

DELIBERAZIONE DELLA GIUNTA REGIONALE n. 1460 del 27 novembre 2023

Recepimento dell'Accordo tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano Rep. atti n. 121/CSR del 24 maggio 2023 sul "Piano nazionale per le malattie rare (PNMR)" e sul "Documento di riordino della rete malattie rare". Aggiornamento della rete dei Centri di riferimento per le malattie rare dell'area vasta e definizione della rete dei Centri di eccellenza e definizione dei compiti del Coordinamento regionale malattie rare.

[SANITÀ E SERVIZI SOCIALI]

Note per la trasparenza:

Con il presente provvedimento, si recepisce l'Accordo Rep. Atti n. 121/CSR del 24 maggio 2023, sancito in sede di Conferenza Stato-Regioni, tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e di Bolzano con il quale vengono approvati il "Piano nazionale malattie rare 2023-2026" e il documento per il "Riordino della rete nazionale delle malattie rare", conseguentemente viene aggiornata la Rete dei Centri Interregionali di Riferimento dell'Area Vasta per le malattie rare.

L'Assessore Manuela Lanzarin riferisce quanto segue.

Il Decreto Ministeriale n. 279 del 18 maggio 2001 recante "Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie" ha dato avvio alle politiche nazionali sulle malattie rare comprendenti la realizzazione di una rete di monitoraggio ed assistenza dedicata specificamente a queste patologie, l'erogazione di particolari benefici alle persone riconosciute affette, la creazione del Registro nazionale e dei Registri regionali/interregionali.

Con Deliberazione della Giunta regionale n. 741 del 10 marzo 2000, la Regione del Veneto ha istituito il Registro regionale per le malattie rare e con successiva Deliberazione n. 204 del 8 febbraio 2002 ha individuato, in ottemperanza al contesto normativo nazionale, i presidi regionali di riferimento per gruppi di malattie rare con i compiti di definire la diagnosi, di redigere la conseguente certificazione di malattia rara e di predisporre il piano terapeutico-assistenziale individuale. Contestualmente, la Regione ha avviato il sistema informativo regionale per le malattie rare, caratterizzato da uno sviluppo modulare e avente lo scopo di supportare il percorso dei malati, facilitando le connessioni tra i nodi della rete assistenziale individuata.

Proseguendo il percorso intrapreso, con Deliberazione n. 2706 del 10 settembre 2004, la Giunta regionale ha approvato l'Accordo tra Regione del Veneto, Regione Friuli Venezia Giulia, Provincia Autonoma di Bolzano e Provincia Autonoma di Trento per realizzare un'Area Vasta in tema di malattie rare, al fine di implementare e condividere un'unica rete di assistenza, uno stesso sistema informativo e di condurre politiche ed azioni condivise in tema di malattie rare.

In attuazione di quanto previsto dall'Accordo di Area Vasta, con Deliberazione n. 2046 del 3 luglio 2007 sono stati individuati i Centri interregionali di riferimento di Area Vasta per le malattie rare, mutuamente riconosciuti da tutte le Amministrazioni firmatarie dell'Accordo e il sistema informativo in uso nella Regione del Veneto è stato esteso anche alle Province Autonome di Trento e Bolzano.

Nel frattempo, l'Accordo tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano, Rep. atti n.103/CSR del 10 maggio 2007, ha previsto la creazione di Centri di coordinamento regionali e/o interregionali con il compito di gestire il Registro regionale malattie rare, coordinare la rete di assistenza, individuare i percorsi assistenziali, formare i professionisti ed informare i cittadini e le associazioni dei malati.

Pertanto, con Deliberazione n. 2169 dell'8 agosto 2008 è stato istituito il Coordinamento regionale malattie rare, con i compiti di predisporre, mantenere e sviluppare il sistema informativo che supporta la rete di assistenza per malati rari, denominato Registro malattie rare, di ottemperare al debito informativo regionale circa le malattie rare verso il Ministero e le agenzie centrali, di istruire, coordinare e monitorare l'attività della rete di assistenza, predisporre i percorsi assistenziali dei pazienti e favorire l'identificazione dei trattamenti appropriati per la condizione specifica in cui i pazienti possono trovarsi. Per assolvere a queste funzioni è stata prevista anche una specifica dotazione di personale.

