



# **Decreto del Commissario ad acta**

(delibera del Consiglio dei Ministri del 21 marzo 2013)

N. ~~000~~387 del **06 AGO. 2015**

Proposta n. 11988 del 28/07/2015

**Oggetto:**

Recepimento Accordo Stato/Regioni Rep. Atti n.140 del 16/10/2014 che ha approvato il Piano Nazionale Malattie Rare 2013 – 2016. Individuazione del Coordinamento regionale delle malattie rare. Primo riassetto della rete assistenziale per le malattie rare. Disposizioni transitorie.

**Estensore**

BARBACCI SIMONETTA

**Responsabile del Procedimento**

BARBACCI SIMONETTA

**Il Dirigente d'Area**

D. DI LALLO

**Il Direttore Regionale**

F. DEGRASSI

**Si esprime parere favorevole  
Il Sub Commissario**

G. BISSONI

Oggetto: Recepimento Accordo Stato/Regioni Rep. Atti n.140 del 16/10/2014 che ha approvato il Piano Nazionale Malattie Rare 2013 – 2016. Individuazione del Coordinamento regionale delle malattie rare. Primo riassetto della rete assistenziale per le malattie rare. Disposizioni transitorie.

**IL PRESIDENTE DELLA REGIONE LAZIO  
IN QUALITA' DI COMMISSARIO AD ACTA**

**VISTI per quanto riguarda i poteri:**

- lo Statuto della Regione Lazio 11 novembre 2001, n. 1 “Nuovo Statuto della Regione Lazio” e successive modifiche ed integrazioni;
- la Legge Regionale 18 febbraio 2002, n. 6 e successive modifiche e integrazioni;
- il Regolamento Regionale 6 settembre 2002, n. 1, concernente l'organizzazione degli uffici e dei servizi della Giunta Regionale e successive modifiche e integrazioni;
- la Deliberazione del Consiglio dei Ministri del 21 marzo 2013, con cui il Presidente della Regione Lazio Nicola Zingaretti è stato nominato Commissario ad acta per la realizzazione degli obiettivi di risanamento finanziario previsti nel piano di rientro dai disavanzi regionali nel settore sanitario;
- la Deliberazione del Consiglio dei Ministri del 1° dicembre 2014 con cui l'Arch. Giovanni Bissoni è stato nominato sub commissario per l'attuazione del Piano di Rientro dai disavanzi del SSR della Regione Lazio, con il compito di affiancare il Commissario ad Acta nella predisposizione dei provvedimenti da assumere in esecuzione dell'incarico commissariale, ai sensi della Deliberazione del Consiglio dei Ministri del 21 marzo 2013;

**VISTO** il DPCM 29 novembre 2001 concernente: “Definizione dei livelli essenziali di assistenza”;

**VISTO** il Decreto del Ministro della Sanità 18 maggio 2001, n. 279 recante “Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie ai sensi dell'art. 5, comma 1, lettera b) del decreto legislativo 29/4/1998, n. 124”;

**VISTE:**

- la Deliberazione della Giunta regionale (DGR) del 28/3/2002 n. 381 con la quale sono stati adottati i criteri per l'individuazione dei centri regionali di riferimento per la malattie rare di cui al D.M. 279/2001;
- la DGR del 05/12/2003, n. 1324 recante: “ Individuazione della rete regionale per la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare ai sensi del D.M. n.279/2001 e DGR n. 381/2002”;
- la DGR del 07/01/2005, n. 20 recante: “ Individuazione della rete regionale dei centri e dei presidi per la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare. Aggiornamento e sostituzione dell'Allegato 1 alla DGR 1324/03”;
- la DGR del 20 ottobre 2006, n. 681 recante: “Integrazione Allegato A alla deliberazione della Giunta regionale del 7 gennaio 2005, n. 20. Inserimento dell'Unità Operativa Complessa. Servizio di Ematologia Pediatrica presso il Dipartimento Assistenziale Integrato dell'Azienda Policlinico Umberto I tra i presidi della rete regionale per le malattie rare per le Anemie Ereditarie. Codice esenzione RDG010”;
- la DGR del 18 dicembre 2006, n.872 recante: “Integrazione Allegato A alla deliberazione della Giunta regionale del 7 gennaio 2005, n. 20. Inserimento dell'Unità Operativa di Genetica Medica dell'Azienda Ospedaliera Universitaria Policlinico Tor Vergata quale presidio nella

rete regionale per le malattie rare per la Galattosemia - Malattia di Werdnig Hoffman - Miopatia Centronucleare - Distrofia di Becker - Malattia di Steinert - Malattia di Thomsen”;

