



## Livelli Essenziali di Assistenza

Ettore Attolini Giuseppina Annicchiarico

*Agenzia Regionale Sanità - Coordinamento Regionale MR* Puglia

Venezia, 21 febbraio 2015

*coordinamento.malattierare@regione.puglia.it*

# Schema di decreto di modifica del dPCM sui Lea

Con specifico riguardo alle malattie rare, il lavoro ha impegnato il Tavolo interregionale malattie rare che ha collaborato con il Ministero e l'ISS sia per **l'aggiornamento dell'elenco delle MR** che hanno diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni sanitarie, sia per **la revisione dei nomenclatori dell'assistenza integrativa, dell'assistenza protesica** e dell'assistenza specialistica ambulatoriale con l'introduzione di prestazioni che rispondessero a specifiche necessità assistenziali delle persone con malattia rara, correlate alla loro patologia.

# IL NOMENCLATORE TARIFFARIO

*dal 1999 ad oggi*

# IL NOMENCLATORE TARIFFARIO *per protesi e ausili*

## COSA È

- Il Nomenclatore Tariffario attualmente in vigore è quello emanato dal *Ministero della Salute*, stabilito dal **DM 27 agosto 1999 n. 332**, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale 27 settembre 1999, n. 227.
- Si tratta di un documento recante le norme per le prestazioni di assistenza protesica erogabili nell'ambito del *Servizio Sanitario Nazionale*.

# IL NOMENCLATORE TARIFFARIO *per protesi e ausili*

## AGGIORNAMENTO

- Art. 11 del DM 27 agosto 1999 n. 332

Il nomenclatore è **aggiornato periodicamente**, con riferimento al periodo di validità del Piano sanitario nazionale e, comunque, **con cadenza massima triennale**, con la contestuale revisione della nomenclatura dei dispositivi erogabili.

# IL NOMENCLATORE TARIFFARIO *per protesi e ausili*

## AGGIORNAMENTO

### Problemi del mancato aggiornamento

- **Impossibilità di fornire protesi e ausili di tecnologia avanzata**
- **Mancato adeguamento dei costi con conseguente dispendio economico delle ASL rispetto al privato e incapacità di coprire il costo di protesi e ausili di tecnologia avanzata**

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

**PATTO DELLA SALUTE**

**E**

**AGGIORNAMENTO LEA**

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

NOVITA'

Destinatari: malati rari specificamente inseriti

Contenuti: quali?

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

## ALLEGATO 5 - ELENCO 1 - AUSILI SU MISURA

### Specifiche per alcune malattie rare

#### ▪ **AUSILI PER TERAPIA CIRCOLATORIA**

**1** TIPOLOGIA DI PRODOTTO: guaina per arto superiore (classe 2°,3°,4°), guaina per arto inferiore (classe 2°,3°,4°)

per LINFEDEMA PRIMARIO CRONICO (RGG020) E LINFEDEMA SECONDARIO

#### ▪ **AUSILI OTTICI CORRETTIVI SU MISURA**

**1** TIPOLOGIA DI PRODOTTO: lente a contatto composita, lente a contatto sclero-corneale, lente a contatto morbida spessorata in silicone hydrogel

per assistiti affetti da CHERATOCONO in possesso della certificazione di patologia rara (COD. RF0280) CON DOCUMENTATA INTOLLERANZA ALL'USO DELLE LAC RIGIDE GAS PERMEABILI

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

## ALLEGATO 5 - ELENCO 2A - AUSILI DI SERIE

*che richiedono la messa in opera da parte del tecnico abilitato*

### ▪ **AUSILI PER L'UDITO**

**5** TIPOLOGIE DI PRODOTTI: apparecchi acustici ad occhiale, apparecchi acustici retroauricolari, accessori per applicazione via aerea prescrivibili, accessori per applicazione via ossea prescrivibili, apparecchi acustici impiantabili (componente esterna)

per **29** MALATTIE RARE SINGOLE ENTITÀ NOSOLOGICHE

e per **6** GRUPPI DI PATOLOGIE RARE

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

## ALLEGATO 5 - ELENCO 2B - AUSILI DI SERIE

*pronti per l'uso*

### ▪ **AUSILI PER LA TERAPIA RESPIRATORIA**

**6** TIPOLOGIE DI PRODOTTI: apparecchiature per inalazione, ventilatori / respiratori, apparecchi per l'erogazione di ossigeno, aspiratori, apparecchi per l'esercitazione dei muscoli respiratori, strumenti di misura (della respirazione)

