



ALLEGATOJ alla Dgr n. 1112 del 01 luglio 2014

Progetto

ex Accordo Stato-Regioni rep. atti 13/CSR del 20/02/ 2014 per l'utilizzo delle risorse vincolate per la realizzazione degli obiettivi di carattere prioritario e di rilievo nazionale del PSN, Anno 2013

1. Regione proponente: Regione del Veneto

2. Titolo del progetto: Gestione a distanza delle somministrazioni dei farmaci orfani presso i distretti e gli ospedali tramite il Piano Terapeutico Personalizzato: adattamento della gestione attiva in Regione Veneto per la Regione Emilia Romagna e le PP.AA. di Trento e di Bolzano come attività di cooperazione inter-regionale.

3. Linea progettuale: linea n. 9 Interventi per l'implementazione della Rete per le Malattie Rare e per la promozione della rete nazionale dei tumori rari.
Promozione della rete nazionale dei tumori rari – Prosecuzione ed integrazione delle linee progettuali già avviate in applicazione degli accordi.

4. Referente

Dr.ssa Maria Cristina Ghiotto – Sezione Attuazione Programmazione Sanitaria, Dirigente del Settore Assistenza Distrettuale e Cure Primarie
Tel. 041 – 2793524; Fax 041 – 2793430
mariacristina.ghiotto@regione.veneto.it

Area Sanità e Sociale
Palazzo Molin, San Polo 2514, 30125 Venezia
Tel. 041 - 2793457; Fax 041 – 2793491
protocollo.generale@pec.regione.veneto.it

5. Durata del progetto: annuale

6. Aspetti finanziari

Importo assegnato a valere su quota vincolata FSN 2013: €5.055.059,00

Contesto:

La Regione Veneto, in cooperazione con la Regione Emilia Romagna e le PP.AA. di Trento e Bolzano (insieme ad altre 5 regioni italiane) è da tempo impegnata nell'ideazione, sviluppo ed implementazione di modelli innovativi nell'ambito dell'assistenza e dei percorsi assistenziali dedicati alle persone affette da malattie rare. Già a partire dal 1999, aveva individuato come obiettivo di programmazione sanitaria lo sviluppo di politiche sanitarie rivolte alle malattie rare, istituendo il Registro della Malattie Rare regionale. In seguito, anche grazie all'impulso dato dalla programmazione nazionale con l'emanazione del Decreto Ministeriale n.279 del 2001 (“Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie, ai sensi dell'art.5, comma 1, lettera b) del D.Lgs. 29 aprile 1998 n.124”), è stata definita una rete regionale specifica dedicata alle malattie rare costituita dai Centri di Riferimento individuati dalla Regione, aggiornati poi nel 2004, successivamente all'Accordo di Area Vasta con le Regione Friuli Venezia Giulia e la Provincie Autonome di Trento e di Bolzano. L'obiettivo di tale Accordo è la creazione di un territorio omogeneo per l'assistenza alle persone affette da malattie rare, con definizione di comuni Centri di Riferimento (scelti utilizzando dei criteri oggettivi condivisi), di comuni protocolli farmaceutici

d'integrazione ai LEA nazionali, di utilizzo di un unico e condiviso sistema informativo che supporti le presa in carico della persona malata tra il centro di riferimento (potenzialmente lontano dal suo luogo di vita) e i servizi territoriali di residenza. In particolare, l'utilizzo di un unico sistema informativo, centrato sulla cartella clinica in linea del paziente, che segue il suo percorso assistenziale nei diversi luoghi di cura (Centri di Riferimento e servizi territoriali di residenza) si è dimostrato essere nel tempo il collante principale di tutte le attività svolte, anche da attori diversi e molto lontani fra loro, che ha permesso una vera integrazione dei servizi tra loro, ponendo al centro dell'attenzione il paziente, la sua famiglia e i suoi bisogni assistenziali.

Nel 2007 anche la Regione Emilia Romagna ha acquisito lo stesso sistema informativo e la stessa logica di organizzazione dei percorsi assistenziali delle persone con malattia rara.

Tale sistema informativo è stato oggetto nel tempo di aggiornamenti con la predisposizione e implementazione di nuovi moduli di gestione clinica del paziente. E' attualmente dedicato alla certificazione di malattia rara e rilascio dell'attestato di esenzione, ai controlli clinici e alla definizione del Piano Terapeutico Personalizzato (PTP) con gestione completa della prescrizione, acquisizione e distribuzione dei trattamenti, fino al domicilio della persona, coinvolgendo i Centri di Riferimento, i distretti socio-sanitari, i servizi farmaceutici territoriali e le farmacie ospedaliere. In particolare, il PTP gestisce la prescrizione, acquisizione e distribuzione dei trattamenti necessari al paziente: farmaci orfani, altri farmaci (fascia A, C, H, esteri), farmaci off-label, dietetici, parafarmaci, galenici, dispositivi medici, protesi e ausili.