Il Coordinamento regionale, funzione di livello regionale è stato incardinato presso l'Azienda Ospedale-Università di Padova e il personale impiegato risulta dipendente dell'Azienda medesima con oneri a carico della Regione del Veneto che ha stanziato un apposito finanziamento annuale.

Con successiva Deliberazione della Giunta regionale n. 763 del 14 maggio 2015 è stato recepito il Piano Nazionale Malattie Rare, approvato con l'Accordo tra il Governo, le Regioni e le Province autonome Rep. atti n. 140/CSR del 16 ottobre 2014 e, viste le raccomandazioni contenute nello stesso, la Regione ha aggiornato la rete interregionale dei Centri di riferimento per le malattie rare.

Considerato che con il Decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri 12 gennaio 2017 avente ad oggetto la "Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all'articolo 1, comma 7, del D. L. 30.12.1992, n. 502" sono stati definiti i nuovi Livelli Essenziali di Assistenza (LEA) e introdotte importanti novità nell'ambito di malattie rare, tra cui l'aggiornamento della lista di malattie che danno diritto all'esenzione, con Deliberazione n. 1522 del 25 settembre 2017 la Regione del Veneto ha provveduto ad aggiornare la rete dei Centri di riferimento della rete veneta e di Area Vasta per le malattie rare, identificando quindi anche i Centri per le malattie rare di nuova inclusione nell'elenco nazionale.

Con Deliberazione n. 791 dell'8 giugno 2018 è stata data ulteriore attuazione alle disposizioni di cui al DPCM 12 gennaio 2017 in materia di malattie rare e sono stati precisati alcuni aspetti caratterizzanti l'articolazione ed il funzionamento della rete di assistenza per i malati rari, anche in riferimento ai compiti del Coordinamento regionale malattie rare, con sede nell'Azienda Ospedale-Università di Padova, e all'avvio dell'attività delle reti europee di riferimento per le malattie rare (ERN).

Tali reti derivano dall'applicazione della Direttiva 2011/24/EU del Parlamento Europeo e del Consiglio del 9 marzo 2011, concernente i diritti dei pazienti relativi all'assistenza sanitaria transfrontaliera.

Sono reti composte da prestatori di assistenza sanitaria con sede negli Stati membri, sono state istituite allo scopo di migliorare attraverso la messa a fattor comune di conoscenza e risorse l'assistenza alle persone con malattie rare e/o complesse necessitanti di competenze diagnostiche e terapeutiche altamente specializzate.

Con la Decisione delegata della Commissione (2014/286/UE) e con la Decisione di esecuzione della Commissione (2014/287/UE), in applicazione della Direttiva di cui sopra, sono stati stabiliti rispettivamente i criteri e le condizioni che devono soddisfare le reti di riferimento europee e i prestatori di assistenza sanitaria (*health care providers*) per aderire a una rete di riferimento europea ed i criteri per l'identificazione e la valutazione delle reti di riferimento europee e dei loro membri.

A livello nazionale il Decreto Legislativo n. 38 del 4 marzo 2014 ha recepito la Direttiva 2011/24/EU in materia di assistenza sanitaria transfrontaliera, stabilendo gli ambiti di applicazione della Direttiva stessa.

Le 24 reti europee ERN, individuate per aree tematiche, hanno preso avvio nel 2017, a seguito di una complessa procedura di pre-candidatura e selezione dei membri costituenti che si è così articolata: processo di valutazione regionale, successiva valutazione nazionale con rilascio di endorsement da parte del Ministero della Salute ai Centri giudicati idonei a partecipare al bando europeo dedicato. I prestatori di assistenza sanitaria con parere favorevole alla partecipazione e rispondenti ai criteri stabiliti a livello europeo valutati con processo specifico sono entrati a far parte delle 24 reti europee ERN, approvate ufficialmente nel dicembre 2016 dal *Board of Member States*.

