



**REGIONE
PUGLIA**

**DIPARTIMENTO PROMOZIONE DELLA SALUTE, DEL
BENESSERE**

SOCIALE E DELLO SPORT PER TUTTI

SEZIONE STRATEGIE E GOVERNO DELL'OFFERTA

**SERVIZIO ORGANIZZAZIONE ASSISTENZA OSPEDALIERA E
SPECIALISTICA**

**PROPOSTA DI DELIBERAZIONE
DELLA GIUNTA REGIONALE**

Codice CIFRA: SGO/DEL/2017_____

**OGGETTO: Approvazione del percorso di definizione dei Piani Diagnostico
Terapeutici (PDT) e dei Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali (PDTA) per le
Malattie rare – Istituzione “Tavolo farmaco/PDTA per le Malattie Rare”**

Il Presidente sulla base dell'istruttoria espletata dalla Responsabile della A.P. "Riabilitazione - Strutture residenziali e semiresidenziali, centri diurni e ambulatoriali – Strutture sociosanitarie", confermata dal Dirigente della Sezione Strategie e Governo dell'Offerta, riferisce quanto segue:

In attuazione dell'art.5, comma 1, lett. b) del d.lgs. 29 aprile 1998, n. 124, il Ministro della Sanità, con Decreto Ministeriale 18 maggio 2001, n. 279 ha adottato il "Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie".

Ai sensi dell'art. 2 dello stesso Decreto ministeriale è stata istituita la "Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare". Detta rete è costituita da presidi accreditati, individuati dalle Regioni sulla base di documentata esperienza in attività diagnostica o terapeutica specifica per le malattie o per i gruppi di malattie rare, con idonea dotazione di strutture di supporto e di servizi complementari, ivi inclusi, per le malattie che lo richiedono, servizi per l'emergenza e per la diagnostica biochimica e genetico- molecolare.

La Regione Puglia con deliberazioni di Giunta regionale n. 2238/2003, n. 464/2006 e 171/2008 ha istituito e successivamente aggiornato la prima rete regionale dei presidi per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare (PRN). Con deliberazione di Giunta regionale n. 1173/2015 la predetta rete è stata aggiornata sulla base dell'istruttoria condotta dal Coordinamento regionale per le malattie rare.

Con deliberazione n. 171 del 19/02/2008 la Giunta regionale ha recepito l'Accordo Stato-Regioni del 10 maggio 2007 che prevede di favorire il riconoscimento di Centri di Coordinamento regionali e/o interregionali che garantiscano, tra le funzioni previste dal D.M. 279/2001:

- La gestione del registro regionale o interregionale delle malattie rare, coordinata con i registri territoriali ed il Registro nazionale, fatte salve le diverse modalità organizzative adottate dalle regioni;
- lo scambio delle informazioni e della documentazione sulle malattie rare con gli altri Centri regionali o interregionali e con gli organismi internazionali competenti;
- il coordinamento dei Presidi della rete, al fine di garantire la tempestiva diagnosi e l'appropriata terapia, qualora esistente, anche mediante l'adozione di specifici protocolli concordati;
- la consulenza e supporto ai medici del Servizio Sanitario Regionale in ordine alle malattie rare ed alla disponibilità dei farmaci appropriati per il loro trattamento;
- la collaborazione alle attività formative degli operatori sanitari e del volontariato ed alle iniziative preventive;
- l'informazione ai cittadini ed alle associazioni dei malati e dei loro familiari in ordine alle malattie rare ed alla disponibilità dei farmaci.

La Regione Puglia con la legge n. 23 del 19/10/2008 "Piano regionale della salute" ha istituito un Centro di coordinamento regionale con l'attribuzione delle funzioni previste dal D.M. 279/2001.

Al fine di garantire le 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 Giunta regionale con deliberazione n. 2485 del 15/12/2009 ha istituito in Puglia un Centro di assistenza e ricerca sovraziendale per le malattie rare.

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) attualmente allocato presso la Clinica Frugoni dell'Azienda Ospedaliera Universitaria Policlinico di Bari.

Inoltre, la deliberazione n. 2485/2009 ha costituito presso l'Agenzia Regionale Sanitaria il Coordinamento regionale per le malattie Rare (CoReMaR), nominandone i Componenti, con il compito di affiancare e sostenere nelle funzioni innanzi riportate il predetto Centro sovraziendale.

Ai sensi del D.P.R. 7 aprile 2006 (Piano Sanitario Nazionale 2006-2008), sezione "La promozione di linee guida: il sistema nazionale Linee Guida", assumono particolare rilevanza le Linee Guida (LG), i Protocolli Diagnostico Terapeutici ed i Percorsi di Cura, strumenti che, nel loro insieme, rappresentano l'elaborazione sistematica di indicazioni basate sulle evidenze disponibili, secondo standard raccomandati, nel rispetto del principio di appropriatezza, con l'obiettivo di assistere i clinici ed i pazienti nel prendere decisioni, migliorare la qualità delle cure sanitarie e ridurre la variabilità nella pratica clinica e negli outcomes.

