

DECRETO DEL PRESIDENTE IN QUALITÀ DI COMMISSARIO *AD ACTA* 12 luglio 2010 n. 57.

Rete Assistenziale delle Malattie Emorragiche Congenite.

LA PRESIDENTE
In Qualità di Commissario ad Acta

VISTO lo Statuto della Regione Lazio;

VISTA la L.R. 18 febbraio 2002, n.6 e successive modificazioni ed integrazioni;

VISTO il R.R. 6 settembre 2002, n.1 e successive modificazioni ed integrazioni;

VISTA la deliberazione del Consiglio dei Ministri del 23 aprile 2010, con la quale la Presidente della Regione Lazio, Renata Polverini, è stata nominata Commissario ad acta” per la realizzazione degli obiettivi di risanamento finanziario previsti nel piano di rientro dai disavanzi regionali nel settore sanitario;

DATO ATTO, altresì, che con il decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri n. 3743 del 17 ottobre 2008 il dr. Mario Morlacco è stato nominato sub commissario per l’attuazione del Piano di Rientro della Regione Lazio, con il compito di affiancare il Commissario ad acta nella predisposizione dei provvedimenti da assumere in esecuzione dell’incarico commissariale di cui alla deliberazione del Consiglio dei Ministri dell’11 luglio 2008;

VISTO il Decreto Legislativo 30 dicembre 1992, n. 502 e successive modificazioni ed integrazioni concernente: “Riordino della disciplina in materia sanitaria, a norma dell’art. 1 della legge 23 ottobre 1992, n. 421 e successive modificazioni”;

VISTO il DPCM 29 novembre 2001 e s.m.e i., con il quale sono stati definiti i livelli essenziali di assistenza (LEA);

VISTO il Decreto Ministeriale del 18 maggio 2001, n. 279, il quale regola l’istituzione della rete nazionale delle malattie rare ed, in particolare, individua quale unità del sistema il “Presidio Sanitario” accreditato, inteso come struttura ospedaliera dove si svolgono attività diagnostiche e terapeutiche;

VISTA la legge 30 dicembre 2004, n.311 “Disposizioni per la formazione del bilancio annuale e pluriennale dello Stato (legge finanziaria 2005)” ed in particolare l’art.1, comma 180 che ha previsto per le regioni interessate, qualora si verificasse una situazione di squilibrio economico – finanziario, l’obbligo di procedere ad una ricognizione delle cause ed alla conseguente elaborazione di un programma operativo di riorganizzazione, di riqualificazione o di potenziamento del Servizio Sanitario Regionale, di durata non superiore al triennio;

VISTA la DGR del 7 gennaio 2005, n. 20: “Individuazione della rete regionale per la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare ai sensi del DM 18 maggio 2001, n. 279 e DGR del 28 marzo 2002, n. 381”;

VISTA l’Intesa Stato Regioni del 23 marzo 2005 che in attuazione della Legge Finanziaria dello Stato pone in capo alla Regione:

- l’impegno ad adottare provvedimenti in ordine alla razionalizzazione della rete ospedaliera con l’obiettivo, tra l’altro, del raggiungimento degli standard nazionali relativi alla dotazione di posti letto per mille abitanti e al tasso di ospedalizzazione (art. 4);
- l’obbligo di garantire, coerentemente con gli obiettivi sull’indebitamento netto delle amministrazioni pubbliche, l’equilibrio economico-finanziario del Servizio Sanitario Regionale nel suo complesso, realizzando forme di verifica trimestrale della coerenza degli andamenti con gli obiettivi assegnati in sede di bilancio preventivo per l’anno di riferimento (art. 6);
- la stipula - in relazione a quanto disposto dall’art.1 comma 180 della Legge 30 dicembre 2004 - con i Ministri dell’Economia e della Salute di un apposito accordo che individui gli interventi necessari per il perseguimento dell’equilibrio economico, nel rispetto dei livelli essenziali di assistenza (art. 8);

VISTO il nuovo Patto per la Salute sancito in Conferenza Stato – Regioni e P.A. il 3 dicembre 2009 con il quale, all’art. 13, comma 14 è stato stabilito che per le Regioni già sottoposte ai piani di rientro e già commissariate all’entrata in vigore delle norme attuative del medesimo patto restano fermi l’assetto commissariale previgente per la prosecuzione del piano di rientro, secondo programmi operativi coerenti con gli obiettivi finanziari programmati, predisposti dal Commissario ad Acta, nonché le relative azioni di supporto contabile e gestionale;

CONSIDERATO che il nuovo Patto per la Salute 2010-2012 prevede la necessità per le Regioni di adottare misure di razionalizzazione della rete ospedaliera e di miglioramento dell’appropriatezza nel ricorso ai ricoveri ospedalieri ed in particolare, all’articolo 6, la riduzione dello standard dei posti letto ospedalieri accreditati ed effettivamente a carico del servizio sanitario regionale, non superiore a 4 posti letto per mille abitanti, comprensivi di 0,7 posti letto per mille abitanti per la riabilitazione e la lungodegenza post-acuzie, adeguando coerentemente le dotazioni organiche dei presidi ospedalieri pubblici;