Successivamente nel 2019 è stato lanciato un secondo bando per la partecipazione di nuovi membri alle reti ERN che ha portato, attraverso il meccanismo di selezione sopra descritto, all'allargamento delle reti ad altri prestatori di assistenza sanitaria, approvati ufficialmente dal *Board of Member States* con Decisione del 26 novembre 2021.

L'esistenza di politiche e di un'organizzazione dedicata e l'elevata competenza di molti ospedali in ambito malattie rare hanno permesso all'Italia di essere un Paese molto rappresentato nelle reti europee. Per quanto riguarda la Regione Veneto, 23 reti su 24 reti europee ERN vedono la partecipazione di ospedali della rete regionale sede di Centri di riferimento, con ciascun ospedale parte di una fino ad un massimo di 22 ERN. La maggiore partecipazione si registra a livello delle due Aziende Ospedaliere di Padova e Verona.

È al momento in fase di conclusione il processo di monitoraggio e valutazione basato su indicatori definiti dell'attività delle ERN nel loro complesso, di ciascuna ERN e di ciascun ospedale partecipante al loro interno che rappresenterà un primo bilancio delle attività condotte dalle reti nei loro primi cinque anni di istituzione.

La prospettiva futura è quella di individuare modalità di integrazione delle reti europee nei sistemi sanitari nazionali, tenuto conto che nel nostro Paese in particolare gli ospedali partecipanti alle reti europee sono una selezione di quelli da tempo identificati come sede di Centri di riferimento individuati formalmente a livello regionale/interregionale.

Poiché la competenza in materia sanitaria è degli Stati membri, la permanenza delle reti europee ERN con scopi prioritariamente di assistenza deve necessariamente passare attraverso un'integrazione formale con l'organizzazione

assistenziale e finanziaria presente in ciascun Paese e diversa da caso a caso. Per identificare le modalità da utilizzare per poter realizzare nel contesto europeo questo obiettivo di integrazione è di prossimo avvio la Joint Action JARDIN, che vede la partecipazione come *Affiliated Entity (AE)* della Regione del Veneto, attraverso il Coordinamento regionale malattie rare, in rappresentanza di tutte le altre Regioni e Province Autonome, in qualità di regione coordinatrice del Tavolo tecnico interregionale per le malattie rare presso la Commissione Salute.

Il ruolo della Regione del Veneto svolto a livello europeo, oltre che dalla partecipazione di molti ospedali alle reti ERN è testimoniato anche dalla partecipazione del Coordinamento malattie rare regionale prima alla Joint Action RD-Action sulle malattie rare (2016-2018) e successivamente al progetto europeo RD-CODE (2019-2021), in particolare per quanto concerne l'utilizzo e lo sviluppo di raccomandazioni su sistemi di codifica specifici per le malattie rare che migliorino la visibilità dei malati rari nei sistemi informativi sanitari, base per una corretta valutazione della performance della rete e dell'impatto di queste condizioni sul sistema sanitario nel suo complesso. Inoltre, il Centro informazioni del Coordinamento partecipa dal 2007 al network Europeo delle *helplines* per le malattie rare, coordinato da Eurordis, la Federazione europea delle associazioni di malattie rare, risultando tra quelli con maggiore volume annuale di attività.

Accanto all'evoluzione dello scenario europeo, a livello nazionale sono parimenti intervenute importanti novità. In particolare, con la Legge n. 175 del 10 novembre 2021 sono state approvate le "Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani" con il fine di garantire l'uniformità dell'erogazione nel territorio nazionale delle prestazioni e dei medicinali, compresi quelli orfani; il coordinamento, il riordino e il potenziamento della rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare, articolata nelle reti regionali/interregionali; il sostegno della ricerca.

L'art. 8 della citata Legge ha previsto l'istituzione del Comitato nazionale malattie rare con funzioni di indirizzo e di coordinamento, di definizione delle linee strategiche delle politiche nazionali e regionali in materia di malattie rare.

Con Decreto del Sottosegretario di Stato Sen. Prof. Pierpaolo Sileri del 16 settembre 2022 è stato istituito il Comitato e successivamente con provvedimento del 20 dicembre 2022 della Direzione Generale della Programmazione Sanitaria del Ministero della Salute ne è stata definita la composizione.

