Coordinamento Malattie Rare -
Registro Malattie Rare - Regione del Veneto

M Mazzucato

Frequente eziologia genetica (70%)

Migliaia di patologie (8.000) di tutti gli organi e sistemi, molte sottoforme con diversi fenotipi

Spesso multisistemiche, di lunga durata attraverso diverse fasi della vita

Frequentemente disabilitanti

Poche terapie eziologiche (ricerca ed innovazione)

Malattie rare e complessità

sospetto diagnostico

passaggi tra ambienti di cura

dopo la diagnosi

terminalità

Quale organizzazione?

Centri per le malattie rare

Definizione e loro selezione

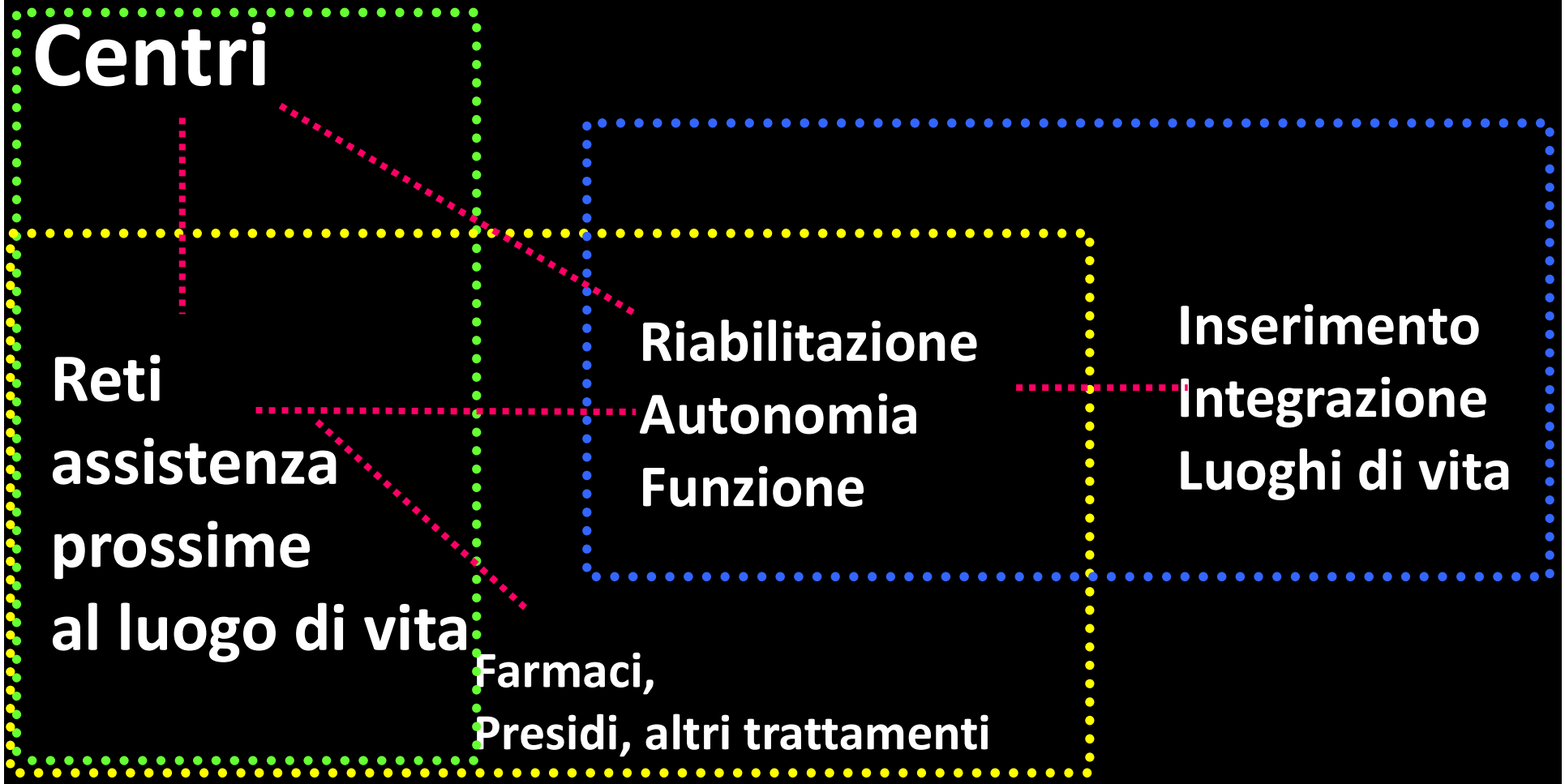
Bacino regionale/interregionale europeo ed internazionale

Ricerca ed assistenza

Rete ospedaliera

Quale bacino di utenza

I Centri sono elementi della rete di assistenza, non gli unici…



Perché una rete funzioni, devono esistere le connessioni

Il Sistema informativo si basa sulle reti di assistenza

Genera informazioni per:

1. Dare servizi
2. Prendere in carico
3. Produrre conoscenze su malattie/trattamenti
4. Alimentare i flussi informativi correnti e ammin
5. Governare il sistema

Collega

Coordinamento reg MR-Registro
Servizio Farmaceutico regionale
Centri accreditati per le MR
Altri ospedali della rete
Farmacie Ospedaliere
Distretti Socio-sanitari
Servizi Farmaceutici
Altri servizi es. riabilitazioni

informazione

diagnosi

Lista MR
codici
ICD-Omim-ORPHA

prescrizione

Farmaci (inclusi orfani)
Trattamenti off-label
Dietetici
Parafarmaci
Farmaci esteri
Galenici magistrali
Dispositivi medici
Protesi ed ausili