Il Piano Nazionale per le Malattie Rare 2013-2016, approvato con Accordo del 16/10/2014 dalla Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome di Trento e Bolzano, e recepito con la D.G.R. n. 158 del 10 febbraio 2015:

- al paragrafo 2.4 "Percorso Diagnostico e assistenziale", ribadisce che:
"Devono essere promossi e incentivati gli accordi tra Regioni e tra Presidi delle reti per permettere la consulenza a distanza anche attraverso strumenti informatici di condivisione della documentazione medica. A tale scopo, le Regioni potranno attuare accordi e adottare, anche in via sperimentale, procedure per consentire che le prestazioni di consulenza siano oggetto di specifica tariffazione. Tutti gli accertamenti diagnostici devono essere eseguiti secondo i criteri, supportati dalle evidenze scientifiche, di appropriatezza ed efficacia, essenzialità e sicurezza. Gli accertamenti il cui valore diagnostico è ancora oggetto di ricerca scientifica non sono compresi tra quelli erogati dal SSN. In ogni caso essi possono essere proposti solo nel contesto di un progetto di ricerca approvato da un Comitato Etico, previa sottoscrizione del consenso informato da parte del paziente o dei suoi tutori."
- al paragrafo 3.4 "Percorso diagnostico terapeutico assistenziale" ribadisce che:
"devono essere definite, anche attraverso delibere formali, possibilmente condivise a livello interregionale, i protocolli basati sulle linee guida e l'evidenza scientifica internazionale e i percorsi assistenziali organizzati, garantiti e declinati in relazione al profilo dei bisogni assistenziali del paziente; devono essere diffusi e condivisi i protocolli diagnostici e terapeutici predisposti dalle Regioni per singole malattie e/o gruppi di malattie affinché possano essere adottati in modo il più possibile uniforme in ambito nazionale, nel rispetto dei Livelli essenziali di assistenza e delle caratteristiche organizzative e logistiche di ogni singola Regione e Provincia autonoma; devono essere aggiornati i Lea con particolare attenzione ai bisogni assistenziali dei malati rari; deve essere promossa la sperimentazione e la diffusione di trattamenti anche innovativi, utili a sostituire o compensare funzioni lese o abilità danneggiate a causa di una MR ovvero di trattamenti di supporto e di contrasto ai sintomi correlati ad una malattia rara."

La D.G.R. n.158 del 10 febbraio 2015 prevede tra le azioni dal Piano Programmatico 2013-2016, al par. 5.3 azione 8, la definizione dei Piani Diagnostico Terapeutici (PDT), la condivisione degli stessi con Regioni dell'Area Vasta (Veneto, Emilia-Romagna, Province Autonome di Trento e Bolzano, Liguria, Campania, Umbria e Sardegna) ed il recepimento da parte della Giunta

Regionale.

Inoltre, la D.G.R. n.158/2015 prevede anche la definizione dei Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali (PDTA) all'interno della Regione, azione da attuare mediante l'istituzione di uno specifico Tavolo farmaco/PDTA, dalla composizione multiprofessionale e rappresentativa di tutte le dimensioni, comprese quelle etiche, socio economiche fondamentali per l'applicazione dell'HTA¹.

Il Piano Nazionale della Cronicità approvato dalla Conferenza Stato-Regioni con atto n. 160/CRS del 15.09.2016, recepito dalla regione con DGR n. 1740 del 22/11/2016, richiama nella sua struttura il PDTA quale strumento di gestione della cronicità nel rispetto delle "evidenze scientifiche, dell'appropriatezza delle prestazioni e della sua stessa condivisione". Fondamentale è "il coinvolgimento e la responsabilizzazione di tutte le componenti, dalla persona al microsystema", quale sistema di cure centrato sulla persona e che necessita di continua valutazione tramite patto di cura, esiti e processi raccolti nel sistema organizzativo (empowerment organizzativo ma anche individuale).

E' il PDTA che permette la raccolta di dati clinici e genera indicatori di processo e di esito, finalizzati a valutare la qualità e gli indicatori di risultato intermedio e finale, finalizzati a valutare l'efficacia e l'efficienza degli interventi. E' anche lo strumento capace di collegare il modello di rete assistenziale all'EBM (Evidence Based Medicine) per fasi diverse di malattia trasformando l'EBM in VBM (Value Based Medicine) per una medicina efficace, ma sostenibile sia economicamente, sia per valori individuali e sociali, in grado di conciliare le "linee guida" e l'EBM con gli effettivi bisogni / valori del paziente e della comunità in cui vive.

