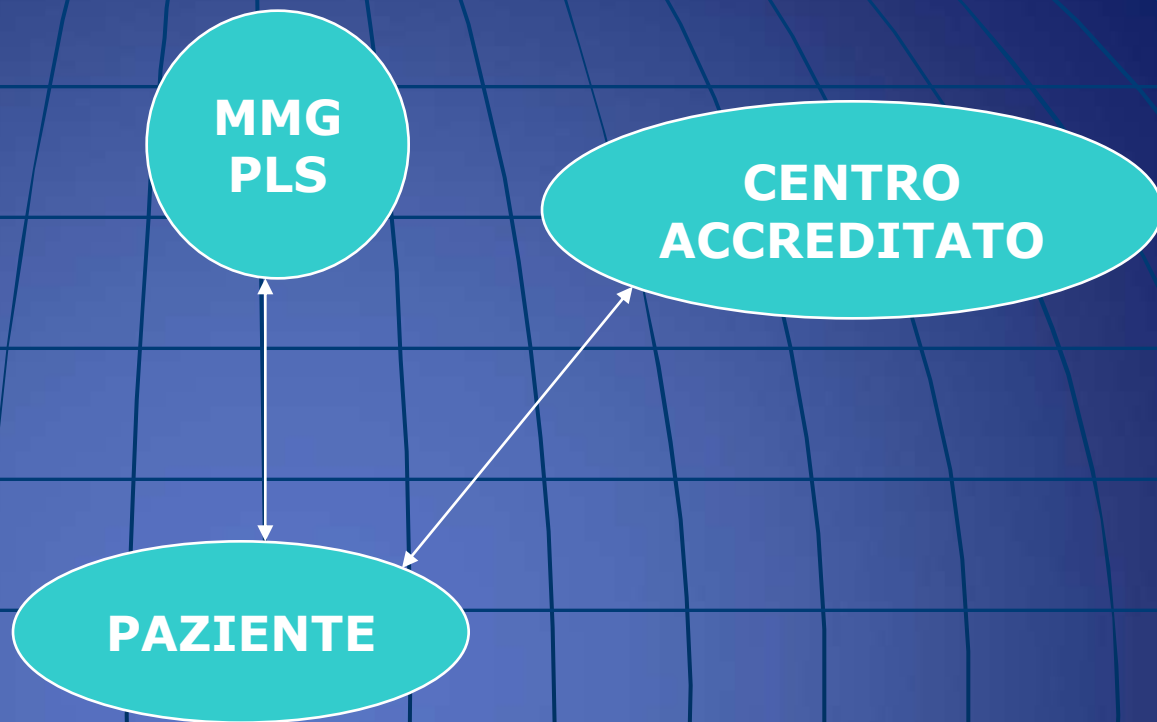


Conoscere per curare. Malattie rare: percorsi assistenziali e vissuti.
V Giornata Trentina delle Malattie Rare
23 febbraio 2019

Il percorso del malato raro in PAT

Annalisa Pedrolli
Centro Provinciale Coordinamento MR
U.O.M. Pediatria
Ospedale di Trento



Ruolo dei Centri Accreditati

- **Diagnosi – R99 (DM 329/99)**
- **Certificazione (DM 279/2001)**

QUALI MR SONO CERTIFICABILI?