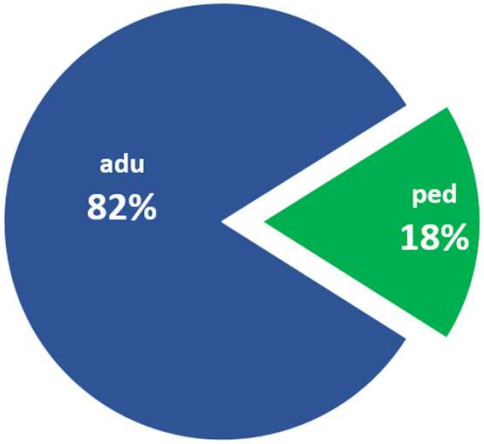
follow-up

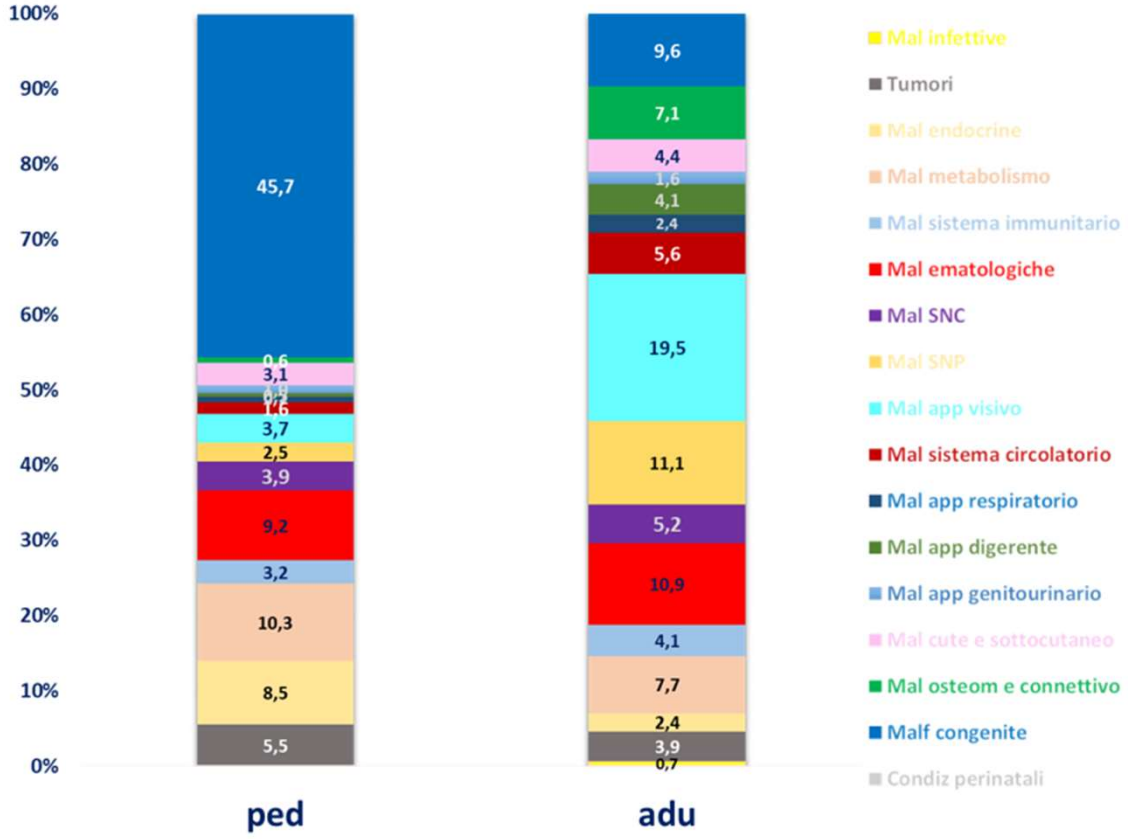
Definizione dg
Monitoraggio terapie
Definizione piano terap-assist

I dati a supporto della programmazione

Quanti
Quali
Dove
Che impatto

Distribuzione pazienti con MR per età e gruppi di patologia





Registro MR- Regione del Veneto

70.470 piani assistenziali

149.716 prescrizioni e approvvigionamenti

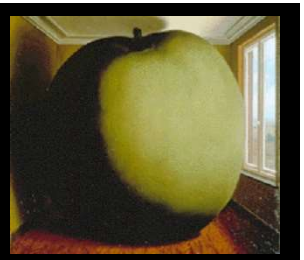


Tabella 1. Distribuzione percentuale dei prodotti prescritti nel biennio sulla base della tipologia di trattamento e dello stato di rimborsabilità, in regime SSN (n=25.895) oppure secondo i due percorsi previsti autorizzativi (n=22.186).

Tipologia di trattamenti	Rimborsati su autorizzazione	Rimborsati dal SSN
	%	%
Dietetici	27,2	7,8
Farmaci	44,9	86,1
Presidi/Dispositivi medici/Protesi/Ausili	27,9	6,1
Totale	**100,0**	**100,0**

Fonte: Registro malattie rare - Regione del Veneto; 2019-2020.

Tabella 2. Distribuzione percentuale dei malati con prescrizioni per prodotti essenziali ed indispensabili non esplicitamente compresi nelle fasce di rimborsabilità SSN rispetto al totale dei malati rari per gruppi di diagnosi ICD9-CM.

Gruppi di diagnosi (ICD9-CM)	Pazienti con prescrizioni non SSN (%)	Pazienti diagnosticati (%)
Malattie del sistema nervoso centrale e periferico	22,5	14,0
Malattie dell'apparato visivo	18,9	14,0
Malattie del metabolismo	13,2	7,2
Malformazioni congenite, cromosomopatie e sindromi genetiche	10,7	15,0
Malattie della cute e del tessuto sottocutaneo	9,1	4,4
Malattie del sangue e degli organi ematopoietici	5,9	11,9
Malattie dell'apparato genito-urinario	5,9	1,4
Malattie del sistema circolatorio	3,6	5,3
Malattie del sistema osteomuscolare e del tessuto connettivo	3,7	9,7
Malattie del sistema immunitario	2,6	3,4
Malattie dell'apparato respiratorio	1,7	2,4
Malattie dell'apparato digerente	1,0	3,3
Malattie delle ghiandole endocrine	0,8	4,4
Tumori	0,4	3,6
Totale	**100,0**	**100,0**

Fonte: Registro malattie rare - Regione del Veneto; 2019-2020.

1 | Rubrica

Recenti Prog Med 2022; 113: 1-11

L'impatto dell'uso dei trattamenti non compresi nelle classi di rimborsabilità nella presa in carico dei malati rari: un monitoraggio nel mondo reale

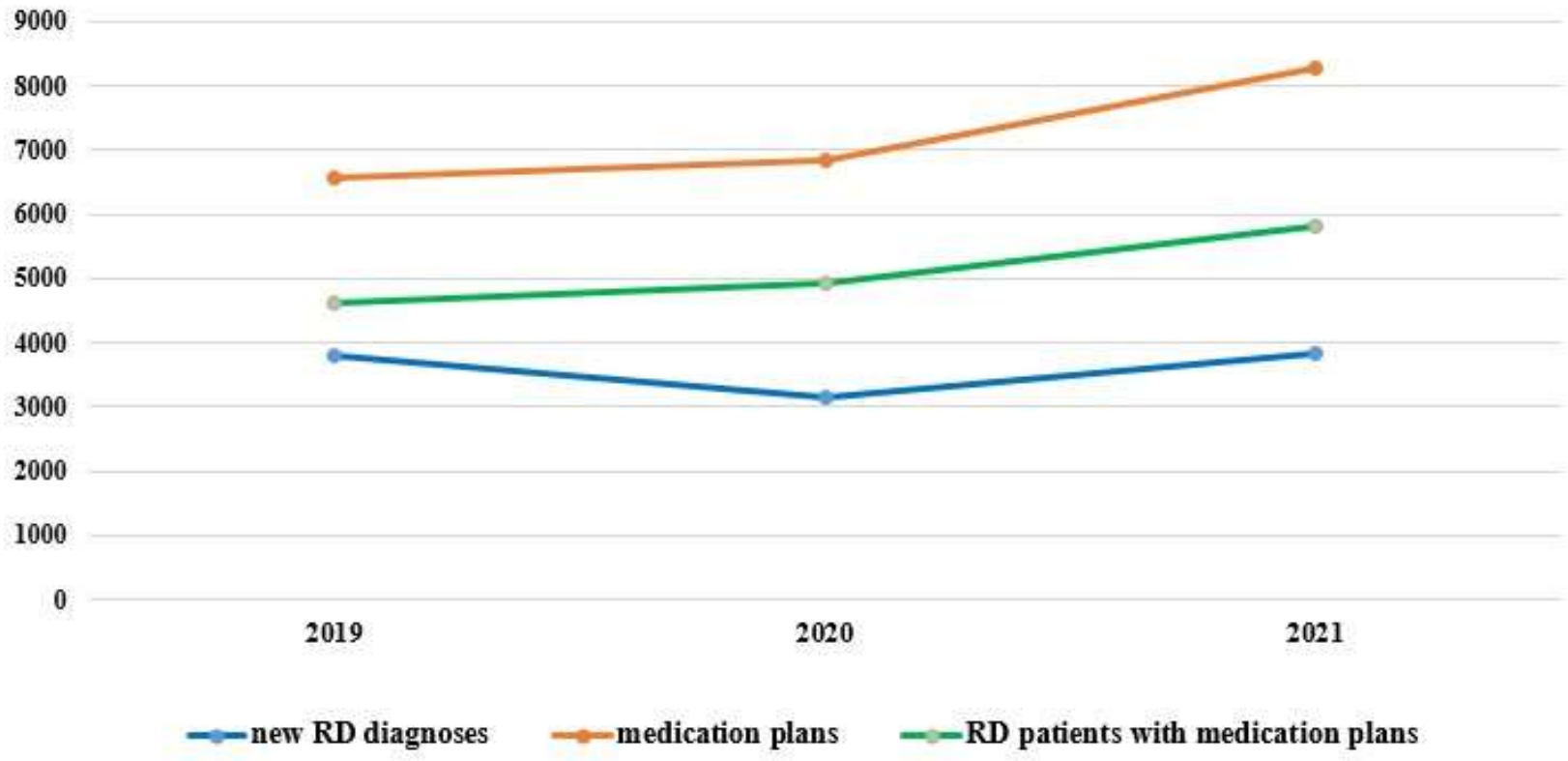
MONICA MAZZUCATO[1], CINZIA MINICHIELLO[1], LAURA VISONÀ DALLA POZZA[1], ANDREA VIANELLO[2], EMA TOTO[1], MIRIAM DE LORENZI[1], GIOVANNA SCROCCARO[3], PAOLA FACCHIN[1,2]