- la DGR del 12 ottobre 2007, n.758 recante: “Integrazione Allegato A alla deliberazione della Giunta regionale del 7 gennaio 2005, n. 20. Inserimento dell’Ospedale Oftalmico, Azienda USL Roma E, tra i presidi della rete regionale per le malattie rare nell’ambito delle Malattie del Sistema Nervoso e degli Organi di Senso per le Degenerazioni della Cornea-Distrofie Ereditarie della Cornea-Cheratocono”;
- la DGR del 28 febbraio 2008, n.134 recante: “Integrazione Allegato A alla deliberazione della Giunta regionale del 7 gennaio 2005, n. 20. Inserimento del Centro di Cardiocirurgia dell’Azienda Ospedaliera Universitaria Policlinico Tor Vergata tra i presidi della rete regionale per le malattie rare nell’ambito delle Malformazioni Congenite per la Sindrome di Marfan - codice esenzione RN1320”;
- la DGR del 19 settembre 2008, n.655 recante: “Integrazione Allegato A alla deliberazione della Giunta regionale del 7 2005, n. 20. Inserimento dell’Ospedale Generale Fatebenefratelli San Giovanni Calabita - Isola Tiberina tra i presidi della rete regionale delle malattie rare per le Amiloidosi Primarie e Familiari nell’ambito delle Malattie delle Ghiandole Endocrine, della Nutrizione, del Metabolismo e disturbi immunitari - codice esenzione RCG130 – ai sensi del D.M. 279/2001”;
- la DGR del 19 settembre 2008, n.656 recante: “Integrazione Allegato A alla deliberazione della Giunta regionale del 7 gennaio 2005, n. 20. Inserimento del Dipartimento di Fisiopatologia Medica DAI Medicina Interna del Policlinico Umberto I tra i presidi della rete regionale delle malattie rare per la Sindrome di Klinefelter, Sindrome di Kallmann, Sindromi adrogenitali congenite, Poliendocrinopatie autoimmuni, Malattia di Steinert, Sindrome di Prader-Willi, Sindrome di Refeinsten;

**VISTO** il Decreto del Ministero della Salute del 15 aprile 2008 con il quale sono stati individuati i Centri interregionali di riferimento ai sensi dell’articolo 3 del D.M. 279/01 per le malattie a bassa prevalenza;

**ATTESO** che presso l’Istituto Superiore di Sanità è stato istituito il Registro Nazionale per le Malattie Rare;

**ATTESO** che nel 2008 è stato istituito il Registro Regionale delle Malattie Rare Lazio come strumento di conoscenza epidemiologica per la programmazione e monitoraggio regionale della rete di assistenza alle malattie rare;

**VISTO** il Decreto del Commissario ad Acta n. U0057 del 12/07/2010 concernente: “Piano di riorganizzazione della Rete del Malattie Emorragiche Congenite”;

**VISTO** il Decreto Legislativo 4 marzo 2014, n.38 concernente: “Attuazione della direttiva 2011/24/UE concernente l’applicazione dei diritti dei pazienti relativi all’assistenza sanitaria transfrontaliera, nonché della direttiva 2012/52/UE comportante misure destinate ad agevolare il riconoscimento delle ricette mediche emesse in un altro stato membro” ed, in particolare, l’articolo 14 “Malattie Rare”;

**VISTA** la nota prot. n.249252 del 29/04/2014 con la quale è stato richiesto alle Aziende Sanitarie Locali di comunicare il nominativo di un referente territoriale per le malattie rare;

**VISTA** l’Intesa tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano Rep. Atti n.82 del 10/07/2014 concernente il nuovo Patto della salute per gli anni 2014 – 2016;

**VISTO** il Decreto del Commissario ad Acta n. U00412 del 26/11/2014 concernente la riorganizzazione della Rete Ospedaliera della Regione Lazio;

**VISTO** il Decreto del Commissario ad Acta n.U00034 del 29/01/2015 concernente: “Recepimento dell’Accordo tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano sulla definizione dei percorsi regionali o interregionali di assistenza per le persone affette da Malattie Emorragiche Congenite (MEC) – Repertorio Atti n. 66/CSR del 13.03.2013”;