VISTA la DGR n.66 del 12 febbraio 2007 concernente: “Approvazione del “Piano di Rientro” per la sottoscrizione dell’Accordo tra Stato e Regione Lazio ai sensi dell’art.1, comma 180, della Legge 311/2004”;

VISTA la DGR n.149 del 6 marzo 2007 avente ad oggetto: “Presenza d’atto dell’Accordo Stato Regione Lazio ai sensi dell’art. 1, comma 180, della legge n. 311/2004, sottoscritto il 28 febbraio 2007. Approvazione del “Piano di Rientro” ed in particolare gli obiettivi:

- 1.1.2 Definizione dei requisiti autorizzazione
- 1.1.3 Modalità e termini per l’adeguamento ai requisiti autorizzativi
- 1.1.4 Ulteriori requisiti per l’accreditamento

- 1.2.2 Ridimensionamento di reparti con bassa performance organizzativa.
- 1.2.4 Riorganizzazione delle rete ospedaliera e separazione dei percorsi tra l'emergenza urgenza e l'elezione
- 1.2.5 Organizzazione delle prestazioni di alta specialità secondo il modello basato su centri di riferimento e strutture satellite

VISTA la legge regionale 3 marzo 2003, n. 4 "Norme in materia di autorizzazione alla realizzazione di strutture e all'esercizio di attività sanitarie e socio – sanitarie, di accreditamento istituzionale e di accordi contrattuali", e successive modificazioni ed integrazioni e s.m.e i.;

VISTA la DGR n. 424 del 14 luglio 2006: " Legge regionale 3 marzo 2003 n. 4 "Requisiti minimi per il rilascio delle autorizzazioni all'esercizio di attività sanitarie per strutture sanitarie e socio sanitarie",

VISTO il Decreto del Commissario ad Acta n. 17/2010 "Atto ricognitivo di cui al Decreto Commissariale 96/2009. Piano dei fabbisogni assistenziali per la Regione Lazio ai sensi dell'art. 2, comma 1, lett. a, numero 1) della L.R. 4/2003";

VISTO il Decreto del Commissario ad Acta n. 87/2009 recante "Approvazione Piano Sanitario Regionale (PSR) 2010 – 2012";

VISTO il Decreto del Commissario ad Acta del 31 maggio 2010, n. 48 " Piano degli interventi per la riconduzione dell'offerta ospedaliera per acuti, riabilitazione post acuzie e lungodegenza medica agli standard previsti dal Patto per la Salute 2010 – 2012";

CONSIDERATO che per specifici ambiti assistenziali un'organizzazione in rete dell'offerta garantisce una migliore qualità dell'assistenza e consente di ottimizzare il fabbisogno di servizi ospedalieri e territoriali e l'allocazione delle relative risorse sul territorio regionale;

CONSIDERATA la necessità di intraprendere un processo di riorganizzazione e riqualificazione dell'offerta sanitaria coerente con il Piano di Rientro a partire dall'identificazione dell'attività erogata in ambiti assistenziali inappropriati;

CONSIDERATO che tale riorganizzazione consente inoltre l'avvio del processo di razionalizzazione dei reparti duplicati con contenimento dei relativi costi che sarà completato, al termine dell'istituzione delle reti di specialità, nell'ambito del riassetto complessivo della rete ospedaliera;

RILEVATO che i difetti ereditari della coagulazione, fra cui è compresa l'emofilia, sono inseriti nell'elenco delle malattie rare, di cui all'allegato 1 del citato DM n. 279/2001;

CONSIDERATO che l'Emofilia può costituire un valido modello per sperimentazioni organizzative e gestionali nell'ambito delle malattie rare;

CONSIDERATO che il modello organizzativo di rete clinica integrata Hub and Spoke appare il più adatto per rispondere adeguatamente ai bisogni dei malati;

VISTA la nota 9121/ASP/DG del 2/7/2010 di Laziosanità ASP con la quale è stato trasmesso l'allegato documento "Piano di Riorganizzazione della Rete delle Malattie Emorragiche Congenite" che costituisce parte integrante e sostanziale del presente provvedimento;

RITENUTO di affidare a Laziosanità ASP il mandato di effettuare il monitoraggio e la valutazione continua delle attuazione della rete oggetto del presente decreto e di proporre alla Regione Lazio, nel corso del tempo, eventuali interventi migliorativi;

RITENUTO di precisare che le Direzioni Regionali competenti dovranno predisporre i provvedimenti attuativi per la realizzazione di quanto contenuto nell'allegato "Piano di Riorganizzazione della Rete delle Malattie Emorragiche Congenite" che costituisce parte integrante e sostanziale del presente provvedimento;