L'art. 9 della Legge n. 175/2021 ha altresì previsto che con Accordo da stipulare in sede di Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano, sentiti il Comitato e il Centro nazionale per le malattie rare, sia approvato ogni tre anni il Piano nazionale per le malattie rare, con il quale definire gli obiettivi e gli interventi pertinenti nel settore delle malattie rare e che con lo stesso Accordo di cui sopra sia disciplinato altresì il riordino della rete nazionale per le malattie rare, articolata nelle reti regionali e interregionali. Il Documento di riordino ha come specifica finalità l'individuazione dei compiti e delle funzioni dei Centri di coordinamento regionali, dei Centri di riferimento e dei Centri di eccellenza che partecipano allo sviluppo delle reti di riferimento europee ERN, ai sensi dell'art. 13 del Decreto Legislativo 4 marzo 2014, n. 38.

Tale articolazione della rete è parimenti descritta anche nel Piano nazionale malattie rare 2023-2026, frutto di un intenso lavoro svolto da un gruppo di nomina ministeriale che ha visto la partecipazione di tutti i portatori di interesse, inclusi i rappresentanti dei pazienti e della Regione Veneto.

Il Piano si articola secondo le seguenti linee di intervento principali: prevenzione primaria, diagnosi, reti di assistenza e percorsi assistenziali, trattamenti farmacologici, trattamenti non farmacologici. Si ritrovano poi linee di azione che contribuiscono trasversalmente a integrare tutti gli ambiti principali sopra elencati: formazione; informazione, registri e monitoraggio della rete delle malattie rare e ricerca.

Il PNMR 2023-2026 definisce la rete malattie rare come una rete organizzativa, clinico-assistenziale costituita dall'insieme delle strutture appositamente individuate dalle Regioni e PP.AA. Relativamente al tema dei percorsi assistenziali, identifica nel capitolo dedicato obiettivi, azioni ed indicatori per migliorare il funzionamento della rete di assistenza per le persone con malattia rara, con particolare attenzione ai due macro-ambiti, quello ospedaliero e quello territoriale, e alle modalità di integrazione tra loro. Allo scopo sono individuati strumenti che riguardano da una parte la gestione dell'informazione, dall'altra aspetti organizzativi/regolatori.

Il PNMR ribadisce che l'identificazione dei Centri di riferimento deve basarsi su criteri oggettivi e deve avvenire coerentemente con i requisiti previsti dalle raccomandazioni europee. I Centri di riferimento hanno il compito di definire:

1. la diagnosi di malattia, l'eventuale profilo genetico ed il profilo del danno attuale ed evolutivo del paziente;
2. il piano terapeutico assistenziale personalizzato, compresi i trattamenti e i monitoraggi di cui i pazienti con malattie rare necessitano.

I Centri devono avere ampi bacini d'utenza, volumi di attività significativi e performance appropriate, sviluppare e mantenere legami formali con la restante rete territoriale e avere un'organizzazione che favorisca il processo di transizione tra età pediatrica e adulta, fenomeno che interessa sempre più un numero consistente di malati.

Con Accordo Rep. atti n. 121 del 24 maggio 2023, la Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province Autonome di Trento e di Bolzano ha approvato il "Piano nazionale malattie rare 2023-2026" e il "Documento di riordino della rete malattie rare", prevedendo che le Regioni e le Province Autonome di Trento e di Bolzano recepiscono i due documenti con propri provvedimenti e ne diano attuazione nei rispettivi ambiti territoriali entro 12 mesi dalla data di entrata in vigore dell'Accordo. È stato anche previsto lo stanziamento di 25.000.000,00 euro annui per due anni (anni 2023-2024) a valere sulle risorse previste del Fondo sanitario nazionale per la realizzazione di specifici obiettivi del Piano sanitario nazionale.

Per quanto finora rappresentato si propone di proseguire nelle azioni intraprese al fine di ottemperare agli obblighi derivanti dalle recenti evoluzioni normative di contesto sul tema e al contempo cogliere le opportunità di consolidamento ed ulteriore sviluppo di quanto finora realizzato in particolare derivanti da quanto definito:

a. dalla Legge n. 175/2021 "Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani";

b. dall'Accordo Rep. atti n. 121 del 24 maggio 2023 con cui la Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province Autonome di Trento e di Bolzano ha approvato il "Piano nazionale malattie rare 2023-2026" e il "Documento di riordino della rete malattie rare".

