

**Progetto**

ex Accordo Stato-Regioni rep. atti 84/CSR del 20 aprile 2011 per l'utilizzo delle risorse vincolate per la realizzazione degli obiettivi di carattere prioritario e di rilievo nazionale del PSN, Anno 2011

1. Regione proponente: Regione del Veneto

2. Titolo del progetto: Protocolli diagnostico terapeutici e percorsi assistenziali interregionali per gruppi di malattie rare

3. Linea progettuale: linea n. 9 -Malattie Rare

4. Referente

Dr. Renato Rubin - Dirigente Unità Complessa Assistenza Distrettuale e Cure Primarie
Palazzo Molin, San Polo 2514, 30125 Venezia
Tel. 041 - 2793526; Fax 041 - 2793430
renato.rubin@regione.veneto.it

Segreteria regionale Sanità e Sociale
Palazzo Molin, San Polo 2514, 30125 Venezia
Tel. 041 - 2793457; Fax 041 - 2793491
segr.sanita@regione.veneto.it

5. Durata del progetto: 12 mesi

6. Aspetti finanziari:

Costo del Progetto: €3.500.000

Importo assegnato a valere su quota vincolata FSN 2011: €1.826.148

Contesto

La Regione Veneto è da tempo impegnata nello sviluppo e nell'organizzazione di modelli innovativi nell'ambito dell'assistenza alle persone con malattie rare. In questo contesto sono state già realizzate, implementate e mantenute attive la rete dei presidi accreditati per l'assistenza ai pazienti, articolata per specifici gruppi di malattie rare, l'organizzazione delle reti territoriali per la presa in carico delle persone affette, il sistema informativo strutturato per gestire i percorsi assistenziali e contemporaneamente monitorare qualità, appropriatezza e costi delle azioni implementate.

Nonostante il lavoro svolto fino ad ora, rimangono ancora alcuni elementi di criticità del sistema, dipendenti in gran parte dalle caratteristiche intrinseche delle patologie rare. Le malattie rare infatti sono caratterizzate da una enorme frammentazione: questa riguarda il numero stesso delle malattie, le manifestazioni diversificate da paziente a paziente all'interno dello stesso tipo di malattia, i profili dei bisogni assistenziali, spesso molto complessi, richiedenti interventi e prestazioni non sempre compresi nei LEA.

Questo problema si pone in particolare per specifici gruppi di malattie rare. Strumenti quali la definizione di protocolli, in collaborazione con i referenti dei presidi accreditati e dei servizi farmaceutici, il loro inserimento nel sistema informativo, immediatamente accessibile agli utenti della rete di assistenza, ed il monitoraggio di quanto prescritto ed erogato, sono tutti elementi che garantiscono lo sviluppo di un'offerta assistenziale omogenea e razionale e rappresentano la base per la sostenibilità del sistema anche nel futuro. Per alcuni gruppi di patologie la priorità è definire i contenuti di protocolli diagnostico-terapeutici, secondo il metodo dell'Evidence Based Medicine, in modo da specificare i benefici aggiuntivi rispetto ai LEA, da garantire alle persone con malattie rare. Per altri gruppi o singole patologie, spesso già oggetto della formulazione di protocolli, l'obiettivo è ora quello di definire in maniera più ampia il percorso assistenziale

dei pazienti nella sua globalità, coinvolgendo non solo i referenti dei presidi accreditati, ma anche gli altri servizi della rete assistenziale che concorrono a realizzare la presa in carico dei pazienti.

Per la complessità delle azioni da intraprendere spesso l'ambito programmatico ottimale va oltre quello delle dimensioni di una regione media, richiamando così la necessità di interventi coordinati a livello interregionale. A partire dal 2004 la Regione Veneto ha stipulato accordi formali con la Regione Friuli Venezia-Giulia e con le Province Autonome di Trento e Bolzano, per predisporre analoghe politiche nell'ambito dell'assistenza alle malattie rare. Successivamente anche la Regione Emilia-Romagna nel 2006 e la Regione Liguria nel 2009 hanno deliberato una collaborazione stretta con la Regione Veneto nell'area dell'assistenza ai malati rari, che ha portato all'implementazione di un unico sistema informativo ed alla progressiva predisposizione di interventi ed approcci omogenei. Nel 2010, con gli stessi obiettivi sono stati sanciti rapporti di collaborazione formali con la Regione Campania e la Regione Puglia. Nell'ambito di tali rapporti di collaborazione estesa sono considerate prioritarie la predisposizione e la messa a regime di protocolli diagnostico-assistenziali e di percorsi di presa in carico comuni e condivisi da tutte le Amministrazioni coinvolte.