[1]Coordinamento-Registro Malattie Rare, Regione del Veneto; [2]Dipartimento di Salute della Donna e del Bambino, Università di Padova; [3]Direzione Farmaceutico-Protesica-Dispositivi Medici, Regione del Veneto.

Tre livelli

1. **LEA**
2. **INTEGRAZIONI** per entità nosologica basate sui **PROTOCOLLI**
3. **INTEGRAZIONI** per specifiche esigenze individuali

Figure 3. New RD diagnoses, RD patients with medication plans and medication plans, Veneto region-years 2019-2021



Mazzucato et al. Real-world use of orphan medicinal products in rare disease (RD) patients: a population-based registry study *Frontiers Pharmacology* 2022

Somministrazione per infusione a domicilio di farmaci per persone con malattia rara

Per alcuni prodotti farmaceutici spesso ad alto ed altissimo costo, specialmente per malattie rare/ultrarare, la possibilità di somministrazione domiciliare è prevista dai Decreti autorizzativi alla messa in commercio.
Tali terapie rientrano nei LEA. La loro prescrizione è compito dei clinici dei Centri per le MR.

Esistenza di programmi di *home-therapy* gestiti da provider privati, trattamento-specifici.
Il servizio erogato da tali ditte di assistenza infermieristica a domicilio è sostenuto economicamente dalle ditte produttrici dei farmaci di cui sopra.

Necessità di definire un'organizzazione con attori e relative funzioni e identificare le rispettive responsabilità, a tutela dei pazienti e nel contesto di quanto implementato in attuazione delle politiche nazionali in tema di MR

Elaborazione di un documento congiunto tra Tavolo tecnico MR e Tavolo della Farmaceutica – Commissione Salute – Conferenza Unificata (approvazione 2013)

Decreto regionale 15/2016

«Somministrazione per infusione a domicilio di farmaci ad alto costo per persone affette da malattia rara»

REGIONE DEL VENETO

giunta regionale

DECRETO N. 15 DEL - 1 MAR. 2016

OGGETTO: Approvazione del documento "Somministrazione per infusione a domicilio di farmaci ad alto costo per persone affette da malattia rara" redatto dalla Commissione Tecnica Regionale Farmaci.

NOTE PER LA TRASPARENZA:
Con il presente provvedimento si approva il documento redatto dalla Commissione Tecnica Regionale Farmaci che definisce il percorso per l'eventuale somministrazione domiciliare per infusione di medicinali ad alto costo per pazienti affetti da malattia rara.

REGIONE DEL VENETO

giunta regionale

Allegato A al Decreto n. 15 del 01 marzo 2016 pag. 1/3

SOMMINISTRAZIONE PER INFUSIONE A DOMICILIO DI FARMACI AD ALTO COSTO PER PERSONE AFFETTE DA MALATTIA RARA

(Documento approvato nella seduta del 19 novembre 2015 della Commissione Tecnica Regionale Farmaci, ex DGR n. 952/2013)

Premessa

Il Servizio Sanitario Nazionale garantisce alle persone non autosufficienti e in condizioni di fragilità, con patologie in atto o esiti delle stesse, percorsi assistenziali presso il domicilio del paziente, necessari per stabilizzare il quadro clinico, limitare il declino funzionale e migliorare la qualità della vita. Le cure domiciliari si integrano con le prestazioni di assistenza sociale e di supporto alla famiglia, generalmente erogate dal Comune di residenza della persona. L'assistenza domiciliare è dunque un servizio compreso nei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA) in grado di garantire una adeguata continuità di risposta sul territorio ai bisogni di salute di tali persone, ai fini della gestione della cronicità e della prevenzione della disabilità.

L'erogazione dell'assistenza farmaceutica, intesa non tanto come sola dispensazione di medicinali, ma caratterizzata anche da interventi specialistici (nutrizione artificiale, terapia antalgica con miscele in fleboclisi, elastomeri, terapia endovena con medicinali di uso ospedaliero) rientra tra le pratiche previste dall'assistenza domiciliare.

Alcuni medicinali ad alto costo somministrati per infusione e destinati al trattamento delle malattie rare riportano nei decreti di autorizzazione o nel Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto (RCP), limitatamente ai pazienti che tollerano bene le infusioni e dopo attenta valutazione da parte del clinico prescrittore, la possibilità di somministrazione al domicilio del paziente.

Attualmente il complesso delle normative nazionali e regionali sulle reti di assistenza ai malati rari ha portato ad identificare nei medici dei Centri regionali accreditati per malattie rare (Presidi accreditati DM 279/2001) gli unici professionisti che possono e devono definire il piano terapeutico-assistenziale del paziente, ivi compresa la prescrizione di farmaci ad alto costo. Gli stessi devono garantire le modifiche e l'eventuale aggiornamento dei piani terapeutici e selezionare i pazienti eventualmente eleggibili alla somministrazione a domicilio di tali farmaci.

Nella Regione Veneto la prescrizione, erogazione, somministrazione e monitoraggio dei farmaci per le malattie rare avviene attraverso il Registro Regionale delle Malattie Rare informatizzato che mette in rete i Centri di riferimento, i Distretti socio-sanitari, i Servizi Farmaceutici Territoriali e le Farmacie Ospedaliere.

In particolare, la somministrazione viene effettuata presso il Centro di riferimento o, quando le condizioni cliniche del paziente lo permettono, su giudizio del medico del Centro e su volontà del paziente, presso l'Ospedale dell'Azienda ULSS di residenza o presso il Distretto socio-sanitario o lo stesso domicilio. In

Soggetti e funzioni

Regioni e PPAA (SF e Coord MR)

Quale percorso
Possibilità di avvalersi o meno del servizio privato

Clinici prescrittori dei Centri per le MR

Prescrizione trattamento (quale, dose, modalità)
Chi procura, eroga, somministra
Selezione dei pazienti candidabili in base alla condiz. clinica e ad altri elementi da valutare
Strumento: UVMD

Aziende ULSS di residenza (Cure primarie -ADI)

UVMD definisce se avvalersi di provider (necessaria convenzione) o delle risorse proprie
Definisce il piano di assistenza ed i ruoli
Monitoraggio e aggiustamento nel tempo se necessario