**VISTO** il Decreto del Commissario ad Acta n.U00312 del 6/07/2015 concernente: “Criteri per l’assegnazione del codice di esenzione RDG020 per i Disordini Ereditari Trombofilici”;

**VISTO** l’Accordo Stato/Regioni Rep. Atti n.140 del 16/10/2014 sul documento “Piano Nazionale per le malattie rare” che ha approvato il Piano Nazionale Malattie Rare 2013 – 2016;

**CONSIDERATO** che il suddetto Accordo prevede che le Regioni e le Province Autonome si impegnano a recepire il documento con propri provvedimenti e a dare attuazione ai suoi contenuti nei rispettivi ambiti territoriali, fermo restando la loro autonomia nell’adottare le soluzioni organizzative più idonee in relazione alle esigenze della propria programmazione;

**RITENUTO** di recepire l’Accordo Stato/Regioni Rep. Atti n.140 del 16/10/2014 che ha approvato il Piano Nazionale Malattie Rare 2013 – 2016, Allegato 1 del presente provvedimento;

**VISTO** l’Accordo Stato/Regioni Rep. Atti 103/CSR del 10 maggio sul riconoscimento dei Centri di coordinamento regionali e/o interregionali, di presidi assistenziali sovraregionali per patologie a bassa prevalenza e sull’attivazione dei registri regionali ed interregionali per le malattie rare;

**CONSIDERATO** che il suddetto Accordo prevede che, laddove compatibile con l’assetto organizzativo regionale, sia favorito il riconoscimento di Centri di coordinamento regionali e/o interregionali che garantiscono lo svolgimento delle seguenti funzioni previste dal D.M. n. 279/2001:

- a) gestione del Registro regionale delle malattie rare;
- b) scambio delle informazioni e della documentazione sulle malattie rare con gli altri Centri regionali o interregionali di coordinamento e con gli organismi internazionali competenti;
- c) coordinamento dei Presidi della rete regionale, al fine di garantire la tempestiva diagnosi e l’appropriata terapia, qualora esistente, anche mediante l’adozione di specifici protocolli concordati;
- d) consulenza ed il supporto ai medici del Servizio Sanitario Regionale in ordine alle malattie rare ed alla disponibilità dei farmaci appropriati per il loro trattamento;
- e) collaborazione alle attività formative degli operatori sanitari e del volontariato ed alle iniziative preventive;
- f) informazione ai cittadini ed alle associazioni dei malati e dei loro familiari in ordine alle malattie rare ed alla disponibilità dei farmaci;

**RITENUTO** di individuare il Centro di Coordinamento regionale Malattie Rare presso la Direzione regionale Salute e Integrazione sociosanitaria, Area Programmazione Rete Ospedaliera e Ricerca, con responsabile il dirigente dell’Area medesima;

**ATTESO** che l’Area “Programmazione Rete Ospedaliera e Ricerca” nella sua attività di Centro di Coordinamento regionale Malattie Rare opera in collaborazione con l’Area “Politica del Farmaco” e con l’Area “Programmazione servizi territoriali e delle attività distrettuali e dell’integrazione socio-sanitaria e umanizzazione” della Direzione regionale Salute e Integrazione sociosanitaria;

**RITENUTO** necessario che il suddetto Centro si avvalga stabilmente di esperti del settore individuati fra professionisti delle strutture del Servizio Sanitario Regionale, di rappresentanti degli utenti e di rappresentanti dei referenti territoriali delle malattie rare;

**VISTA** la Determinazione n. G02816 del 21.11.2013 con la quale è stato istituito il Gruppo di Lavoro (GdL) per le Malattie Rare della Regione Lazio, con il compito di definire:

- le linee di indirizzo del percorso di riorganizzazione della rete assistenziale dei Centri/Presidi (C/P) identificati dalla Regione Lazio;
- i criteri per l'individuazione dei Centri di riferimento;
- una proposta di revisione della rete assistenziale;

**VISTO** il verbale conclusivo del GdL approvato all'unanimità nella seduta del 27 marzo 2015;

**ATTESO** che la Regione Lazio nel 2002 ha avviato il processo di riconoscimento della rete dei Centri/Presidi per soggetti con una delle malattie rare contenute nell'elenco dei codici di esenzione del DM 279/2001, identificandoli all'interno di Aziende Universitarie, Ospedaliere, IRCCS e presidi ospedalieri di ASL;

