

## **Accordo Stato – regioni del 10 maggio 2007 (repertorio 103/CSR)**

Si tratta di un Accordo sul riconoscimento di Centri di Coordinamento regionali e/o interregionali; Presidi assistenziali sovra regionali per patologie a bassa prevalenza; ed attivazione dei Registri regionali ed interregionali delle malattie rare.

Grazie a questo accordo, le Regioni hanno concordato di concentrare la loro attività in tre ambiti:

- Registri regionali
- Riorganizzazione della Rete con l'identificazione dei Presidi della Rete, i Centri di Coordinamento regionali e/o interregionali
- Sviluppo di Percorsi Diagnostici Terapeutici Assistenziali (PDTA).

Ogni Regione ha sviluppato autonomamente un proprio progetto. Di seguito quanto riportato nell'atto 103/CSR del 10 maggio 2007.

### **Centri interregionali**

**I Centri di coordinamento regionali o interregionali devono:**

- Assicurare il collegamento funzionale con i singoli Presidi della Rete per le malattie rare
- Raccogliere le richieste di medici e/o pazienti e smistare le richieste verso i Presidi della Rete
- Assicurare la presenza di un'autonoma struttura in grado di supportare l'attività di raccolta e smistamento di informazioni attraverso linee telefoniche dedicate, inserimento e ricerca in rete di notizie.

### **Presidi della rete**

I Presidi alimentano i dati dei Registri regionali e devono costituire un punto di riferimento privilegiato per le associazioni dei pazienti e dei loro familiari.

Grazie all'attivazione dei Registri regionali (o interregionali) delle malattie rare, è possibile:

- acquisire informazioni utili al riconoscimento dei Presidi della Rete
- garantire l'operatività della Rete ed incrementare le conoscenze sulle malattie rare
- assicurare la presenza di personale dedicato
- avere a disposizione reti di comunicazione ed operative (attraverso lo sviluppo di adeguati collegamenti funzionali tra i servizi sociosanitari delle ASL ed i Presidi della Rete) per garantire la presa in carico dei pazienti e delle famiglie, la continuità delle cure e l'educazione sanitaria.

### **Registri regionali**

I Registri regionali sono a supporto del Governo, della Programmazione Sanitaria a livello locale e della gestione dei servizi e dell'assistenza dei pazienti.

I dati che alimentano i Registri sono rilevati solo dai Presidi identificati dalle Regioni.

Grazie alle informazioni dei Registri, è possibile conoscere l'attività svolta delle Reti regionali e di conseguenza l'identificazione di eventuali **Presidi nazionali o europei dedicati alle patologie rarissime**, secondo i criteri riportati.

### **I compiti delle Regioni**

Le Regioni secondo l'Accordo Stato Regioni del 2007:

- devono alimentare i Registri con un set minimo di dati e garantire il collegamento con il Registro nazionale e/o l'Istituto Superiore di Sanità
- devono individuare i Presidi mediante atti formali.

### **Il Tavolo per i farmaci orfani**

L'Accordo Stato Regioni del 2007 prevede anche l'attivazione di un Tavolo composto da Ministero della Salute, AIFA e Regioni, con il compito di definire le problematiche connesse all'erogazione

dei farmaci orfani ai pazienti in trattamento e segnalati al Registro Nazionale con le modalità sopra descritte.

### **Protocolli diagnostico terapeutici**

L'Accordo Stato Regioni del 2007 prevede lo **Sviluppo di Protocolli diagnostico-terapeutici che definiscano i percorsi assistenziali del paziente** affetto da malattia rara e documentino l'adozione di procedure organizzative per un **approccio interdisciplinare al paziente, l'integrazione con i servizi territoriali** ed il medico di medicina generale/pediatra di libera scelta, per l'**erogazione dell'assistenza in ambito domiciliare o nel luogo più vicino all'abitazione del paziente, nonché l'attività di follow-up a distanza.**

### **Presidi nazionali dedicati alla diagnosi e cura di pazienti con patologie a bassa prevalenza**

I presidi nazionali per la diagnosi e la cura delle malattie rare devono rispondere a precisi requisiti esposti qui di seguito.

#### **1) Documentata esperienza diagnostica, clinica, assistenziale:**

- a) Svolgimento di qualificata attività di ricerca sulle malattie rare, valutata secondo criteri oggettivi condivisi dalla comunità scientifica, con particolare riferimento alla ricerca clinica ed alle sperimentazioni di terapie innovative
- b) Numero di nuove diagnosi ed età dei soggetti
- c) Percentuale di casi diagnosticati provenienti da altre Province della stessa Regione e da altre Regioni
- d) Numero di casi trattati per gruppo di patologie e classe d'età
- e) Percentuale di casi trattati provenienti da altre Province della stessa Regione e da altre Regioni

#### **2) Dotazione strutturale e funzionale certificata al momento dell'individuazione del Presidio sovraregionale:**

- a) Idonea dotazione, garantita anche mediante il collegamento funzionale tra strutture diverse, definito con atti formali, di strutture di supporto e di servizi complementari, inclusi, per le malattie che lo richiedono:
  - Servizi per l'emergenza
  - Laboratori specializzati per la diagnostica biochimica e genetico-molecolare della malattia di interesse
- b) Utilizzo di procedure standard per la valutazione delle tecnologie nell'ambito dell'HTA
- c) Disponibilità di un sistema informativo e di supporto informatico idoneo all'attività da svolgere
- d) Disponibilità di organico numericamente e funzionalmente adeguato all'attività da svolgere
- e) Presenza di funzioni per la valutazione e la gestione del Governo clinico, mediante il piano per la gestione del rischio clinico e l'utilizzo di report secondo metodologia strutturata
- f) Accesso a banche dati nazionali ed internazionali
- g) Adozione di soluzioni che garantiscano la facilità di accesso da parte dei pazienti

#### **3) Essere funzionalmente e strutturalmente inserito all'interno di Reti formali regionali e/o sovraregionali di assistenza per le malattie rare:**

#### **4) Dotazione di Protocolli diagnostico-terapeutici che definiscano i percorsi assistenziali e documentino l'adozione di procedure organizzative funzionali alla gestione dell'assistenza del paziente con malattia rara, includendo:**

- a) Approccio interdisciplinare al paziente

- b) Integrazione con i servizi territoriali ed il medico di medicina generale/pediatra di libera scelta per tutte le prestazioni che possono essere svolte nel luogo più vicino all'abitazione del paziente o in ambito domiciliare
- c) Attività di follow-up a distanza

Grazie a tale accordo, che per la prima volta prevedeva il trasferimento dallo Stato Centrale alle Regioni, queste si sono e si stanno ancora attivando per la riorganizzazione della rete.