



# Regione Lombardia

## LA GIUNTA

---

DELIBERAZIONE N° XI / 5215

Seduta del 13/09/2021

---

Presidente **ATTILIO FONTANA**

Assessori regionali LETIZIA MORATTI *Vice Presidente*  
STEFANO BOLOGNINI  
DAVIDE CARLO CAPARINI  
RAFFAELE CATTANEO  
RICCARDO DE CORATO  
MELANIA DE NICHILLO RIZZOLI  
PIETRO FORONI  
STEFANO BRUNO GALLI

GUIDO GUIDESI  
ALESSANDRA LOCATELLI  
LARA MAGONI  
ALESSANDRO MATTINZOLI  
FABIO ROLFI  
FABRIZIO SALA  
MASSIMO SERTORI  
CLAUDIA MARIA TERZI

Con l'assistenza del Segretario Enrico Gasparini

Su proposta dell'Assessore Letizia Moratti

Oggetto

DETERMINAZIONI IN MATERIA DI AGGIORNAMENTO DELLA RETE REGIONALE DELLE MALATTIE RARE E APPROVAZIONE DEI REQUISITI SPECIFICI DEI PRESIDII REGIONALI DI RIFERIMENTO PER IL TRATTAMENTO DELL'EMOFILIA E DELLE MALATTIE EMORRAGICHE CONGENITE (MEC) DELLA REGIONE LOMBARDIA

Si esprime parere di regolarità amministrativa ai sensi dell'art.4, comma 1, l.r. n.17/2014:

Il Direttore Generale Giovanni Pavesi

Il Dirigente Matteo Corradin

L'atto si compone di 127 pagine

di cui 120 pagine di allegati

parte integrante



## Regione Lombardia

### LA GIUNTA

---

**VISTO** il D.M. 279/2001 *“Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie”* ai sensi dell'articolo 5, comma 1, lettera b) del decreto legislativo 29 aprile 1998, n. 124”, ed in particolare, l'art. 2, comma 2, che prevede che i presidi della Rete delle Malattie Rare siano individuati tra quelli in possesso di:

- documentata esperienza in attività diagnostica o terapeutica specifica per le malattie o per i gruppi di malattie rare;
- idonea dotazione di strutture di supporto e di servizi complementari;
- servizi per l'emergenza e per la diagnostica biochimica e geneticomolecolare, per le malattie che lo richiedono;

**VISTO** il DPCM 12.1.2017 *“Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all'articolo 1, comma 7, del decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502”* (pubblicato nella G.U. n. 65 del 18-3-2017 - Suppl. Ordinario n. 15) ed, in particolare, l'art. 52 e l'allegato 7, relativi alle malattie rare;

**RICHIAMATA** la DGR n. 1694 del 03/06/2019 recante *“RETI SOCIO SANITARIE: ULTERIORE EVOLUZIONE DEL MODELLO PER L'ATTIVAZIONE E IMPLEMENTAZIONE DELLE NUOVE RETI CLINICO ASSISTENZIALI E ORGANIZZATIVE”* che, tra l'altro, stabilisce che lo strumento idoneo per l'indirizzo e il governo delle Reti è rappresentato dalla strutturazione di un Organismo di Coordinamento per ogni singola rete, che realizzi un'area di raccordo tra il livello programmatico regionale, quello organizzativo gestionale delle Aziende e tecnico-scientifico degli operatori sociosanitari;

**RICHIAMATA** la nota della DG Welfare del 19/10/2020, prot. n. G1.2020.0034779, che ai fini di favorire l'evoluzione della rete dell'emofilia e MEC, convoca un Tavolo multidisciplinare di specialisti per approfondire tematiche sia di rilievo clinico-scientifico, che aspetti organizzativi, per l'implementazione della rete specialistica nel più vasto ambito della Rete delle Malattie Rare;

