

REGIONE DEL VENETO

giunta regionale
7^a legislatura

Presidente
V. Presidente
Assessori

Giancarlo	Galan-
Fabio	Gava
Santa	Bressan
Renato	Chisso
Giancarlo	Costa
Marialuisa	Coppola
Marina	Finazzi
Massimo	Giorgetti
Raffaele	Grazia
Antonio	Padoin
Eldiano	Pra
Ermanno	Serajotto
Raffaele	Zanon

Deliberazione della Giunta

n. 3648 del 19 NOV. 2004

Segretario

Antonio Menetto

OGGETTO: Malattie metaboliche ereditarie: avvio della fase sperimentazione di somministrazione della terapia enzimatica sostitutiva, nei confronti dei pazienti veneti, in regime di assistenza domiciliare integrata

Il Vice Presidente – Assessore alle Politiche Sanitarie – Avv. Fabio Gava riferisce quanto segue.

Il D.M. n. 279 del 18 maggio 2001 “Regolamento di istituzione della rete nazionale della malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie”, ha dato avvio ad una politica nazionale sulle malattie rare. Tale politica si sviluppa con la realizzazione di una rete nazionale di monitoraggio ed assistenza dedicata specificatamente a queste peculiari patologie, con l'erogazione di particolari benefici ai pazienti affetti da malattie rare, con il supporto a soggetti pubblici e privati attivi nel campo della ricerca e della realizzazione di nuove tecnologie e prodotti utili per migliorare il decorso delle patologie e con l'attivazione di programmi di formazione per i professionisti e di informazione per l'opinione pubblica.

La Regione del Veneto, con deliberazione n. 741 del 10 marzo 2000, nell'attivare la rete regionale per le attività di diagnosi, cura e riabilitazione per le malattie rare, ha istituito il Centro Regionale di Riferimento per le Malattie Rare con annessi il Registro Regionale per le Malattie Rare ed il Centro di Riferimento regionale per le Malattie Metaboliche Ereditarie (CeMMER).

Successivamente, con deliberazione n. 204 del 8 febbraio 2002 la Giunta Regionale ha individuato, per gruppi di patologia, i presidi regionali di riferimento per le malattie rare abilitati alla certificazione di malattia rara; con circolare del 22 febbraio 2002 ha attivato la procedura informatizzata sulle malattie rare con la quale, attraverso il collegamento tra centri abilitati alla certificazione, Registro regionale per le malattie rare e singola Azienda Ulss di

appartenenza dell'assistito, si è realizzato, a livello regionale, un sistema a rete che coniuga certificazioni, esenzioni e registrazione dei pazienti.

Inoltre con deliberazione n. 2922 del 29 ottobre 2002 e con circolare del 28 giugno 2003 la Giunta Regionale ha provveduto a riorganizzare in ambito regionale la rete di distribuzione e somministrazione di alcuni prodotti dietetici per i soggetti affetti da specifiche patologie rare.

Infine, con deliberazione n. 2706 del 10 settembre 2004, la Giunta Regionale ha approvato l'accordo di collaborazione intitolato "Accordo tra Regione del Veneto, Regione Friuli Venezia Giulia, Provincia Autonoma di Bolzano e Provincia Autonoma di Trento in tema di Malattie Rare".

Da quanto sopra esposto si evince l'attenzione della programmazione regionale sul tema delle malattie rare con particolare riferimento ad un orientamento della programmazione stessa verso una logica di lavoro in rete per la diagnosi, cura e riabilitazione.

Tutto ciò premesso si evidenzia che presso l'Unità Operativa Malattie metaboliche ereditarie dell'Azienda Ospedaliera di Padova vengono erogate prestazioni sanitarie per pazienti affetti da malattie lisosomiali. Quest'ultime sono malattie metaboliche ereditarie che rientrano in un gruppo di malattie recentemente definite per legge malattie rare.

Lo sviluppo della ricerca in questo settore ha consentito una modificazione progressiva del concetto di terapia di questa patologia, non più intesa solo come terapia cronica sostitutiva (dietetica ed in alcuni casi farmacologia) ma come ricerca della completa guarigione della patologia in atto.