**CONSIDERATO** che l'attività di monitoraggio del Registro regionale malattie rare insieme all'esperienza maturata nei C/P ha permesso di evidenziare alcune criticità nella rete assistenziale riguardo ai seguenti temi:

- condivisione nei Protocolli Diagnostici Terapeutici Assistenziali (PDTA);
- funzioni e caratteristiche dei Centri e Presidi;
- duplicazione di C/P per alcune malattie, anche con più UUOO nello stesso Istituto;
- presenza C/P autorizzati a seguire gruppi di malattie molto eterogenee;
- protocolli per la transizione dall'età pediatrica a quella adulta;
- protocolli di collegamento fra C/P e presidi territoriali, ivi inclusi i medici di famiglia;
- attività di formazione rivolta ai professionisti dei servizi territoriali e dell'emergenza ospedaliera;
- indicatori di monitoraggio del funzionamento della rete;

**CONSIDERATO** che il GdL ha ritenuto necessario revisionare i raggruppamenti delle malattie rare contenuti nel DM 279/2001, identificando 18 gruppi definiti secondo un criterio di omogeneità clinica piuttosto che eziopatogenetica, come indicato nell'Allegato 2 parte integrante del presente provvedimento;

**CONSIDERATO** che il GdL ha ritenuto che, in una logica di responsabilizzazione delle Direzioni Aziendali e di multidisciplinarietà nella presa in carico, il riconoscimento di centro per le malattie rare vada assegnato principalmente all'intero Istituto piuttosto che al singolo ambulatorio;

**CONSIDERATO** che il GdL ha ritenuto che sia riconosciuto l'Istituto come sede di uno o più ambulatori per malattia rara in presenza delle seguenti condizioni:

- competenze specialistiche necessarie alla presa in carico del soggetto con una specifica malattia rara;
- figura di coordinamento per la presa in carico (case manager);
- Percorsi Diagnostici-Terapeutici-Assistenziali (PDTA);
- strutture e servizi complementari per l'attività di diagnosi e cura;
- sportello di accesso per il paziente, le famiglie e le associazioni collegato;
- referente di istituto con una funzione di coordinamento e monitoraggio dei singoli ambulatori;
- competenze nell'elaborare e collaborare con la Regione per la diffusione di raccomandazioni cliniche, in collaborazione con gli altri Istituti e con le Associazioni per le malattie rare;



- competenze in attività di formazione rivolta ai Medici di Medicina Generale, Pediatri di Libera Scelta e operatori delle strutture assistenziali del territorio;
- capacità di coordinare e promuovere la transizione assistenziale dall'età pediatrica all'età adulta;
- servizio di consulenza telefonica 24 ore su 24 per quelle malattie rare potenzialmente a rischio di grave instabilità clinica ed il cui trattamento in condizioni di emergenza richieda il supporto di professionisti con specifiche competenze sulla malattia;
- competenze di ricerca di base e clinica, soprattutto in progetti collaborativi nazionali ed internazionali;
- Adesione al debito informativo del registro Malattie Rare Lazio;
- programmi di miglioramento della qualità dell'assistenza con adozione di sistemi di valutazione dei risultati anche attraverso audit clinici periodici;
- sito web istituzionale con spazio dedicato alle MR, trasparente, fruibile (procedure d'accesso facili e dettagliate), sempre aggiornato, collegato a quello regionale;
- programmi di valutazione della soddisfazione dell'utente e del miglioramento della qualità percepita;
- collaborazioni per l'attuazione di Audit Civico promosso dalle Associazioni di malati rari;

**VISTA** la documentazione (questionario conoscitivo) trasmessa dalle Aziende a seguito della nota prot. n. 81866 del 11.02.2014 della Direzione Salute ed Integrazione Socio-Sanitaria;

**PRESO ATTO** che in considerazione delle criticità sopra richiamate, il GdL ha elaborato una proposta di riorganizzazione della rete assistenziale basata sulle raccomandazioni sui Centri di Expertise indicate dal Comitato EUCERD (Recommendations on Quality Criteria for Centres of Expertise for Rare Diseases in Member States- 24 ottobre 2011);

**ATTESA** la necessità di aggiornare l'organizzazione della rete assistenziale regionale delle malattie rare viste le numerose modifiche che sono intervenute in questi ultimi anni nell'offerta assistenziale;