per **40** MALATTIE RARE SINGOLE ENTITÀ NOSOLOGICHE

e per **7** GRUPPI DI PATOLOGIE RARE

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

## ALLEGATO 5 - ELENCO 2B - AUSILI DI SERIE

*pronti per l'uso*

### ▪ **AUSILI PER LA TERAPIA CIRCOLATORIA**

**1** TIPOLOGIA DI PRODOTTO: calze e guaine terapeutiche anti-edema (terapia compressiva)

per assistiti in possesso della certificazione di patologia rara (COD. RGG020) LINFEDEMA PRIMARIO CRONICO, (RCG040) OMOCISTINURIA, (RI0080) LINFANGECTASIA INTESTINALE PRIMITIVA, (RN0960) SINDROME DI MAFFUCCI, (RN1510) SINDROME DI KLIPPEL-TRENAUNAY, (RDG020) limitatamente ai difetti ereditari trombofilici) e agli assistiti affetti da linfedema secondario stabilizzato da esiti di chirurgia oncologica.

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

## ALLEGATO 5 - ELENCO 2B - AUSILI DI SERIE

*pronti per l'uso*

### ▪ **AUSILI DA INDOSSARE PER LA PROTEZIONE DEL CORPO**

**1** TIPOLOGIA DI PRODOTTO: tutina con manopole, pantalone con ghettoni in tessuto filato in fibroina di seta

per assistiti in possesso della certificazione di patologia rara (RN0570) EPIDERMOLISI BOLLOSA, (RNG070) ITTIOSI CONGENITE (escluso forme non gravi di ittiosi volgare) (solo nel primo mese di vita)

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

## ALLEGATO 5 - ELENCO 2B - AUSILI DI SERIE

*pronti per l'uso*

### ▪ **AUSILI PER LA VISTA**

**1** TIPOLOGIA DI PRODOTTO: filtro in plastica bloccante la luce blu (causa di abbagliamento) ed altre radiazioni

per assistiti affetti da CATARATTA, DEGENERAZIONE MACULARE, AFACHIA, RETINOPATIA DIABETICA, GLAUCOMA, ALBINISMO, DISTROFIA CORNEALE, RETINITE PIGMENTOSA, ECC. CHE NECESSITANO DI FOTO PROTEZIONE)

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

## ALLEGATO 5 - ELENCO 2B - AUSILI DI SERIE

*pronti per l'uso*

### ▪ **AUSILI PER LA COMUNICAZIONE INTERPERSONALE**

**10** TIPOLOGIE DI PRODOTTI: corredi di lettere o simboli per la comunicazione, ausili portatili per la comunicazione interpersonale, tastiere, software per inputs, mouse e dispositivi similari, dispositivi per inputs alternativi, dispositivi di uscita alternativi, programmi per outputs modificati, interruttori con funzioni on/off, sistemi di controllo d'ambiente

per **6** MALATTIE RARE SINGOLE ENTITÀ NOSOLOGICHE

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

## ALLEGATO 2 - AUSILI MONOUSO

*ausili per la cura e la protezione personale*

### ▪ **PRODOTTI PER LE TERAPIE PERSONALI**

**2** TIPOLOGIE DI PRODOTTI: medicazioni costituite da garze e sostanze ad azione emolliente, rete elastica tubolare

per assistiti in possesso della certificazione di patologia rara (RN0570) EPIDERMOLISI BOLLOSA EREDITARIA o (COD. RL0030) PEMFIGO, (RL0040) PEMFIGOIDE BOLLOSO, (RN0570) EPIDERMOLISI BOLLOSA EREDITARIA.

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

## ALLEGATO 3

*Presidi per persone affette da malattia diabetica e da malattie rare*

### ▪ **QUALI MALATTIE RARE**

Già contenute nel DM 279/2001 più nuovi inserimenti

RCG060 DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEI CARBOIDRATI

(es. Deficit di Glut1)

RCG070 DIFETTI CONGENITI DELLA OSSIDAZIONE MITOCONDRIALE DEGLI ACIDI GRASSI

RN1080 RUSSELL-SILVER, SINDROME DI

RN0710 SINDROME MELAS

RCG162 SINDROMI DA NEOPLASIE ENDOCRINE MULTIPLE (ES. MEN<sub>2</sub>)

RN0730 SHORT SINDROME

RN1380 BARDET-BIEDL, SINDROME DI

RN1290 WOLFRAM, SINDROME DI

RN1370 ALSTRÖM, SINDROME DI

RCG061 IPERINSULINISMI CONGENITI

RNG092 NANISMO OSTEODISPLASTICO MICROCEFALICO PRIMITIVO (MOPD)

RCG040 DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEGLI AMINOACIDI

(es. Fenilchetonuria, Leucinosi)

