



Ministero della Salute

I NUOVI LEA E L' USO OFF-LABEL DEI FARMACI PER MALATI RARI

Silvia Arcà

Direzione generale della programmazione sanitaria

Ufficio II

Venezia, 21 aprile 2015

2.2. Livelli Essenziali di Assistenza (LEA)

Attività, servizi e prestazioni che il SSN garantisce a tutti gli assistiti

- in relazione alle condizioni cliniche individuali
- secondo criteri di efficacia, qualità e appropriatezza delle cure
- nel rispetto di principi di equità, universalità di accesso e solidarietà
- secondo standard quantitativi e qualitativi e nel rispetto del principio della sostenibilità.

I LEA destinati alle persone con MR ne sono parte integrante

- Assistenza specialistica e diagnostica
- Assistenza protesica
- Assistenza integrativa
- Assistenza socio-sanitaria

INVECE

- assistenza farmaceutica: **norme specifiche** Il progetto di aggiornamento dei Lea non interviene in questo settore

Speciali tutele: esenzione dal ticket per la fase diagnostica e di trattamento



Il dPCM di aggiornamento: il percorso

- ✓ La base di lavoro è costituita dallo schema predisposto nel 2008/2010

- ✓ Sono stati costituiti 4 gruppi di lavoro (Ministero, Regioni, Agenas) che, tra aprile e dicembre '14, hanno aggiornato:
 - sanità pubblica e prevenzione collettiva
 - nomenclatore specialistica:
 - disciplina assistenza protesica
 - dispositivi monouso,
 - area assistenza socio-sanitaria

- ✓ Gruppi già costituiti hanno formulato proposte su tematiche specifiche (Tavolo interregionale malattie rare, Tavolo tutela della gravidanza, ecc.)



Le indicazioni del PNMR per l'aggiornamento dei Lea

2.5.3 “Nell'aggiornamento dei LEA si terrà conto di alcuni dei trattamenti innovativi per garantirne una disponibilità più continuativa ed omogenea

3.4 “aggiornare i Lea con particolare attenzione ai bisogni assistenziali dei malati rari”

3.11 “La salvaguardia del principio di equità tra i cittadini e la maggior omogeneità nella disponibilità di trattamenti tra le diverse Regioni devono essere perseguite attraverso un aggiornamento dei LEA che dedichi particolare attenzione alle necessità assistenziali delle malattie rare.”



L'assistenza specialistica ambulatoriale

Nella proposta di nuovo nomenclatore dell'assistenza specialistica ambulatoriale sono state inserite prestazioni diagnostiche specificamente destinate alla diagnosi di MR, erogabili da parte dei Presidi della Rete.

Criticità:

Assistenza odontoiatrica limitata alle categorie “vulnerabili”

la “vulnerabilità sanitaria” è riconosciuta ai cittadini affetti da gravi patologie, le cui condizioni di salute possano essere gravemente pregiudicate da una patologia odontoiatrica concomitante. I soggetti affetti da altre patologie o condizioni potranno accedere alle cure odontoiatriche solo se la condizione patologica stessa risulti associata ad una concomitante condizione di vulnerabilità sociale.



L'assistenza protesica

1. Tra i **destinatari dell'assistenza protesica** sono esplicitamente inseriti i malati rari diagnosticati dai Presidi della Rete (non necessario il riconoscimento invalidità civile)
2. Inserimento di **ausili specifici** per malati rari: ausili per la terapia circolatoria, guaine elasto-compressive per arti superiori ed inferiori, prescrivibili a soggetti con linfedemi primari cronici, lenti a contatto speciali per i soggetti con cheratocono, filtri di foto-protezione per persone con malattie oculari
3. Inserimento **ausili innovativi** di rilievo per malati rari: comunicatori e ITC, protesi acustiche, ecc.



L'assistenza integrativa e gli ausili monouso

1. Tra i **destinatari dell'assistenza** protesica sono esplicitamente inseriti i malati rari diagnosticati dai Presidi della Rete (non necessario il riconoscimento invalidità civile)
 2. Inserimento di **ausili specifici** per malati rari: medicazioni avanzate, per il trattamento di lesioni cutanee da persone con malattie rare della cute, quali, ad esempio, l'epidermolisi bollosa e il pemfigo.
 3. Inserimento **ausili monouso** per MR: strisce e apparecchi per misurazione glicemia per pazienti (non diabetici) che soffrono di scompensi glicemici
- Criticità:** prodotti non classificati come farmaci (es. cosmetici, integratori, ecc.)



L'assistenza socio-sanitaria

- 1) **Descrizione puntuale** delle attività nell'assistenza domiciliare, territoriale, semiresidenziale e residenziale (per malati cronici, malati in fine vita, persone con disturbi mentali, persone con dipendenze patologiche, disabili)
- 2) Articolazione dell'assistenza domiciliare e residenziale in tre **livelli di intensità** in relazione ai bisogni: **intensiva** (per accogliere le dimissioni e filtrare gli ingressi in ospedale), **estensiva** (di medio impegno), **di bassa intensità** e mantenimento per le situazioni stabilizzate
- 3) **Integrazione** socio-sanitaria
- 4) Mantenimento delle attuali **quote sociali** a carico del Comune/assistito)



L'aggiornamento continuo dei Lea

Impegno Stato-Regioni per:

- adottare strumenti e procedure per la valutazione di efficacia delle prestazioni incluse nei Lea
- individuare ulteriori indicazioni di appropriatezza/condizioni di erogabilità delle prestazioni, alla luce di Linee guida e PDTA uniformi a livello nazionale
- adottare strumenti e procedure per la valutazione di efficacia delle innovazioni tecnologiche (HTA) e la loro introduzione nei Lea
- promuovere la presa in carico del paziente cronico attraverso la individuazione di PDTA e la gestione domiciliare con la telemedicina

2.5 Strumenti per l'innovazione terapeutica: farmaci (orfani) e legge n. 648/1996

legge n. 98/2013 di conversione del dl n. 69/2013

- procedura privilegiata per la classificazione dei FO (AIFA valuta la domanda entro 100 gg)
- sorveglianza *post-marketing* di alcuni FO
 - rimborsabilità soggetta a registro di monitoraggio AIFA
 - alcuni farmaci recenti

legge n. 648/1996 consente di erogare a carico del SSN, quando non è disponibile un'alternativa terapeutica valida medicinali

- innovativi in commercio in altri Stati, ma non sul territorio nazionale
- non autorizzati ma sottoposti a sperimentazione clinica
- utilizzati per un'indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata (uso off-label)

Limitatamente ai principi attivi e agli usi indicati in un elenco allegato e aggiornato dal Comitato tecnico scientifico (CTS) di AIFA

2.5 Strumenti per l'innovazione terapeutica: farmaci (orfani) e legge n. 648/1996

Lo Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare di Firenze (SCFM), unità produttiva dell' Agenzia Industrie Difesa vigilata dal Ministero della Difesa, garantisce, su richiesta dell' ISS e dell' AIFA, la produzione dei farmaci per la cura di patologie rare o poco frequenti, non prodotti dalla grossa industria farmaceutica per ragioni di non remunerabilità

Nel futuro

potenziare e valorizzare il ruolo dello Stabilimento chimico farmaceutico militare (SCFM) nell' assicurare la disponibilità a costi ridotti di farmaci e altri trattamenti per le MR