

DELIBERAZIONE DELLA GIUNTA REGIONALE n. 2695 del 29 dicembre 2014

**Elenco trattamenti non ricompresi nei Livelli Essenziali di Assistenza, erogabili con onere a carico del Servizio Sanitario Regionale, a soggetti affetti da malattie rare ematologiche, cistite interstiziale, malattie rare dermatologiche e malattie rare oftalmologiche di cui al D.M. Sanità 18 maggio 2001, n. 279. "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 D.Lgs.29 aprile 1998 n. 124".**

[SANITÀ E SERVIZI SOCIALI]

|                                                                                                                                                                                                                                                           |
|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Note per la trasparenza:                                                                                                                                                                                                                                  |
| Approvazione dell'elenco dei trattamenti da garantire gratuitamente ai soggetti affetti da malattie rare ematologiche, cistite interstiziale, malattie rare dermatologiche e malattie rare oftalmologiche, secondo il D.M. Sanità 18 maggio 2001, n. 279. |

L'Assessore Luca Coletto riferisce quanto segue.

Il D.M. 18 maggio 2001 n. 279 di individuazione delle malattie rare a cui garantire specifiche forme di tutela e di disciplina delle modalità di esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni sanitarie a favore dei soggetti affetti da tali patologie, prevede una serie di interventi finalizzati all'istituzione di una Rete assistenziale dedicata mediante la quale sviluppare azioni di prevenzione, sorveglianza e miglioramento di interventi volti alla diagnosi e alla terapia di tali patologie.

A causa della varietà e della complessità delle manifestazioni cliniche di ciascuna malattia rara, il predetto decreto ministeriale prevede che siano erogate in regime di esenzione tutte le prestazioni appropriate ed efficaci per il trattamento, il monitoraggio e la prevenzione di ulteriori aggravamenti di tali patologie senza tuttavia definire puntualmente le prestazioni erogabili.

In particolare stabilisce all'art. 7, comma 3, che l'individuazione di tali prestazioni debba avvenire *"secondo criteri di efficacia ed appropriatezza rispetto alle condizioni cliniche individuali, con riferimento ai protocolli, ove esistenti, definiti dai Centri di riferimento e in collaborazione con i presidi della Rete"* e all'art. 6, comma 3, che *".... le Regioni, sulla base del fabbisogno della propria popolazione, predispongono modalità di acquisizione e di distribuzione agli interessati dei farmaci specifici, anche mediante la fornitura diretta da parte dei servizi farmaceutici pubblici"*

In seguito al D.M. succitato e al fine di garantire ai pazienti affetti da malattie rare l'accesso ai trattamenti essenziali disponibili, la Regione del Veneto individuava un percorso finalizzato alla predisposizione di protocolli terapeutici comprensivi dei trattamenti ad integrazione dei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA) ritenuti essenziali ed indispensabili per il trattamento specifico di ciascuna patologia. Tale percorso rientra negli obiettivi delineati con D.G.R. n. 2706 del 10.09.2004 di approvazione dell'Accordo tra Regione del Veneto, Regione Autonoma Friuli Venezia Giulia, Provincia Autonoma di Bolzano e Provincia Autonoma di Trento per la realizzazione di un'Area Vasta in tema di Malattie Rare, sulla base del quale, ferma restando l'autonomia decisionale di ciascuna Regione e Provincia, si è delineata una politica unitaria per il raggiungimento di specifici obiettivi, tra i quali la predisposizione di protocolli assistenziali condivisi a supporto dell'assistenza e dei percorsi diagnostico-terapeutici di questa categoria di malati.