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

## ALLEGATO 3

*Presidi per persone affette da malattia diabetica e da malattie rare*

### ▪ **QUALI PRESIDI**

- STRISCE REATTIVE per la determinazione del GLUCOSIO e dei CORPI CHETONICI nelle urine
- STRISCE REATTIVE per la determinazione della GLICEMIA NEL SANGUE
- STRISCE REATTIVE per la determinazione della CHETONEMIA
- COMPRESSE REATTIVE
- LANCETTE PUNGIDITO
- PENNA PUNGIDITO
- SIRINGHE
- AGHI
- APPARECCHI PER LA MISURAZIONE DELLA GLICEMIA
- MICROINFUSORI per la somministrazione programmata dell'insulina

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

## ALLEGATO 4C

### *Criteria di erogazione delle prestazioni odontoiatriche*

#### ■ **VULNERABILITÀ SANITARIA**

..... per definire le condizioni di vulnerabilità sanitaria, vale a dire LE MALATTIE O LE CONDIZIONI PER LE QUALI SONO NECESSARIE CURE ODONTOIATRICHE, possono essere adottati due differenti criteri:

- il PRIMO CRITERIO (CRITERIO “ASCENDENTE”) prende in considerazione le malattie e le condizioni alle quali sono frequentemente o sempre associate complicanze di natura odontoiatrica (ad esempio: labiopalatoschisi e altre malformazioni congenite, alcune malattie rare,, ecc.)
- il SECONDO CRITERIO (CRITERIO “DISCENDENTE”) prende in considerazione le malattie e le condizioni nelle quali le condizioni di salute potrebbero risultare aggravate o pregiudicate da patologie odontoiatriche concomitanti.

# I NUOVI Livelli Essenziali di Assistenza

## ALLEGATO 4C

### *Criteria di erogazione delle prestazioni odontoiatriche*

#### ▪ **DESTINATARI (tra cui più persone con malattia rare)**

1. pazienti in attesa di TRAPIANTO E POST- TRAPIANTO (escluso trapianto di cornea)
2. pazienti con STATI DI IMMUNODEFICIENZA GRAVE
3. pazienti con CARDIOPATIE CONGENITE cianogene
4. pazienti con patologie ONCOEMATOLOGICHE INFANTILI
5. pazienti in trattamento radioterapico per neoplasie del distretto cefalico
6. pazienti con EMOFILIA GRAVE

#### ▪ **PRESTAZIONI**

...tutte le prestazioni odontoiatriche previste dal piano sanitario individuale ed incluse nel nomenclatore generale, con l'eccezione dei manufatti protesici e degli interventi di tipo estetico

Alcune Regioni hanno anche nel passato adottato specifici provvedimenti di integrazioni ai LEA per persone con malattie rare ad interessamento odontostomatologico

# Farmaci e malattie rare

- Farmaci orfani
- Farmaci per uso off label

## ▪ **Farmaco orfano**

L'origine del termine trae in inganno!  
Fa pensare a molecole abbandonate dalla  
ricerca e non più prodotte.

Sono in realtà  
**«orfane di pazienti»**

**La direttiva CE 141/2000 definisce il farmaco  
orfano e introduce una legislazione  
incentivante lo sviluppo e la produzione di  
questi farmaci**

## ■ **Uso Off-Label dei farmaci**

**Farmaco registrato:** farmaco approvato dalle autorità regolatorie competenti per lo specifico utilizzo

\* evidenze scientifiche di efficacia e sicurezza nella patologia, dosaggio, popolazione per cui è registrato

**Off-label:** uso al di fuori delle condizioni previste da scheda tecnica: indicazioni, condizione clinica, dose, età, via di somministrazione, forma farmaceutica, ecc

# ▪ **Uso Off-Label dei farmaci in Italia**

- Legge 648/96  
*conversione in L. del DL 21 ott.96 n° 536*
- DM 11 febbraio 1997  
*medicinali registrati all'estero*
- DL 17 febbraio 1998, n° 23  
*decreto "Di Bella"*
- DM 8/05/2003 e 17/12/2004  
*uso compassionevole e uso sperimentale*
- Legge 27 dicembre 2006 n° 296  
*Art.1 comma 796 lettera "z" (Fin.2007)  
ripresa dalla LEGGE 244/07 (finanziaria 2008)*

# ▪ **Uso Off-Label dei farmaci in Italia**

*Legge 648/96*

*conversione in L. del DL 21 ott.96 n° 536*

**Art. 4 - Qualora non esista valida alternativa terapeutica, sono erogabili a totale carico del SSN, a partire dal 1 gennaio 1997, i medicinali innovativi la cui commercializzazione è autorizzata in altri Stati ma non sul territorio nazionale, i medicinali non ancora autorizzati ma sottoposti a sperimentazione clinica e i medicinali da impiegare per un'indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata, inseriti in apposito elenco predisposto e periodicamente aggiornato dalla Commissione unica del farmaco conformemente alle procedure ed ai criteri adottati dalla stessa. L'onere derivante dal presente comma, quantificato in lire 30 miliardi per anno, resta a carico del Servizio sanitario nazionale nell'ambito del tetto di spesa programmato per l'assistenza farmaceutica.**