Servizio infermieristico

Servizi farmaceutici (territoriali ed ospedalieri)
MMG-PLS
Paziente e familiari

Emergenza COVID

Accesso ai trattamenti

1. Proroga esenzioni in scadenza e proroga piani terapeutici
2. Consegna farmaci

Riorganizzazione punti distributivi

Consegna fabbisogno mensile a domicilio

Accordi con enti terzi per consegna a domicilio

3. Raccolta segnalazioni e gestione casi di *shortage* temporaneo di farmaci

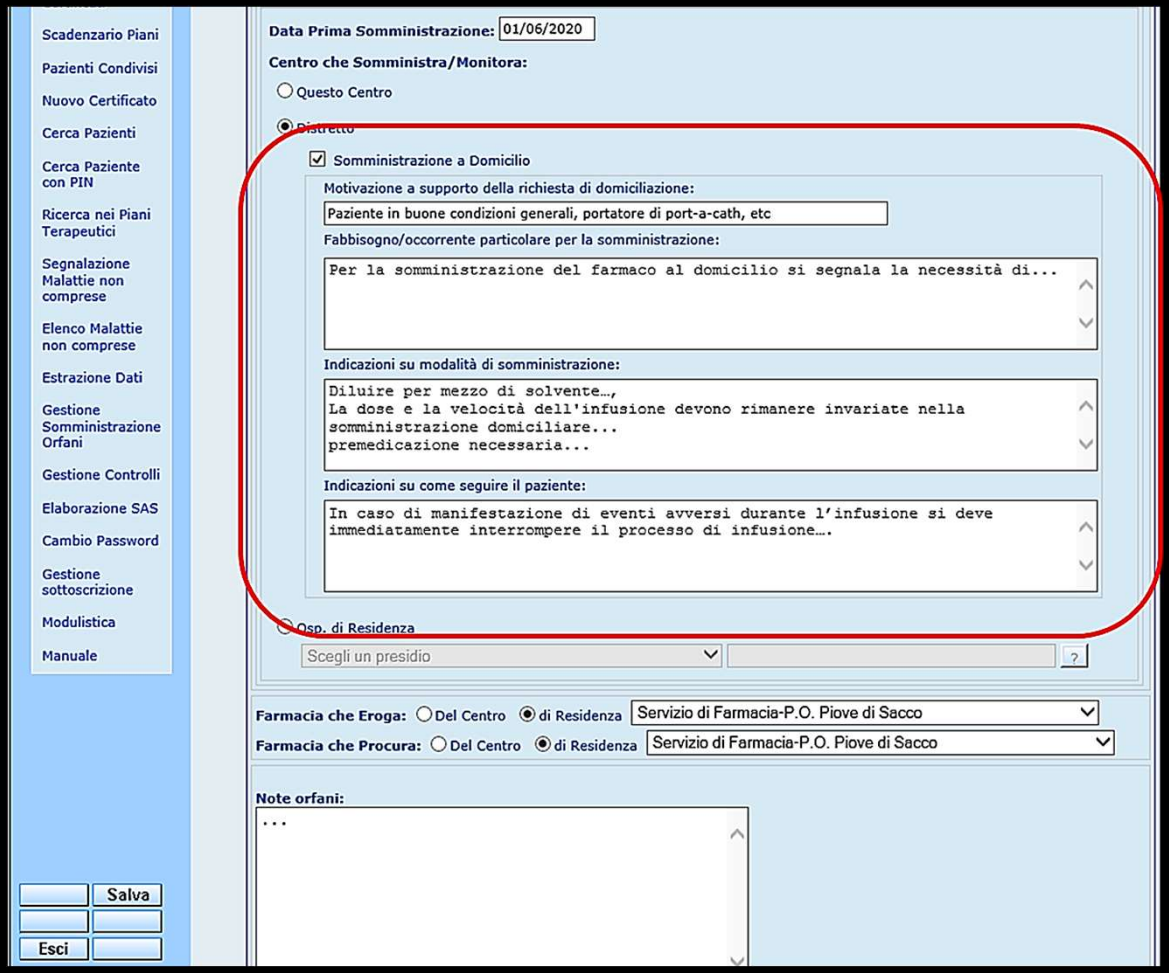
4. Determinazione AIFA n.341/2020

Raccomandazioni a carattere eccezionale per la somministrazione domiciliare dei farmaci per terapia enzimatica sostitutiva – ERT"

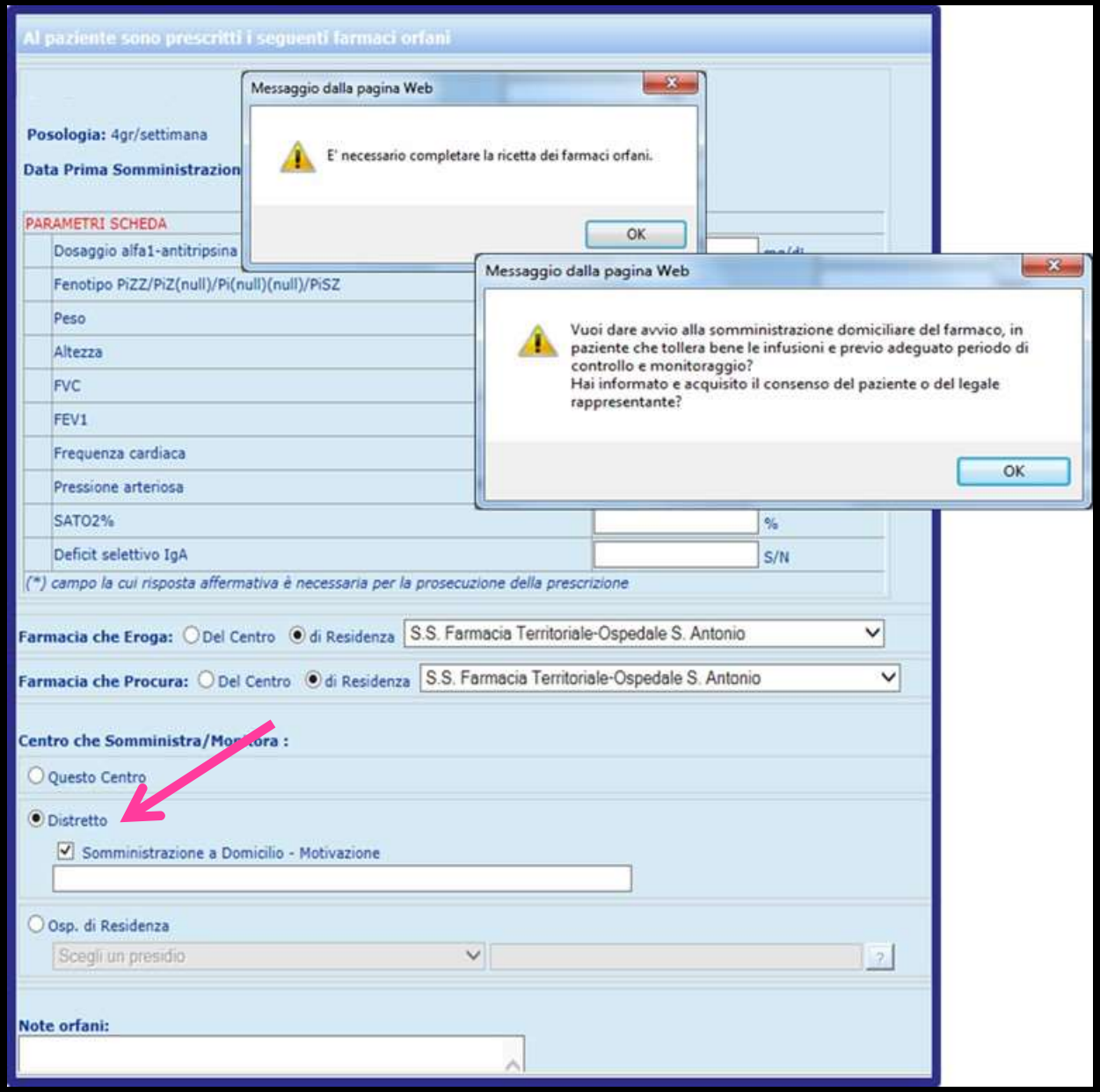
Gestione percorsi per farmaci già autorizzati e nuovi autorizzati per somministrazione a domicilio (alglucosidasi alfa, galsulfasi, laronidasi, velmanasi alfa)