Considerato quanto sopra esposto, coerentemente con i contenuti del PNMR 2023-2026 e del documento di riordino della rete si ritiene di ribadire l'organizzazione basata:

a) sulla rete di Centri di riferimento identificati per gruppi di patologie, strutturati come Unità funzionali ciascuna comprendente più Unità Operative, concentrate in ospedali selezionati e monitorati in base a dati oggettivi di attività diagnostica e di presa in carico, desunti dal monitoraggio attuato dal sistema informativo malattie rare, detto Registro malattie rare ed eventualmente integrati da altri flussi informativi correnti. I Centri hanno compiti di definizione diagnostica e di presa in carico assistenziale dei pazienti e sono soggetti ad aggiornamento relativamente alla loro localizzazione e composizione, tenuto conto delle attività svolte e della capacità di rispondere alle necessità assistenziali dei malati. A tale proposito, va ricordata l'importanza del collegamento di tali Centri di riferimento con la restante rete dei servizi ospedalieri e territoriali della Regione, concorrenti all'attuazione della presa in carico dei malati ed al corretto riferimento degli stessi in caso di primo sospetto di malattia rara, nonché la partecipazione dei Centri di riferimento alla profilatura delle caratteristiche del singolo paziente in relazione alla sua eventuale disabilità, alla immissione scolastica e alla partecipazione lavorativa attraverso l'interazione con le agenzie e le istituzioni a ciò preposte;

b) sulla selezione di alcuni tra i Centri di riferimento, per l'ampiezza della casistica e le particolari e avanzate facilities diagnostiche e terapeutiche a disposizione, come *health-care providers* candidati a partecipare alle reti europee ERN. Tali Centri selezionati e ammessi a livello europeo alla partecipazione alle ERN acquisiscono la denominazione di "Centri di eccellenza" per ciascuno degli ambiti di patologia di cui ogni ERN si occupa. L'esperienza europea svolta da tali Centri di eccellenza è utile per migliorare l'attività dell'intera rete ed adeguarla a quanto di innovativo si sviluppa a livello internazionale offrendo in tal modo ai pazienti veneti le migliori opzioni diagnostiche e terapeutiche disponibili. A tal fine gli stessi Centri di eccellenza faciliteranno nei casi selezionati l'accesso alle piattaforme di consulenza definite dalle reti ERN per casi di particolare complessità clinica;

c) sulle azioni svolte dal Coordinamento regionale per le malattie rare, caratterizzate da una triplice valenza:

1. supporto alla programmazione regionale come istruttoria tecnica per la realizzazione e manutenzione delle reti regionali e per l'implementazione delle attività riguardanti la diagnostica e la presa in carico dei malati rari;

2. realizzazione dei monitoraggi indispensabili per la valutazione e il funzionamento della rete di assistenza, dei sistemi informativi e degli applicativi informatici su cui tali monitoraggi si basano. A tal riguardo è competenza del Coordinamento la valutazione epidemiologica e la gestione delle banche-dati e dei registri di patologia, oltre che la tenuta dei flussi informativi corrispondenti a livello regionale e verso le istituzioni centrali ed europee in collaborazione con gli altri servizi e strutture regionali competenti;

3. supporto, orientamento e facilitazione della presa in carico clinica dei pazienti attraverso la definizione di percorsi assistenziali terapeutici e l'individuazione di trattamenti con evidenze di indispensabilità e non sostituibilità per specifiche malattie rare o singoli malati rari in collaborazione con il servizio farmaceutico regionale. A tale riguardo, infatti, la Deliberazione della Giunta regionale n. 864 del 30 giugno 2020 ha ridefinito i percorsi prescrittivi e autorizzativi per l'erogazione di trattamenti indispensabili e insostituibili riconducibili ai Livelli Essenziali di Assistenza, incluse le terapie riferite a pazienti con malattia rara.