1. M. infettive e parassitarie

2. Tumori

3. M. delle gh. endocrine

4. M. del metabolismo

5. M. del sistema immunitario

6. M. del sangue e degli organi
ematopoietici

7. M. del sistema nervoso
centrale e periferico

8. M. dell'app. visivo

9. M. del sistema circolatorio

10. M. dell'app. respiratorio

11. M. dell'app. digerente

12. M. dell'app. genito-urinario

13. M. della cute e del tessuto
sottocutaneo

14. M. del sist. osteomuscolare e
del t. connettivo

15. Malformazioni congenite,
cromosomopatie e sdr. genetiche

16. Alcune condizioni morbose di
origine perinatale

16 CATEGORIE NOSOLOGICHE
(DPCM 12/1/17), 451 codici

Novità 2001 → 2017

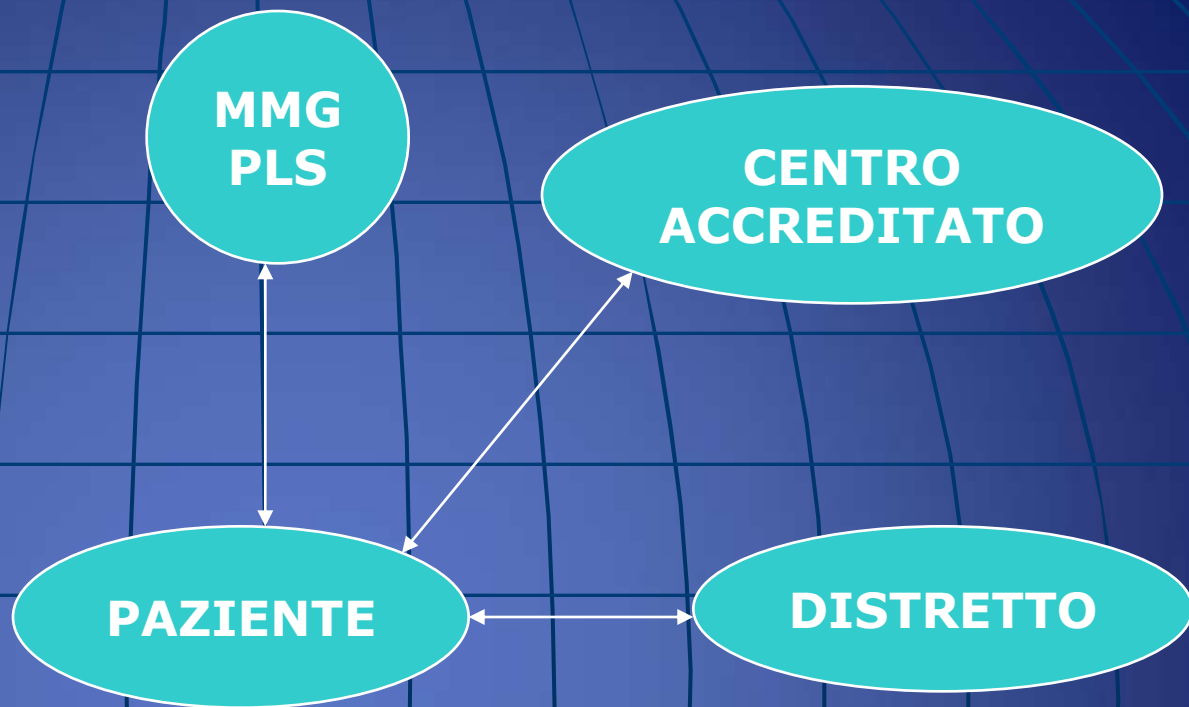
- Alcune rare «nuove» (elenco 109!)
- Alcune croniche sono diventate rare: miastenia grave, sclerosi sistemica progr.
- Alcune rare sono diventate croniche: celiachia e DE, sdr. di Down, sdr. di Klinefelter, connettiviti indifferenziate
- Alcune rare non hanno più alcuna esenzione: sdr. di Kawasaki, deficit di G6PD, deficit di IgA, triplo X
- Alcune rare sono state riclassificate
- Alcune con limite temporale

UU.OO. APSS accreditate **(P.O. S.Chiara TN)** DGP 1913/2017:

Pediatria	Ematologia
Neuropsichiatria Infantile	Urologia
Chirurgia Pediatrica	Nefrologia
Dermatologia	Pneumologia
Centro Trasfusionale	Gastroenterologia
Reumatologia	Oculistica
Medicina Interna	Malattie infettive
Neurologia	Genetica Medica