RITENUTO di riservarsi ogni definitiva determinazione in ordine alla dotazione dei posti letto in sede di predisposizione del complessivo riordino della rete ospedaliera;

TENUTO CONTO che il presente provvedimento non è soggetto alle procedure di concertazione con le parti sociali;

DECRETA

per le motivazioni espresse in premessa che integralmente si richiamano,

di approvare l'allegato documento predisposto dal Laziosanità ASP "Piano di Riorganizzazione della Rete delle Malattie Emorragiche Congenite" che costituisce parte integrante e sostanziale del presente provvedimento;

di affidare a Laziosanità ASP il mandato di effettuare il monitoraggio e la valutazione continua dell'attuazione della rete oggetto del presente decreto e di proporre alla Direzione competente della Regione Lazio, nel corso del tempo, eventuali, interventi migliorativi;

di precisare che le Direzioni Regionali competenti dovranno predisporre i provvedimenti attuativi per la realizzazione di quanto contenuto nell'allegato "Piano di Riorganizzazione della Rete delle Malattie Emorragiche Congenite" al presente provvedimento.

di riservarsi ogni definitiva determinazione in ordine alla dotazione dei posti letto in sede di predisposizione del complessivo riordino della rete ospedaliera;

Il presente decreto sarà pubblicato sul Bollettino Ufficiale della Regione Lazio.

La Presidente
Renata POLVERINI



LAZIOSANITA
AGENZIA DI SANITA PUBBLICA



REGIONE
LAZIO



Piano di Riorganizzazione della Rete delle Malattie Emorragiche Congenite

INDICE

Premessa

1. Analisi della domanda, dell'offerta e dell'utilizzo dei servizi

- 1.1** Ricoveri
- 1.2** Assistenza Specialistica Ambulatoriale (SIAS)
- 1.3** Assistenza farmaceutica

2. Organizzazione della rete assistenziale

- 2.1** Caratteristiche dei Presidi di I livello (Spoke-I)
- 2.2** Caratteristiche dei Presidi di II livello (Spoke-II)
- 2.3** Caratteristiche del Centro di III livello (Hub)
- 2.4** Le strutture e tempi di realizzazione della rete

PREMESSA

L'Emofilia ed in genere le coagulopatie congenite sono malattie rare, spesso non immediatamente riconosciute dai medici di base. La cura ed il trattamento delle coagulopatie richiedono una diagnosi ed una terapia mirata e tempestiva che evitino, ai pazienti gravi, complicazioni che ne comprometterebbero la qualità di vita.

L'Emofilia è un disordine emorragico, trasmesso con ereditarietà X-linked recessiva, caratterizzato da un deficit dell'attività procoagulante del Fattore VIII (FVIII) nell'emofilia di tipo A e Fattore IX (FIX) nell'emofilia di tipo B. Nei maschi affetti le manifestazioni cliniche più tipiche e frequenti sono gli ematomi (versamenti emorragici intra-articolari) e gli ematomi muscolari e sottocutanei. Tuttavia, versamenti emorragici post-traumatici possono verificarsi a carico di qualsiasi organo od apparato. La gravità della malattia è strettamente correlata al livello plasmatico di fattore carente.

Nella maggior parte dei casi la diagnosi deriva dal riscontro di un'anamnesi familiare positiva per facili sanguinamenti ed episodi emorragici ricorrenti e con ereditarietà legata al sesso (più maschi della famiglia affetti ed in diverse generazioni). In un terzo dei casi non è evidenziabile una precedente storia familiare positiva (casi sporadici) ed il sospetto deriva dalla comparsa di manifestazioni emorragiche frequenti e senza causa apparente, spesso entro il primo anno di vita, o quando il bambino comincia a muovere i primi passi ed incorrere in eventi traumatici anche di lieve entità. La diagnosi viene facilmente eseguita mediante dosaggio plasmatico del fattore carente. I maschi affetti dalla forma moderata o lieve presentano episodi emorragici meno frequenti e di minore gravità clinica, generalmente solo in seguito a traumi e/o ad interventi chirurgici. In questi casi la diagnosi può non essere effettuata nell'infanzia ma solo in età adulta.

Il trattamento del paziente emofilico si fonda essenzialmente sull'infusione del fattore della coagulazione carente, praticata dal paziente stesso, dai suoi familiari o da un operatore sanitario, nell'ambito del cosiddetto trattamento domiciliare. Tale modalità, infatti, consente la massima tempestività di intervento e si associa alla maggiore efficacia della terapia e ad una migliore qualità della vita (*Linee Guida per la terapia sostitutiva dell'emofilia e dei difetti ereditari della coagulazione*, <http://www.aiceonline.it>).