Obiettivi

Obiettivo generale del presente Progetto è quello di predisporre protocolli diagnostico-terapeutici e assistenziali interregionali per le malattie rare, coinvolgenti le Regioni Veneto, PA di Trento e Bolzano, Regione Emilia-Romagna e Liguria.

Obiettivi specifici sono:

- 1) predisporre modalità operative condivise per definire tali protocolli;
- 2) produrre ed attivare concretamente i protocolli e i percorsi per alcuni gruppi di patologie;
- 3) definire i percorsi amministrativi perché i prodotti predisposti si traducano in diritti esigibili da parte dei cittadini con malattie rare residenti nelle Regioni/PA coinvolte;
- 4) creare ed implementare l'infrastruttura informatica a supporto dei protocolli e dei percorsi, al loro monitoraggio e alla loro verifica;
- 5) definire le modalità di formazione ed aggiornamento del personale, indispensabili per la corretta applicazione dei protocolli stessi.

Descrizione Del Progetto

È necessario preliminarmente definire le aree di interesse prioritario per la formulazione dei protocolli e dei percorsi assistenziali per gruppi o singole malattie rare.

Per quanto attiene la definizione di protocolli diagnostico-terapeutici, la priorità è data a quelle malattie che presentano la maggiore discrepanza tra quanto è richiesto dalle esigenze cliniche e assistenziali e quanto è effettivamente compreso nei LEA. Le malattie reumatologiche e i disturbi immunitari contenuti nell'elenco del DM 279/2001 rispondono a queste caratteristiche. Un aspetto importante riguarda poi la possibilità di monitorare quanto effettivamente prescritto ed erogato, tenendo presente che, come conseguenza della rarità di molte di queste patologie, spesso i trattamenti sono prescritti per questi pazienti come *off-label*, cioè fuori indicazione. Il loro monitoraggio assume quindi un valore aggiunto per ottenere, in un ambito territoriale ampio, informazioni di efficacia riferite al loro utilizzo in pazienti con malattia rara.

Per quanto attiene la definizione di percorsi assistenziali, la priorità è data a quelle malattie che, presentando analoghi problemi assistenziali, possono maggiormente beneficiare di percorsi modellati sui profili dei bisogni, anziché essere strutturati in base ad un approccio per singola patologia.

Si intende quindi dare priorità alle malattie rare neuromuscolari, es. distrofie muscolari, SMA e altre malattie analoghe dal punto di vista assistenziale e ad un'altra malattia, la corea di Huntington, che, per la complessità del percorso, dalla diagnosi alla presa in carico, e dei bisogni presentati dal singolo paziente e dalle famiglie coinvolte, merita particolare attenzione dal punto di vista della programmazione di interventi specifici.

Una volta definite le aree di interesse, sarà necessario definire una modalità efficiente di lavoro, che porti alla definizione dei protocolli e dei percorsi stessi. Le caratteristiche che tale modalità dovrà avere sono le seguenti:

- 1) la partecipazione dei principali attori, quali i professionisti coinvolti e le associazioni, in rappresentanza dei pazienti;
- 2) la riproducibilità del metodo e la sua estendibilità ad ambiti contenutistici diversi;

- 3) l'aderenza ai principi dell'evidenza scientifica;
- 4) la capacità di costruire progressivamente una base culturale e di sapere comune tra tutti i professionisti che svolgono una analoga mansione nell'area;
- 5) l'organizzazione per macro-aree di problemi assistenziali e non per tipologia di professionalità o di servizio coinvolto;
- 6) l'efficienza e razionalità, tenuto conto delle rilevanti distanze geografiche che dividono i vari attori del sistema e del costo e difficoltà di prevedere numerose occasioni di incontro e scambio.

Tenuto conto di tutto quanto sopra esposto, si ritiene che la modalità fin d'ora da preferirsi sia quella della costituzione di gruppi di lavoro coinvolgenti i professionisti della rete di assistenza della varie Regioni coinvolte, il cui lavoro potrà avvalersi anche di piattaforme informatiche per la condivisione di materiale ed *expertise*.