Recepimento Determinazione AIFA definendo le specifiche modalità di attuazione

Richiesta somm domiciliare
Centro MR



Il percorso di somministrazione domiciliare



Richiesta motivata somministrazione domiciliare

Scheda

Dati eleggibilità

Dati al basale

Registro GH | Malattie Rare

Scadenzario Certificati
Scadenzario Piani
Pazienti Condivisi
Nuovo Certificato
Cerca Pazienti
Cerca Paziente con PIN
Ricerca nei Piani Terapeutici
Segnalazione Malattie non comprese
Elenco Malattie non comprese
Estrazione Dati
Controlli - Somministrazioni Farmaci
Elaborazione SAS
Cambio Password
Gestione sottoscrizione
Modulistica
Modulistica
Manuale

(*)	Dosaggio dell'attività enzimatica dell'alfa-galattosidasi nei leucotici da sangue venoso periferico o su Dried Blood Spot (DBS) che dimostri una ridotta attività dell'enzima	nmol/mg/h
(*)	Indicare se paziente	seleziona
(*)	Danno d'organo RENI	seleziona
(*)	Danno d'organo CUORE	seleziona
(*)	Danno d'organo CERVELLO e sistema nervoso periferico	seleziona
(*)	Danno d'organo POLMONI	seleziona
	Danno d'organo ALTRO	
(*)	Mutazione genetica rilevata. Indicare il fenotipo	seleziona
(*)	Altezza	cm
(*)	Peso	kg
(*)	Livelli plasmatici di Lyso-GL3	ng/mL
	Qualità della vita	score (usando questionario SF-12)
(*)	Funzionalità uditiva	seleziona
	Valori perdita uditiva	dB
(*)	Funzionalità gastrointestinale	seleziona
	Funzionalità gastrointestinale - Scala di valutazione	valut sym delle
(*)	Manifestazioni dermatologiche	sele
(*)	Manifestazioni dermatologiche	sele
(*)	Presenza Osteopenia/Osteoporosi	sele
	Osteopenia/Osteoporosi valore del T/Z-score femorale	
	Osteopenia/Osteoporosi valore del T/Z-score vertebrale	donn
(*)	Ipoidrosi	seleziona

(*) campo la cui risposta è necessaria per la prosecuzi della prescrizione

Data Prima Somministrazione:

Centro che Somministra/Monitora:

- ○ Questo Centro
- ○ Ospedale di prossimità
- ◉ Distretto
  - ○ Ambulatoriale
  - ◉ Domiciliare

Motivazione a supporto della richiesta di domiciliazione:

Paziente che tollera bene le infusioni....

Salva

Esci

Messaggio dalla pagina Web

Vuoi richiedere la somministrazione domiciliare del farmaco in paziente selezionato in base alle condizioni cliniche, che tollera bene le infusioni e previo adeguato periodo di controllo e monitoraggio
Hai informato e acquisito il consenso del paziente o del legale rappresentante?

OK

Somministrazione domiciliare

Monitoraggio delle somministrazioni: EFFICACIA SICUREZZA

Data Somministrazione:

Dosaggio:

Premedicazioni: Si No Se si quali:

Eventuali effetti avversi a distanza

- altro
- Aritmia
- Artralgia grave
- Artralgia lieve
- Artralgia moderata
- Aumento della pressione arteriosa grave
- Aumento della pressione arteriosa lieve
- Aumento della pressione arteriosa moderato
- Cefalea grave
- Cefalea lieve
- Cefalea moderata
- Cianosi grave
- Diarrea
- Dispepsia
- Dispnea grave
- Dispnea lieve
- Dispnea moderata
- Dolore addominale grave
- Dolore addominale lieve
- Dolore addominale moderato
- Eritema
- Gastralgia grave
- Gastralgia lieve
- Gastralgia moderata
- Ipossia
- Ipotensione
- Nausea grave
- Nausea lieve
- Nausea moderata
- Tachicardia grave
- Tachicardia lieve
- Tachicardia moderata
- Tachipnea grave
- Tachipnea lieve
- Tachipnea moderata
- Toracalgia
- Tosse grave
- Tosse lieve
- Tosse moderata
- Tremore grave
- Tremore lieve
- Tremore moderato
- Vertigine grave
- Vertigine lieve
- Vertigine moderata
- Vomito grave
- Vomito lieve
- Vomito moderato

Eventuali effetti avversi alla somministrazione

- altro
- Aumento della pressione arteriosa grave
- Aumento della pressione arteriosa lieve
- Aumento della pressione arteriosa moderato
- Broncospasmo grave
- Broncospasmo lieve
- Broncospasmo moderato
- Cefalea grave
- Cefalea lieve
- Cefalea moderata
- Dispnea grave
- Dispnea moderata
- Edema angioneurotico moderato
- Nausea grave
- Nausea lieve
- Nausea moderata
- Orticaria grave
- Orticaria lieve
- Orticaria moderata
- Piressia grave
- Piressia lieve
- Piressia moderata
- Prurito
- Rash grave
- Rash lieve
- Rash moderato
- Reazione di ipersensibilità di tipo allergico grave
- Reazione di ipersensibilità di tipo allergico lieve
- Reazione di ipersensibilità di tipo allergico moderata
- Reazione nel punto di infusione grave
- Reazione nel punto di infusione lieve
- Reazione nel punto di infusione moderata
- Tachicardia grave
- Tachicardia lieve
- Tachicardia moderata
- Vampate gravi
- Vampate lievi
- Vampate moderate
- Vertigine grave

Scheda nazionale on-line di farmacovigilanza

Compilazione scheda di Farmacovigilanza relativa agli effetti avversi del farmaco GH NUTROPINAQ*SC 1CART 2ML10MG/2M somministrato nel piano 36450

Campi generici da compilare

Data insorgenza reazione (gg/mm/yyyy):

Origine etnica del soggetto:

Descrizione della reazione ed eventuale diagnosi:
Effetti avversi a distanza: Anemia grave;
Effetti avversi immediati: Atrofia cutanea;

Eventuali esami di laboratorio rilevanti per ADR (risultati e date degli accertamenti):

Azioni intraprese (specificare):

La reazione osservata deriva da:
- ☐ Interazione
- ☐ Abuso
- ☐ Off Label
- ☐ Esposizione Professionale
- ☐ Errore Terapeutico
- ☐ Misuso
- ☐ Overdose

Gravità della reazione:
- ☐ Non Grave
- ☐ Decesso
- ☐ Invalidità grave o permanente
- ☐ Ha messo in pericolo di vita
- ☐ Ospedalizzazione o prolungamento
- ☐ Anomalie congenite/Deficit del n
- ☐ Altra condizione clinicamente rilevante

Data esito (gg/mm/yyyy):

Esito:
- ☐ Risoluzione Completa ADR
- ☐ Risoluzione con postumi
- ☐ Miglioramento
- ☐ Reazione invariata o peggiorata
- ☐ Decesso:
  - ☐ dovuto a reazione avversa
  - ☐ il farmaco può avere contribuito
  - ☐ non dovuto al farmaco
  - ☐ causa sconosciuta
- ☐ Non Dipsobinibile

Campi da compilare per i pazienti donne

Informazioni sui Farmaci

Farmaco sospetto A

Nome del Farmaco sospetto:

Lotto:

Dosaggio/Frequenza:

Via di somministrazione:

Usato dal giorno (gg/mm/yyyy):

al giorno (gg/mm/yyyy):

Il farmaco è stato sospeso? ○ SI ○ NO

La reazione è migliorata dopo la sospensione? ○ SI ○ NO

Il farmaco è stato ripreso? ○ SI ○ NO

Sono ricomparsi i sintomi dopo la risomministrazione? ○ SI ○ NO

Indicazioni o altro motivo per cui il farmaco è stato usato:

Farmaco sospetto B
Farmaco sospetto C
Farmaco concomitante A
Farmaco concomitante B
Altro

AIFA

SCHEDA UNICA DI SEGNALAZIONE DI SOSPETTA REAZIONE AVVERSA

1.Iniziali Paziente	2.Data di Nascita	3.Sesso	4.Data Insorgenza Reazione	5.Origine Etnica	Codice Segnalazione
G-B	02/02/2004	M☐ F☑			

1.a.Peso(kg)	1.b.Altezza(cm)	1.c.Data ultima mestruazione	1.d.Gravidanza ☐sconosciuta ☐1°trimestre ☐2°trimestre ☐3°trimestre	1.e.Allattamento ☐Si ☐No

6.Descrizione della reazione ed eventuale diagnosi
Effetti avversi a distanza: Anemia grave; Effetti avversi immediati: Atrofia cutanea;

7.Indicare se la reazione osservata deriva da:
- ☐ Interazione
- ☐ Abuso
- ☐ Off Label
- ☐ Esposizione Professionale
- ☐ Errore Terapeutico
- ☐ Misuso
- ☐ Overdose

8.Gravità della reazione:
- ☐ Decesso
- ☐ Invalidità grave o permanente
- ☐ Anomalie Congenite/Deficit nel neonato
- ☐ Non Grave
- ☐ Ospedalizzazione o prolungamento
- ☐ Ha messo in pericolo di vita
- ☐ AltraCondizione clinicamente rilevante

9.Eventuali esami di laboratorio rilevanti per ADR

10. Esito Data:
- ☐ Risoluzione Completa ADR
- ☐ Risoluzione Con Postumi
- ☐ Miglioramento
- ☐ Reazione invariata o peggiorata
- ☐ Decesso

11.Azioni intraprese
- ☐ dovuto alla reazione avversa
- ☐ Il farmaco può avere contribuito
- ☐ non dovuto al farmaco
- ☐ causa sconosciuta
- ☐ Non disponibile

INFORMAZIONI SUI FARMACI

12. Farmaco/i sospetto/i:

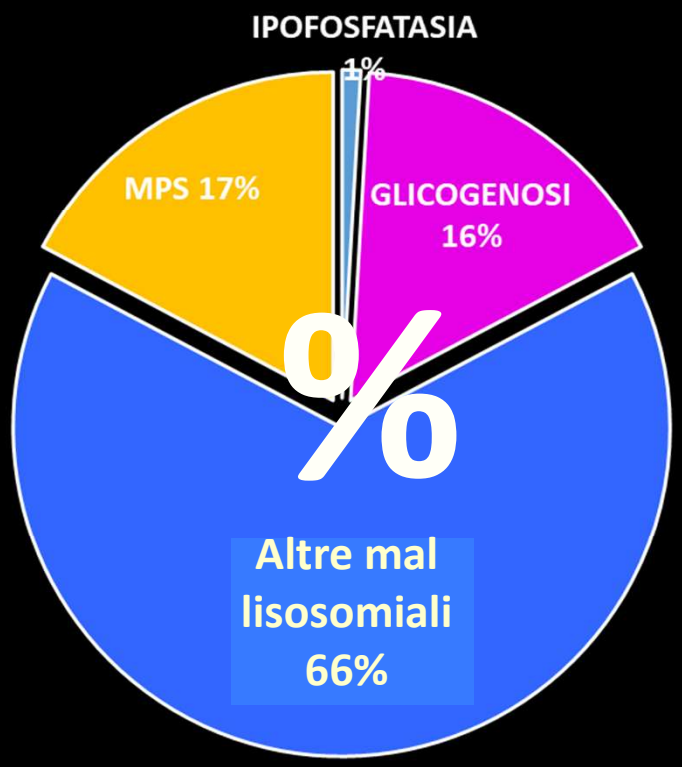
A)
13.Lotto:
14.Dosaggio/Frequenza:
15.Via di Somministrazione:
16.Durata dell'uso:
dal al
17.Il farmaco è stato sospeso?: ☐Si ☐No
18.La reazione è migliorata dopo la sospensione? ☐Si ☐No
19.Il farmaco è stato ripreso?: ☐Si ☐No
20.Sono ricomparsi i sintomi dopo la risomministrazione? ☐Si ☐No
21.Indicazioni o altro motivo per cui il farmaco è stato usato

B)
13.Lotto:
14.Dosaggio/Frequenza:
15.Via di Somministrazione:
16.Durata dell'uso:
dal al
17.Il farmaco è stato sospeso?: ☐Si ☐No
18.La reazione è migliorata dopo la sospensione? ☐Si ☐No
19.Il farmaco è stato ripreso?: ☐Si ☐No
20.Sono ricomparsi i sintomi dopo la risomministrazione? ☐Si ☐No
21.Indicazioni o altro motivo per cui il farmaco è stato usato

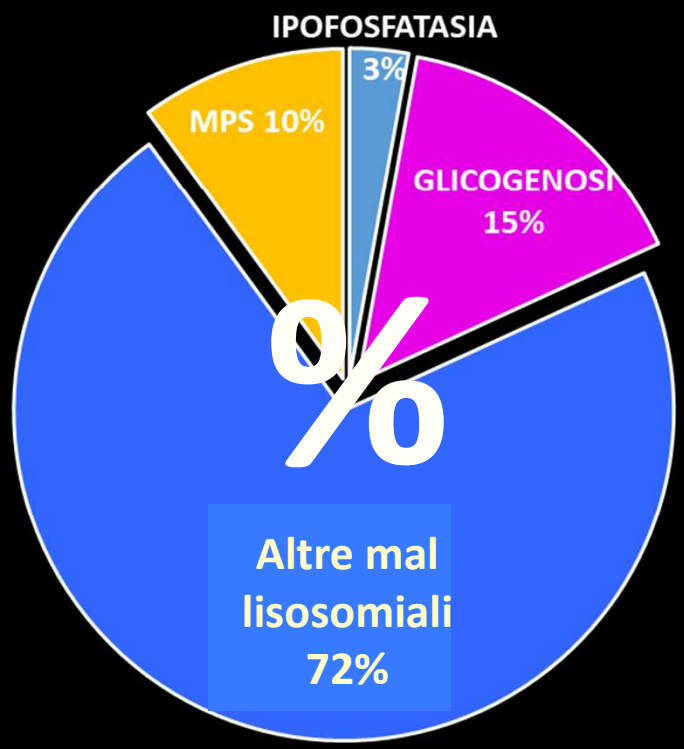
C)
13.Lotto:
14.Dosaggio/Frequenza:
15.Via di Somministrazione:
16.Durata dell'uso:
dal al
17.Il farmaco è stato sospeso?: ☐Si ☐No
18.La reazione è migliorata dopo la sospensione? ☐Si ☐No
19.Il farmaco è stato ripreso?: ☐Si ☐No
20.Sono ricomparsi i sintomi dopo la risomministrazione? ☐Si ☐No
21.Indicazioni o altro motivo per cui il farmaco è stato usato

Quali sono i pazienti

trattati (n=110)



diagnosticati (n=209)

