

#### D. Lo stato di implementazione delle azioni previste dal Piano Nazionale 2013-2016

Romano Astolfo, Paola Bragagnolo

##### 1. Il livello nazionale

Il Piano Nazionale Malattie Rare 2013 – 2016, dopo un lungo periodo di gestazione avviato con la distribuzione di una prima bozza nel dicembre 2012, è stato adottato con l’approvazione in sede di Conferenza Stato – Regioni del 16 ottobre 2014 e rappresenta a tutt’oggi il quadro unitario di riferimento per la programmazione nel settore delle malattie rare. Alcune Regioni/Province Autonome (n=16, + 4 rispetto al dato della precedente edizione di MonitoRare) hanno successivamente provveduto a recepirlo formalmente attraverso una deliberazione della Giunta Regionale o con Decreto del Presidente della Regione in qualità di commissario *ad acta* per l’attuazione del piano di rientro dei disavanzi del settore sanitario (es. Calabria e Molise).

Figura 1. Il recepimento del PNMR 2013-2016 da parte delle Regioni

REGIONE	RECEPIMENTO	DATA RECEPIMENTO
ABRUZZO	SI	03-05-2017 (DGR 808 DEL 22.12.2017 e soprattutto DGR 130 del 30.03.2017)
BASILICATA	SI	30-11-2016
CALABRIA	SI	13-07-2016
CAMPANIA	SI	18-05-2016 (DCA n.34 del 18 maggio 2015)
EMILIA-ROMAGNA	SI	23-05-2016
FRIULI VENEZIA GIULIA	NO	
LAZIO	SI	06-08-2015
LIGURIA	SI	08-05-2015
LOMBARDIA	SI	23-12-2014
MARCHE	SI	01-08-2016
MOLISE	SI	30-12-2015
P.A. BOLZANO	SI	06-10-2015 e 03-10-2017
P.A. TRENTO	NO	
PIEMONTE	NO	
PUGLIA	SI	10-02-2015

SARDEGNA	NO	
SICILIA	SI	03-09-2015
TOSCANA	SI	25-05-2015 (probabile incongruenza di data)
UMBRIA	SI	29-12-2015
VALLE D'AOSTA	NO	
VENETO	SI	14-05-2015

Come noto, l'obiettivo principale del PNMR "è lo sviluppo di una strategia integrata, globale e di medio periodo per l'Italia sulle MR, centrata sui bisogni assistenziali della persona e della sua famiglia e definita con il coinvolgimento di tutti i portatori di interesse, tenuto conto delle esperienze già maturate e nel quadro delle indicazioni europee". Prima di passare a considerare puntualmente lo stato di implementazione delle singole azioni previste dal Piano Nazionale 2013-2016, può essere utile provare a verificare lo stato di avanzamento complessivo del PNMR a livello nazionale, tramite i criteri di monitoraggio che sono stati previsti dal piano stesso per le diverse aree di intervento (vedi Figura 2). Fermo restando il problema, già evidenziato nella precedente edizione di MonitoRare, della mancata sistematica definizione dei risultati attesi dal PNMR, da un lato, e della mancata traduzione operativa di alcuni dei criteri di monitoraggio previsti in indicatori, dall'altro, si possono comunque osservare alcuni positivi passi in avanti rispetto all'analoga fotografia realizzata nel 2016. Ci riferiamo in particolare ai contenuti del Decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri del 12 gennaio 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 Gazzetta Ufficiale del 18 marzo 2017, che, fra le altre cose, innova i nomenclatori dell'assistenza protesica (art. 17), dispone l'inserimento nei LEA dello screening neonatale esteso per le malattie metaboliche ereditarie (art. 38 comma 2) e prevede l'aggiornamento dell'elenco delle malattie rare (art. 52 e allegato 7).

#### Tabella **recepimento LEA**

Figura 2.