Ruolo dei Centri Accreditati

- **Diagnosi – R99 (DM 329/99)**
- **Certificazione (DM 279/2001)**
- **Piano Terapeutico Personalizzato (PTP)**
- **Protocolli trattamenti extra-LEA**
- **PDTA**
- **Presa in carico**



Ruolo dei Distretti

- **Rilascio esenzione** (...alle prestazioni di assistenza sanitaria, incluse nei LEA, efficaci e appropriate per il trattamento ed il monitoraggio della malattia e per la prevenzione degli ulteriori aggravamenti)
- **Caricamento certificazioni e PTP fuori Area Vasta**
- **Autorizzazioni trattamenti** (dietetici, parafarmaci, integratori, dispositivi medici)
- **Erogazione farmaci**
- **UVM**



Ruolo delle Farmacie Territoriali

- **Erogazione farmaci fascia A e C**
- **Erogazione trattamenti autorizzati**

Ruolo delle Farmacie Ospedaliere

- **Distribuzione diretta farmaci**
(fascia H, d'importazione, orfani, l.648, galenici, registro AIFA)
- **Approvvigionamento trattamenti per i distretti**

Ruolo del Servizio Farmaceutico

- **Declinare DGP in APSS**
- **Risolvere situazioni complesse**
- **Gruppo tecnico valutazione**
farmaci



Ruolo del Centro Provinciale di Coordinamento

- **Informare i cittadini** (1490 adulti, 749 bambini, 400 celiachie)
- **In/formare gli operatori sanitari**
- **Tavolo permanente con le associazioni**
- **Tavolo Tecnico Area Vasta**
- **Tavolo Tecnico MR Commissione Salute Conferenza Regioni**
- **Registro Provinciale MR**

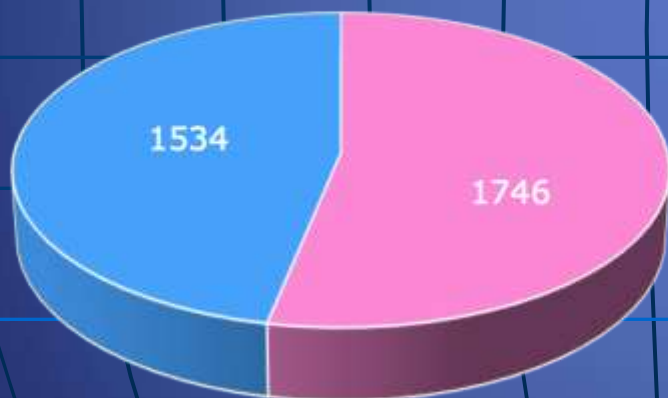
Funzioni del Registro

- **Accesso ai benefici di legge**
- **Epidemiologica**
- **Programmazione sanitaria**
- **Invio dati ISS per Registro Nazionale**
- **PTP-> trattamenti extraLEA**
- **Monitoraggio farmaci**

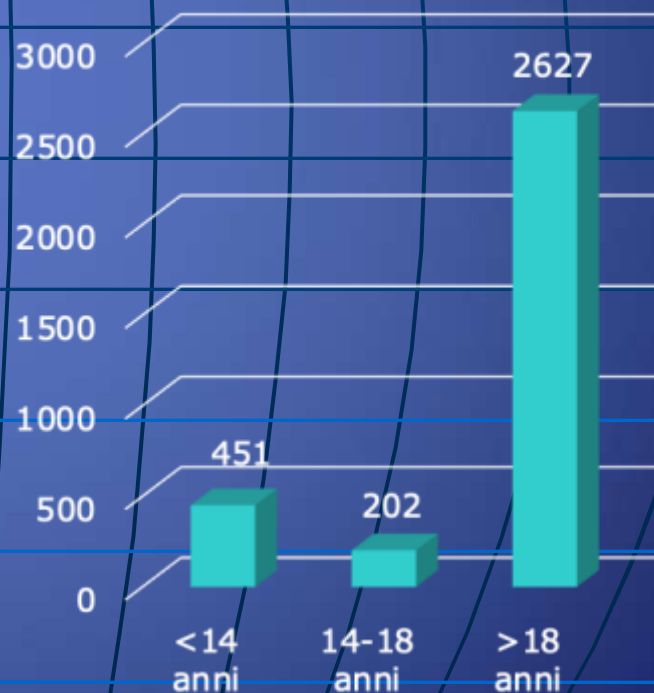
...qualche dato...

