



Giunta Regionale della Campania

DECRETO DIRIGENZIALE

DIRETTORE GENERALE/
DIRIGENTE UFFICIO/STRUTTURA

dott. Postiglione Antonio

DIRIGENTE UNITA' OPERATIVA DIR. / DIRIGENTE
STAFF

DECRETO N°	DEL	DIREZ. GENERALE / UFFICIO / STRUTT.	UOD / STAFF
198	14/09/2018	4	0

Oggetto:

RETE PER LA CURA DELLE MALATTIE RARE: STRUTTURAZIONE DELLA RETE DEI CENTRI DI RIFERIMENTO PER LA DIAGNOSI E LA CURA DI PAZIENTI CON CODICE DI ESENZIONE RDG020,RDG030(DISORDINI EREDITARI TROMBOFILICI,MALATTIE EMORRAGICHE CONGENITE)

	Data registrazione	
	Data comunicazione al Presidente o Assessore al ramo	
	Data dell'invio al B.U.R.C.	
	Data invio alla Dir. Generale per le Risorse Finanziarie (Entrate e Bilancio)	
	Data invio alla Dir. Generale per le Risorse Strumentali (Sist. Informativi)	

PREMESSO.

- a) che nelle malattie rare (Decreto ministeriale [DM] n. 279 del 18 maggio 2001) sono compresi i disordini ereditari trombofilici e quelli emorragici (emofilia, malattie emorragiche congenite [MEC]). Tali disordini hanno codici comuni di esenzione (RDG020/RDG030).
- b) che il Decreto Legislativo 24 aprile 1998 n.124, il Piano Nazionale Malattie Rare 2013-2016, approvato in Conferenza Stato-Regioni il 16 ottobre 2014, la Rete Nazionale delle Malattie Rare (prevista dal DM n. 279/01) ed il DPCM del 12.01.2017, analizzano gli aspetti più critici dell'assistenza ai pazienti con disordini ereditari con codice di esenzione RDG020/RDG030, focalizzando l'attenzione sull'organizzazione della Rete e dei Presidi, sul sistema di monitoraggio, sui problemi legati alla codifica delle malattie rare e alle banche dati, ma soprattutto sul percorso diagnostico e assistenziale, non dimenticando gli strumenti per l'innovazione terapeutica e il ruolo delle Associazioni, ed enfatizzando l'importanza di sviluppare azioni di prevenzione; di attivare la sorveglianza; di migliorare gli interventi volti alla diagnosi e alla terapia, e di promuovere l'informazione e la formazione nel settore.

CONSIDERATO

- a) che per la Regione Campania, gli aspetti quantitativi dei disordini ereditari con codice di esenzione RDG020/RDG030 sono i seguenti :
 - i disordini ereditari trombofilici (deficit di Prot. C/Prot. S, deficit di antitrombina; mutazione del fattore V [FV Leiden], mutazione C20210A della protrombina, etc.) sono presenti nel 2-4% della popolazione campana; causano tromboembolismo venoso (specie a seguito di traumi/interventi chirurgici, di uso di contraccettivi orali/terapia ormonale sostitutiva etc) e poli-abortività, e obbligano all'utilizzo cronico di warfarin (con necessità di continuo monitoraggio di laboratorio dell'effetto del farmaco) o di farmaci ad alto costo (anticoagulanti orali diretti).
 - l'emofilia è malattia emorragica congenita trasmessa attraverso il cromosoma X e caratterizzata dalla carenza di uno specifico fattore della coagulazione: fattore VIII (emofilia di tipo A), o fattore IX (emofilia di tipo B). L'emofilia A è 4-5 volte più frequente, nella popolazione generale, dell'emofilia B. Il difetto di Fattore VIII o IX può portare ad episodi emorragici di intensità, pericolosità e frequenza variabile, spontanei o secondari a traumi anche minimi.
 - le MEC, (malattie emorragiche congenite), la più frequente delle quali è il deficit di fattore VII della coagulazione, sono trasmesse come caratteri autosomici recessivi e sono più rare dell'emofilia A.
 - In base ai dati forniti dal Registro Nazionale delle Coagulopatie Congenite (aggiornamento 2014), i pazienti, con emofilia e con MEC, viventi in Campania sono 946, così suddivisi:

Diagnosi	N. Pazienti
Emofilia A	359
Emofilia B	69
Malattia di von Willebrand (vWD)	181
Deficit Fattore VII	141
Difetti Rari	118
Piastrinopatie	78
Totale	946

VISTO

- a) che a far data dal 1999, la Regione Campania ha deliberato che la propria Rete dei Centri di Riferimento per le Emocoagulopatie (cioè, dei Centri per la cura dell'emofilia e delle MEC) fosse costituita da un Centro di Riferimento presso la Clinica Medica dell' A.O.U. "Federico II"; uno presso il Servizio Trasfusionale del P.O. "San Luca", di Vallo della Lucania, ASL SA; uno presso il Dipartimento di

Ematologia dell'A.O."Santobono-Pausilipon", e uno presso l'Ematologia dell'Ospedale S. Giovanni Bosco, ASL NA 1 Centro.

