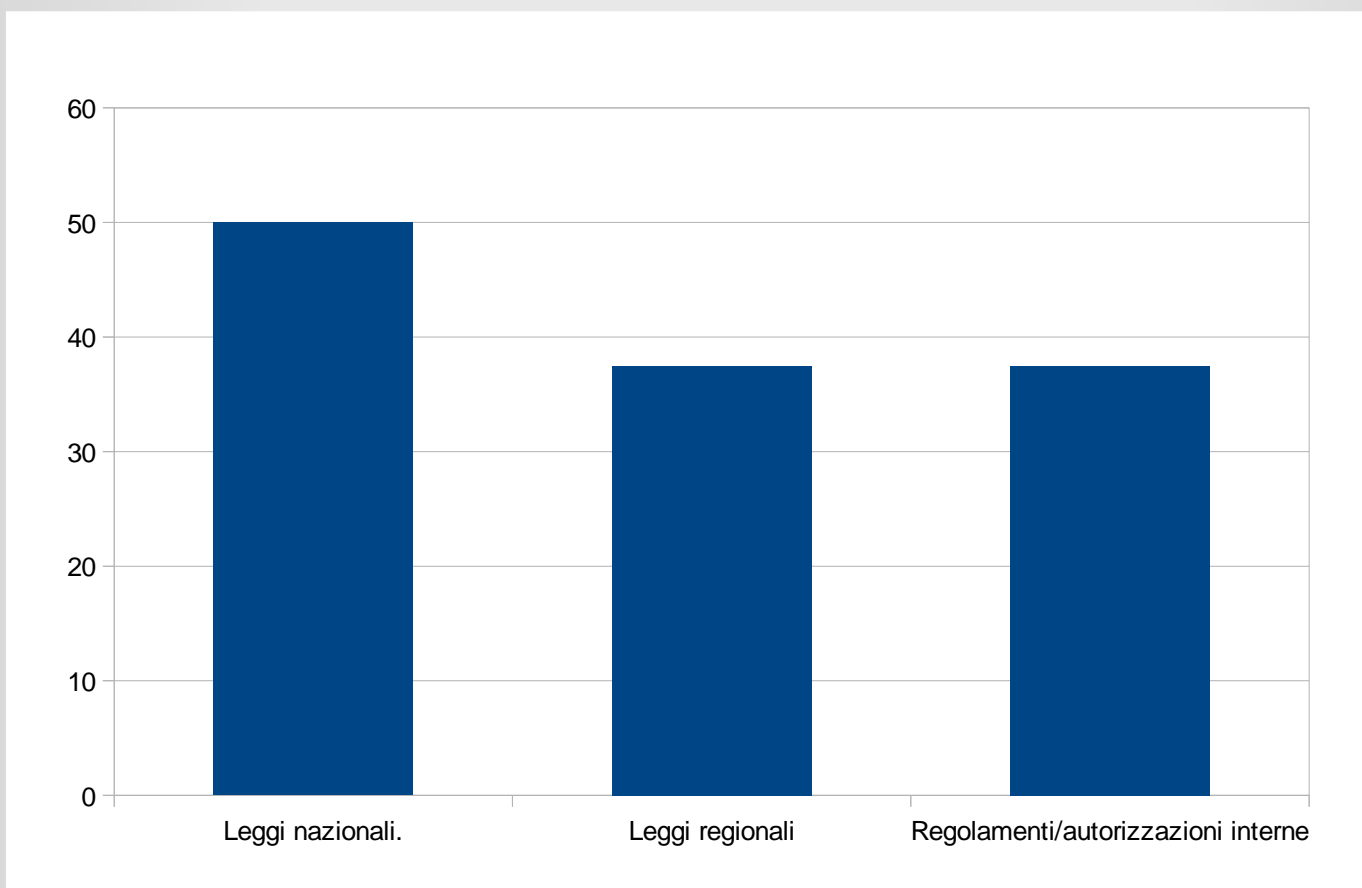
“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015

REGIONE PUGLIA

...qualche dato dalla survey SIFO..



Qual è il supporto normativo per erogare i prodotti della domanda precedente.