**RICHIAMATA** la DGR n. 3711 del 26.10.2020 *“Aggiornamento della rete regionale delle malattie rare”* nella parte in cui prevede che, a seconda dell'attività svolta dal singolo Centro di riferimento per le malattie rare e dell'Ospedale nel quale il Centro è operativo, un'attività su più livelli. Tale organizzazione dovrà essere declinata anche nei diversi PDTA che saranno periodicamente aggiornati, prevedendo che alcune specifiche attività, a garanzia di un più alto livello di appropriatezza e sicurezza per il paziente, possano essere autorizzate dalla D.G. Welfare solo e unicamente in alcuni Centri della rete che esprimono specifiche



## Regione Lombardia

### LA GIUNTA

---

caratteristiche organizzative, competenze e volumi di attività;

**PRESO ATTO** che l'Associazione Italiana Centri Emofilia (AICE), società scientifica annoverata nell'elenco del Ministero della Salute (2018), prevede i seguenti obiettivi principali da realizzare nel triennio 2021-2023:

- migliorare la multidisciplinarietà dell'assistenza;
- garantire l'accesso alle cure più innovative;
- assicurare l'inserimento sociale e lavorativo del paziente;
- sostenere la ricerca scientifica;

**DATO ATTO** che il Tavolo di lavoro multidisciplinare per l'evoluzione della rete dell'emofilia e MEC si è riunito il 27.10.2020 e il 29.04.2021 ed ha prodotto il documento *"Requisiti specifici dei Presidi regionali di riferimento per il trattamento dell'emofilia e delle malattie emorragiche congenite (MEC)"*, allegato 1, parte integrante del presente atto;

**PRECISATO** che il suddetto documento si riferisce alla diagnosi e cura di emofilia A e B ereditaria e altre malattie emorragiche congenite (MEC) di rilevanza clinica, quali la malattia di von Willebrand e le malattie rare della coagulazione, ed ha le finalità di:

- garantire ai pazienti assistiti nell'ambito del Sistema Socio-Sanitario Regionale servizi di diagnosi e cura con elevati standard, nonché il continuo monitoraggio delle strutture eroganti mediante un processo di valutazione indipendente (auditing) che assicuri l'implementazione di adeguati livelli di qualità;
- identificare tra i Centri autorizzati al rilascio della esenzione RDG020 (Difetti ereditari della coagulazione) i "Centri Emofilia e MEC" (di seguito indicati CE) quali Centri di riferimento per la diagnosi, la cura e la relativa prescrizione attraverso piano terapeutico di tutti i farmaci registrati per i pazienti con emofilia e MEC;
- strutturare una rete regionale di Centri Emofilia e MEC (CE) distinti in "CE Hub" di alta specializzazione e "CE Spoke", in cui operino specialisti con specifica esperienza nella gestione multidisciplinare dell'emofilia e delle altre MEC, allo scopo di definire percorsi comuni per assicurare la risposta più completa, appropriata ed omogenea ai pazienti nell'ambito di PDTA coerenti con le evidenze scientifiche più aggiornate;

**DATO ATTO** che il suddetto documento è condiviso dai competenti uffici della DG Welfare;



## Regione Lombardia

### LA GIUNTA

**RITENUTO** pertanto di approvare il documento *“Requisiti specifici dei Presidi regionali di riferimento per il trattamento dell'emofilia e delle malattie emorragiche congenite (MEC)”*, allegato 1, parte integrante del presente atto;

**PRECISATO** che i suddetti requisiti si aggiungono a quelli già previsti per i Presidi della Rete regionale delle malattie rare;

#### **RICHIAMATE:**

- la nota regionale prot. G1.2017.0038505 del 20/12/2017 ed il relativo documento allegato *“Malattie rare: definizione di un percorso condiviso per la prescrizione e la fornitura dei trattamenti farmacologici e non farmacologici”*;
- la DGR n. 2672/2019 che, tra l'altro, *“dà mandato alla Direzione Generale Welfare di mettere in atto tutte le azioni necessarie per dare avvio alla distribuzione per conto, entro il primo trimestre del 2020, delle due classi di farmaci quali i farmaci NAO e i farmaci antidiabetici, con riserva di implementare ulteriormente l'elenco dei farmaci in DPC a fronte di eventuali ed importanti trend incrementali legati a specifiche classi terapeutiche”*;
- la nota regionale prot. G1.2020.0027484 del 27/07/2020, che aggiorna l'elenco dei farmaci in DPC;