Questo insieme di condizioni rientra, come gruppo con codice RDG020, nell'elenco delle malattie rare presenti nel DM 279/2001. La loro certificazione, che dà diritto alla completa esenzione dalla partecipazione alla spesa per indagini e trattamenti specifici, è di esclusiva competenza del centro autorizzato da delibera regionale. Le sezioni del documento riferite all'analisi della domanda, dell'offerta e dell'utilizzo dei servizi ed alla organizzazione della rete sono, in parte, basate sugli elaborati prodotti da un Gruppo di Lavoro regionale istituito con Determina della Direzione Programmazione del n. 4237 del 17 dicembre 2009.

1. ANALISI DELLA DOMANDA, DELL'OFFERTA E DELL'UTILIZZO DEI SERVIZI

La conoscenza della prevalenza – e delle complicanze – delle varie forme di coagulopatie rappresenta un aspetto fondamentale nella pianificazione e programmazione sanitaria, in particolare per una patologia il cui trattamento richiede un'elevata specializzazione e complessità assistenziale, non priva di importanti ricadute in termini di risorse umane ed economiche.

I dati di letteratura stimano che la prevalenza delle due principali forme di MEC sia pari a 1:5.000 per l'Emofilia A e a 1:30.000 per la B. La malattia di von Willebrand è molto più frequente colpendo 1-2% della popolazione generale, ma solo in una percentuale ridotta manifesta gravità clinica. Applicando queste prevalenze alla popolazione del Lazio si stima un numero di casi attesi di 541 e 90 soggetti, rispettivamente, per le due malattie. In tabella è riportata la distribuzione dei casi attesi per ambito provinciale, con la città di Roma distinta dal resto della provincia e per le quattro MacroAree previste dal Decreto 48/2010.

Province	Pop.residente maschi	Emofilia casi attesi	A Emofilia casi attesi	B Emofilia casi attesi	Totale
Roma città	1316324	263		44	307
Roma Pr.	646343	129		22	151
Viterbo	153840	31		5	36
Rieti	77831	16		3	19
Latina	266891	53		9	62
Frosinone	242765	49		8	57
Macro Aree					
1	703436	141		23	164
2	747821	150		25	174
3	629675	126		21	147
4	623062	125		21	146
LAZIO	2703994	541		90	632

I dati del Registro Nazionale delle Coagulopatie Congenite fornito da AICE (Elaborato Nazionale I semestre 2009) documenta che erano in trattamento nel Lazio 626 persone presso quattro centri :

- Policlinico "Umberto I"- Roma 521
- Policlinico "Gemelli"- Roma 32
- Bambino Gesù -Roma 49
- Ospedale Santa Maria Goretti -Latina 24

Il numero di casi attesi è molto vicino a quello dei casi notificati al registro Nazionale, si può pertanto ritenere che nella regione non ci siano pazienti non seguiti. Va precisato che: dei quattro centri che documentano utenti in carico, solamente due (Policlinico Umberto I e Policlinico Gemelli) sono effettivamente autorizzati con delibera regionale n. 20/2005; va rilevato inoltre che il Policlinico TorVergata, terzo centro con autorizzazione regionale (DGR n.20/2005), non ha utenti in carico.

1.1 Ricoveri

Dai dati del Sistema Informativo Ospedaliero (SIO) del Lazio è possibile conoscere la dimensione numerica delle dimissioni e delle persone dimesse con diagnosi di MEC. E' ovvio che tale descrizione non coglie l'effettiva dimensione del problema, in quanto molta dell'attività assistenziale rivolta a queste persone è svolta in regime ambulatoriale. Di seguito sono riportate alcune statistiche relative ai ricoveri ordinari e in regime di DH, sia in acuzia che in post-acuzia (riabilitazione e lungodegenza medica). I codici ICD9-CM ricercati per l'analisi, in diagnosi principale e secondaria, sono stati: 286.0 "Disturbi congeniti del Fattore VIII"; 286.1 "Disturbi congeniti del Fattore IX"; 286.2 "Carenza congenita del Fattore XI"; 286.3 "Carenza congenita di altri fattori della coagulazione; 286.4 "Malattia di Von Willebrand" .

Nell'anno 2009 le dimissioni in regime ordinario sono state 219 (totale giornate degenza 2188; degenza media 10 giorni) e quelle in DH 460 (totale 1200 accessi, numero medio di accessi 2,6). Fra le 219 dimissioni ordinarie, 33 (15%) avevano il codice di MEC come diagnosi principale, ed al primo posto si colloca il codice 286.3 (45,5%); fra i 460 DH, 413 avevano il codice MEC come diagnosi principale con al primo posto il codice 286.0 (71,4%).

I primi tre reparti di ricovero per le 219 dimissioni ordinarie con diagnosi principale e secondaria di MEC sono stati: ostetricia e ginecologia (n=44), chirurgia generale (n=30) e medicina generale (n=26), mentre per i DH:ematologia (n=389), angiologia (n=18) e oncologia (n=15).