I farmaci orfani rappresentano pertanto solo una delle opzioni terapeutiche possibili e solo per un gruppo limitato di malattie rare. Essi sono dei prodotti terapeutici con specifica indicazione per una determinata malattia rara. A causa della bassa appetibilità da parte delle aziende farmaceutiche, perché rivolti a malattie con bassissima prevalenza, sono oggetto di tutele particolari da parte della legislazione europea e dei singoli stati. L'autorizzazione all'immissione in commercio è centralizzata a livello europeo dal 2003, svolta dell'EMA attraverso il COMP (Comitato per i prodotti medicinali orfani) che istruisce il parere tecnico sulle richieste, da parte di aziende o singole persone, di assegnazione della qualifica di "medicinale orfano". I prodotti designati come orfani godono di incentivi particolari, come l'esclusività del mercato per dieci anni successivamente alla loro immissione in commercio, l'assistenza nell'elaborazione dei protocolli e nell'iter da compiere per arrivare alla designazione di orfano e all'immissione in commercio. I farmaci orfani sono immessi in commercio anche in "circostanze eccezionali", quando non è ancora completato il percorso di ricerca del farmaco, ad esempio si è conclusa solo la fase II, ma non ancora la III. In questo modo, è possibile il loro commercio quando esiste solo un'ipotesi biologica, ma non ancora un'efficacia clinica certa. Questo porta alla necessità di uno stretto monitoraggio dell'utilizzo di tali farmaci per il controllo della sicurezza dei pazienti, insieme al necessario controllo dell'appropriatezza prescrittiva e dei costi. Nella Regione Veneto la spesa annuale per l'utilizzo dei farmaci orfani è pari a 10 milioni di euro per milione di abitante da sommarsi a 2,5 milioni di euro per utilizzi off-label. Inoltre, da un'analisi effettuata da parte del Coordinamento Malattie rare della Regione, è risultato che i pazienti molto spesso effettuano la somministrazione infusiva di alcuni farmaci orfani presso il centro di Riferimento che li ha in carico, effettuando molti viaggi infrasettimanali (anche di 150 chilometri), con notevoli costi sociali per il paziente e la sua famiglia per il viaggio e per le assenze da scuola a dal lavoro. Ad esempio, si è valutato che 6 pazienti affetti da MPS1 effettuano 31.700 chilometri l'anno per le somministrazioni di Laronidasi presso il Centro di Riferimento. Per tale motivo, la Regione Veneto ha sviluppato, all'interno del sistema informativo già esistente, una sezione che gestisce completamente, anche a distanza, la prescrizione, distribuzione e somministrazione dei farmaci orfani ad alto costo. E' necessario che tale gestione sia ora condivisa ed adattata anche ad altre Amministrazioni che cooperano con il Veneto per le stesse finalità in ordine di buona assistenza alle persone con malattia rara.

Obiettivi:

Obiettivo generale del presente progetto è di sviluppare la possibilità per i pazienti di effettuare la somministrazione dei farmaci orfani presso i distretti socio-sanitari e/o gli ospedali di residenza all'interno del sistema informativo dedicato alle malattie della Regione Veneto, adattandolo anche alle realtà organizzative dei servizi della Regione Emilia Romagna e le PPAA di Trento e Bolzano.

Obiettivi specifici:

1. ridurre i trasferimenti dei pazienti presso i Centri di Riferimento, potenzialmente molto lontani dal loro luogo di vita, evitando costi sociali indiretti;
2. ridurre le liste d'attesa per day-hospital dei Centri di Riferimento per l'attività di somministrazione di farmaci orfani, liberando risorse utili ad altre finalità cliniche;
3. riqualificare l'attività degli ospedali periferici recuperando l'attività sui propri residenti affetti da malattia rara, con la supervisione dei centri di Riferimento;
4. colmare il debito informativo con Registro Nazionale farmaci orfani dell'AIFA direttamente con invio da parte del Registro Malattie Rare della Regione Veneto dei dati necessari;
5. sviluppare la cooperazione tra Amministrazioni regionali e provinciali sul tema delle malattie rare.