**PRESO ATTO** che nel documento tecnico *“Dispensazione Medicinali per Pazienti Emofilici”*, agli atti della DG Welfare, i professionisti esperti esprimono le seguenti osservazioni:

- il canale fino ad oggi utilizzato della Distribuzione Diretta da parte delle ASST rimane la scelta migliore ed ottimale per garantire sicurezza, disponibilità ed accesso alle terapie da parte dei pazienti, farmacovigilanza, soprattutto per i nuovi farmaci, economicità del sistema;
- il rapporto diretto tra il Farmacista Ospedaliero delle ASST ed il clinico prescrittore dei Centri di Riferimento per la cura dell'emofilia, facilita la gestione dei medicinali, anche in momenti particolari, e permette un monitoraggio degli effetti e dei costi;
- sarebbe auspicabile l'adozione del modello distributivo dell'ASST Grande Ospedale Metropolitano di Niguarda (ossia la consegna diretta al domicilio del paziente, tramite una rete di corrieri) per tutte le ASST della Regione, uniformando pertanto le modalità in tutto il territorio;
- sarebbe auspicabile che venisse effettuato un Bando regionale di gara per l'assegnazione del servizio di consegna diretta dei farmaci per i pazienti



## Regione Lombardia

### LA GIUNTA

---

emofilici, consegna da effettuarsi a casa o in altro luogo più consono alle esigenze del paziente, con il pieno rispetto della privacy, e tramite il preventivo ritiro dei farmaci da parte dei corrieri presso le ASST di riferimento dei pazienti;

- sarebbe preferibile che il Bando di gara prevedesse un periodo di analisi e valutazione del modello distributivo su alcune ASST, per modificarlo/ottimizzarlo se necessario, prima della sua estensione a tutto il territorio regionale;

**CONSIDERATO** che le suddette osservazioni sono condivisibili in quanto evidenziano che il modello distributivo dei farmaci al domicilio del paziente presenta elementi di sicurezza, disponibilità ed omogeneità di accesso alle terapie sul territorio regionale e maggiore sostenibilità economica;

**RITENUTO**, pertanto, di favorire l'adozione del modello distributivo in argomento ai pazienti emofilici lombardi, dando mandato alla DG Welfare di attivare momenti di confronto e approfondimento sugli aspetti tecnici necessari alla definizione nella programmazione dell'Azienda regionale per l'innovazione e gli acquisti (Aria S.p.A.)" – di cui alla L.R. 2 aprile 2019, n. 6 – della procedura per l'affidamento del servizio di distribuzione a domicilio dei farmaci necessari al trattamento dell'emofilia;

**VISTA** la DGR n. 4690 del 10/05/2021 "*Aggiornamento della Rete regionale delle malattie rare*" ed i relativi allegati;

**EVIDENZIATO** che con nota prot. 0045346 del 30.06.2021 il direttore generale dell'ASST Sette Laghi ha precisato che le candidature per le patologie "RC0080 - LIPODISTROFIA TOTALE" e "RG0010 - ENDOCARDITE REUMATICA", presentate in occasione dell'aggiornamento della Rete regionale delle malattie rare approvata con la citata delibera, si riferivano all'Ospedale F. Del Ponte e non all'Ospedale di Circolo e Fondazione Macchi di Varese;

**RITENUTO** pertanto attribuire le patologie "RC0080 - LIPODISTROFIA TOTALE" e "RG0010 - ENDOCARDITE REUMATICA" all'Ospedale F. Del Ponte anziché all'Ospedale di Circolo e Fondazione Macchi di Varese;