In questo ambito si colloca la terapia enzimatica sostitutiva, un'aterapia che si basa sull'infusione endovenosa dell'enzima mancante per le malattie lisosomiali. L'efficacia di questa terapia è stata ampiamente dimostrata dalla letteratura scientifica di questi ultimi anni.

La somministrazione delle terapia enzimatica sostitutiva, nei confronti dei pazienti veneti affetti da tale patologia che risultano attualmente essere circa 15, viene effettuata direttamente dall'Unità Operativa Malattie metaboliche ereditarie.

Come si evince dalla nota del responsabile dell'Unità Operativa Malattie metaboliche ereditarie, da circa due anni tali pazienti, ogni 15 giorni, devono recarsi a Padova, presso l'Unità Operativa, per la somministrazione della terapia, in regime di day hospital. Durante questi anni non si sono mai verificati episodi avversi e l'infusione endovenosa è gestita dal personale infermieristico.

Poiché si tratta di pazienti adulti e con attività lavorativa, tutto ciò comporta un disagio per il paziente il quale non solo deve astenersi dal lavoro ma anche sostenere il disagio dello spostamento. Spesso ciò rende problematica la gestione della terapia stessa.

Pertanto, alla luce delle direttive del Ministero della Salute relative alla riorganizzazione sul territorio dei programmi assistenziali attraverso l'azione coordinata di Centri ad alta qualificazione e l'assistenza domiciliare ed alla luce di alcune esperienze già attuate in Europa, si propone, in via sperimentale, di provvedere alla somministrazione della terapia enzimatica sostitutiva, per infusione endovenosa, presso il domicilio del paziente con l'assistenza di personale infermieristico, afferente all'Azienda Ulss competente per territorio. Il personale, cui spetta il compito di erogare prestazioni in regime di assistenza domiciliare integrata all'interno del territorio regionale, presenta infatti le necessarie professionalità e competenze.

Il Centro Regionale Malattie Metaboliche Ereditarie ha il compito di impostare la terapia e seguire il paziente per i primi sei mesi, effettuando così un monitoraggio clinico e biochimico della malattia e segnalare eventuale effetti collaterali del farmaco. Il Centro Regionale in parola ha inoltre il compito di definire, con le strutture preposte delle Aziende Ulss interessate, le modalità ed i criteri per la continuità assistenziale nonché di garantire l'assistenza medica per quanto riguarda il monitoraggio della malattia e l'assistenza inerente eventuali problemi locali.

Il Responsabile del Centro Regionale Malattie Metaboliche Ereditarie, al termine della fase di sperimentazione di durata corrispondente ad un anno, dovrà presentare alla Giunta Regionale un'apposita relazione sull'andamento dell'attività.

Il Vice Presidente - Assessore alle Politiche Sanitarie - Avv. Fabio Gava, conclude la propria relazione e propone alla Giunta Regionale per l'approvazione il seguente provvedimento.

LA GIUNTA REGIONALE

UDIIO il relatore Vice Presidente - Assessore alle Politiche Sanitarie - Avv. Fabio Gava, incaricato dell'istruzione dell'argomento in questione ai sensi dell'art. 33, comma 2° dello Statuto, il quale dà atto che la struttura competente ha attestato l'avvenuta regolare istruttoria della pratica, anche in ordine alla compatibilità con la vigente legislazione statale e regionale;

VISTO D.M. n. 279 del 18 maggio 2001;

VISTE le deliberazioni della Giunta Regionale n. 741 del 10 marzo 2000, n. 204 del 8 febbraio 2002, n. 2922 del 29 ottobre 2002 e n. 2706 del 10 settembre 2004

DELIBERA

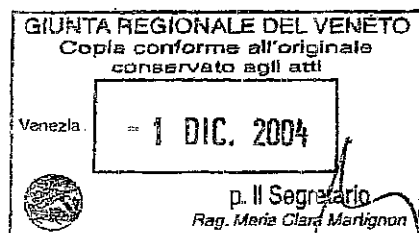
1. Di autorizzare, secondo le modalità espresse in premessa ed in via sperimentale, la somministrazione della terapia enzimatica sostitutiva, nei confronti dei pazienti veneti affetti da patologie lisosomali, in regime di assistenza domiciliare integrata
2. Di incaricare il responsabile del Centro Regionale Malattie metaboliche Ereditarie di presentare alla Giunta Regionale, al termine della fase sperimentale di durata corrispondente ad un anno, un'apposita relazione sull'andamento dell'attività.

