

*Regione Campania***Il Commissario ad Acta**

per l'attuazione del piano di rientro dai disavanzi  
del settore sanitario della Regione Campania  
*Delibera del Consiglio dei Ministri dell'11.12.2015*

**DECRETO n. 34 del 18.05.2016**

**OGGETTO: Recepimento dell'Accordo Stato – Regioni del 16 ottobre 2014 relativo al  
“Piano Nazionale per le Malattie Rare”.**

**PREMESSO:**

- a. che la legge 30 dicembre 2004 , n. 311 recante “ Disposizioni per la formazione del bilancio annuale e pluriennale dello Stato ( legge finanziaria 2005) e, in particolare, l'art. 1, comma 180, che ha previsto per le regioni interessate l'obbligo di procedere, in presenza di situazioni di squilibrio economico finanziario, 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 ad un triennio;
- b. che la Giunta regionale della Campania con deliberazione n. 460 del 20/03/2007 *ha approvato il Piano di Rientro dal disavanzo e di riqualificazione e razionalizzazione del Servizio sanitario Regionale ai fini della sottoscrizione dell'Accordo tra Stato e Regione Campania ai sensi dell'art. 1, comma 180, della legge n. 311/2004”;*
- c. che con deliberazione del Consiglio dei Ministri in data 23 luglio 2009 il Governo ha proceduto alla nomina del Presidente pro tempore della regione Campania quale Commissario ad acta per l'attuazione del piano di rientro dal disavanzo sanitario ai sensi dell'art. 4, comma 2, del DL 1 ottobre 2007, n. 159, convertito con modificazioni dalla L. 29 novembre 2007, n. 222;
- d. che con deliberazione del Consiglio dei Ministri in data 24 aprile 2010 il Presidente pro tempore della Regione Campania è stato nominato Commissario ad acta per il Piano di rientro con il compito di proseguire nell'attuazione del Piano stesso, secondo Programmi Operativi di cui all'art. 1, comma 88 della legge n.191 del 2009;
- e. che con le deliberazioni del Consiglio dei Ministri in data 15 ottobre 2009, 3 marzo 2011, 20 marzo 2012, 29 ottobre 2013 con le quali è stato disposto l'avvicendamento nelle funzioni di sub-commissario ad acta con il compito di affiancare il Commissario ad acta della Regione Campania;

**VISTI** i commi nn.569 e 570 dell'art. 1 della legge 23 dicembre 2014, n. 190 “*Disposizioni per la formazione del bilancio annuale e pluriennale dello Stato (legge di stabilità 2015)*” con cui – in recepimento delle disposizioni di cui all'art. 12 del Patto per la Salute 2014 – 2016 – è stato previsto che “ *La nomina a commissario ad acta per la predisposizione, l'adozione o l'attuazione del piano di rientro dal disavanzo del settore sanitario, effettuata ai sensi dell'articolo 2, commi 79, 83 e 84, della legge 23 dicembre 2009, n. 191, e successive modificazioni, e' incompatibile con l'affidamento o la prosecuzione di qualsiasi incarico istituzionale presso la regione soggetta a commissariamento”;*

**VISTA** la delibera del Consiglio dei Ministri dell'11 dicembre 2015, notificata in data 8 gennaio 2016, con la quale il dott. Joseph Polimeni è stato nominato Commissario ad acta per l'attuazione del vigente Piano di Rientro dai disavanzi del S.S.R campano e con il quale il Dott. Claudio D'Amario è stato nominato Sub Commissario ad Acta; ;

**VISTO** l'incarico prioritario del Commissario ad acta *“di adottare ed attuare i Programmi operativi 2016 – 2018 e gli interventi necessari a garantire, in maniera uniforme sul territorio regionale, l'erogazione dei livelli essenziali di assistenza in condizioni di efficienza, appropriatezza, sicurezza e qualità, nei termini indicati dai Tavoli tecnici di verifica, nell'ambito della cornice normativa vigente”* ;