- b) che per le competenze nel settore, il deliberato Regionale del 1999 ha identificato il Centro presso l'A.O.U. "Federico II" quale Centro di Coordinamento Regionale per le Emocoagulopatie e confermato con DGRC. n. 81 dello 08.03.2016.
- c) che l'ancor vigente strutturazione della Rete dei Centri di Riferimento per le Emocoagulopatie della Regione Campania prevede che il Centro di Coordinamento presso l'A.O.U. "Federico II" riceva i piani di prescrizione di farmaci da parte degli altri Centri (debito informativo), li elabori; ne condivida il contenuto con l'Unità Operativa Dirigenziale 06 "Politiche del Farmaco e Dispositivi" della Regione, e ne fornisca il resoconto all'Osservatorio Epidemiologico Regionale e, attraverso tale tramite, all'Istituto Superiore di Sanità [ISS].

RITENUTO

- a) che la gestione integrata (diagnosi e terapia) dell'emofilia e delle MEC è complessa ed è affidata a clinici con competenze specifiche nel settore delle malattie emorragiche, pena insuccessi terapeutici -con rischio di gravi complicanze per i pazienti- e di costi elevati per il SSR.
- b) che per quanto concerne quest'ultimo punto, va ricordato che, al pari della terapia dei disordini ereditari trombofilici con farmaci anticoagulanti orali diretti, la terapia dell'emofilia e delle MEC prevede l'utilizzo di farmaci ad alto costo sia nella profilassi in cronico -mediante piani terapeutici- che nei protocolli di terapia per la gestione delle emergenze/urgenze.
- c) che in riferimento all' *Accordo tra il Governo, le Regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano per malattie emorragiche congenite (MEC). rep. atti n. 66/CSR del 13/03/2013* recepito in Campania dal Decreto del Commissario ad Acta n. 145 del 01.12.2014, le reti delle malattie rare e le reti delle MEC si devono necessariamente uniformare;
- d) che con l'attuale atto, si intende:
 - 1) fornire ai pazienti con codice di esenzione RDG020/RDG030 un'assistenza globale e uniforme sull'intero territorio regionale,
 - 2) razionalizzare l'utilizzo delle risorse disponibili attraverso una Rete di strutture e di esperti in possesso di elevati ed omogenei standard di competenza nella gestione di queste patologie.

Alla stregua dell'istruttoria compiuta da Responsabile del procedimento nonché dell'espressa dichiarazione di regolarità della stessa resa dal Dirigente dell'UOD 06 Politica del farmaco e dispositivi

DECRETA

Per i motivi di cui in premessa che si intendono integralmente riportati :

- 1) di strutturare l'assistenza per i pazienti affetti da disordini ereditari trombofilici o con difetti ereditari della coagulazione (emofilia, MEC) in una Rete di Centri secondo il modello "hub and spoke". In base a tale modello, l'attività dei Centri per la diagnosi e la cura dei difetti ereditari con codici di esenzione RDG020/RDG030, strutturata su scala provinciale, viene coordinata da un Centro Regionale di Riferimento e di Coordinamento (CRRC) come da Allegato tecnico parte integrante e sostanziale del presente atto.
- 2) all'intera Rete di Centri è fatto obbligo del costante presidio assistenziale, anche in regime di emergenza/urgenza, ai pazienti con codice di esenzione RDG020/RDG030 ed ai loro familiari, nonché di fornire alla Regione indicazioni, indirizzi di politica sanitaria, e appropriati mezzi di verifica e di monitoraggio finalizzati a:
 - o soddisfare le crescenti esigenze dei pazienti afferenti ai Centri,
 - o armonizzare tali esigenze con le esigenze prioritarie dell'intera Rete per la cura delle malattie rare di concerto con il Centro di Coordinamento malattie rare.
- 3) al Centro Hub CRRC sono assegnate funzioni di coordinamento, d'indirizzo e di verifica, -in momenti diversi dell'iter diagnostico e terapeutico e secondo i diversi livelli di complessità assistenziali -, dell'attività dei Centri Spoke, specie per ciò che riguarda l'appropriatezza prescrittiva e la spesa farmaceutica, tenendo anche conto:

- dei servizi ritenuti essenziali per i pazienti con codice di esenzione RDG020/RDG030,
 - della necessità di fornire, a livello dei singoli Centri, un'assistenza integrata
- 4) d'inviare il presente Decreto a tutte le Aziende Sanitarie Locali del Sistema Sanitario Regionale, alle UU.OO.DD. 500403 "Assistenza territoriale", 500404 "Assistenza ospedaliera" e 500406 "Politica del farmaco e dispositivi", per quanto di rispettiva competenza, nonché all'Ufficio competente per la pubblicazione nella sezione trasparenza "Casa di vetro" del sito istituzionale della Regione Campania.

Avv. Antonio Postiglione