# ▪ **Uso Off-Label dei farmaci in Italia**

*Legge 648/96*

*conversione in L. del DL 21 ott.96 n° 536*

**E' una Legge che consente di erogare a carico del S.S.N.**

**... quando non vi è un'alternativa terapeutica valida, previo parere del CUF (oggi CTS) dell'AIFA:**

- **Medicinali innovativi in commercio in altri Stati ma non Italia**
- **Medicinali ancora "non autorizzati" ma sottoposti a sperimentazione clinica (almeno di II Fase)**
- **Medicinali da impiegare per una indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata**

# ▪ **Uso Off-Label dei farmaci in Italia**

*Legge 648/96*

*conversione in L. del DL 21 ott.96 n° 536*

## **CONDIZIONI**

- 1. che siano stati effettuati in letteratura almeno studi clinici di Fase II**
- 2. uso destinato a singoli casi**
- 3. autorizzazione della Direzione Sanitaria (fatto salvi i vincoli di spesa)**
- 4. acquisizione consenso informato**

## **Legge 648/96**

*conversione in L. del DL 21 ott.96 n° 536*

### **Provvedimento CUF 20 luglio 2000;**

#### **Istituzione dell'elenco dei farmaci erogabili a totale carico del SSNai sensi delle legge 648/96**

- Definisce chi propone:
  - La CUF
  - Associazioni di malati
  - Società scientifiche
  - Aziende sanitarie, Università e IRCCS
- Definisce la documentazione a supporto
- Definisce le specifiche delle autorizzazioni
- Istituisce il monitoraggio clinico e degli esiti
- Definisce le procedure prescrittive ed erogative
- Istituisce il monitoraggio economico ed epid.

**Legge 648/96**

*conversione in L. del DL 21 ott.96 n° 536*

**Determina AIFA 29 Maggio 2007**

**farmaci con uso consolidato sulla base  
dei dati della letteratura scientifica**

**esempi...**

- **Lista farmaci Neurologia (Allegato 4 -  
aggiornamento settembre 2014)**
- **Lista farmaci Neurologia (Allegato 4 -  
aggiornamento settembre 2014)**

# Legge n. 648/96

I medicinali che acquisiscono il parere favorevole per una specifica indicazione OFF-LABEL vengono inseriti in un ELENCO, periodicamente aggiornato dalla CTS, insieme ai provvedimenti che specificano le condizioni e le modalità d'uso dei singoli medicinali