#### **VISTO**

- a. l'art. 2 comma 1, lett. B) e l'art. 4 comma 1 del D.Lgs 28 agosto 1997, n. 281, che attribuiscono alla Conferenza Permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome di Trento e Bolzano il compito di promuovere e sancire accordi tra Governo e Regioni, in attuazione del principio di leale collaborazione, al fine di coordinare l'esercizio delle rispettive competenze e svolgere attività di interesse comune;
- b. l'accordo Rep. Atti n. 140/CSR sancito in data 16 ottobre 2014 tra il Governo, le Regioni e le Province autonome di Trento e Bolzano sul documento recante “Piano Nazionale per le Malattie Rare (PNMR)”;

#### **RITENUTO** necessario:

- a. contribuire al miglioramento della tutela assistenziale delle persone con malattie rare, anche attraverso l'ottimizzazione delle risorse disponibili;
- b. ridurre il peso della malattia sulla singola persona e sul contesto sociale;
- c. rendere più efficaci ed efficienti i servizi sanitari in termini di prevenzione e assistenza, assicurando equità di accesso e riducendo le disuguaglianze sociali;
- d. sistematizzare a livello regionale le iniziative e gli interventi nel campo delle malattie rare al fine di rendere più omogeneo il processo diagnostico-terapeutico;
- e. affermare la necessità di una progressiva transizione verso un modello del sistema integrato, secondo un disegno di rete “multicentrica”, che valorizzi sia il ruolo specialistico, sia tutti gli attori dell'assistenza primaria;
- f. individuare gli ambiti da implementare e le iniziative da adottare nei settori della ricerca, della formazione e dell'informazione;
- g. promuovere le attività di monitoraggio, potenziando le azioni del registro regionale;

**RITENUTO**, pertanto, di dover procedere al formale recepimento dell'Accordo Stato-Regioni – Rep. Atti n.140/CSR del 16/10/2014 relativo al “PIANO NAZIONALE PER LE MALATTIE RARE (PNMR)” (allegato 1);

#### **DECRETA**

1. di recepire l'Accordo tra il Governo, le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano, Rep. Atti n.140/CSR, sancito in data 16 ottobre 2014 sul documento “Piano

- Nazionale per le malattie rare (PNMR)” allegato al presente provvedimento quale parte integrante e sostanziale (allegato 1);
2. di demandare alla Direzione Generale Tutela della Salute i successivi adempimenti di competenza;
  3. di disporre che il presente atto sia pubblicato sul BURC.

Il Funzionario estensore  
Dr.ssa Barbara Morgillo

Il Dirigente della UOD 03  
Dr.ssa Simonetta de Gennaro

Il Direttore Generale Tutela  
della Salute e CSS  
Avv. Antonio Postiglione

Il Sub-Commissario ad Acta  
Dott. Claudio D'Amario

Il Commissario ad Acta  
Dott. Joseph Polimeni

*Presidenza del Consiglio dei Ministri***CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI  
TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME  
DI TRENTO E DI BOLZANO**

Accordo, ai sensi degli articoli 2, comma 2, lett. b) e 4, comma 1 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e di Bolzano sul documento " Piano nazionale per le malattie rare (PNMR)".

Rep. Atti n. 146/csr del 16 ottobre 2014

**LA CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE  
AUTONOME DI TRENTO E BOLZANO**

Nella odierna seduta del 16 ottobre 2014:

VISTI gli articoli 2, comma 2, lett. b) e 4, comma 1 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, che affidano a questa Conferenza il compito di promuovere e sancire accordi tra Governo e Regioni, in attuazione del principio di leale collaborazione, al fine di coordinare l'esercizio delle rispettive competenze e svolgere in collaborazione attività di interesse comune;