Sottoposto a votazione, il presente provvedimento risulta approvato con voti unanimi e palesi.

IL SEGRETARIO
Dott. Antonio Menetto

IL PRESIDENTE
On. Dott. Giancarlo Galan

IL VICE PRESIDENTE
Avv. Fabio Gava




REGIONE DEL VENETO

giunta regionale

Data

16/12/2004

Protocollo N°

822 114/50.08.00.

Allegati N° 1

Oggetto

Malattie metaboliche ereditarie: somministrazione di terapia enzimatica sostitutiva

24 DIC 2004

13916/04/G

 Ai Signori Direttori Generali
 delle Aziende Ulss e
 delle Aziende Ospedaliere
 LORO SEDI

 D1-D2
 Dr. e Verdone
 DA/DS/DSS
 DG

Regione Veneto - Azienda ULSS N. 14 Unità Operativa
28 DIC 2004
Direttore Generale Dr. M. VERONE

 Al Responsabile del Centro Regionale
 Malattie metaboliche ereditarie
 c/o Clinica Pediatrica
 Azienda ospedaliera di Padova
 Via Giustiniani n. 2
 35100 PADOVA

La somministrazione della terapia enzimatica sostitutiva, che si basa sull'infusione endovenosa dell'enzima mancante, a favore dei pazienti veneti affetti da malattie lisosomiali, viene attualmente effettuata presso il Centro Regionale Malattie Metaboliche Ereditarie dell'Azienda Ospedaliera di Padova, in regime di day hospital.

Poiché si tratta di pazienti adulti e con attività lavorativa, il loro trasferimento a Padova, ogni 15 giorni, comporta un notevole disagio.

Alla luce di alcune esperienze già attuate in Europa ed in considerazione del fatto che durante gli ultimi due anni, così come si evince dalla relazione del responsabile del Centro regionale, non si sono mai verificati episodi avversi durante la somministrazione della terapia enzimatica sostitutiva, la Giunta Regionale, con deliberazione n. 3648 del 19 novembre 2004, ha approvato l'avvio della fase sperimentale di somministrazione della terapia stessa.

La fase sperimentale, della durata corrispondente ad un anno, prevede che la somministrazione avvenga presso il domicilio del paziente, con l'assistenza del personale infermieristico afferente all'Azienda Ulss competente per territorio (regime di ADI o ADIMED in base alla gravità clinica).

Il Centro Regionale Malattie Metaboliche Ereditarie ha il compito di impostare la terapia e seguire il paziente per i primi sei mesi, effettuando così un monitoraggio

Direzione Regionale per i Servizi Sanitari

e-mail: serv.sanitari@regione.veneto.it

Segreteria: Tel 041279 1442 - 1443 - 1685 - 1687 Fax 041 279.1683

**REGIONE DEL VENETO**

giunta regionale

clinico e biochimico della malattia e segnalare eventuale effetti collaterali del farmaco. Inoltre ha il compito di definire, con le strutture preposte dalle Aziende ulss interessate, le modalità ed i criteri per la continuità assistenziale nonché di garantire l'assistenza medica per il monitoraggio della malattia ed eventuali problemi locali.

Spetta, inoltre, al Responsabile del Centro Regionale in parola trasmettere alla Giunta Regionale, al termine della fase sperimentale, un'apposita relazione sull'andamento dell'attività.

Nell'inviare, in allegato, copia della DGRV n. 3648/04, si invitano le SS.LL. a dare concreta attuazione a quanto in essa contenuto.

Distinti saluti.

il Dirigente Regionale
DIREZIONE PER I SERVIZI SANITARI
Dott. Tiziano Martello

Giulia Varotto
0412791678

Segreteria:
Tel 041 279 1442
1443
1685
1687
Fax 041 279 1683
1367

Direzione Regionale per i Servizi Sanitari
e-mail: serv_sanitari@regione.veneto.it