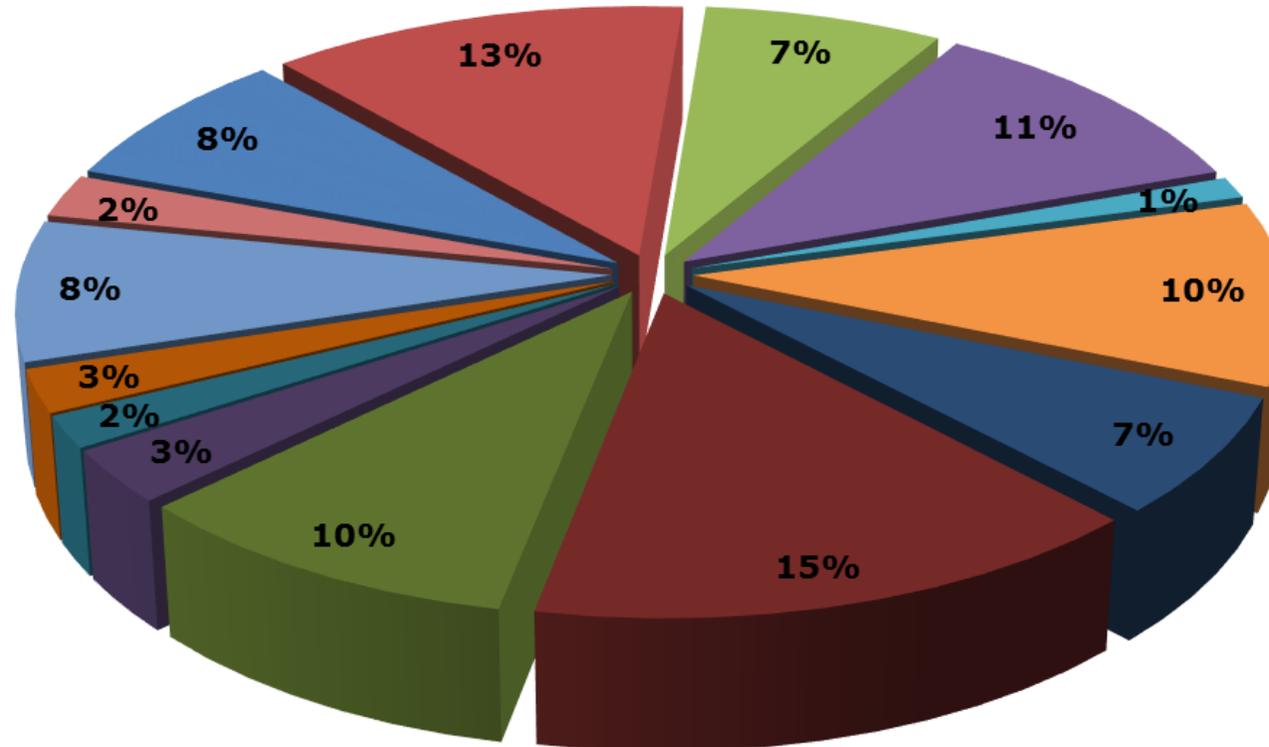
ESEMPIO: immunoglobuline s.c. per CIDP

REQUISITO	L. 94/98 *	L. 648/96	DM 8/5/03	Legge326/03
Mancanza di valida alternativa terapeutica	Si	Si	Si	Si
Consenso informato del paziente	Si	Si	Si	Si
Documentazione scientifica a supporto	Pubblicazioni scientifiche accreditate in campo internazionale	Risultati studi di fase II (per farmaci in sperim.)	Studi di fase III, o di fase II in casi particolari	Si
Assunzione responsabilita' del medico	Si	Non esplicitato	Si	Si
Trasmissione dati di monitoraggio	-	Al Ministero e alla Regione	Notifica all' AIFA e alla Regione	Fattura ad AIFA per rimborso

\* art. 1, comma 796, titolo z Legge Finanziaria 2007