VISTO il decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502 e successive modificazioni, che stabilisce che siano realizzati programmi a forte integrazione fra assistenza ospedaliera e territoriale, sanitaria e sociale, con particolare riferimento all'assistenza per patologie croniche di lunga durata;

VISTO l'articolo 5 del decreto legislativo 29 aprile 1998, n. 124, che prevede l'individuazione delle malattie rare per le quali è riconosciuto il diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo per le prestazioni di assistenza sanitaria correlate;

VISTO il decreto 18 maggio 2001, n. 279, e successive modificazioni, recante "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, lett. b), del decreto legislativo 29 aprile 1998, n. 124", che individua le malattie rare che danno diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni sanitarie correlate, prevede l'istituzione della Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare, l'attivazione del Registro nazionale presso l'Istituto superiore di sanità e altre specifiche forme di tutela a favore delle persone affette da malattia rara, con particolare riguardo alla disponibilità di farmaci orfani ed all'organizzazione dell'erogazione delle prestazioni di assistenza;

VISTO il decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri 29 novembre 2001, recante: "Definizione dei livelli essenziali di assistenza" e successive modificazioni e integrazioni, pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale 8 febbraio 2002, n. 33;

VISTO il decreto del Presidente della Repubblica 7 aprile 2006, recante Piano sanitario nazionale 2006-2008, pubblicato nel Supplemento Ordinario della Gazzetta Ufficiale n. 139 del 17 giugno 2006, che fissa gli obiettivi da raggiungere in materia di malattie rare e gli interventi da realizzare per potenziare la tutela delle persone affette, con particolare riguardo alla diagnosi e trattamento, alla



*Presidenza del Consiglio dei Ministri***CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI  
TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME  
DI TRENTO E DI BOLZANO**

ricerca, al miglioramento della qualità della vita, alla realizzazione di programmi di informazione e all'acquisizione di farmaci specifici;

VISTO il proprio Atto, rep. n. 103/CSR del 10 maggio 2007, con il quale è stato sancito accordo sul riconoscimento di Centri di Coordinamento regionali e/o interregionali che favoriscano il lavoro in rete dei Presidi regionali per le malattie rare ed impegna le Regioni ad istituire i Registri regionali o interregionali e ad alimentare il Registro nazionale delle malattie rare;

VISTA il proprio Atto, rep. n.82/CSR del 10 luglio 2014, con il quale è stata espressa intesa concernente il nuovo Patto per la salute per gli anni 2014-2016;

VISTA la lettera pervenuta in data 12 maggio 2014, diramata in data 13 maggio 2014, con la quale il Ministero della salute ha inviato, ai fini del perfezionamento di un apposito accordo in Conferenza Stato-Regioni, il documento indicato in oggetto;

RILEVATO che, nel corso della riunione tecnica, svoltasi in data 20 maggio 2014, la Regione Veneto, Coordinatrice interregionale in sanità, ha consegnato un documento contenente talune osservazioni alla seconda parte del testo in esame che, con nota del 22 maggio 2014, è stato diramato alle Amministrazioni interessate;

VISTA la nota in data 6 agosto 2014, diramata in data 19 agosto 2014, con la quale la Regione Veneto, Coordinatrice della Commissione salute, ha trasmesso la versione del documento in oggetto che recepisce le citate osservazioni delle Regioni e delle Province autonome, previamente concordate con il Ministero della salute e con l'AIFA;

VISTA la lettera in data 1 ottobre 2014, diramata in data 8 ottobre 2014, con la quale il Ministero dell'economia e delle finanze ha trasmesso un documento di osservazioni in merito al documento di cui trattasi;

VISTA la lettera del 9 ottobre 2014, diramata in data 10 ottobre 2014, con la quale il Ministero della salute ha inviato la versione definitiva della proposta di accordo indicata in oggetto, che recepisce le predette osservazioni del Ministero dell'economia e delle finanze;