REGIONE	RECEPIMENTO	DATA RECEPIMENTO
ABRUZZO	SI	22-12-2017
BASILICATA		
CALABRIA		
CAMPANIA	SI	08-08-2017
EMILIA-ROMAGNA	SI	27-03-2017
FRIULI VENEZIA GIULIA	SI	01-06-2017 e 22-09-2017

LAZIO		
LIGURIA	SI	11-09-2017
LOMBARDIA	SI	30-06-2017 e 11-09-2017
MARCHE		
MOLISE	SI	14-09-2017
P.A. BOLZANO	SI	03-10-2017
P.A. TRENTO	SI	16-11-2017
PIEMONTE	NO	
PUGLIA	SI	28-02-2017 e 03-10-2017
SARDEGNA	SI	22-09-2017
SICILIA		
TOSCANA	SI	13-09-2017
UMBRIA	SI	06-09-2017
VALLE D'AOSTA	SI	18-09-2017
VENETO	SI	25-09-2017

Sul versante degli screening, va ricordato che l'anno 2016 ha segnato dei decisi passi in avanti con l'approvazione, prima, della Legge n. 167 del 19 agosto 2016 *"Disposizioni in materia di accertamenti diagnostici neonatali obbligatori per la prevenzione e la cura delle malattie metaboliche ereditarie"* (di cui mancano però ancora alcuni provvedimenti attuativi) e, successivamente, con l'adozione del Decreto del Ministero della Salute del 13 ottobre 2016 *"Disposizioni per l'avvio dello screening neonatale per la diagnosi precoce di malattie metaboliche ereditarie"* per la necessità di dare al contempo piena attuazione alle previsioni di cui all'art. 1 co. 229 della legge 147/2013. Rispetto alle altre aree di intervento il quadro rimane sostanzialmente stabile rispetto all'anno scorso: indicazioni positive si possono trarre sia rispetto al tema dell'accessibilità al farmaco e per l'area dell'informazione relativamente all'esistenza di help-line istituzionali di riferimento per le malattie rare in ambito nazionale, dove è presente il CNMR-ISS con il Telefono Verde Malattie Rare a cui si affiancano le numerose help-line promosse attraverso i Centri di Coordinamento Regionale delle Malattie Rare in ottemperanza a quanto previsto dell'Accordo Conferenza Stato Regioni del 10 maggio 2007.

Non mancano ovviamente anche alcuni aspetti negativi, in particolare, la mancata istituzione del Comitato Nazionale con il coinvolgimento di tutti gli *stakeholder* di settore. Anche l'area di intervento relativa al "Sistema nazionale di sorveglianza e monitoraggio" e quella collegata

relativa alla “Nomenclatura e codifica” delle malattie rare nei flussi e sistemi informativi presentano luci ed ombre: se da un lato, infatti, l’Orpha-code è implementato e ormai correntemente utilizzato da diversi Registri Regionali delle Malattie Rare (n=7), dall’altro lato in alcuni territori non sono ancora note le informazioni sulla copertura delle rilevazioni regionali né sulla completezza, qualità e affidabilità dell’elaborazione dei dati del RNMR in relazione al panel di indicatori concordato con le Regioni e le P.P.A.A. e il Ministero della Salute.

Si tratta di un quadro chiaramente parziale, non solo per i limiti sopra esplicitati (mancata sistematica traduzione degli obiettivi del PNMR in risultati attesi, da un lato, e mancata operazionalizzazione di alcuni dei criteri di monitoraggio previsti in indicatori), ma anche perché i criteri di monitoraggio non coprono l’intero ambito oggetto di intervento del PNMR. Basti qui citare un esempio relativo all’accessibilità dei farmaci: il Piano, infatti definisce come propri obiettivi “la riduzione dei tempi d’attesa per la disponibilità e l’effettivo utilizzo dei farmaci destinati alla cura delle patologie rare” ma nei criteri/negli indicatori proposti non si trovano riferimenti alla variabile “tempo” che spesso condiziona l’accesso alla terapia farmacologica. Il tempo che decorre dall’Autorizzazione all’Immissione in Commercio (AIC) sancita da AIFA alla effettiva erogazione del farmaco a livello locale, è molto diverso tra regione e regione e può arrivare anche a una differenza di diversi mesi. Un aspetto sul quale sarebbe molto interessante sviluppare un approfondimento per garantire equità di accesso alla cura su tutto il territorio nazionale. Si tratta solo di un banale esempio sui possibili margini di miglioramento dell’impianto di monitoraggio e valutazione del PNMR al quale ci auguriamo che anche i contenuti di MonitoRare possano dare un ulteriore utile contributo per una più completa, chiara ed univoca definizione dei criteri utilizzati per il monitoraggio e la valutazione del Piano e una puntuale definizione degli indicatori (che tenga in considerazione anche alcuni degli indicatori chiave di EUCERD) rispetto ai quali è, inoltre, fondamentale garantire l’accessibilità delle informazioni necessarie al loro calcolo.