# USI OFF-LABEL NELLE REGIONI ITALIANE PER LE MALATTIE RARE: FARMACI E GALENICI

## DISTRIBUZIONE PER MACROGRUPPI DI DIAGNOSI



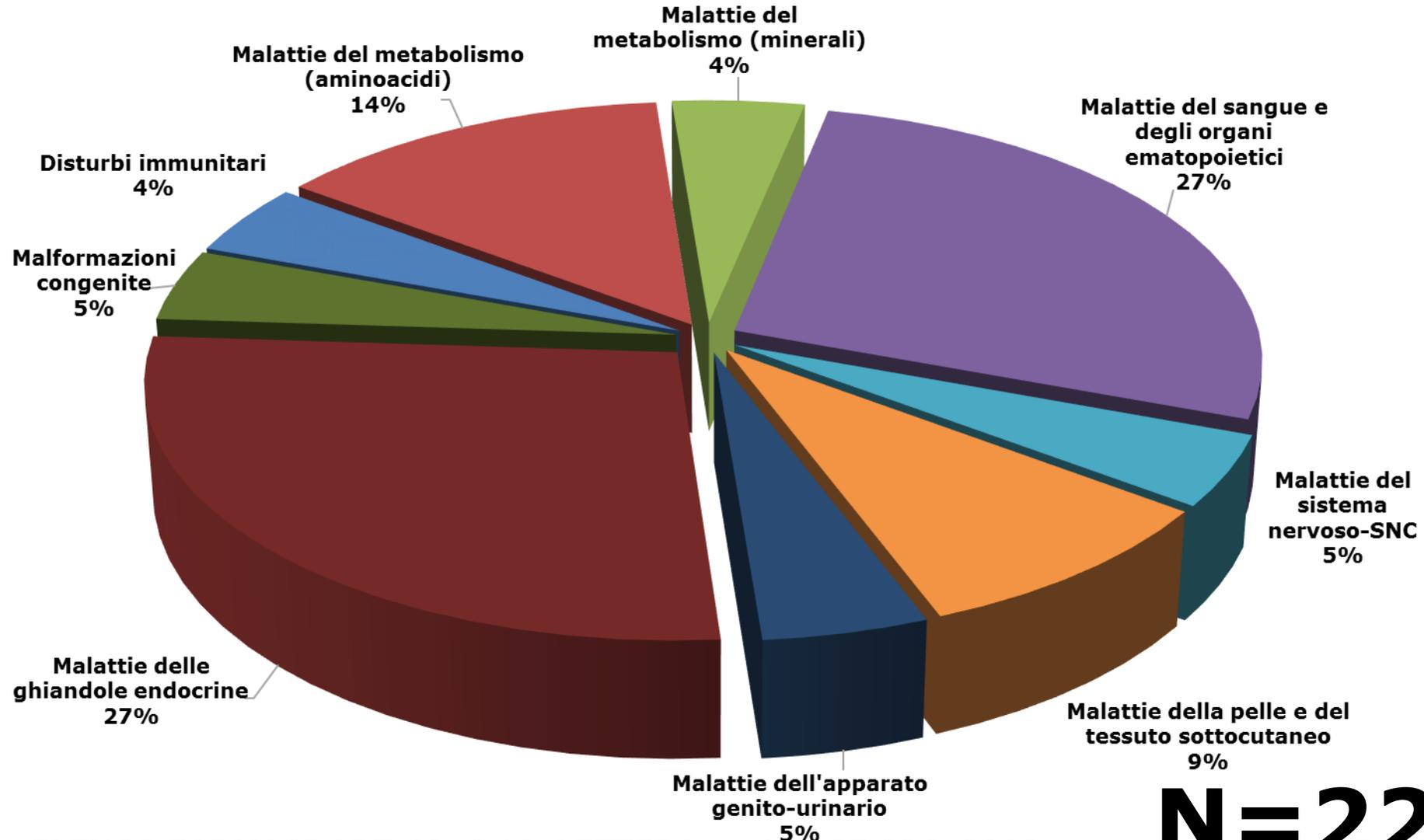
- Disturbi immunitari
- Malattie del sangue e degli organi ematopoietici
- Malattie del sistema digerente
- Malattie del sistema nervoso-SNP
- Malattie della pelle e del tessuto sottocutaneo
- Malattie dell'apparato visivo
- Malformazioni congenite
- Malattie del metabolismo
- Malattie del sistema circolatorio
- Malattie del sistema nervoso-SNC
- Malattie del sistema osteomuscolare e del tessuto connettivo
- Malattie dell'apparato genito-urinario
- Malattie delle ghiandole endocrine
- Tumori