Si necessita, pertanto, di PDTA personalizzati / standardizzati in termini di costi, differenziati in rapporto al grado di complessità del singolo paziente e ai suoi specifici bisogni e le cui comorbilità, se complesse, si gestiranno con follow up più intensivo; se meno complesse, si gestiranno nell'ambito delle cure primarie per rafforzare sempre di più la collaborazione delle famiglie, delle associazioni di malattie rare nonché croniche, dei MMG e dei PLS.

Premesso quanto innanzi, facendo seguito a quanto previsto dalla DGR n.158/2015, si propone alla Giunta regionale di istituire il "Tavolo farmaco/PDTA per le Malattie Rare" composto da:

- CoReMaR;
- Componente del Servizio Politiche del Farmaco del Dipartimento Promozione della Salute, del Benessere sociale e dello Sport per tutti;
- Componente del Servizio Strategie e Governo dell'Assistenza Territoriale del Dipartimento Promozione della Salute, del Benessere sociale e dello Sport per tutti;
- Componente della Sezione Farmacologia nell'ambito del Dipartimento Farmaco-Biologico dell'Università degli Studi di Bari;
- Direttori di Area Farmaceutica delle ASL;
- un Direttore di farmacia Ospedaliera per ciascuna ASL ed Ente Pubblico del SSR;
- Responsabili di Presidi Nazionali della Rete (PRN) pediatrici;
- Responsabili di Presidi Nazionali della Rete (PRN) dell'Adulto;
- un rappresentante per ciascuna associazione di pazienti della specifica malattia/gruppo di malattia;
- un rappresentante della Rete A.Ma.Re Puglia.

Il predetto Tavolo avrà il CoReMaR quale organismo di Governance e di riferimento per tutti i

¹ **Health Technology Assessment** Complessiva e sistematica valutazione multidisciplinare delle conseguenze assistenziali, economiche, sociali ed etiche provocate in modo diretto e indiretto, nel breve e nel lungo periodo, dalle tecnologie sanitarie esistenti e da quelle di nuova introduzione
(1° Forum Italiano per la Valutazione delle Tecnologie Sanitarie, 2006)

portatori d'interesse, per la definizione e aggiornamento dei Piani Diagnostici Terapeutici (PDT), con il supporto scientifico del Centro Sovraziendale e degli specialisti dei Presidi della Rete Nazionale (PRN), eventualmente anche di altre regioni.

Si propone, inoltre, di dare mandato al "Tavolo farmaco/PDTA per le Malattie Rare", coordinato dal CoReMaR, per la definizione dei PDT e dei PTDA per le malattie/gruppi di malattie rare. All'interno del Tavolo saranno individuati gruppi di lavoro ristretti per singola malattia o gruppo di malattie (come da D.M. 279/2001) per la definizione di Piani Diagnostico Terapeutici (PDT) condivisi dai vari portatori d'interesse, attraverso la revisione continua della letteratura scientifica. Il confronto con i PRN extraregionali garantirà condivisione degli stessi in ambito nazionale e appropriatezza delle cure.

La proposta di PDT per malattia/gruppo di malattia sarà sottoposta alla valutazione dei componenti degli altri Tavoli individuati dal Piano Programmatico Malattie Rare 2013-2016 (DGR 158/2015), per il recepimento di contributi scientifici e culturali, e alla condivisione con i Direttori Generali delle ASL e Referenti Malattie Rare ASL, per la definizione dei PDTA all'interno dei corrispettivi territori.

Il Direttore del Dipartimento Promozione della Salute, del Benessere sociale e dello Sport per tutti provvederà con proprio atto a nominare i Componenti del "Tavolo farmaco/PDTA per le Malattie Rare", ovvero a provvedere ad eventuali integrazioni e/o sostituzioni dei Componenti.

Le attività di segreteria del Tavolo saranno garantite da un funzionario del Dipartimento Promozione della Salute, del Benessere sociale e dello Sport per tutti.

La partecipazione ai lavori del predetto Tavolo da parte dei componenti e del segretario sarà a titolo gratuito.

I PDT ed i PDTA per malattia/gruppo di malattia elaborati dal "Tavolo farmaco/PDTA per le Malattie Rare" saranno trasmessi alla Sezione Strategie e Governo dell'Offerta del Dipartimento Promozione della Salute, del Benessere sociale e dello Sport per tutti ai fini della successiva approvazione da parte della Giunta regionale.

COPERTURA FINANZIARIA DI CUI ALLA L.R. n.28/2001 E SUCCESSIVE MODIFICAZIONE ED INTEGRAZIONI

La presente deliberazione non comporta implicazioni di natura finanziaria sia di entrata che di spesa e dalla stessa non deriva alcun onere a carico del Bilancio Regionale.