Con riferimento ai farmaci, nelle more dell'adozione di un elenco unico nazionale di farmaci classificati in fascia C e *off-label*, ma, in quanto essenziali e non sostituibili, erogabili a carico SSN in maniera omogenea sull'intero territorio nazionale previsto dal PNMR, si propone di incaricare il Coordinamento malattie rare di aggiornare i protocolli terapeutici di trattamenti essenziali ed indispensabili relativi a gruppi di patologie approvati con le Deliberazioni della Giunta regionale n. 740 del 24 marzo 2009, n. 3135 del 20 ottobre 2009 e n. 2695 del 29 dicembre 2014, o di definirne di nuovi qualora necessario, basandosi su criteri di efficacia, appropriatezza ed economicità, individuando appositi gruppi di lavoro di specialisti per materia e validati dalla Commissione Terapeutica Regionale sul Farmaco ex Deliberazione della Giunta regionale n. 36 del 21 gennaio 2019.

Con riferimento al Registro malattie rare, si richiama altresì la Deliberazione della Giunta regionale n. 491 del 17 aprile 2018, che aveva incaricato il Coordinamento malattie rare, in particolare di:

1. fornire elaborazioni periodiche per Azienda Sanitaria dei farmaci *off label* e di fascia C e di tutti i restanti prodotti diversi dai farmaci autorizzati e acquistati;
2. fornire un tracciato periodico delle informazioni contenute nel Registro Malattie Rare, secondo modalità da concordare con Azienda Zero, così da sviluppare la massima integrazione ed interoperabilità tra il sistema informativo regionale malattie rare ed i flussi informativi regionali correnti.

Pertanto, nell'ottica di perfezionamento dei sistemi di monitoraggio previsto dal PNMR, si propone di incaricare Azienda Zero, entro 12 mesi dall'adozione della presente delibera, di acquisire e rendere disponibile all'interno dei preposti applicativi regionali il suddetto tracciato contenente i dati del registro Malattie rare, anche al fine di consentire un puntuale monitoraggio della spesa e dei consumi relativi ai trattamenti correlati alla presa in carico del malato raro, inclusi i trattamenti definiti dai protocolli regionali o nazionali, farmaci *off-label* e/o di fascia C;

d) sul raccordo ed integrazione tra la rete malattie rare e le altre reti regionali (cure primarie, materno-infantile, trapianti, tumori rari, riabilitazione, trasfusionale, urgenza-emergenza, cure palliative, cure palliative pediatriche, etc.) e tra la Rete malattie rare regionale e quelle di altre regioni.

In particolare per quanto riguarda la rete dei Centri di riferimento, il Coordinamento malattie rare ha svolto una ricognizione dell'attività svolta. Per i Centri già in essere si è provveduto, sulla base di quanto riportato nel Documento di riordino, e utilizzando la fonte Registro malattie rare a valutare sia l'attività di diagnosi di nuovi pazienti che di presa in carico, espressa dal volume di piani terapeutici assistenziali personalizzati redatti attraverso il sistema informativo malattie rare, evidenziando anche l'attività di condivisione dei pazienti da parte di più UU.OO. facenti parte dello stesso Centro. Dall'analisi dei dati è risultata una attesa contrazione dell'attività durante il periodo pandemico, contrastata tuttavia dai provvedimenti regionali emanati per garantire la continuità della presa in carico dei pazienti adottando misure in relazione alla situazione emergenziale, quali il rinnovo automatico dei piani terapeutici in essere e soluzioni di telemedicina. Già dal 2021 si è registrato un significativo incremento dell'attività sia di diagnosi che di presa in carico, a testimonianza del grande lavoro svolto dai Centri in tal senso.

Si è inoltre tenuto conto dei seguenti cambiamenti intervenuti dal 2017 ad oggi: cambi di denominazione di UOC facenti parte dei Centri già identificati; riorganizzazione delle attività di alcune UOC all'interno dello stesso presidio accreditato e delle attività di Centri insistenti in più presidi appartenenti alla stessa Azienda o ad Aziende diverse.

Alla luce dell'istruttoria condotta risulta necessario aggiornare la composizione dei Centri di riferimento identificati per gruppi di patologie, per cui si propone di sostituire l'Allegato B della Deliberazione della Giunta regionale n. 1522/2017 con l'**Allegato B** di cui al presente provvedimento.