3329 esenzioni – 3280 pazienti

maschi/femmine



età attuale



REGISTRO PROVINCIALE PER LE MALATTIE RARE

(certificati di residenti/assistiti in vita al 31/12/18)

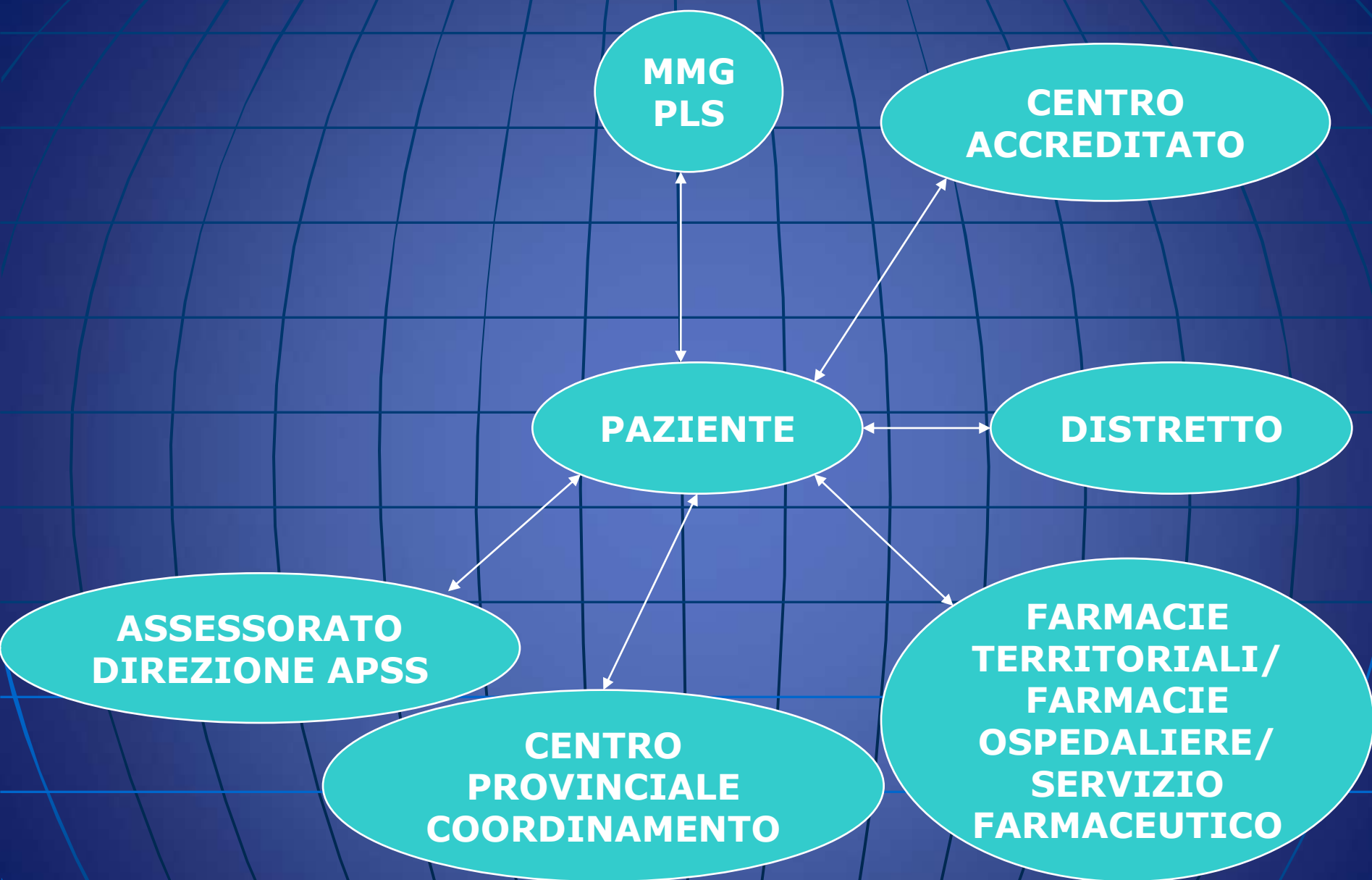
1. m. infettive e parassitarie	7	10. m. app. respiratorio	82
2. tumori	200	11. m. app. digerente	55
3. m. gh. endocrine	118	12. m. app. genito-urinario	36
4. m. metabolismo	197	13. m. cute e tessuto sottocutaneo	246
5. m. sist. immunitario	102	14. m. osteo-musc. e t. connettivo	284
6. m. sangue	359	15. malf. congenite	455
7. m. SNC e SNP	479	16. cond. di origine perinatale	2
8. m. app. visivo	387		
9. m. sist. circol.	320	Tot.	3.329