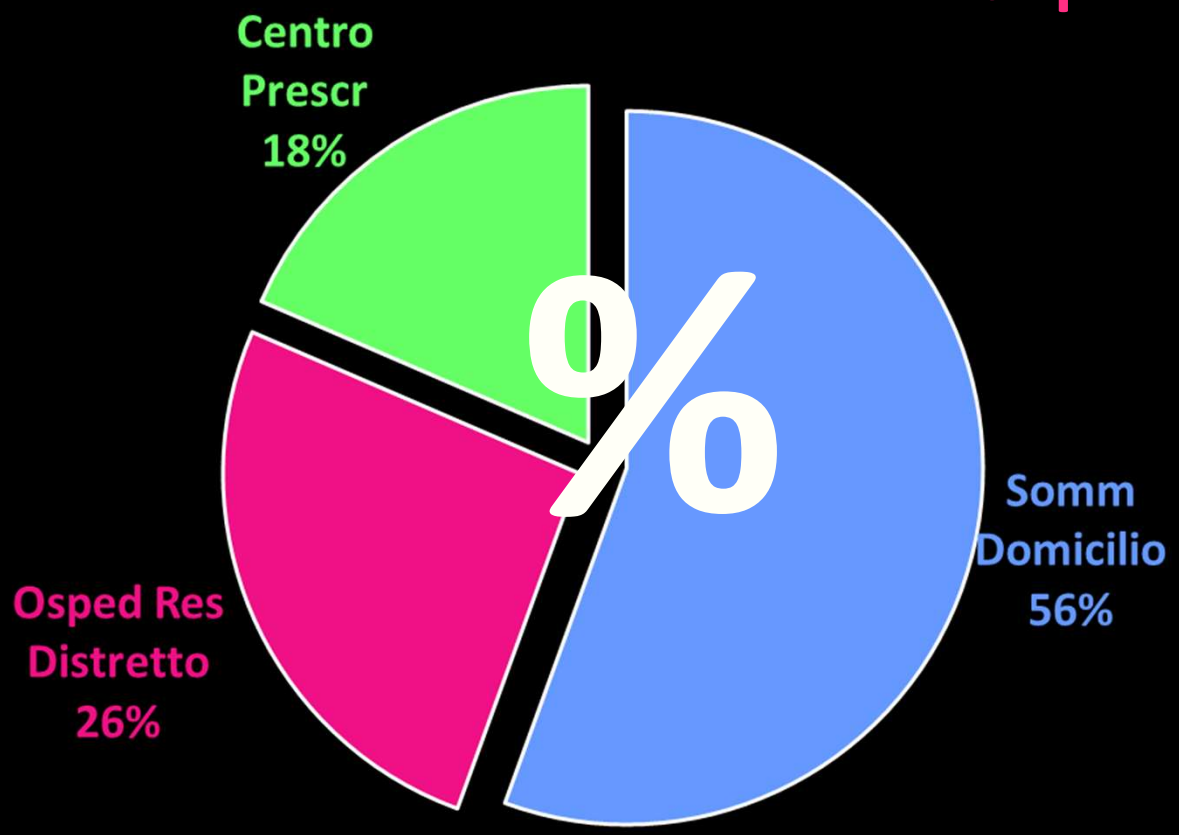


Pazienti trattati: il 54% di quelli diagnosticati

Le ERT: dove si somministrano

La fotografia dei piani terapeutici attivi al 30.06.22

22% paz pediatrici



Per l'82% dei casi, la somministrazione è richiesta

nel luogo di vita del paziente

ADI e malattie rare

L’esperienza delle regioni e PPAA durante l’emergenza COVID

Persone con malattia rara e persone in ADI - Italia

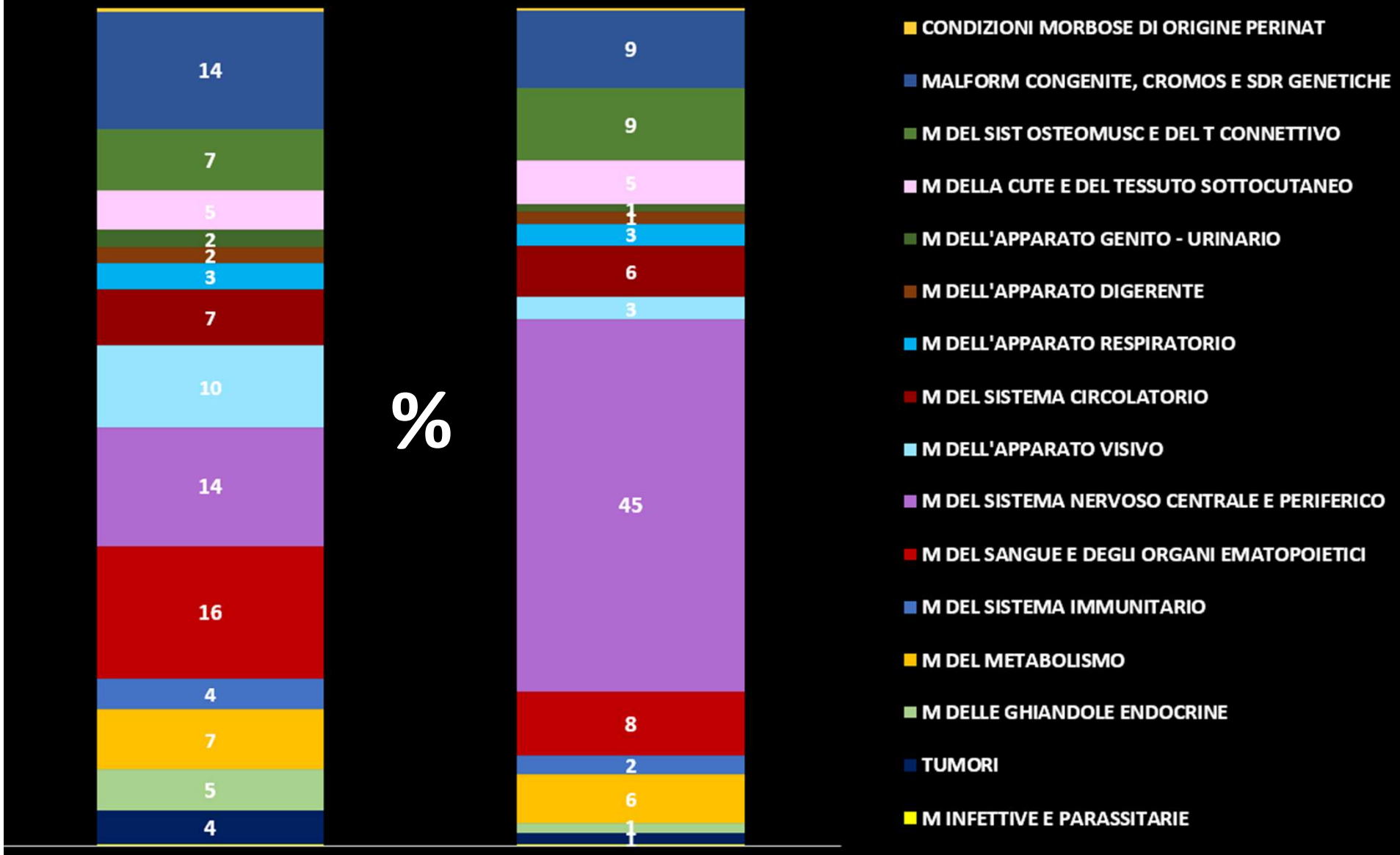
Anno 2020

	RESIDENTI	MR in ADI	%MR in ADI/ tot MR	%MR in ADI/ tot paz ADI	% ADI/ res
ABRUZZO	1.293.941	255	9,2	1,4	1,4
BASILICATA	553.254	93	2,5	1,1	1,5
EMILIA ROMAGNA	4.464.119	1.605	4,4	1,6	2,3
FRIULI VENEZIA GIULIA	1.206.216	126	14,6	0,2	5,5
LIGURIA	1.524.826	696	4,9	1,3	3,5
LOMBARDIA	10.027.602	2.471	3,0	2,1	1,2
MARCHE	1.512.672	216	2,5	1,5	1,0
PA BOLZANO	532.644	63	1,3	2,4	0,5
PA TRENTO	545.425	234	4,5	2,5	1,7
PIEMONTE	4.311.217	710	1,5	2,4	0,7
PUGLIA	3.953.305	807	3,3	3,3	0,6
SICILIA	4.875.290	437	2,7	0,7	1,3
TOSCANA	3.692.555	395	1,3	2,4	0,5
UMBRIA	870.165	161	2,4	1,5	1,2
VALLE D'AOSTA	125.034	12	1,4	3,4	0,3
VENETO	4.879.133	2.715	6,6	1,9	3,0
SARDEGNA*	1.611.621				
TOTALE	**45.979.019**	**10.996**	**3,4**	**1,6**	**1,5**