Figura 2. Gli indicatori di monitoraggio previsti dal PNMR 2013-2016: confronto 2015-2016

<b>Area di intervento del PNMR</b>	<b>Criterio/Indicatore di monitoraggio</b>	<b>Valore dell’indicatore al 31.12.2015</b>	<b>Valore dell’indicatore al 31.12.2016</b>
3.1 Rete	Il funzionamento della rete in relazione a copertura e capacità di attrazione dei Presidi per la diagnosi di malattie o gruppi di malattie	Informazione non disponibile a livello nazionale ma solo in diverse Regioni <sup>1</sup>	Informazione non disponibile a livello nazionale ma solo in diverse Regioni

1

Alcune regioni da anni procedono ad una valutazione periodica dei presidi della rete regionale delle malattie rare utilizzando dati oggettivi di attività come quelli forniti dal RRMR e anche da altri flussi informativi sanitari. Il processo di individuazione dei centri da candidare per le ERN ha stimolato ad un processo simile anche in altre regioni.

3.1 Rete	La disponibilità di collegamenti funzionali delle strutture/presidi tra loro e con le altre strutture e servizi coinvolti nella la presa in carico dei pazienti	Informazione non disponibile a livello nazionale	Informazione non disponibile a livello nazionale
3.2 Sistema nazionale di sorveglianza e monitoraggio: Registro Nazionale Malattie Rare, Registri regionali, interregionali e flusso informativo	Copertura delle rilevazioni regionali e interregionali e della completezza e qualità dei dati inviati al RNMR	Informazione non disponibile a livello nazionale ma solo in diverse Regioni	Informazione non disponibile a livello nazionale ma solo in diverse Regioni
3.3 Sistema nazionale di sorveglianza e monitoraggio: Registro Nazionale Malattie Rare, Registri regionali, interregionali e flusso informativo	Completezza, qualità e affidabilità dell'elaborazione dei dati del RNMR in relazione al panel di indicatori concordato con le Regioni e le P.P.A.A e il Ministero della Salute	Informazione non disponibile a livello nazionale ma solo in diverse Regioni	Informazione non disponibile a livello nazionale ma solo in diverse Regioni
3.3 Nomenclatura e codifica	Sperimentazione dell'utilizzo dell'Orpha-code in alcuni flussi informativi sanitari correnti e in alcune aeree regionali o di Provincia autonoma	Orpha-code utilizzato in 6 Regioni/Province Autonome	Orpha-code utilizzato in 7 Regioni/Province Autonome
3.4 Percorso diagnostico-terapeutico assistenziale	Aggiornamento dell'elenco MR allegato al. DM n. 279/2001	Schema di DPCM approvato dalla Conferenza delle Regioni e delle Province Autonome (7 luglio 2016). In attesa approvazione MEF	DPCM approvato in data 12 gennaio 2017
3.4 Percorso	Aggiornamento dei LEA con	Schema di DPCM	DPCM approvato

diagnostico-terapeutico assistenziale	particolare riguardo ai bisogni assistenziali dei malati rari	approvato dalla Conferenza delle Regioni e delle Province Autonome (7 luglio 2016). In attesa approvazione MEF	in data 12 gennaio 2017
3.5 Associazioni /Empowerment	Partecipazione formale dei rappresentanti delle associazioni dei malati in attività di programmazione nazionale e regionale in materia di MR	Non prevista a livello nazionale. Rappresentanti associativi delle persone con malattia rara presenti in 14 organismi di partecipazione a livello regionale	Non prevista a livello nazionale. Rappresentanti associativi delle persone con malattia rara presenti in 15 organismi di partecipazione a livello regionale
3.6. Ricerca	Numero di nuovi progetti di ricerca sulle malattie rare finanziati da Ministero e Regioni, AIFA, ISS, Agenas	167 sperimentazioni cliniche sulle malattie rare (dato AIFA)	160 sperimentazioni cliniche sulle malattie rare (dato AIFA)
3.6. Ricerca	Adozione di modalità di collaborazione con ANVUR per le informazioni relative allo specifico ambito delle MR	Informazione non disponibile	Informazione non disponibile
3.7. Formazione	Numero dei corsi ECM, inclusi i corsi accreditati a livello europeo, dedicati alle malattie rare (da attività ECM)	40 (parole chiave: malattia/e rara/e)	42 (parole chiave: malattia/e rara/e)
3.8 Informazione	Numero di help-line istituzionali esistenti in ambito nazionale	1 nazionale (TVMR) 15 dei Centri di Coordinamento regionali MR	1 nazionale (TVMR) 15 dei Centri di Coordinamento regionali MR