Descrizione Del Progetto:

Il sistema informativo dedicato alla presa in carico delle persone con malattia rara nella Regione Veneto è attivo dal 2002 nel Veneto e dal 2007 in Regione Emilia Romagna e PPAA di Trento e Bolzano. Esso è completamente informatizzato e permette la presa in carico, da parte di più attori, della persona affetta da malattia rara, attraverso il collegamento in rete dei Centri di riferimento per le malattie rare, delle Aziende ULSS, dei distretti socio-sanitari, dei servizi farmaceutici e delle farmacie ospedaliere. Tale sistema ha il duplice obiettivo di supportare il percorso clinico della persona nei diversi servizi e luoghi di cura e di fornire preziose informazioni per la programmazione sanitaria regionale.

In questo contesto si colloca il progetto di sviluppo del Piano Terapeutico Personalizzato (PTP), con la condivisione e adattamento del nuovo modulo, attivo in Veneto, che gestisce completamente la somministrazione dei farmaci orfani. In questo modo la somministrazione di tali farmaci sarà effettuata dai Centri di Riferimento (ad esempio all'inizio del trattamento per valutarne gli effetti, la posologia corretta, etc.) o dai Distretti socio-sanitari e/o dalle UOC degli ospedali della Regione e delle PPAA, sotto la supervisione dei Centri di Riferimento che dovranno indicare loro la posologia, la modalità di somministrazione, gli eventuali effetti collaterali e indesiderati, i monitoraggi da eseguire ed effettueranno così un monitoraggio di efficacia e di sicurezza a distanza. In questo modo la somministrazione sarà il più possibile effettuata vicino al luogo di vita della persona e permetterà uno stretto monitoraggio di efficacia e sicurezza del farmaco nella pratica clinica.

Per ogni farmaco orfano sono state predisposte e saranno inserite nel sistema le schede di prescrizione e di monitoraggio. In ogni scheda sono contenuti una serie di parametri di efficacia e di sicurezza specifici per patologia e farmaco ricavati dalle schede tecniche del farmaco e dagli studi presenti in letteratura. Attualmente, il medico prescrittore del Centro di Riferimento prescrive nel PTP, insieme agli altri, i farmaci orfani. Al medico che seleziona un farmaco orfano è richiesto di compilare la scheda di prescrizione riportando gli elementi clinici essenziali che motivino l'inserimento in terapia e la scheda di follow-up farmaco-specifica riportando alcuni specifici parametri di efficacia e sicurezza.

Il modulo da predisporre collegherà la struttura di prescrizione del farmaco con le strutture di erogazione e somministrazione. Contestualmente alla sua prescrizione, il medico prescrittore sceglie

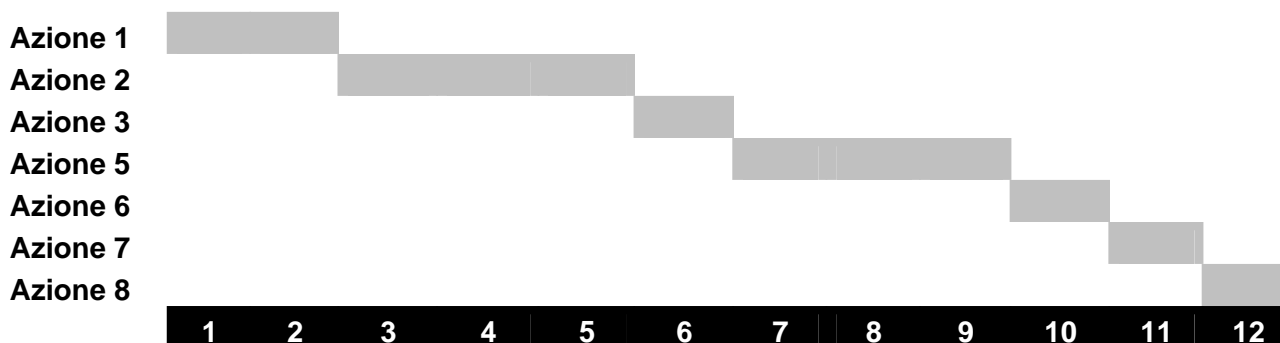
una farmacia ospedaliera per l'erogazione del farmaco (alla quale viene indirizzata via fax la richiesta del farmaco ed autorizzata la visita sul particolare paziente), e potrà impostare direttamente, all'interno dell'applicativo, il percorso più adeguato per la sua somministrazione al paziente, potendo scegliere se la somministrazione dovrà avvenire in ambiente ospedaliero (nello stesso Centro di Riferimento oppure in altra struttura ospedaliera di residenza) oppure a livello territoriale, con il coinvolgimento del Distretto di residenza del paziente, anche nell'eventualità di una somministrazione del farmaco nel contesto di una assistenza domiciliare.