Inoltre, si propone che i Centri di riferimento sottoposti al processo di selezione avvenuto a livello regionale, nazionale ed europeo riportati nell'**Allegato C** al presente provvedimento, essendo full-members di reti ERN assumano la valenza di Centri di eccellenza per le rispettive aree di patologia.

Si propone, infine, di incaricare il Coordinamento regionale malattie rare di monitorare l'attività dei Centri così identificati al fine di quantificare l'attività di diagnosi e di presa in carico dei malati rari da utilizzare come indicatore da riportare nel monitoraggio ministeriale e come valutazione dei Centri di eccellenza da certificare per il monitoraggio delle reti europee

ERN. Poiché la composizione delle UOC facenti parte dei Centri di riferimento e dei Centri di eccellenza può essere soggetta a cambiamenti di denominazione, di localizzazione e composizione nel tempo si propone di incaricare il Coordinamento regionale al monitoraggio della composizione dei Centri e della denominazione delle UOC partecipanti, segnalando le variazioni alla Direzione Programmazione Sanitaria che, con propri atti, potrà procedere alla revisione straordinaria che si rendesse necessaria rispetto ai contenuti di cui all'**Allegato B** del presente provvedimento.

Considerato, inoltre, che l'elenco dei Centri contenuto nell'**Allegato C** di cui al presente provvedimento può essere soggetto a variazioni e/o integrazioni in base alle decisioni assunte a livello europeo rispetto alla partecipazione alle reti ERN, si propone di incaricare la Direzione Programmazione Sanitaria all'aggiornamento dell'elenco con propri atti.

Per quanto attiene al terzo elemento costitutivo della rete, si propone di assegnare al Coordinamento regionale malattie rare, in attuazione al già citato Accordo sul "Documento di riordino" della rete stessa e in continuità con le attività già svolte anche il compito di gestire il Centro informazioni helpline per le malattie rare, il coordinamento delle attività di screening neonatale e per sottogruppi a rischio, come definito nella Deliberazione della Giunta regionale n. 491/2018.

Per lo svolgimento dei compiti e le funzioni delineate e derivanti dall'attuazione dell'Accordo Rep. atti n. 121 del 24 maggio 2023 si conferma la dotazione di personale dedicato, come da Deliberazione della Giunta regionale n. 2169 dell'8 agosto 2008 eventualmente integrato per lo sviluppo di nuove attività previste dall'Accordo rep. atti n. 121 del 24 maggio 2023 e coperte finanziariamente dai fondi di cui all'Accordo stesso.

Per quanto sopra esposto si propone di recepire l'Accordo Rep. atti 121 del 24 maggio 2023 tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano sul documento "Piano nazionale malattie rare 2023-2026" ed "Documento di riordino della rete malattie rare" che costituisce l'**Allegato A** al presente provvedimento.

Si propone, infine, di approvare l'elenco dei Centri di riferimento per le malattie rare di cui all'**Allegato B** al presente provvedimento, in sostituzione dell'Allegato B alla Deliberazione della Giunta regionale n. 1522/2017 e di individuare quali i Centri indicati nell'**Allegato C** al presente provvedimento quali Centri di eccellenza ai sensi del citato Accordo Rep. atti 121 del 24 maggio 2023.

Si dà atto che quanto disposto con il presente provvedimento non comporta spesa a carico del bilancio regionale.

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 competente ha attestato, con i visti rilasciati a corredo del presente atto, l'avvenuta regolare istruttoria della pratica, anche in ordine alla compatibilità con la vigente legislazione statale e regionale, e che successivamente alla definizione di detta istruttoria non sono pervenute osservazioni in grado di pregiudicare l'approvazione del presente atto;

VISTA la Direttiva del Parlamento europeo e del Consiglio n. 24 del 9 marzo 2011;

Visto il D.M. n. 279 del 18 maggio 2001;

VISTA la Deliberazione della Giunta regionale n. 741 del 10 marzo 2000;

VISTA la Deliberazione della Giunta regionale n. 204 dell'8 febbraio 2002;