In considerazione dell'esigua offerta di medicinali disponibili in regime di esenzione per il trattamento di malattie rare, l'Amministrazione regionale metteva in atto dei percorsi finalizzati alla definizione di protocolli di trattamento farmacologico che comprendessero i medicinali ritenuti essenziali per il trattamento specifico di alcune patologie. Nello specifico, il Gruppo Tecnico di Coordinamento di Area Vasta istituito con la sopra citata DGR n. 2706/2004, stabiliva di procedere identificando, per gruppi di patologia, dei Tavoli Tecnici di lavoro con la partecipazione dei clinici Responsabili (o loro delegati) dei Centri di Riferimento della Rete interregionale di Area Vasta, e dei Responsabili dei Servizi Farmaceutici delle rispettive amministrazioni.

In ragione di cui sopra, la Regione del Veneto con propria deliberazione n. 740 del 24.03.2009 approvava da ultimo l'elenco aggiornato dei trattamenti farmacologici ritenuti essenziali per le malattie rare neurologiche e metaboliche ad interessamento neurologico e, con deliberazione n. 3135 del 20.10.2009, l'elenco dei trattamenti erogabili con onere a carico del Servizio Sanitario Regionale (SSR) a favore dei soggetti affetti da malattie metaboliche rare di cui al D.M. sopra riportato.

Successivamente la Giunta regionale con deliberazioni n. 1869 del 15.11.2011, n. 1103 del 12.06.2012 e n.1141 del 5.07.2013 dava atto della spesa sostenuta per i livelli aggiuntivi erogati nella Regione del Veneto rispettivamente negli anni 2010, 2011 e 2012, quantificati come segue: nel triennio 2010-2011-2012, la spesa relativa al trattamento di cui agli elenchi sopra indicati risultava essere di circa € 100.000,00/anno.

Per contro, le quote di medicinali, dietetici, presidi sanitari vari per i pazienti affetti da malattia rara non ricompresi nei LEA - non normati a livello regionale sulla base di specifici protocolli di trattamento - e autorizzati nel medesimo triennio (2010-2012) dalle singole Direzioni delle Aziende ULSS di residenza del paziente, su richiesta dei clinici operanti nei Centri di Riferimento per le Malattie Rare, attraverso il Registro informatizzato per le Malattie Rare, si attestavano intorno a € 200.000,00 nell'anno 2010, € 280.000,00 nel 2011 e € 446.000,00 nell'anno 2012. Per l'anno 2012 la quota di trattamenti, dietetici e presidi riferita ai pazienti affetti da malattie rare ematologiche, cistite interstiziale, malattie rare dermatologiche e malattie rare oftalmologiche è stimata essere attorno ai € 130.000,00.

Ravvisata la necessità di intervenire ulteriormente per definire protocolli di trattamento sempre più appropriati, il Gruppo Tecnico di Coordinamento di Area Vasta di cui alla citata DGR n. 2706/2004 si avvaleva di quattro Tavoli Tecnici aggiuntivi specificamente per la valutazione e definizione degli elenchi di trattamenti essenziali ed indispensabili per i pazienti affetti da malattie rare ematologiche, cistite interstiziale, malattie rare dermatologiche e oftalmologiche, con la partecipazione anche dei rispettivi Centri di Riferimento della Regione Emilia Romagna.

In particolare, per ciascun gruppo di malattia, le categorie esaminate da detti Tavoli Tecnici sono:

- medicinali attualmente a totale carico dell'assistito in quanto classificati in fascia C di rimborsabilità;
- medicinali in commercio in Italia con indicazioni di impiego diverse;
- medicinali non in commercio in Italia;
- preparazioni galeniche magistrali da allestire nei casi in cui non siano disponibili in commercio i medicinali con composizione, formulazione o dosaggio richiesti;
- prodotti parafarmaceutici ad impiego topico per il trattamento delle malattie rare dermatologiche ed integratori alimentari;
- dispositivi medici;
- dietetici a fini medici speciali.