Per tale motivo verranno individuate le strutture ospedaliere più idonee per la presa in carico i pazienti con malattia rara per l'erogazione/infusione dei farmaci orfani. Di questi centri verranno contattati i responsabili e, dopo formazione specifica dello staff dell'UOC, verranno abilitati all'accesso al sistema informatico i medici direttamente coinvolti nella somministrazione dei trattamenti. Per questi operatori verrà creato un modulo dell'applicativo che consente la gestione delle somministrazioni dei farmaci orfani in cui gli utenti abilitati possono indicare la data di somministrazione, i parametri di efficacia e riportare eventuali effetti avversi a breve o lunga distanza. Tutta questa procedura consente al paziente di recarsi al Centro di Riferimento per i controlli ma di svolgere la terapia in sedi più vicine alla residenza con la possibilità di un dialogo "informatico" diretto tra i due centri.

Inoltre, grazie a questo sistema sarà possibile inviare direttamente dal Registro Malattie Rare le informazioni utili a colmare il debito informativo verso il Registro Nazionale Farmaci Orfani dell'AIFA, come definito già dalla Commissione Salute, aumentando la copertura di tale Registro, poiché i dati inviati deriverebbero direttamente dal flusso informativo utile alla gestione clinica del paziente e non da informazioni inserite ex post.

Fasi e tempi delle azioni previste (cronogramma)

- Azione 1** ANALISI FUNZIONALE, SVILUPPO e ADATTAMENTO NUOVO MODULO "SOMMINISTRAZIONE FARMACI ORFANI". Analisi dell'attuale organizzazione della prescrizione-distribuzione e somministrazione dei farmaci ad alto costo e orfani nella Regione Emilia Romagna e nella PPAA di Trento e Bolzano. Adattamento alle singole esigenze locali del modulo "somministrazione farmaci orfani" e suo sviluppo.
- Azione 2** INTEGRAZIONE DEL SISTEMA INFORMATIVO ESISTENTE. Integrazione dell'attuale modulo "PTP" nel sistema informativo dedicato alle malattie rare con il nuovo modulo dedicato alla somministrazione dei farmaci orfani.
- Azione 3** TEST DEL FUNZIONAMENTO DEL NUOVO MODULO E SUE EVENTUALI MODIFICHE.
- Azione 4** CENSIMENTO DELLE UOC DA COLLEGARE E CONTATTO.
- Azione 5** FORMAZIONE. Formazione ed aggiornamento del personale coinvolto nelle UOC censite e dei Distretti socio-sanitari in Regione Emilia Romagna e nelle PPAA di Trento e Bolzano.
- Azione 6** IMPLEMENTAZIONE E SPERIMENTAZIONE. Implementazione del nuovo sistema, sua sperimentazione e monitoraggio.
- Azione 8** VALUTAZIONE DEI RISULTATI E STESURA DELLA RELAZIONE FINALE. Elaborazione degli indicatori di risultato desunti dal sistema di monitoraggio e stesura di una relazione finale.

Cronogramma**Risultati attesi**

- Integrazione del modulo PTP con modulo di somministrazione dei farmaci orfani nel sistema informativo dedicato alle persone affette da malattie rare
- Estensione del sistema informativo per le malattie rare a nuovi attori istituzionali (UOC di tutti gli ospedali della Regione ER e PPAA di Trento e Bolzano)
- Monitoraggio dell'efficacia e della sicurezza postmarketing dei farmaci orfani in tempo reale (non a posteriori)
- Integrazione dei servizi che si occupano dello stesso paziente
- Riqualificazione dell'attività degli ospedali periferici
- Soddisfazione dei pazienti e delle loro famiglie, anche grazie allo svilupparsi di un territorio più ampio dove le scelte sulle malattie rare sono condivise
- Riduzione dei costi sociali indiretti
- Cooperazione e coordinamento tra le 4 Amministrazioni coinvolte

IndicatoriIndicatori di struttura

- % di UOC di ospedali periferici (senza centri di riferimento) e di distretti socio-sanitari collegate al sistema informativo tramite il modulo "somministrazione di farmaci orfani";

Indicatori di processo

- % di medici di UOC di ospedali periferici e di distretti socio-sanitari abilitati ad entrare nel sistema informativo per la somministrazione di farmaci orfani;

Indicatori di risultato

- % di pazienti (sul totale degli eleggibili) che effettuano la somministrazione del farmaco orfano presso l'ospedale vicino alla residenza;