**CONSIDERATO** che il Tavolo e il Comitato di verifica adempimenti del Piano di Rientro del 24 marzo 2015 ha suggerito una rivalutazione dei presidi di riferimento della rete delle MEC individuati con il DCA n.57/2010 sia sulla base degli ulteriori requisiti previsti dall'Allegato A dell'Accordo Stato/Regioni Repertorio Atti n. 66/CSR del 13.03.2013, nonché di quanto previsto dal DCA n.412/2014;

**VISTA** la proposta del Ministero della Salute per l'aggiornamento dei LEA che prevede l'inserimento di circa 110 malattie rare negli elenchi ministeriali;

**RITENUTO**, pertanto necessario, nelle more dell'approvazione dei nuovi LEA, procedere ad un primo riassetto della rete assistenziale regionale, come indicato dall'Allegato 3 parte integrante del presente provvedimento, basato sulla documentazione trasmessa dalle Aziende, sui dati di attività dei singoli centri ricavati dal registro Malattie Rare Lazio aggiornato al 31 dicembre 2014 e sulla proposta del Gruppo di Lavoro;

**RITENUTO** che in seguito alla pubblicazione sul BUR della regione Lazio del presente provvedimento, la Direzione regionale Salute e Integrazione sociosanitaria trasmetterà a tutte le Aziende Territoriali, previa verifica delle informazioni ricevute ufficialmente dalle Direzioni Aziendali in risposta alla nota prot. n. 81866 del 11.02.2014, la denominazione degli ambulatori malattie rare individuati per la conferma diagnostica e la prescrizione del Piano Assistenziale/Terapeutico Individuale;

**RITENUTO** altresì che successivamente la Direzione regionale Salute e Integrazione sociosanitaria invierà a tutti i responsabili degli ambulatori individuati, un protocollo operativo di adeguamento dell'attività del Registro regionale malattie rare al nuovo assetto organizzativo;

## DECRETA

Per le motivazioni in premessa riportate, che si intendono integralmente richiamate:

- di recepire l'Accordo Stato/Regioni Rep. Atti n.140 del 16/10/2014 che ha approvato il Piano Nazionale Malattie Rare 2013 – 2016, Allegato 1 del presente provvedimento;
- di individuare il Centro di Coordinamento regionale Malattie Rare presso la Direzione regionale Salute e Integrazione sociosanitaria, Area Programmazione Rete Ospedaliera e Ricerca, con responsabile il dirigente dell'Area medesima;
- di stabilire che il Coordinamento regionale Malattie Rare sia costituito da:
  - Area Programmazione Rete Ospedaliera e Ricerca della Direzione regionale Salute e Integrazione sociosanitaria;
  - Area "Politica del Farmaco" della Direzione regionale Salute e Integrazione sociosanitaria;
  - Area "Programmazione servizi territoriali e delle attività distrettuali e dell'integrazione socio-sanitaria e umanizzazione" della Direzione regionale Salute e Integrazione sociosanitaria;
  - esperti del settore individuati fra professionisti delle strutture del Servizio Sanitario Regionale;
  - rappresentanti delle Associazioni di soggetti con malattia rara;
  - rappresentanti dei referenti territoriali delle malattie rare;
- di approvare i raggruppamenti delle malattie rare contenuti nel DM 279/2001 identificando 18 gruppi definiti secondo un criterio di omogeneità clinica piuttosto che eziopatogenetica, come indicato nell'Allegato 2 parte integrante del presente provvedimento;
- di procedere, nelle more dell'approvazione dei nuovi LEA, ad un primo riassetto della rete regionale di assistenza alle malattie rare, come indicato nell'Allegato 3, parte integrante del presente provvedimento;
- di stabilire che il presente provvedimento sostituisce la DGR n.20 del 07.01.2005 e successive modifiche ed integrazioni;
- di effettuare una rivalutazione dei presidi di riferimento della rete delle MEC individuati con il DCA n.57/2010 sia sulla base degli ulteriori requisiti previsti dall'Allegato A dell'Accordo Stato/Regioni Repertorio Atti n. 66/CSR del 13.03.2013, nonché di quanto previsto dal DCA n.412/2014;

Avverso il presente provvedimento è ammesso ricorso giurisdizionale dinanzi al Tribunale Amministrativo Regionale del Lazio entro 60 giorni dalla sua pubblicazione, ovvero ricorso straordinario al Presidente della repubblica entro 120 giorni dalla sua pubblicazione.

Il presente provvedimento sarà pubblicato sul Bollettino Ufficiale della Regione Lazio.

Roma, il 06 AGO. 2015

Nicola Zingaretti