**RITENUTO** conseguentemente di rettificare e aggiornare l'allegato 2 della DGR n. 4690 del 10/05/2021, come previsto dal documento Allegato 2, parte integrante del presente atto;



# Regione Lombardia

## LA GIUNTA

**RICHIAMATA** la citata DGR n. 4690 del 10/05/2021, in particolare nella parte che prevede, allo scopo di garantire che i Presidi già individuati quali centri di riferimento per le singole patologie rare siano effettivamente attivi nel follow up dei pazienti, che:

- verrà effettuata una verifica, in termini di casi inseriti nel Registro Regionale delle Malattie Rare per singola patologia, utilizzando i dati più recenti disponibili;
- in esito a tale verifica si valuterà la permanenza o meno dei Presidi, per le singole patologie, nell'ambito della Rete regionale delle malattie rare;
- detta verifica verrà effettuata anche in un'ottica di razionalizzazione complessiva della Rete regionale delle malattie rare;

**VISTI** i criteri proposti dal Centro di Coordinamento delle malattie rare in relazione al suddetto procedimento, riportati nel documento Allegato 3, parte integrante del presente atto, condivisi dai competenti Uffici della DG Welfare;

**RITENUTO** di approvare i criteri indicati nell'Allegato 3, parte integrante del presente atto;

**RITENUTO** di disporre la pubblicazione del presente atto sul B.U.R.L. e sul Portale di Regione Lombardia ([www.regione.lombardia.it](http://www.regione.lombardia.it));

**VAGLIATE** e fatte proprie le suddette motivazioni;

**All'unanimità** dei voti espressi ai sensi di legge;

### DELIBERA

- 1) di approvare il documento *“Requisiti specifici dei Presidi regionali di riferimento per il trattamento dell'emofilia e delle malattie emorragiche congenite (MEC)”*, Allegato 1, parte integrante del presente atto;
- 2) di precisare che i suddetti requisiti si aggiungono a quelli già previsti per i Presidi della Rete regionale delle malattie rare;
- 3) di favorire l'adozione del modello della distribuzione diretta dei farmaci per i pazienti emofilici lombardi, dando mandato alla DG Welfare di attivare momenti di confronto e approfondimento sugli aspetti tecnici necessari alla definizione, nella programmazione dell'Azienda regionale per l'innovazione



## Regione Lombardia

### LA GIUNTA

---

e gli acquisti (Aria S.p.A.)” – di cui alla L.R. 2 aprile 2019, n. 6 – , della procedura per l'affidamento del servizio di distribuzione a domicilio dei farmaci necessari al trattamento dell'emofilia;

- 4) di rettificare e aggiornare l'allegato 2 della DGR n. 4690 del 10/05/2021, come previsto dal documento Allegato 2, parte integrante del presente atto, attribuendo le patologie “RC0080 - LIPODISTROFIA TOTALE” e “RG0010 - ENDOCARDITE REUMATICA” all'Ospedale F. Del Ponte anziché all'Ospedale di Circolo e Fondazione Macchi di Varese;
- 5) di prevedere, ai sensi della DGR n. 4690 del 10/05/2021, allo scopo di garantire che i Presidi già individuati quali centri di riferimento per le singole patologie rare siano effettivamente attivi nel follow up dei pazienti:
  - di effettuare una verifica, in termini di casi inseriti nel Registro Regionale delle Malattie Rare per singola patologia, utilizzando i dati più recenti disponibili;
  - in esito a tale verifica si valuterà la permanenza o meno dei Presidi, per le singole patologie, nell'ambito della Rete regionale delle malattie rare, sulla base dei criteri indicati nell'Allegato 3, parte integrante del presente atto, che si approvano;
- 6) di disporre la pubblicazione del presente atto sul B.U.R.L. e sul Portale di Regione Lombardia ([www.regione.lombardia.it](http://www.regione.lombardia.it)).

IL SEGRETARIO

ENRICO GASPARINI

Atto firmato digitalmente ai sensi delle vigenti disposizioni di legge