ELENCO FARMACI ART. 48 C. 19 LETTERA a) LEGGE 326/2003

**N=164**

# RICHIESTE DI FARMACI ESTERI NELLE REGIONI ITALIANE PER LE MALATTIE RARE

## DISTRIBUZIONE PER MACROGRUPPI DI DIAGNOSI

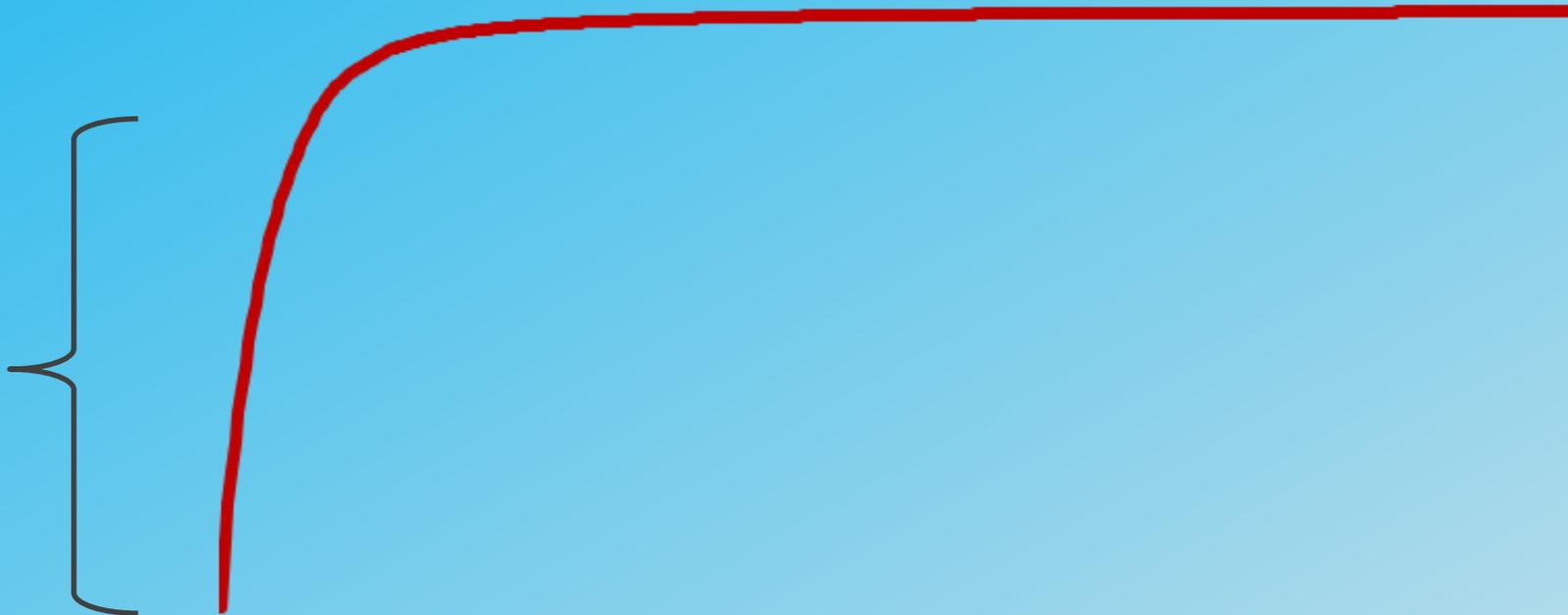


ELENCO FARMACI ART.48 C.19 LETTERA a) LEGGE 326/2003

**N=22**

# LA SPESA PER FARMACI OFF-LABEL NELLE MALATTIE RARE I FARMACI AD ALTO COSTO

**IL 7% DEI  
FARMACI DETERMINA  
OLTRE IL 50%  
DELLA SPESA PER USI  
OFF-LABEL**



## *Usi rappresentativi off-label nelle MR*

**Anticorpi monoclonali** (es. Rituximab)

**Sostanze ad azione immunosoppressiva selettiva** (es. Sirolimus, Acido Micofenolico, Leflunomide)

**Inibitori del fattore alfa di necrosi tumorale (TNF-alfa)** (es. Infliximab, Adalimumab)

**Inibitori dell'interleuchina** (es. Anakinra)

**Altre sostanze ad azione immunosoppressiva** (es. Thalidomide, Metotrexate)

**Immunoglobuline umane, normali**

**Interferoni**



## **FARMACI OFF-LABEL NELLE MALATTIE RARE la proposta delle Regioni**

Una soluzione a tale problema potrebbe essere ricercata parallelamente alla definizione dei nuovi LEA con il coinvolgimento dell'AIFA, nell'ottica di **facilitare il processo d'inclusione dei farmaci essenziali per il trattamento delle malattie rare** (farmaci orfani, non in commercio in Italia, ed off-label) **nell'elenco della legge n. 648/96.**



LA SANITA'  
PUBBLICA COSA  
PUO' FARE?



- PUO' CENSIRE I BISOGNI
- DELLE PERSONE E PROMUOVERE
- ALLEANZE CON LE ASSOCIAZIONI
- E LA COMUNITA' CIVILE,
- ALLESTIRE RETI DI ASSISTENZA
- E MONITORAGGIO, ALLESTIRE
- RETI DI RICERCA IN ALLEANZA
- CON LE UNIVERSITA', CONVERTERSI
- A RETI NAZIONALI ED INTERNAZIONALI,
- ALLESTIRE REGISTRI REGIONALI,
- SOSTENERE TECNOLOGIA
- ED INNOVAZIONE E
- PROGETTI DI VITA
- INDIPENDENTE.

*[Handwritten signature]*

# Bisogni oggettivi /dati epidemiologici struttura organizzativa e infrastruttura logica

DGR 2485/2009  
DGR 1591/2012  
DGR 1695/2012



*Sistema complesso!!!!*



la struttura organizzativa

l'infrastruttura logica SIMaRRP

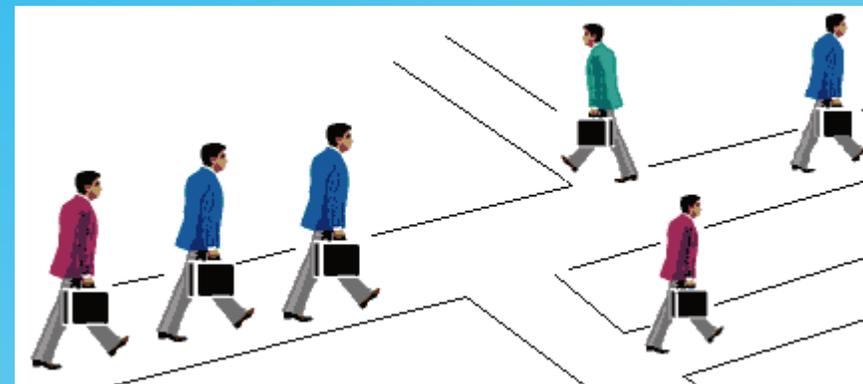
**180 nodi**

Grandi e piccoli ospedali / ASL  
/Distretti Socio Sanitari

**connessione di tutti i nodi**



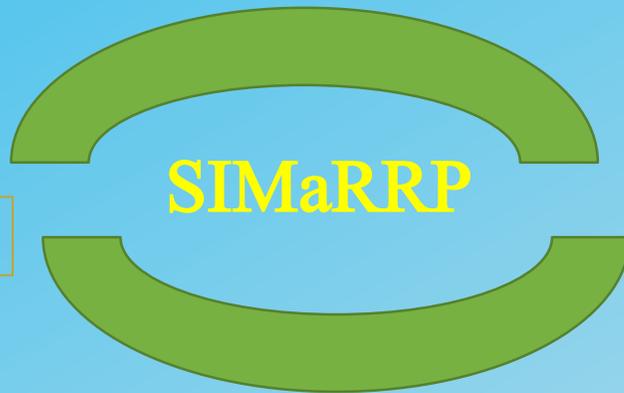
Regione Puglia



Persone con malattia rara

**DGR 158/2015**

Centro Sovraziendale



**SIMaRRP**

Personale  
Competente

Presidi/Centri  
Malattie rare  
Ospedali

ASL

Distretti Socio Sanitari  
Task force malattie rare  
Ospedali del territorio

Coordinamento  
Malattie Rare  
(CoReMaR)