Il Presidente, sulla base delle risultanze istruttorie come innanzi illustrate, propone alla Giunta l'adozione del seguente atto finale ai sensi della L. R. n. 7/97, art. 4, lett. k.

LA GIUNTA

- 1* Udita la relazione e la conseguente proposta del Presidente;
- 2* Viste le sottoscrizioni poste in calce al presente schema di provvedimento dalla Responsabile della A.P "Riabilitazione - Strutture residenziali e semiresidenziali, centri diurni e ambulatoriali – Strutture sociosanitarie" e dal Dirigente della Sezione Strategie e Governo dell'Offerta;

3* A voti unanimi espressi nei modi di legge;

DELIBERA

Per le motivazioni espresse in premessa che quivi si intendono integralmente riportate:

- di istituire il “Tavolo farmaco/PDTA per le Malattie Rare” composto da:
 - CoReMaR;
 - Componente del Servizio Politiche del Farmaco del Dipartimento Promozione della Salute, del Benessere sociale e dello Sport per tutti;
 - Componente del Servizio Strategie e Governo dell’Assistenza Territoriale del Dipartimento Promozione della Salute, del Benessere sociale e dello Sport per tutti;
 - Componente della Sezione Farmacologia nell’ambito del Dipartimento Farmaco-Biologico dell’Università degli Studi di Bari;
 - Direttori di Area Farmaceutica delle ASL;
 - un Direttore di farmacia Ospedaliera per ciascuna ASL ed Ente Pubblico del SSR;
 - Responsabili di Presidi Nazionali della Rete (PRN) pediatrici;
 - Responsabili di Presidi Nazionali della Rete (PRN) dell’Adulto;
 - un rappresentante per ciascuna associazione di pazienti della specifica malattia/gruppo di malattia;
 - un rappresentante della Rete A.Ma.Re Puglia.
- di dare mandato al “Tavolo farmaco/PDTA per le Malattie Rare”, coordinato dal CoReMaR, per la definizione dei Piani Diagnostico Terapeutici (PDT) per le malattie/gruppi di malattie rare (come da D.M. 279/2001 e s.m.i.) e dei rispettivi Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali (PDTA);
 - di dare mandato al Direttore del Dipartimento Promozione della Salute, del Benessere sociale e dello Sport per tutti per la nomina dei Componenti del “Tavolo farmaco/PDTA per le Malattie Rare”, nonché per eventuali integrazioni e/o sostituzioni dei Componenti;
 - di stabilire che i PDT ed i PDTA per malattia/gruppo di malattia elaborati dal “Tavolo farmaco/PDTA per le Malattie Rare” saranno trasmessi alla Sezione Strategie e Governo dell’Offerta del Dipartimento Promozione della Salute, del Benessere sociale e dello Sport per tutti ai fini della successiva approvazione da parte della Giunta regionale;
- di stabilire che sarà compito del suddetto Tavolo vigilare sull’effettiva applicazione dei PDTA adottati e del loro monitoraggio evidenziando eventuali criticità prescrittive e organizzative;
 - di notificare, a cura della Sezione proponente, il presente provvedimento al Coordinamento Regionale per le Malattie Rare, alle Aziende Sanitarie Locali, alle Aziende Ospedaliero-Universitarie, agli Enti Ecclesiastici ed I.R.C.S.S., nonché per il tramite dei Direttori generali delle ASL ai MMG/PLS convenzionati;
 - di disporre la pubblicazione del presente provvedimento sul Bollettino Ufficiale della Regione Puglia, ai sensi della L.R. 13/94;
 - di disporre la pubblicazione del presente provvedimento sul Portale regionale della Salute www.sanita.puglia.it;

Il Segretario della Giunta

Il Presidente della Giunta

1 I sottoscritti attestano che il procedimento istruttorio loro affidato e' stato espletato nel rispetto della vigente normativa regionale, nazionale e comunitaria e che il presente schema di provvedimento, predisposto dalla Sezione Strategie e Governo dell'Offerta, ai fini dell'adozione dell'atto finale da parte della Giunta Regionale, e' conforme alle risultanze istruttorie.

2

La Responsabile della A.P.: **Elena MEMEO**

Il Dirigente della Sezione: **Giovanni CAMPOBASSO**

Il sottoscritto Direttore di Dipartimento non ravvisa la necessità di esprimere, sulla proposta di delibera, osservazioni, ai sensi del combinato disposto degli artt. 18 e 20 del DPGR n.443/2015.

1

Il Direttore di Dipartimento Promozione della Salute,

2

del Benessere Sociale e dello Sport per Tutti: **Giancarlo RUSCITTI**

3

Il Presidente della Giunta regionale: **Michele EMILIANO**