“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015



	Lo utilizzi?
	Com'è il flusso per inserimento dei dati: Presidio accreditato → registro regionale → ISS oppure Centro accreditato → ISS → e poi al Registro Regionale oppure altro percorso (quale?)
	Chi inserisce i dati nel registro regionale?
	Nel registro regionale vengono certificate solo le malattie rare comprese nell'elenco 279/01?
Registro regionale	Vengono certificate anche altre malattie rare extra DM 279/01?
	Viene condiviso con altre regioni? Se si, quali?
	Come avviene l'integrazione delle informazioni?
Registri interregionali	Esiste una delibera che regola l'accordo/ convenzione?

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE” Napoli 8 giugno 2015

	Utilizzate anche altri registri come registri di patologia, o database per raccogliere informazioni differenti come il registro per i farmaci orfani?
Altri registri	Come avviene il record linkage delle informazioni?
	Come avviene la comunicazione tra i presidi della rete? (Esistono piattaforme informatiche, telemedicina, etc...)
	Com'è il modello di rete (es. modello Hub –Spoke come l'Emilia Romagna o come la Toscana con centri di coordinamento e presidi di riferimento).
	C'è un centro coordinatore?
	Esiste una legge regionale o aziendale?
	Come avviene la comunicazione tra presidio che rilascia il certificato di diagnosi di malattia rara e l'ASL di residenza che rilascia il certificato di esenzione?
Organizzazione Rete dei Presidi	Come si comporta la tua regione nei confronti dei non residenti con diagnosi di malattia rara?
Malattie	Esistono accordi tra la tua regione ed altre regioni per specifiche malattie o gruppi di malattie per regolamentare percorsi di cura condivisi?
	Esiste un Elenco di malattie rare non comprese nel DM 279/01?
	Tale elenco è normato con delibere regionali o aziendali? Esiste una procedura di inserimento della malattia nel registro regionale o in elenchi appositi con delibere apposite?
Come la regione gestisce i pazienti con diagnosi di malattia rara non inclusa nel decreto 279/01?	Quale è lo scopo dell'inserimento? (es. Epidemiologico per verificare il numero di malattie rare sul territorio? Inserire la malattia negli elenchi per l'esenzione?...)
	Sei a conoscenza di delibere extra LEA nella tua regione? Se sì, quali?





	Esistono delle delibere regionali o aziendali di gestione sulla modalità di erogazione farmaci Extra LEA?
	Esiste un gruppo tecnico che esamina le pratiche?
	Qual è l'iter della richiesta a livello aziendale e/o regionale
	Chi si occupa della richiesta nella tua azienda?
	Sono richieste per casi ad personam...singoli o specifiche malattie o gruppi di malattie?
	Il diritto all'esenzione è valido solo per i residenti o per tutti?
	Come si comporta la regione rispetto ai farmaci in fascia C?
Farmaci	Esiste una delibera o circolare regionale che ne regola l'erogazione?
	Sono presenti a livello regionale dei progetti di E-health? (strumenti di comunicazione, compresi quelli telematici, per l'attività di consulenza fra i Centri per la valutazione dei casi clinici, o fascicolo sanitario elettronico o cartella clinica informatizzata del paziente per la patologia rara.) Se sì, quali?
	Esistono delle forme di organizzazione idonee come sportelli o piattaforme aziendali che permettono a familiari e pazienti di trovare agevolmente informazioni?
	Sono stati sviluppati a livello regione dei PDTA?
Ospedale/ territorio: PDTA	Quali? E' possibile reperirli sul sito dedicato alle malattie rare?
	Esistono dei gruppi tecnici per elaborazione di PDTA o per gruppi di malattie a livello regionale o a livello aziendale?
	Esiste a livello regionale un piano di investimento per le malattie rare (fondi strutturali)
	Ritieni che la tua regione possa implementare un aspetto legato alle malattie rare? Se sì, quale?
Come vengono coinvolte le associazioni di pazienti	Esiste un rappresentante dei pazienti all'interno delle commissioni regionali?

Esiste nella tua Regione una delibera per lo screening neonatale?



Perché la domanda sulle delibere aziendali è stata saltata dall'80% dei farmacisti?

Legislazione sui prodotti che ogni regione può dispensare con conseguente confronto.

- **Registro malattie rare dell'ISS:**
 - ✓ **Lo utilizzi?**
 - ✓ **Come accedi?**
 - ✓ **Sei autenticato?**
 - ✓ **Ci fornisci i dati che inserisci nel registro?**

“PROGETTO OSSERVATORIO MALATTIE RARE”, Napoli 8 giugno 2015