3.9 Prevenzione	Aumento delle diagnosi alla nascita di malattie per le quali sia disponibile il trattamento, da selezionare in base al codice ICD9-CM univoco e rilevabile dai flussi SDO	Informazione non disponibile	Informazione non disponibile
3.10 Farmaci	Numero dei farmaci orfani autorizzati in ambito europeo disponibili nel territorio nazionale	66 (su 87)	71 (su )
3.10 Farmaci	Numero dei farmaci introdotti nell'elenco allegato alla Legge n. 648/1996	27	27
3.11 Sostenibilità economica	Non previsto	-	

## Il livello regionale

Rispetto alle singole azioni previste per ciascuna delle aree di intervento del PNMR 2013-2016, grazie alla preziosa, puntuale e tempestiva collaborazione dei Centri di coordinamento regionale per le malattie rare<sup>2</sup>, si è operato un approfondimento per verificarne lo stato di implementazione. Prima di addentrarci nella lettura dei risultati è doveroso ricordare che il PNMR 2013-2016 è uno strumento di programmazione “senza portafoglio”<sup>3</sup>: il compito che attendeva le istituzioni coinvolte nell’attuazione del PNMR era quindi improbo in partenza. Difficile ipotizzare, infatti, di riuscire ad attivare processi di trasformazione della portata di quelli contenuti nel PNMR in una logica iso-risorse. Tale obiettivo è chiaramente ancora più arduo per le Regioni in Piano di rientro, in quanto i risparmi eventualmente conseguiti sul fronte della spesa sanitaria non possono essere allocati a sostegno degli interventi extra LEA.

---

2

Al Centri di coordinamento regionale per le malattie rare è stata inviata una scheda di rilevazione per monitorare lo stato di attuazione delle azioni di competenza previste dal PNMR 2013-2016 alla quale hanno risposto tutte le Regioni ad eccezione di Calabria e Molise (per quest’ultime regioni vengono presentati i dati inseriti nella precedente edizione di MonitoRare).

3

Come recita, infatti, il par. 3.11 “Sostenibilità economica” del PNMR 2013-2016: *“il presente Piano non è supportato dallo stanziamento di specifiche risorse, sia in considerazione delle modalità ordinarie del finanziamento del SSN, sia a causa della difficile e ancora attuale contingenza economica”*.

Le pagine che seguono, illustrano le azioni realizzate nelle diverse Regioni dalla data di adozione del PNMR 2013-2016 in sede di Conferenza Stato – Regioni (16.10.2014) al 31.12.2016<sup>4</sup>. Le azioni sono presentate distintamente secondo le aree di obiettivo del PNMR<sup>5</sup>. Lo stato di attuazione delle azioni è stato distinto secondo i seguenti quattro progressivi livelli:

1. non ancora affrontata, nel caso in cui l'azione in questione non sia ancora stata inserita fra i temi in discussione a livello regionale;
2. in fase di discussione, nel caso in cui l'azione in questione sia entrata nell'agenda dei temi da affrontare ma non abbia ancora esitato in un provvedimento formale né sia già stata implementata;
3. approvata/in fase di avvio, nel caso in cui l'azione in questione sia stato oggetto di un provvedimento formale di approvazione e/o sia in fase di avvio dell'implementazione;
4. realizzata/in corso, nel caso in cui l'azione in questione sia già stata realizzata o sia attualmente in corso di implementazione.

Per facilitare il confronto con la situazione “fotografata” nella precedente edizione di MonitoRare (aggiornata al 31.12.2015), le modifiche eventualmente intervenute a livello regionale sono evidenziate con un asterisco nel caso vi sia stato un avanzamento di livello<sup>6</sup>. Una prima, semplice, ispezione grafica delle tabelle ritorna un quadro di sostanziale stabilità delle situazioni regionali dentro al quale si innestano diversi avanzamenti nello stato di attuazione delle singole azioni previste dal PNMR, ancorché vada altresì evidenziato che la data considerata – 31.12.2016 – avrebbe dovuto rappresentare anche il termine temporale di riferimento per la chiusura del PNMR, entro il quale avrebbero, quindi, dovuto concretizzarsi tutte le previsioni del Piano.