Il totale delle 679 dimissioni sia ordinarie che DH avvenute nel 2009 è riferita a 266 persone, 162 maschi (61%) e 104 femmine (39%) con la seguente distribuzione per età: 0-14, 20,7%; 15-17, 2,3%; 18-39, 33,1%; 40-59, 21,8%, 60+, 22,2%.

1.2 Assistenza Specialistica Ambulatoriale (SIAS)

L'analisi delle prestazioni di specialistica ambulatoriale associate ai codici di esenzione RDGO20 "disturbi della coagulazione" o ai codici di specifici esami permette di descrivere quella parte di attività diagnostica effettuata con il dosaggio dei fattori della coagulazione. Come per i dati sui ricoveri, queste prestazioni non sono direttamente indicative dell'attività svolta dai singoli centri in quanto l'attività diagnostica di laboratorio rappresenta sola una piccola parte dell'attività di presa in carico intesa come gestione del piano di trattamento e delle urgenze/emergenze. Dall'archivio SIAS del 2009 sono state selezionate le seguenti prestazioni: dosaggio dei fattori della coagulazione (cod. 90.64.3), dosaggio degli inibitori dei fattori della coagulazione-anticorpi anti fattore VIII (cod. 90.49.4) e dosaggio fattore vW analisi multimerica (cod 90.64.1). Nell'anno considerato, nel Lazio, sono stati effettuati, rispettivamente per i tre dosaggi, 7.528, 217 e 503 esami. I dati del SIAS ci permettono di effettuare anche una analisi per soggetto, indipendentemente dal numero di prestazioni ricevute. Considerando il codice di esenzione (RDGO20), i soggetti con esenzione per malattia rara erano 1911, mentre quelli che avevano effettuato almeno uno dei tre dosaggi, quindi anche quelli senza codice di esenzione, erano 4946. L'ampio divario fra questi due dati è attribuibile al fatto che molti esami sono effettuati in soggetti con sospetto diagnostico. Considerando solo quelli con codice di esenzione il 3,7% aveva un'età inferiore a 15 anni, il 2,2% 15-17 anni, il 2,4% 18-39, il 43,2% 40-59 anni ed il 50,8% un'età superiore.

1.3 Assistenza farmaceutica

Nella Regione Lazio i dati relativi al consumo e alla spesa farmaceutica nella Regione Lazio sono rilevati e tenuti sotto controllo da:

- un sistema di monitoraggio dell'assistenza farmaceutica territoriale;
- un sistema informativo extraterritoriale (FarmED) per i farmaci erogati in regime di distribuzione diretta gestito direttamente da ASP-LazioSanità;
- un sistema informativo che rileva i consumi e la spesa per i farmaci erogati in nome e per conto (Distribuzione in nome e per conto – DPC, la ASL acquista il medicinale che poi viene distribuito tramite le farmacie aperte al pubblico).

I concentrati dei fattori della coagulazione, utilizzati per il trattamento dell'emofilia, sono farmaci classificati dal prontuario nazionale in classe A, con Nota 2 e rilasciati con Piano terapeutico aggiornato dallo Specialista.

I codici ATC (Classificazione Anatomica Terapeutica) associati alle specialità farmaceutiche utilizzate nel trattamento dell'emofilia e delle malattie emorragiche congenite sono i seguenti: B02BD01 (Fattori della coagulazione IX, II, VII e X in associazione); B02BD02 (Fattore VIII); B02BD03 (complesso protrombinico

attivato bypassante l'attività dell'inibitore anti fattore VIII); B02BD04 (Fattore IX); B02BD05 (Fattore VII); B02BD09 (Eptacog alfa).

Nel 2009 i farmaci per il trattamento dell'emofilia hanno visto essenzialmente due modalità distributive.

Dal 01 gennaio 2009 al 28 febbraio 2009 è stata mantenuta la duplice via, che ha visto esitare 7128 confezioni di farmaco in via convenzionale con una spesa di € 8.023.769 e 3296 confezioni in distribuzione diretta per un importo di € 2.584.158,00.

Dal 01 marzo 2009 è andato a regime l'accordo per la distribuzione dei farmaci per il trattamento dell'emofilia in via esclusiva, con le modalità in distribuzione per conto che prevede una remunerazione alle farmacie per il servizio prestato pari al 5% del prezzo di fustella. In questa modalità sono state esitate 41.608 confezioni di farmaco al costo per la Regione di € 31.916.436,00 a cui va aggiunta la remunerazione alle farmacie per un importo pari € 2.496.460,48 producendo quindi una spesa complessiva di € 34.412.896,48. Gli stessi farmaci qualora fossero stati dispensati in via convenzionata avrebbero prodotto un costo di € 49.929.209,53 per cui il risparmio per la Regione con questa modalità distributiva è stato di € 15.516.313,00.

Complessivamente quindi la spesa per tali farmaci nella Regione Lazio nel 2009 è stata di € 45.020.823,48.

