



*Presidenza
del Consiglio dei Ministri*

CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI
TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME
DI TRENTO E BOLZANO

Accordo, ai sensi dell'articolo 4 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, tra il Governo, le Regioni e le Province 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.

Rep. n. 103/PSR del 10 maggio 2007

**LA CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI TRA LO STATO, LE REGIONI E
LE PROVINCE AUTONOME DI TRENTO E DI BOLZANO**

Nell'odierna seduta del 10 maggio 2007:

VISTI gli articoli 2, comma 1, lettera b) e 4 del decreto legislativo 28 agosto 1997 n. 281 che attribuiscono a questa Conferenza la facoltà di promuovere e sancire accordi tra il Governo e le Regioni e le Province autonome, in attuazione del principio di leale collaborazione, al fine di coordinare l'esercizio delle rispettive competenze e svolgere attività di interesse comune;

VISTO il decreto del Ministro della salute del 18 maggio 2001, n. 279 recante il 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";

VISTO, in particolare, l'articolo 2 del citato decreto ministeriale che demanda al Ministro della salute l'individuazione dei Centri interregionali di riferimento per le malattie rare sulla base di criteri di individuazione e di aggiornamento concertati con la Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome di Trento e Bolzano;

VISTO il Piano sanitario nazionale 2006-2008 che afferma la necessità di pervenire all'identificazione di presidi di riferimento sovra-regionali o nazionali per malattie estremamente rare così come per quelle che richiedono trattamenti particolarmente impegnativi;

VISTA la sentenza del Tribunale Amministrativo Regionale per il Lazio, sezione terza ter, n 14382 del 4 dicembre 2004 e la decisione del Consiglio di Stato n. 7085/2005 con le quali si riconosce che l'individuazione dei Centri interregionali per le malattie rare costituisce parte integrante dei Livelli essenziali di assistenza;



*Presidenza
del Consiglio dei Ministri*

CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI
TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME
DI TRENTO E BOLZANO

VISTO il documento elaborato dalla Commissione di studio sulle malattie rare, istituita presso il Ministero della salute con decreto ministeriale 18 aprile 2000;

VISTA la nota in data 13 luglio 2006, con la quale il Ministero della salute ha proposto uno schema di accordo recante "Criteri di individuazione e di aggiornamento dei Centri interregionali di riferimento per le malattie rare";

CONSIDERATO che nel corso delle riunioni tecniche svoltesi il 12 ottobre 2006, il 10 gennaio 2007 e il 24 aprile 2007, i rappresentanti delle Regioni e Province autonome e dei Ministeri interessati, tenuto conto delle osservazioni formulate dalle Regioni e Province autonome medesime, hanno congiuntamente elaborato un nuovo schema di accordo concernente il riconoscimento di Centri di coordinamento regionali e/o interregionali, di Presidi assistenziali sovraregionali per patologie a bassa prevalenza e l'attivazione dei registri regionali ed interregionali delle malattie rare;

ACQUISITO, nel corso dell'odierna seduta, l'assenso del Governo e dei Presidenti delle Regioni e delle Province autonome,

SANCISCE ACCORDO

tra il Governo, le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano nei termini di seguito riportati:

Il Governo e le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano convengono:

- sull'importanza delle reti regionali ed interregionali per le malattie rare, costituite secondo quanto stabilito dalle singole regioni o da gruppi di regioni associate, per dare una risposta complessiva ai bisogni dei cittadini affetti da malattie rare;
- che la rete nazionale per le malattie rare è costituita dalle reti regionali e/o interregionali, coordinate tra loro;
- che, laddove compatibile con l'assetto organizzativo regionale, sia favorito il riconoscimento di Centri di coordinamento regionali e/o interregionali che garantiscano, ciascuna per il bacino



*Presidenza
del Consiglio dei Ministri*

CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI
TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME
DI TRENTO E BOLZANO

territoriale di competenza, lo svolgimento delle seguenti funzioni, previste dal decreto ministeriale n. 279/2001:

- a) 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;
- b) lo scambio delle informazioni e della documentazione sulle malattie rare con gli altri Centri regionali o interregionali e con gli organismi internazionali competenti;
- c) 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;
- d) la consulenza ed il supporto ai medici del Servizio sanitario nazionale in ordine alle malattie rare ed alla disponibilità dei farmaci appropriati per il loro trattamento;
- e) la collaborazione alle attività formative degli operatori sanitari e del volontariato ed alle iniziative preventive;
- f) l'informazione ai cittadini ed alle associazioni dei malati e dei loro familiari in ordine alle malattie rare ed alla disponibilità dei farmaci.