Tenuto conto delle esperienze maturate nel settore, del confronto tra le proposte di trattamento avanzate dai clinici dei Centri di Riferimento di Area Vasta, della verifica delle evidenze di efficacia e sicurezza delle proposte stesse attraverso l'analisi della letteratura medica effettuata con il metodo dell'EBM (*Evidence Based Medicine*), i Tavoli Tecnici concludevano il proprio lavoro con la totale condivisione dei trattamenti ritenuti essenziali ed indispensabili per i pazienti affetti da malattie rare ematologiche, cistite interstiziale, malattie rare dermatologiche e oftalmologiche di cui all'**Allegato A** al presente provvedimento di cui se ne propone l'approvazione; si propone pertanto di concedere a carico del SSR i trattamenti ivi indicati e per i quali non si applicano i percorsi già stabiliti dalla Regione per la prescrizione *off-label*.

Tuttavia, nel caso in cui dovessero insorgere improvvise ed inaspettate reazioni avverse ai trattamenti identificati nei predetti allegati o si dovessero presentare condizioni particolari quali l'intolleranza o la refrattarietà ad un trattamento, si ritiene di consentire ai clinici operanti nei Centri di Riferimento per le Malattie Rare, di richiedere all'Azienda ULSS di residenza del paziente, attraverso il Registro informatizzato per le Malattie Rare e secondo le modalità attualmente in uso, l'autorizzazione alla prescrizione a carico del SSR di trattamenti alternativi; la richiesta dovrà essere accompagnata da una relazione clinica documentante gli effetti avversi insorti e le motivazioni a supporto del nuovo trattamento.

Diversamente, i trattamenti di cui all'**Allegato B** al presente provvedimento non possono essere erogati in esenzione dalla partecipazione al costo in quanto i Tavoli Tecnici rappresentavano, sotto il profilo della efficacia e sicurezza dell'impiego, la sussistenza di evidenze scientifiche non pienamente esaustive nonché difficoltà nel reperimento dei medicinali.

Tuttavia, i medicinali puntualmente segnalati (\*) nell'**Allegato B**, sebbene valutati non propriamente concedibili, possono essere comunque erogati a carico del SSR previa autorizzazione rilasciata dall'Azienda ULSS di residenza del paziente secondo le procedure sopra evidenziate e limitatamente alle relative note di appropriatezza prescrittiva.

Relativamente alle modalità di accesso ed erogazione di tali trattamenti, si riconferma il percorso individuato in ambito regionale con DGR n. 740/2009 e n. 3135/2009 che prevede la predisposizione del Piano Terapeutico Personalizzato da parte dei soli specialisti operanti all'interno dei Centri di Riferimento per malattia rara - attraverso il sistema informativo gestito dal Coordinamento Regionale per le Malattie Rare - nonché l'erogazione dei trattamenti preferibilmente in distribuzione diretta, da parte delle Farmacie Ospedaliere e/o dei Servizi Farmaceutici Territoriali delle Aziende ULSS di residenza del paziente, o attraverso la distribuzione convenzionata, nel rispetto delle vigenti disposizioni in materia anche per quanto concerne l'importazione di medicinali non registrati e/o non in commercio in Italia.

Al fine di favorire l'accesso alle terapie alle categorie di pazienti oggetto del presente provvedimento, si precisa che l'erogazione dei prodotti e trattamenti inclusi nell'Allegato A dovrà avvenire, in ciascuna Azienda ULSS, sulla base di quanto incluso in ciascun Prontuario Terapeutico Aziendale e nel rispetto del principio della "sostituibilità".

Il relatore conclude la propria relazione e propone all'approvazione della Giunta regionale il seguente provvedimento.