Per quel che concerne il FVIII plasma derivato della ditta Kedrion (Emoclot) ne sono state dispensate 3030 confezioni utilizzando totalmente il prodotto derivante dal plasma in conto lavorazione.

In linea con l'andamento nazionale i farmaci da DNA ricombinante costituiscono il 75% della prescrizione, i plasmaderivati il 25%

Dall'analisi dei piani terapeutici inviati dai centri prescrittori alla ASL RMA, che in qualità di ASL capofila per il progetto regionale DPC ha creato un database per il monitoraggio prescrittivo dei piani terapeutici dei farmaci in oggetto, alla data del 19/01/2010 risultano caricati 333 piani. Il numero dei pazienti in trattamento è di 201 suddivisi per centro prescrittore come indicato nella tabella sottostante

Centro prescrittore	Numero soggetti
Ospedale Policlinico Umberto I	155
Ospedale Gemelli	18
Asl Roma C	1
Ospedale Bambin Gesù	4
Asl Roma G	2
L'Aquila	3
Perugia	1
Firenze Careggi	15

2. ORGANIZZAZIONE DELLA RETE ASSISTENZIALE

Il Decreto Ministeriale n. 279 del 18 maggio 2001, il quale regola l'istituzione della rete nazionale delle malattie rare, individua quale unità del sistema il "Presidio Sanitario" accreditato, inteso come Struttura ospedaliera dove si svolgono attività diagnostiche e terapeutiche. I difetti ereditari della coagulazione, fra cui è compresa l'emofilia, sono inseriti nell'elenco delle malattie rare, di cui all'Allegato 1 del citato Decreto.

I professionisti, che curano le coagulopatie emorragiche congenite, aderiscono all'Associazione Italiana dei Centri Emofilia (AICE) e svolgono da molti anni un'attività di ricerca ed assistenza all'avanguardia a livello internazionale. L'AICE ha recentemente identificato degli standard professionali¹ per i Presidi di cura dell'emofilia (Improve AICE) e avviato la sperimentazione a livello di alcuni centri pilota di un modello di accreditamento professionale.

¹ Programma di Accreditamento Professionale dell'AICE, 1a Edizione 14 novembre 2008.

Il Gruppo Salute della Conferenza Stato Regioni ha recentemente accettato la proposta della Federazione delle Associazioni Emofilici (Fedemo) di avviare un percorso di identificazione dei requisiti minimi tecnici, organizzativi e strutturali dei Centri delle Malattie emorragiche congenite e ne ha affidato il coordinamento al Centro Nazionale Sangue, nell'ambito del percorso di adeguamento dei requisiti strutturali, tecnologici e organizzativi minimi per l'esercizio delle attività trasfusionali previsto dall'Art. 19 della Legge 219/05.

L'emofilia può contare su una rete di Centri di diagnosi e trattamento, fino ad oggi non codificata a livello nazionale, che la differenzia da molte altre patologie rare, dove il focus principale è costituito dalla ricerca di strumenti diagnostici o dove l'assistenza sta compiendo ancora i primi passi. In questo senso, come già avvenuto in molte regioni italiane, l'Emofilia può costituire un valido modello per sperimentazioni organizzative e gestionali nell'ambito delle malattie rare.

Per quanto riguarda le tipologie di prestazioni assistenziali caratterizzate da bassi volumi di attività o da tecnologie elevate, il modello organizzativo di rete clinica integrata che sembra essere il più adatto per rispondere adeguatamente ai bisogni dei malati deve prevedere un Centro di III livello (Hub), Presidi di II livello ("Spoke-II"), e Presidi di I livello di prossimità (Spoke-I). Da un punto di vista assistenziale, il Centro di III livello (Hub) ed i Presidi di II livello (Spoke-II) devono garantire la stessa complessità di prestazioni, il centro Hub si differenzia dal centro Spoke-II per svolgere attività di coordinamento della rete e di formazione per Presidi di I livello, per i servizi territoriali e per i medici di famiglia.

Il Presidio di I livello svolge quelle funzioni assistenziali meno complesse, sia di inquadramento diagnostico che di trattamento, che possono essere erogate il più possibile vicino alla residenza della persona.

Accanto all'organizzazione della rete è essenziale la presenza di un sistema di raccolta dati prospettico che deve essere coordinato o promosso dal Centro di III livello. I dati raccolti devono contenere informazioni sulla patologia e le sue complicanze (emorragie, inibitore, artropatia, infezioni virali) e sui costi del trattamento (farmaci, ricoveri, interventi chirurgici).