Per quanto attiene il contenuto dell'attività di questi gruppi di lavoro, esso riguarderà sostanzialmente la definizione dei trattamenti ritenuti indispensabili e non sostituibili per specifiche patologie comprese nei gruppi sopraindicati, con particolare riguardo a quelli attualmente non inclusi nei LEA. Oltre al problema della definizione di tali trattamenti, sarà necessario considerare, come prodotto del gruppo di lavoro, anche l'individuazione dei percorsi organizzativi che, attraverso le fasi della prescrizione, distribuzione dei trattamenti e loro somministrazione, portino di fatto il paziente ad accedere ai trattamenti previsti nel modo più semplice, con la minore latenza temporale e nella sede più prossima al domicilio.

Affinché quanto predisposto dai protocolli si trasformi in azioni concretamente approntate per il paziente e in benefici realmente esigibili, è necessario che le Regioni coinvolte trovino e sperimentino percorsi amministrativi nuovi che, pur rispettando l'autonomia decisionale di ciascuna Giunta, si basino su procedure e prodotti identici in tutta l'area utilizzando strumenti trasparenti per il paziente. Tali procedure dovranno necessariamente tener conto delle esigenze di controllo della spesa e di equilibrio di bilancio regionale e quindi necessitano di una valutazione preventiva e monitoraggio in itinere, elementi che solo un sistema informativo ad hoc, creato come ulteriore sviluppo dei sistemi di monitoraggio già ora implementati nell'area e definiti come registri delle malattie rare, può consentire.

Per quanto attiene i protocolli terapeutici, si procederà all'identificazione dei prodotti erogabili secondo tre livelli di assistenza: il primo dato dai LEA, il secondo dalle integrazioni regionali disposte dai protocolli stessi, il terzo costituito da erogazioni aggiuntive, a carico dell'Azienda di residenza, eventualmente conferite in considerazione della condizione straordinaria in cui la persona si viene a trovare.

Il sistema di monitoraggio che sarà predisposto dovrà essere in grado di registrare in tempo reale il funzionamento del sistema, il profilo e il costo per l'Amministrazione di ciascuno dei tre livelli di assistenza sopraindicati e la loro declinazione in base alla ASL di residenza, patologia e problema assistenziale presentato, tipo di prodotto, etc.

Per la definizione dei percorsi assistenziali, si procederà in modo analogo che per i protocolli terapeutici, cioè attraverso la creazione di GdL, la definizione dei contenuti specifici secondo l'approccio EBM, la collaborazione con le Associazioni di utenza.

Infine anche l'attività di formazione e aggiornamento del personale dei servizi deve essere considerata come fase fortemente caratterizzante il progetto, e, come tale, appositamente strutturata e prevista.

Particolarmente strategico appare il coinvolgimento nelle attività di formazione dei MMG e dei PLS, riferimenti importanti per la presa in carico dei malati rari. In questo caso l'ampiezza del territorio interessato e la numerosità degli attori coinvolti richiederanno la messa a punto e la sperimentazione di modelli educativi specifici ed innovativi, in primis la formazione a distanza. L'obiettivo è che l'informazione sui protocolli e sui percorsi assistenziali diventi veicolo di aggiornamento e strumento di modifica, laddove opportuno, delle prassi assistenziali.

Fasi e tempi delle azioni previste (cronogramma)

Azione 1 definizione del metodo di lavoro ed identificazione dei componenti i gruppi. In questa fase verranno identificati e predisposti le modalità e gli strumenti per il lavoro dei gruppi. In particolare saranno realizzati le infrastrutture, i prodotti e gli applicativi informatici necessari per il lavoro a distanza; definiti i compiti delle unità di supporto attivate dalle singole regioni coinvolte; identificati i soggetti che dovranno partecipare agli specifici gruppi di lavoro.

Tempo previsto: 2 mesi. Fasi del progetto: da mese 0 a mese 2.

Azione 2 produzione dei protocolli da parte dei gruppi. Questa azione comprende il lavoro dei gruppi suddivisi per competenza (malattie reumatologiche e disturbi immunitari, malattie neuromuscolari, corea di Huntington) per arrivare alla definizione dei relativi protocolli e percorsi. *Tempo previsto: 7 mesi. Fasi del progetto: da mese 2 a mese 8.*

Azione 3 percorsi amministrativi. Verranno analizzati e scelti i percorsi amministrativi da seguire per portare tutte le Regioni coinvolte a predisporre analoghi provvedimenti necessari per rendere esecutivo quanto previsto nei protocolli. *Tempo previsto: 4 mesi. Fasi del progetto: da mese 0 a mese 4.*