#### LA GIUNTA REGIONALE

UDITO il relatore, il quale dà atto che la struttura proponente ha attestato l'avvenuta regolare istruttoria della pratica anche in ordine alla compatibilità con la vigente legislazione statale e regionale;

VISTO l'art.2, co 2, lett. o) della legge regionale n. 54 del 31 dicembre 2012;

VISTO il DM n. 279 del 18 maggio 2001 ad oggetto "*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";

VISTA la Circolare del Ministero della Salute 13 dicembre 2001 ad oggetto "Indicazioni per l'applicazione dei regolamenti relativi all'esenzione per malattie croniche e rare";

VISTA la propria deliberazione n. 2706 del 10 settembre 2004 ad oggetto "Accordo tra Regione del Veneto, Regione Friuli Venezia Giulia, Provincia Autonoma di Bolzano e Provincia Autonoma di Trento in tema di Malattie Rare";

VISTA la DGR n. 2046 del 3 luglio 2007 avente ad oggetto "Accordo tra Regione del Veneto, Regione Friuli Venezia Giulia, Provincia Autonoma di Bolzano e Provincia Autonoma di Trento per la realizzazione dell'area vasta nel campo delle malattie rare. Individuazione dei Centri Interregionali di Riferimento dell'area vasta per le Malattie Rare";

VISTA la DGR n. 740 del 24 marzo 2009 avente ad oggetto "Aggiornamento elenco medicinali erogabili con onere a carico del Servizio Sanitario Regionale a soggetti affetti da malattie rare neurologiche e metaboliche ad interessamento neurologico di cui al Decreto Ministero della Salute 18 maggio 2001, n. 279. Modifica della DGR n. 2135 del 16 luglio 2004";

VISTA la DGR n. 1869 del 15 novembre 2011 ad oggetto "Ricognizione dei livelli aggiuntivi di assistenza erogati nella Regione del Veneto al 31/12/2010. Intesa tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e di Bolzano Rep. Atti n. 243 del 3 dicembre 2009 - art. 4 Adempimenti per l'accesso al finanziamento integrativo del Servizio sanitario nazionale";

VISTA la DGR n. 1106 del 12 giugno 2012 ad oggetto "Ricognizione dei livelli aggiuntivi di assistenza erogati nella Regione del Veneto al 31/12/2011. Intesa tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e di Bolzano Rep. Atti n. 243 del 3 dicembre 2009 - art. 4 Adempimenti per l'accesso al finanziamento integrativo del Servizio sanitario nazionale";

VISTA la DGR n. 1141 del 05 luglio 2013 ad oggetto "Ricognizione dei livelli aggiuntivi di assistenza erogati nella Regione del Veneto al 31/12/2012. Intesa tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e di Bolzano Rep. Atti n. 243 del 3 dicembre 2009 - art. 4 Adempimenti per l'accesso al finanziamento integrativo del Servizio sanitario nazionale";

VISTA la DGR n. 3135 del 20 ottobre 2009 avente ad oggetto "*Elenco medicinali erogabili con onere a carico del Servizio Sanitario Regionale a soggetti affetti da malattie metaboliche rare di cui al Decreto Ministero della Salute 18 maggio 2001, n. 279*";

VISTO l'Accordo 8 maggio 2003 della Conferenza Permanente per i Rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano;

VISTO l'Accordo Interregionale Area Vasta Malattie Rare siglato l'11 ottobre 2004;

VISTO l'Accordo 10 maggio 2007 della Conferenza Permanente per i Rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano;

delibera

1. di ritenere le premesse parte integrante e sostanziale del presente atto;
2. di approvare gli **Allegati A e B** parte integrante del presente provvedimento, secondo quanto riportato nelle premesse;
3. di stabilire che l'erogazione dei trattamenti di cui al punto 2 avvenga preferibilmente tramite distribuzione diretta da parte delle Farmacie ospedaliere e/o dei Servizi Farmaceutici Territoriali delle Aziende ULSS di residenza del paziente, o attraverso la distribuzione convenzionata, nel rispetto delle vigenti disposizioni in materia anche per quanto concerne l'importazione di

medicinali non registrati e/o non in commercio in Italia;

4. di dare atto che la presente deliberazione non comporta spesa a carico del bilancio regionale;
5. di disporre la pubblicazione del presente provvedimento nel Bollettino Ufficiale della Regione del Veneto.