...le malattie più frequenti

cheratocono	289	anom. cong. cranio/ossa faccia	70
difetti coagulazione	267	emocromatosi	68
sclerosi sist. progr.	216	neuropatie ereditarie	61
sdr. miasteniche	133	sdr. di Lynch	57
arterite a cell. giganti	94	m. di Behcet	51
lichen sclero-atrofico	87	m. motoneurone (SLA)	50
neurofibromatosi 1	76	anemie ereditarie	50
retinopatie ereditarie	70	sarcoidosi	50

Ruolo del Centro Provinciale di Coordinamento

- **Informare i cittadini**
- **In/formare gli operatori sanitari**
- **Tavolo permanente con le associazioni**
- **Tavolo Tecnico Area Vasta/Tavolo Tecnico MR Conferenza Regioni**
- **Registro Provinciale MR**
- **Presa in carico pazienti «orfani»**



Ruolo di Assessorato/Direzione APSS

- **Recepimento leggi nazionali**
- **Accordo di Area Vasta (2004)**
- **Rete centri accreditati (2007, 2016, 2017)**
- **Prestazioni sanitarie aggiuntive**

PRESTAZIONI EXTRA-LEA PAT

- Protocolli trattamenti extra-LEA (fascia C, off-label, esteri, altro) - alimenti a FMS (Prest. 21 bis)
- Prestazioni aggiuntive FKT:
 - Prest. 11 (percorsi riabilitativi)
 - Prest. 25 (FKT a domicilio)
- Prestazioni aggiuntive «assistenziali»:
 - Prest. 26 (retta RSA)
 - Prest. 27 (forfait a domicilio)
- Assistenza odontoiatrica (LP n. 22/2007)

Ruolo di Assessorato/Direzione APSS

- **Recepimento leggi nazionali**
- **Accordo di Area Vasta**
- **Rete centri accreditati**
- **Prestazioni sanitarie aggiuntive**
- **PDTA SLA**
- **Gruppo di lavoro multidisciplinare**



CRITICITA'

- **Presa in carico multidisciplinare, individuazione del case-manager, dialogo tra professionisti sanitari**
- **Percorsi standardizzati per gr. di patologia (p.es. MEC)**
- **Recupero storico esenzioni**
- **Farmaceutica**
- **Coordinamento flusso informazioni**

**« Il talento
ti fa vincere una partita.
L'intelligenza e il lavoro di
squadra ti fanno vincere
il campionato».
M. Jordan**

grazie