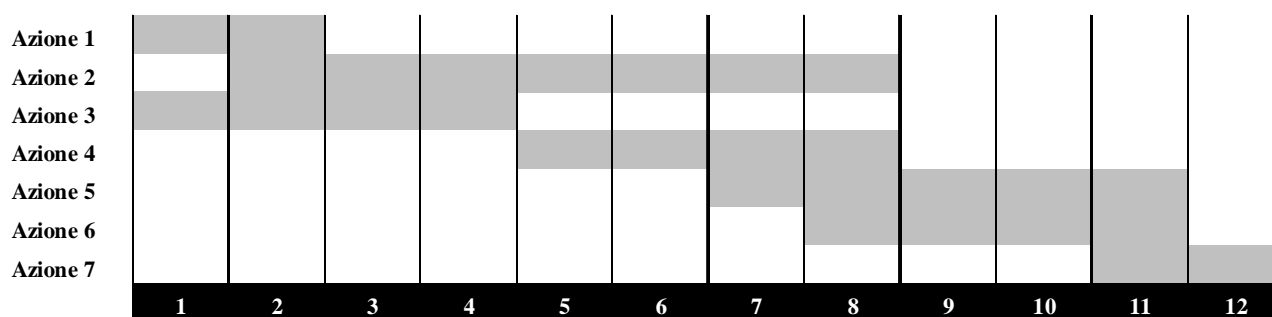
Azione 4 creazione del sistema informativo e delle infrastrutture di monitoraggio. In questa attività si realizzerà l'integrazione degli attuali registri regionali con le diverse tipologie d'utenti, le funzionalità ed i relativi prodotti impliciti nell'applicazione dei protocolli. *Tempo previsto: 4 mesi. Fasi del progetto: da mese 5 a mese 8.*

Azione 5 formazione. Questa azione porterà alla attuazione di corsi di formazione ed aggiornamento di personale coinvolto nell'applicazione dei protocolli, compresi nuclei di MMG e PLS. *Tempo previsto: 5 mesi. Fasi del progetto: da mese 7 a mese 11.*

Azione 6 sperimentazione dei protocolli. Si utilizzeranno i protocolli ed il relativo sistema informativo per seguire i casi di malati rari presenti nel territorio regionale. Durante lo stesso periodo verranno resi disponibili nel sistema informativo i contenuti dei protocolli; lo stesso sarà utilizzato per obiettivi di monitoraggio e valutazione. *Tempo previsto: 4 mesi. Fasi del progetto: da mese 8 a mese 11.*

Azione 7 valutazione dei risultati e stesura della relazione finale. Si elaboreranno gli indicatori di risultato desunti dal sistema di monitoraggio e si provvederà alla stesura di un rapporto tecnico finale. *Tempo previsto: 2 mesi. Fasi del progetto: da mese 11 a mese 12.*

Cronogramma



Risultati attesi

- stesura degli specifici protocolli;
- piattaforma web per lavoro e formazione a distanza;
- provvedimenti regionali per l'integrazione dell'assistenza ai malati rari in specifiche condizioni;
- sistema informativo di monitoraggio delle prescrizioni ai malati rari secondo i protocolli formulati;
- presa in carico omogenea dei pazienti residenti nell'area;
- controllo della spesa e monitoraggio dei costi di assistenza;
- aggiornamento e formazione del personale;

- semplificazione dei percorsi per i pazienti ed abbattimento dei tempi d'attesa per ottenere l'erogazione dei prodotti prescritti.

Indicatori

Indicatori di struttura

- % di presidi accreditati che usano i protocolli;

Indicatori di processo

- Attivazione della piattaforma web per lavoro e formazione a distanza (SI/NO);
- Provvedimenti regionali di integrazione ai LEA (SI/NO);
- % di pazienti con piani assistenziali in cui è previsto l'uso dei protocolli o per i quali si sono strutturati i percorsi assistenziali

Indicatori di risultato

- % malati con piano terapeutico personalizzato e protocolli/malati presenti in Registro;
- Numero di prodotti in commercio all'estero, in commercio in Italia per altre indicazioni, od in fascia C utilizzati con i protocolli per i gruppi di malattia attivati;
- Costo dei protocolli e corrispondente risparmio correlato all'appropriatezza delle prescrizioni;
- Tempo tra prescrizione e disponibilità del prodotto per il paziente;
- Effetti avversi od indesiderati in seguito a piano terapeutico personalizzato e protocolli;
- % malati con piano assistenziale rispetto a quelli potenziali fruitori dei percorsi assistenziali implementati