VISTA la nota in data 15 ottobre 2014, con la quale la Regione Veneto, Coordinatrice interregionale in sanità, ha comunicato l'assenso tecnico sul provvedimento in parola;

ACQUISITO nel corso dell'odierna seduta l'assenso del Governo e dei Presidenti delle Regioni e delle Province autonome di Trento e di Bolzano;

**SANCISCE ACCORDO**

tra il Governo, le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano, ai sensi degli articoli 2, comma 2, lett. b) e 4, comma 1 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, nei seguenti termini:

Considerati:

*Presidenza del Consiglio dei Ministri***CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI  
TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME  
DI TRENTO E DI BOLZANO**

- la Decisione n. 1295/1999/CE del 29 aprile 1999 del Parlamento europeo e del Consiglio, che ha adottato un programma di azione comunitaria 1999-2003 sulle MR con gli obiettivi di migliorare le conoscenze scientifiche sulle MR e creare una rete europea d'informazione per i pazienti e le loro famiglie, formare ed aggiornare gli operatori sanitari per migliorare la diagnosi precoce, rafforzare la collaborazione internazionale tra le organizzazioni di volontariato e quelle professionali impegnate nell'assistenza e sostenere il monitoraggio delle MR negli Stati Membri;
- la Decisione della Commissione 2004/192/EC del 25 febbraio 2004 su "*Community action in the field of public health*" 2003-2008 che ha istituito la *Rare Diseases Task Force (RDTF)* presso la Direzione Generale Salute e Consumatori dell'Unione Europea (*EU - DG Health and Consumer*), con il compito di assistere la Commissione europea (CE) nella promozione delle migliori strategie per la prevenzione, la diagnosi ed il trattamento delle MR, con particolare riguardo al miglioramento dell'informazione sulla diagnosi, lo screening, il trattamento e la cura delle MR, alla promozione di reti di centri esperti per la diagnosi e cura delle MR, alla promozione della sorveglianza e della disponibilità di dati epidemiologici di elevata qualità e confrontabili a livello europeo, alla promozione dello sviluppo di sistemi di classificazione e codifica internazionale delle MR, anche in collaborazione con l'Organizzazione Mondiale della Sanità (OMS), e alla promozione della diffusione di buone pratiche cliniche per migliorare la qualità della vita delle persone con MR;
- la Raccomandazione del Consiglio dell'Unione Europea dell'8 giugno 2009 che ha invitato gli Stati Membri ad elaborare e adottare, preferibilmente entro il 2013, nel quadro dei propri sistemi sanitari e sociali, piani e strategie nazionali per le MR, al fine di assicurare che le MR siano adeguatamente codificate e rintracciabili in tutti i sistemi informativi sanitari, incentivare la ricerca sulle MR, individuare centri esperti nel proprio territorio nazionale entro la fine del 2013 e promuovere la partecipazione di tali centri alle reti europee, sostenere la condivisione, a livello europeo, delle migliori pratiche di diagnosi e assistenza medica, la formazione degli operatori, lo sviluppo di orientamenti europei sui test diagnostici e di screening, consultare i pazienti sulle politiche nel settore delle MR, garantire, in collaborazione con la Commissione, avvalendosi di adeguati meccanismi di finanziamento e cooperazione, la sostenibilità a lungo termine delle infrastrutture create nel campo dell'informazione, della ricerca e dell'assistenza per le MR;
- la Decisione della CE n. 2009/872/EC, 30 novembre 2009 di "Istituzione del Comitato europeo di esperti sulle malattie rare, *European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD)*, in sostituzione della RDTF" con l'obiettivo di coadiuvare la CE nell'elaborazione e nell'attuazione delle azioni comunitarie nel settore delle MR, in collaborazione con gli Stati Membri, le autorità europee competenti in materia di ricerca e sanità pubblica e gli altri soggetti che operano nel settore;
- la Direttiva 2011/24/EU del Parlamento Europeo e del Consiglio del 9 marzo 2011, concernente l'applicazione dei diritti dei pazienti relativi all'assistenza sanitaria transfrontaliera, che contiene specifiche disposizioni volte a favorire attivamente la cooperazione tra gli Stati per quanto riguarda la diagnosi e la cura delle MR;
- le "*Recommendations on Quality Criteria for Centres of Expertise for Rare Diseases in Member States. European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD)*" del 24 ottobre 2011;