VISTA la Deliberazione della Giunta regionale n. 2706 del 10 settembre 2004;

VISTA la Deliberazione della Giunta regionale n. 2046 del 3 luglio 2007;

VISTO l'Accordo del 10 maggio 2007 tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano (rep. Atti n.103/CSR);

VISTA la Deliberazione della Giunta regionale n. 2169 dell'8 agosto 2008;

VISTO l'Accordo tra il Governo le Regioni e le Province autonome di Trento e Bolzano Rep. atti n. 140/CSR del 16 ottobre 2014;

VISTO il DPCM 12 gennaio 2017 "Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all'articolo 1, comma 7, del D. L. 30.12.1992, n. 502";

VISTA la Deliberazione della Giunta regionale n. 1522 del 25 settembre 2017;

VISTA la Deliberazione della Giunta regionale 491 del 17 aprile 2018;

VISTO l'Accordo tra il Governo le Regioni e le Province autonome di Trento e Bolzano Rep. atti n. 121 del 24 maggio 2023;

delibera

1. di approvare le premesse quali parte integrante e sostanziale del presente provvedimento;
2. di recepire l'Accordo Rep. atti n. 121 del 24 maggio 2023 della Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano sul "Piano nazionale malattie rare 2023-2026" e il "Documento di riordino della rete malattie rare" che costituisce l'**Allegato A** parte integrante del presente provvedimento;
3. di incaricare il Coordinamento malattie rare della Regione Veneto dell'attuazione e del monitoraggio di quanto previsto nei documenti di cui al punto che precede, predisponendo le istruttorie tecniche per i successivi provvedimenti che si renderanno necessari al fine dell'attuazione dell'Accordo Rep. atti n. 121 del 24 maggio 2023;
4. di incaricare il Coordinamento malattie rare di aggiornare i protocolli terapeutici di trattamenti essenziali ed indispensabili relativi a gruppi di patologie approvati con le Deliberazioni della Giunta regionale n. 740 del 24 marzo 2009, n. 3135 del 20 ottobre 2009 e n. 2695 del 29 dicembre 2014, o di definirne di nuovi qualora necessario, basandosi su criteri di efficacia ed appropriatezza, individuando appositi gruppi di lavoro di specialisti per materia e validati dalla Commissione Terapeutica Regionale sul Farmaco ex Deliberazione della Giunta Regionale n. 36 del 21 gennaio 2019;
5. di incaricare Azienda Zero, entro 12 mesi dall'adozione della presente deliberazione, di acquisire e rendere disponibile all'interno dei preposti applicativi regionali il suddetto tracciato contenente i dati del registro Malattie rare, anche al fine di consentire un puntuale monitoraggio della spesa e dei consumi relativi ai trattamenti correlati alla presa in carico del malato raro, inclusi i trattamenti definiti dai protocolli regionali o nazionali, farmaci *off-label* e/o di fascia C.
6. di approvare, in attuazione dell'Accordo Rep. atti n. 121 del 24 maggio 2023 della Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano, l'elenco dei Centri interregionali di riferimento per le malattie rare dell'area vasta contenuti nell'**Allegato B**, parte integrante del presente provvedimento, in sostituzione dell'Allegato B della Deliberazione della Giunta regionale n. 1522/2017 e, contestualmente di incaricare il Coordinamento malattie rare della Regione del Veneto del monitoraggio dell'attività di tali Centri;
7. di approvare, in attuazione dell'Accordo Rep. atti n. 121 del 24 maggio 2023 della Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano, la rete dei Centri di eccellenza elencata nell'**Allegato C** parte integrante del presente provvedimento;
8. di precisare che i contenuti dell'**Allegato B** e dell'**Allegato C** di cui al presente provvedimento, potranno essere oggetto di modifiche e aggiornamenti da approvarsi con specifici atti della Direzione Programmazione Sanitaria;
9. di incaricare la Direzione Programmazione Sanitaria dell'esecuzione del presente provvedimento;
10. di dare atto che quanto disposto con il presente atto non comporta spese a carico del bilancio regionale;
11. di pubblicare la presente deliberazione sul Bollettino Ufficiale della Regione.