**Rete malattie rare in Puglia**



# Malattie rare in Puglia

## Il valore della rete!

Modello d'integrazione Ospedale / Territorio

SIMaRRP: **13.830 persone inserite** con modalità definitiva

9 regioni in rete : **23 MI di cittadini**

**Monitoraggio e verifica  
dei PDTA**

**dell'appropriatezza prescrittiva  
delle strategie attuate**

# Conoscenza e Cultura Consapevolezza Cambiamento

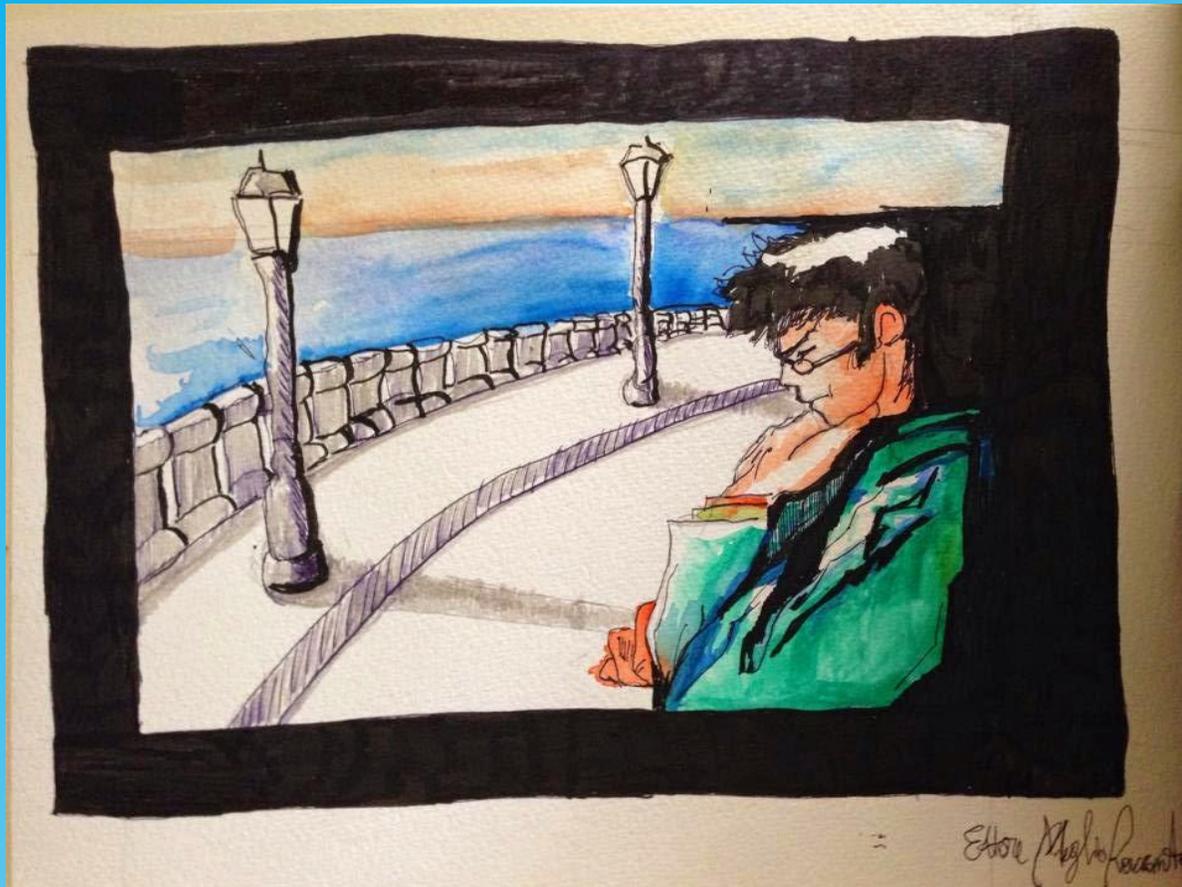
*Vincenzo Zara*

## ► PATTO d'INTESA

per la ricerca e la cura dei bambini e delle  
persone con malattie rare

► *20 FEBBRAIO 2015*





Grazie!

Ettore Attolini Giuseppina Annicchiarico

*Agenzia Regionale Sanità - Coordinamento Regionale MR Puglia*

Venezia, 21 febbraio 2015

[coordinamento.malattierare@regione.puglia.it](mailto:coordinamento.malattierare@regione.puglia.it)