*Presidenza del Consiglio dei Ministri*

**CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI  
TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME  
DI TRENTO E DI BOLZANO**

- le *"Recommendations on Rare diseases european reference networks (RD ERNS). European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD)"* del 31 gennaio 2013.
- il decreto legislativo 4 marzo 2014, n. 38, con il quale è stata recepita la Direttiva 2011/24/EU in materia di assistenza sanitaria transfrontaliera, sono stabiliti gli ambiti di applicazione della stessa Direttiva ed istituito il punto di contatto nazionale;
- la Decisione delegata della Commissione (2014/286/UE), relativa ai criteri e alle condizioni che devono soddisfare le reti di riferimento europee e i prestatori di assistenza sanitaria che desiderano aderire a una rete di riferimento europea;
- la Decisione di esecuzione della Commissione (2014/287/UE) che stabilisce criteri per l'istituzione e la valutazione delle reti di riferimento europee e dei loro membri e per agevolare lo scambio di informazioni e competenze in relazione all'istituzione e alla valutazione di tali reti;

Ritenuto necessario:

- contribuire al miglioramento della tutela assistenziale delle persone con malattie rare, anche attraverso l'ottimizzazione delle risorse disponibili;
- ridurre il peso della malattia sulla singola persona e sul contesto sociale;
- rendere più efficaci ed efficienti i servizi sanitari in termini di prevenzione e assistenza, assicurando equità di accesso e riducendo le disuguaglianze sociali;
- sistematizzare a livello nazionale le iniziative e gli interventi nel campo delle malattie rare al fine di rendere più omogeneo il processo diagnostico-terapeutico;
- affermare la necessità di una progressiva transizione verso un modello di sistema integrato, secondo un disegno di rete "multicentrica", che valorizzi sia il ruolo specialistico, sia tutti gli attori della assistenza primaria;
- individuare gli ambiti da implementare e le iniziative da adottare nei settori della ricerca, della formazione e dell'informazione;
- promuovere le attività di monitoraggio, potenziando le azioni del registro nazionale e dei registri regionali;

**SI CONVIENE**

di approvare il "Piano nazionale per le malattie rare" che, Allegato sub A al presente atto, ne costituisce parte integrante. Le Regioni e le Province Autonome di Trento e di Bolzano si impegnano a recepire il documento con propri provvedimenti e a dare attuazione ai suoi contenuti nei rispettivi ambiti territoriali, ferma restando la loro autonomia nell'adottare le soluzioni organizzative più idonee in relazione alle esigenze della propria programmazione.





*Presidenza del Consiglio dei Ministri*

**CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI  
TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME  
DI TRENTO E DI BOLZANO**

All'attuazione del presente Accordo si provvede nei limiti delle risorse umane, strumentali e finanziarie disponibili a legislazione vigente e comunque senza nuovi o maggiori oneri a carico della finanza pubblica. Nessun compenso, indennità, gettone di presenza o rimborso spese è previsto per i componenti del Comitato nazionale di cui al Capitolo 3 del Piano.