- che 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;
- assicurare la presenza di personale dedicato;
- assicurare la disponibilità di reti di comunicazione e operative attraverso lo sviluppo di adeguati collegamenti funzionali tra i servizi sociosanitari delle ASL ed i Presidi della Rete al fine di garantire la presa in carico dei pazienti e delle famiglie, la continuità delle cure e l'educazione sanitaria;
- costituire punto di riferimento privilegiato per le associazioni dei pazienti e dei loro familiari.

- sull'attivazione dei registri regionali (o interregionali) delle malattie rare anche al fine di acquisire informazioni utili al riconoscimento dei Presidi della rete, di garantire l'operatività delle reti e incrementare le conoscenze sulle malattie rare;

- che le Regioni si impegnano ad attivare i registri regionali (o interregionali) sulle malattie rare entro il 31. 03. 2008 e a garantire il collegamento con il registro nazionale presso L'ISS;



*Presidenza
del Consiglio dei Ministri*

CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI
TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME
DI TRENTO E BOLZANO

- che il Registro nazionale produca le evidenze epidemiologiche a supporto della definizione e dell'aggiornamento dei Livelli essenziali di assistenza, nonché delle politiche e della programmazione nazionale;
- che i Registri regionali siano a supporto del governo e della programmazione a livello locale e della gestione dei servizi e dell'assistenza dei pazienti;
- che le Regioni alimentino il registro nazionale con il seguente set minimo di dati, riferiti al paziente al momento del riconoscimento dell'esenzione per malattia rara:
 - identificativo univoco dell'utente, corredato dalle restanti informazioni dell'anagrafica standard dei flussi informativi sanitari;
 - condizione: vivo – morto (specificare la data del decesso);
 - diagnosi della patologia (definita in base al codice di esenzione del DM n. 279/2001);
 - Regione, ente, struttura (codici nazionali standard) che ha effettuato la diagnosi;
 - data di esordio della malattia;
 - data della diagnosi;
 - farmaco orfano erogato;
- che i dati dei registri siano rilevati solo dai presidi identificati dalle Regioni mediante atti formali e siano trasmessi all'ISS dalla Regione o dal Centro di coordinamento delegato o da altra struttura indicata dalla Regione stessa;
- che il Ministero della salute, tramite l'ISS, predisponga e metta a disposizione report annuali sui dati aggregati raccolti dal Registro nazionale;
- che i dati raccolti dal Registro nazionale siano annualmente oggetto di una valutazione congiunta da parte del Ministero della salute, dell'ISS e delle Regioni;
- sull'attivazione di un Tavolo, cui partecipa il Ministero della salute, l'AIFA e le Regioni, volto a definire le problematiche connesse all'erogazione dei farmaci orfani ai pazienti in trattamento e segnalati al Registro nazionale con le modalità sopra descritte;
- che, decorso un anno dalla data di approvazione del presente accordo, il suo contenuto sarà oggetto di revisione anche al fine di valutare, sulla base delle informazioni rilevate dai Registri circa l'attività svolta dalle reti regionali, l'identificazione di eventuali presidi nazionali o europei



*Presidenza
del Consiglio dei Ministri*

CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI
TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME
DI TRENTO E BOLZANO

dedicati alle patologie rarissime, secondo i criteri riportati nell'allegato 1 che forma parte integrante del presente accordo;

- sulla necessità di sviluppare protocolli o algoritmi diagnostico-terapeutici che definiscano i percorsi assistenziali del paziente affetto da malattia rara e documentino l'adozione di procedure organizzative che prevedano l'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 e l'attività di follow up a distanza.

- sulle seguenti caratteristiche dei Presidi nazionali dedicati alla diagnosi e cura di pazienti con patologie a bassa prevalenza ($<1/10^6$):

A. 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 alla sperimentazione di terapie innovative
- b) numero di nuove diagnosi ed età dei soggetti (da documentarsi, a regime, tramite analisi dei dati del Registro Nazionale delle MR);
- c) percentuale di casi diagnosticati provenienti da altre Province della stessa Regione e da altre Regioni (da documentarsi, a regime, tramite analisi dei dati del Registro Nazionale delle MR);
- d) numero di casi trattati per gruppo di patologia e classe d'età;
- e) percentuale di casi trattati provenienti da altre Province della stessa Regione e da altre Regioni.

B. Dotazione strutturale e funzionale certificata al momento dell'individuazione del presidio sovregionale:

- 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;



*Presidenza
del Consiglio dei Ministri*

CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI
TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME
DI TRENTO E BOLZANO

- 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.
- C. Essere funzionalmente e strutturalmente inserito all'interno di reti formali regionali e/o sovragionali di assistenza per le malattie rare.
- D. Dotazione di protocolli o algoritmi diagnostico-terapeutici che definiscano i percorsi assistenziali e documentino l'adozione di procedure organizzative funzionali alla gestione dell'assistenza del paziente con malattia rara, ad includere:
- 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.

IL SEGRETARIO
Avv. Giuseppe Busia

IL PRESIDENTE

On.le Prof. Linda Lanzillotta