La Regione Lazio, implementa un piano di organizzazione dell'assistenza ai pazienti affetti da malattie emorragiche congenite attraverso una rete di strutture le quali, oltre al possesso di standard omogenei di competenza e di organizzazione sul tema specifico, garantiscano:

- una risposta capillare ai bisogni dei pazienti emofilici, con pari opportunità di accesso ai trattamenti di elevata qualità, indipendentemente dal luogo di residenza;
- un'assistenza globale che tenga conto della complessità dei bisogni dei pazienti con MEC in funzione dell'età (complicanze ortopediche, infettive e co-morbosità negli adulti anziani, bisogni psicologici nei bambini e nelle famiglie), del sesso (prevalenza del sesso maschile, complessità clinica nel sesso femminile) e della condizione socio-economica (integrazione sociale e lavorativa, scuola, etc);
- la concentrazione delle attività di alta complessità in pochi Centri di trattamento con adeguato expertise e allo stesso tempo adeguata efficienza organizzativa.

2.1 Caratteristiche dei Presidi di I livello (Spoke-I).

Nel Presidio sono erogate prestazioni di base per la diagnosi e cura delle MEC. E' collocato all'interno di un Ospedale Provinciale con reparto di Ematologia o Centro Trasfusionale.

Collabora con il Presidio Spoke-II e/o con il Centro Hub per garantire omogeneità dei trattamenti e degli standard qualitativi delle prestazioni erogate anche in stretto collegamento con i servizi territoriali prossimi alla residenza della persona.

Funzioni

- Diagnosi di emofilia ed altre malattie emorragiche congenite e acquisite, diagnosi familiare. Diagnostica di laboratorio, mediante laboratorio di coagulazione per l'esecuzione degli esami necessari per la diagnosi iniziale delle malattie emorragiche congenite, ed il monitoraggio della terapia sostitutiva e di eventuali inibitori (in accordo con i requisiti definiti dal Manuale di Accreditamento dell'AICE).
- Counselling genetico di primo livello ai pazienti ed alle famiglie.
- Diagnosi anticorpi inibitori contro il Fattore VIII o IX.
- Valutazione multidisciplinare e sintesi clinica globale.
- Elaborazione del piano terapeutico e del piano di trattamento domiciliare.
- Assistenza di base ai pazienti per la profilassi (primaria, secondaria, chirurgica), il trattamento degli episodi emorragici, il trattamento e monitoraggio delle complicanze.
- Pianificazione e l'organizzazione di check-up periodici a cui sottoporre i pazienti affetti da malattie emorragiche congenite di cui il Presidio garantisce la presa in carico, assicurando l'attivazione di adeguati meccanismi di pianificazione e controllo in collaborazione con il Presidio Spoke-II e/o con il Centro Hub.
- Al fine di assicurare una tempestiva e qualificata presa in carico del paziente in caso di emergenza emorragica, il Centro garantisce la pronta disponibilità o la reperibilità, almeno telefonica 24 ore su 24, di un medico con competenza specifica nel trattamento delle coagulopatie per una prima valutazione del caso e per fornire al paziente, al medico di medicina generale di riferimento o ad altri medici di presidi sanitari del territorio adeguate indicazioni in merito al percorso diagnostico- terapeutico da attivare.
- Identificazione di percorsi per la gestione dell'emergenza in collaborazione con il Presidio Spoke-II e/o con il Centro Hub.
- Identificazione e gestione di percorsi dedicati per il ricovero in ambiente medico e per interventi chirurgici minori e maggiori in degenza ordinaria, in Day-Hospital ed in regime ambulatoriale, dei pazienti affetti da malattie emorragiche congenite.
- Il Presidio garantisce consulenze cliniche ai soggetti che ne facciano richiesta (medici specialisti, medici di medicina generale, reparti del presidio ospedaliero di afferenza e di altre Strutture ospedaliere), in relazione alla tipologia delle prestazioni assistenziali effettuate, per la gestione dei pazienti affetti da malattie emorragiche congenite o acquisite, ricoverati o ambulatoriali, instaurando i necessari rapporti collaborativi.
- Gestione dei prodotti per il trattamento delle malattie emorragiche.
- Organizzazione in collaborazione con il Presidio Spoke-II e/o con il Centro Hub di corsi di formazione per il trattamento domiciliare.
- Informazione, educazione e formazione del paziente e dei suoi familiari.

2.2 Caratteristiche dei Presidi di II livello (Spoke-II)

Il Presidio svolge funzioni di elevata complessità specialistica e multidisciplinare. Il Presidio collabora con il Centro Hub per definire i protocolli dei trattamenti e gli standard qualitativi delle prestazioni erogate ed è in rete con i Presidi di I livello.

Oltre a quanto previsto per il Presidio di I livello, svolge le seguenti funzioni:

- assistenza ai pazienti in tutte le fasi della malattia (diagnosi, cura, check-up periodici, riabilitazione) utilizzando competenze interne ed esterne di elevato livello qualitativo (es: ortopedico, fisiatra, odontoiatra, infettivologo, pediatra, assistente sociale) attivate mediante rapporti di collaborazione strutturati e continuativi;

- reperibilità telefonica 24 ore su 24 da parte di uno staff medico esperto in problemi delle malattie emorragiche per la consulenza alla rete ospedaliera regionale;
- diagnostica di laboratorio di secondo e terzo livello h24 (in accordo con i requisiti definiti dal Manuale di Accreditamento dell'AICE);
- attività diagnostica di eccellenza, tra cui in particolare la diagnostica molecolare prenatale e l'identificazione delle portatrici di emofilia con counselling genetico di II livello;
- attività di raccolta dati.