  
IL SEGRETARIO  
Antonio Maddeo



IL PRESIDENTE  
Maria Carmela Lanzetta





*Piano Nazionale Malattie Rare 2013-16 / Ministero della Salute*

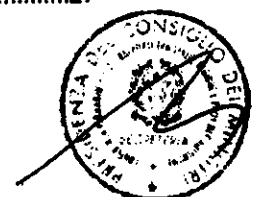
**PIANO NAZIONALE MALATTIE RARE  
2013-2016**



*Piano Nazionale Malattie Rare 2013-16 / Ministero della Salute*

## INDICE

<b>PREMESSA .....</b>	<b>4</b>
<b>1. Contesto Europeo.....</b>	<b>5</b>
1.1 Normativa di riferimento.....	5
1.2 I Centri di expertise (CE) e le European reference networks (ERNs) .....	7
1.2.1. Criteri di designazione e valutazione dei centri di "expertise" e delle reti di riferimento_europee .....	7
1.2.2 Indicazioni sull'istituzione di <i>European Reference Networks</i> (ERNs) .....	8
1.3. Assistenza transfrontaliera.....	8
<b>2. Contesto nazionale.....</b>	<b>10</b>
2.1. Premessa.....	10
2.2. Livelli Essenziali di Assistenza.....	10
2.3. Organizzazione .....	11
2.3.1 Rete Nazionale delle Malattie Rare .....	11
2.3.2 Sistema nazionale di sorveglianza e monitoraggio: il Registro Nazionale Malattie Rare (RNMR), i Registri regionali ed interregionali e il flusso informativo.....	13
2.3.3 Strumenti di coordinamento: il Tavolo congiunto presso la Segreteria della Conferenza Stato-Regioni e il Tavolo interregionale .....	14
2.3.4. Centro Nazionale Malattie Rare (CNMR) .....	15
2.3.5 Codifica .....	15
2.3.6. Registri di patologia e biobanche.....	16
2.4 Percorso diagnostico e assistenziale .....	17
2.5 Strumenti per l'innovazione terapeutica: farmaci (orfani) e legge n. 648/1996 ....	19
2.5.1 Contesto normativo europeo .....	19
2.5.2 Norme per l'erogazione dei farmaci orfani e innovativi nell'ambito del SSN in Italia.....	20
2.5.3 Altri trattamenti per le persone con malattia rara.....	22
2.6 Le Associazioni .....	22
2.7. Ricerca.....	24
2.7.1. La ricerca in ambito europeo .....	25
2.7.2. La ricerca in ambito nazionale .....	25
2.8 Formazione .....	26
2.9. Informazione .....	27
2.9.1. Fonti di informazioni europee .....	27



**Piano Nazionale Malattie Rare 2013-16 / Ministero della Salute**

2.9.2 Fonti di informazioni italiane .....	28
<b>2.10. Prevenzione .....</b>	<b>30</b>
2.10.1. Prevenzione primaria.....	30
2.10.2. Prevenzione secondaria e diagnosi precoce.....	31
2.10.3 Diagnosi prenatale .....	32
<b>3. Obiettivi del piano, le azioni e il monitoraggio .....</b>	<b>34</b>
3.1 Rete .....	34
<b>3.2 Sistema nazionale di sorveglianza e monitoraggio: Registro Nazionale Malattie Rare, Registri regionali, interregionali e flusso informativo .....</b>	<b>35</b>
3.3 Nomenclatura e codifica .....	36
3.4 Percorso diagnostico-terapeutico assistenziale .....	36
3.5 Associazioni/Empowerment.....	37
3.6. Ricerca.....	38
3.7. Formazione .....	39
3.7.1 Professionisti.....	39
3.7.2 Pazienti, caregiver, familiari, volontari .....	39
3.8 Informazione .....	40
3.9 Prevenzione .....	40
3.9.1 Prevenzione primaria.....	40
3.9.2 Prevenzione secondaria .....	41
3.9.3 Diagnosi prenatale .....	41
3.10 Farmaci.....	42
3.11 Sostenibilità economica .....	42



## **AAR) PIANO NAZIONALE PER LE MALATTIE RARE**

Per l'anno 2015 le Regioni devono recepire l'Accordo tra il Governo, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano del 16 ottobre 2014 concernente il Piano Nazionale Malattie Rare.