* solo dati parziali

Per approfondimenti: 6 Quaderno Ossfor

Distribuzione dei MR e MR in ADI per gruppo di patologia



Anno 2020

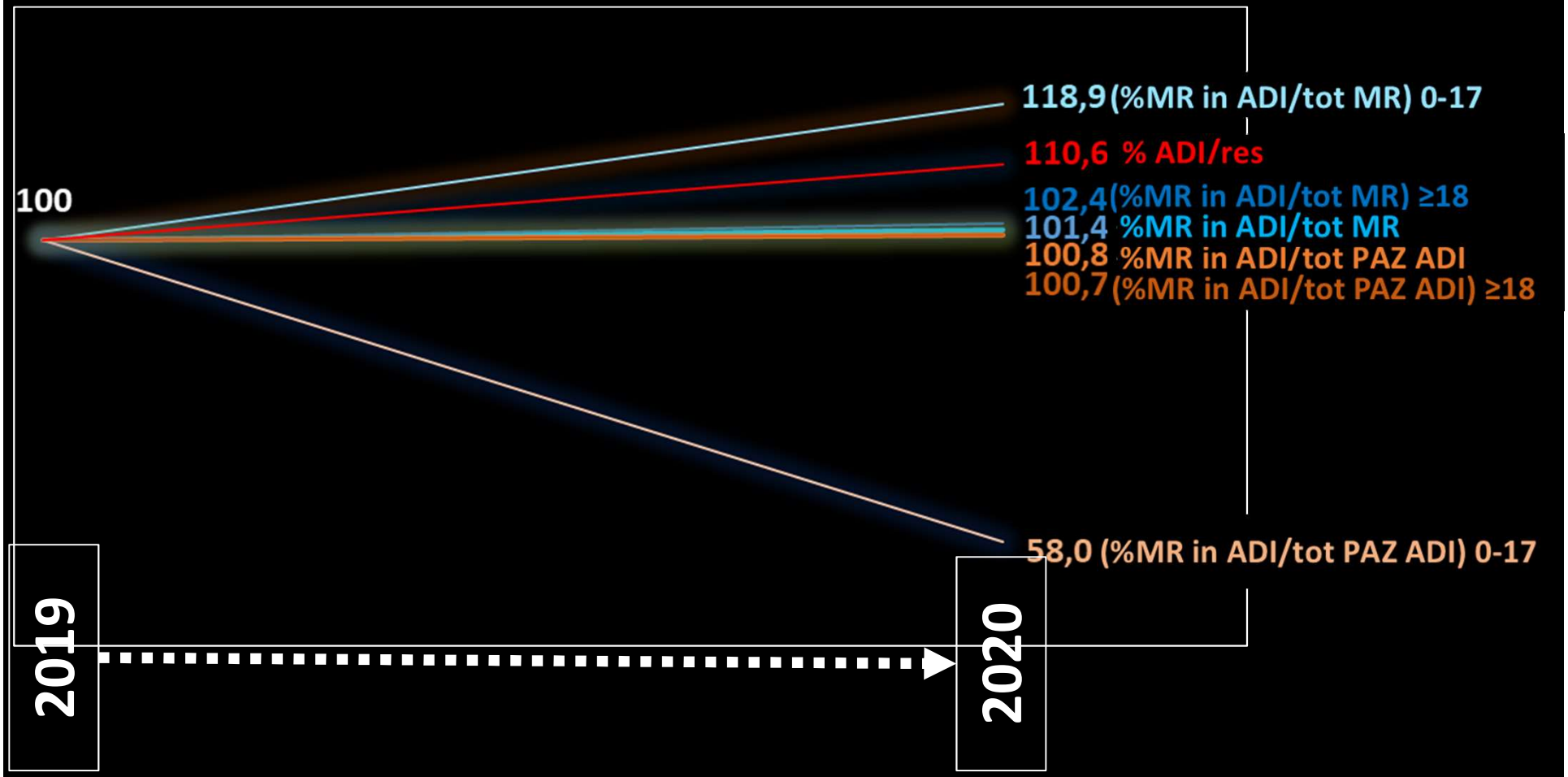
Persone con malattia rara e persone in ADI - Italia

Anno 2020

	MR in ADI		%MR in ADI/ tot MR		%MR in ADI/ tot ADI	
	0-17	≥18	0-17	≥18	0-17	≥18
ABRUZZO	16	239	3,0	10,7	6,3	1,3
BASILICATA	24	69	4,6	2,2	25,3	0,8
EMILIA ROMAGNA	215	1.390	3,6	4,5	32,4	1,4
FRIULI VENEZIA GIULIA	14	112	5,6	18,2	2,7	0,2
LIGURIA	73	623	4,1	5,0	2,1	1,2
LOMBARDIA	327	2.144	3,3	2,9	23,9	1,8
MARCHE	42	174	2,9	2,4	30,4	1,2
PA BOLZANO	27	36	4,0	0,9	4,5	1,8
PA TRENTO	50	184	6,5	4,1	37,9	2,0
PIEMONTE	78	632	1,0	1,6	25,5	2,2
PUGLIA	124	683	2,8	3,4	59,3	2,8
TOSCANA	65	330	1,6	1,3	12,5	2,0
UMBRIA	25	136	2,3	2,4	43,1	1,3
VALLE D'AOSTA	4	8	3,2	1,1	33,3	2,4
VENETO	335	2.380	4,7	7,0	10,7	1,7
TOTALE	**1.419**	**9.140**	**2,8**	**3,3**	**12,4**	**1,5**

* solo dati aggregati

Andamento dal 2019 al 2020: numeri indice



malattie rare

Quale organizzazione

?

Rete malattie rare: una rete di reti

1. livello regionale
2. livello interregionale
3. livello nazionale
4. livello europeo

a) Le reti costituite dall'insieme di questi Centri
b) Le reti tra Centri e altre reti es. urgenza-emergenza, trapianti, cure palliative
c) Le reti tra ciascun Centro e le strutture operanti in prossimità alla residenza del malato, ospedaliere o territoriali fino al domicilio del malato stesso
d) Le reti territoriali

Reti territoriali

1. Gestione condivisa del paziente attraverso una informazione unica e condivisa (telemedicina, AI, banchedati)

2. Organizzare strutture territoriali per diversi livelli di complessità assistenziale con Unità dedicate e articolate per ampi bacini d'utenza

Ringraziamenti

prof. Facchin
dr.ssa Cinzia Minichiello
dott. Andrea Vianello

Coordinamento Malattie Rare
Regione del Veneto

monica.mazzucato@regione.veneto.it

Numero verde MR 800 318811