2.3 Caratteristiche del Centro di III livello (Hub)

Il Centro svolge funzioni di elevata complessità clinica specialistica e multidisciplinare. Dispone di un servizio di Pronto Soccorso ematologico.

Oltre a quanto previsto per il Presidio di II e I livello, svolge le seguenti funzioni:

- coordinamento ed indirizzo dei Presidi della rete per le attività diagnostiche, terapeutiche e riabilitative non solo di tipo ematologico;
- coordinamento delle attività delle Aziende Sanitarie, con particolare riferimento a quelle di competenza dei Medici di Medicina Generale, Pediatri di Famiglia e servizi distrettuali, sul tema specifico dell'assistenza ai pazienti con malattie emorragiche ereditarie;
- ottimizzazione sul territorio regionale delle competenze specialistiche di eccellenza necessarie per la cura globale del paziente emofilico (ortopedico, fisiatra, odontoiatra, chirurgo, infettivologo, pediatra, psicologo, assistente sociale);
- coordinamento dei Corsi di auto-infusione domiciliare;
- supporto ai Presidi di I livello per l'identificazione di percorsi dedicati per il ricovero in emergenza e per la gestione dell'emergenza stessa (rete di emergenza);
- identificazione dei bisogni formativi degli operatori afferenti alla rete, dei medici di medicina generale, dei pediatri di famiglia e degli operatori dei servizi territoriali;
- organizzazione e coordinamento delle attività di formazione;
- promozione e coordinamento, in collaborazione con i Presidi di II e I livello e le Associazioni dei pazienti, di programmi di prevenzione, informazione e formazione rivolti a pazienti, operatori sanitari ed associazioni di volontariato sul tema specifico delle malattie emorragiche congenite;
- supporto tecnico all'Assessorato alla Sanità ed alle Aziende Unità Sanitarie Locali per gli interventi di programmazione regionale in materia;
- raccolta e diffusione di dati epidemiologici sulla prevalenza della malattia, sui percorsi assistenziali e sul ricorso ai servizi ospedalieri e territoriali anche in collaborazione con LazioSanità-Agenzia di Sanità Pubblica.

2.4 Le strutture e tempi di realizzazione della rete

Nella rete (vedi tabella) vengono identificate 7 strutture ospedaliere, di cui una con funzione di centro di coordinamento regionale (Hub), due con funzione di presidio di II livello e 4 con funzioni di I livello di prossimità. Le funzioni diagnostiche assistenziali di elevata complessità sono garantite dal Policlinico Umberto I per le macroaree 1,2 e 3 e dal Policlinico Gemelli per la macroarea 4. Il Presidio di II livello collocato presso l'Ospedale Bambino Gesù svolge una funzione sovra-macroarea per casi pediatrici. Le funzioni di I livello di prossimità non tengono conto delle macroaree ma sono collocate negli ospedali provinciali di Viterbo, Rieti, Latina e Frosinone.

Piano di Riorganizzazione della Rete delle Malattie Emorragiche Congenite

Entro il 31 Ottobre 2010, i Direttori Generali dell'Azienda del Centro Hub, dei Presidi di II livello, ivi incluso l'IRCCS Bambino Gesù, e dei Presidi di I livello dichiarano la conformità del proprio Centro/Presidio ai requisiti contenuti nel presente documento o eventualmente indicano un piano di adeguamento da realizzare entro il 31 dicembre 2010. Le dichiarazioni di rispondenza ai requisiti saranno valutate attraverso un processo di verifica effettuato dagli organi competenti regionali.

Il Coordinamento Regionale della rete è affidato alla Direzione competente dell'Assessorato alla Sanità, con il supporto tecnico scientifico di Laziosanità-ASP.

La funzione di monitoraggio e valutazione della rete è affidato a Laziosanità-ASP, che periodicamente presenta una relazione tecnica alla Direzione della Programmazione e delle risorse del SSR dell'Assessorato alla Sanità.

Tipologia	denominazione	bacino territoriale
Centro III livello	Policlinico Umberto I	Regione (coordinamento) Macroarea 1,2,3 (assistenza)
Presidio II livello	Policlinico Gemelli	Macroarea 4 (assistenza)
Presidio II livello	Ospedale Pediatrico Bambino Gesù	non ha bacino, può seguire casi pediatrici
Presidio I livello	Belcolle-Viterbo	Provincia Viterbo
Presidio I livello	S. Camillo de Lellis-Rieti	Provincia Rieti
Presidio I livello	SM Goretti-Latina	Provincia Latina
Presidio I livello	Umberto I-Frosinone	Provincia Frosinone