---

4

Si ricorda che che molti/e degli obiettivi/delle azioni del PNMR sono in parte già stati/e puntualmente descritti/e nei paragrafi precedenti del Rapporto ai quali si rimanda per una trattazione più esaustiva.

5

L'area di intervento relativa alla ricerca (Par. 3.6 del PNMR 2013-20'16) non è stata oggetto di analisi.

6

Non è possibile operare tale confronto per la Regione Liguria e per la Provincia Autonoma di Bolzano in quanto, in ragione dei tempi molto stretti, non hanno potuto collaborare alla precedente rilevazione

Per quanto attiene l'area di intervento relativa alla **"Rete"** (3.1)<sup>7</sup>, si possono notare dei progressivi avanzamenti nello stato di attuazione delle singole azioni previste dal PNMR: in particolare si rileva una maggiore attenzione allo sviluppo di programmi assistenziali in grado di garantire la transizione dall'età pediatrica all'età adulta (ancorché si tratti a volte di prassi non ancora formalizzate come esplicitato dalla Liguria). Tale transizione può essere chiaramente facilitata dalla condivisione del sistema informativo basato su una posizione unica del paziente. Il versante più critico nell'implementazione delle azioni previste per quest'area di intervento si conferma essere quello relativo all'adozione di nuovi strumenti amministrativi per riconoscere e garantire l'adeguata remunerazione delle prestazioni di consulenza a distanza da parte dei presidi/centri di riferimento, peraltro già oggetto dell'Accordo n. 4 Conferenza Stato Regioni del 22 gennaio 2015.

Rispetto all'area di intervento **"Sistema nazionale di sorveglianza e monitoraggio: Registro Nazionale Malattie Rare, Registri regionali, interregionali e flusso informativo"** (3.2), non vi sono particolari cambiamenti rispetto al quadro del 2015 nelle situazioni delle singole regioni. Come già argomentato sopra, non vi sono ancora informazioni ufficiali disponibili in maniera sistematica, ma, dai dati desumibili dai rapporti pubblicati da alcune Regioni e dal CNMR dell'ISS si può osservare come i registri regionali o interregionali delle MR ed il RNMR conseguentemente stiano migliorando la copertura della raccolta dei dati epidemiologici<sup>8</sup>.

Per quanto riguarda l'area di intervento relativa alla **"Nomenclatura e codifica"** (3.3) delle malattie rare si deve registrare un allungamento dei tempi inizialmente previsti per l'azione internazionale di unificazione e standardizzazione della codifica delle malattie rare. Segnali positivi sono, invece, rappresentati dall'utilizzo dell'Orpha-code nel RRMR che comincia ad essere abbastanza diffusa, grazie anche al contributo dell'area vasta che usa il sistema veneto come infrastruttura del RRMR, ma anche di altre Regioni come la Lombardia (dal 2014). Il Centro di coordinamento regionale per le malattie rare del Veneto sta partecipando al work-package 5 della *joint action* europea sulle malattie rare coordinata da Orphanet-Inserm ("RD-ACTION"), finalizzato a promuovere l'utilizzo degli Orpha-code nei sistemi informativi sanitari correnti (es. SDO) che rimane ancora poco praticato, al fine di migliorare la tracciabilità delle persone con malattia rara nei sistemi sanitari, in modo da valutare l'impatto delle MR sulla salute della popolazione e sui sistemi sanitari. Nell'ambito di tale iniziativa, è stato recentemente prodotto il documento *"Standard procedure and guide for the coding with Orphacodes"*, consultabile al sito [www.rd-action.eu](http://www.rd-action.eu). La Regione Veneto guida le azioni di *testing field* delle risorse sviluppate nell'ambito del work-package 5 dell'azione nell'anno 2017-2018.

---

7

La numerazione fa riferimento al relativo paragrafo degli obiettivi del PNMR 2013-2016.

8

I dati del RNMR del CNMR-ISS, ad esempio, indicano un aumento dei casi censiti dai 112.749 al 30.06.2012 ai 198.445 al 31.12.2014

Per quanto riguarda l'area di intervento relativa al "**Percorso diagnostico-terapeutico assistenziale**" (3.4), si registra un progressivo avanzamento delle azioni previste a livello territoriale la cui cartina di tornasole è l'incremento del numero complessivo di PDTA approvati dalle Regioni (vedi Sezione C) par. 3.4), pur con le evidenti diversità dei modelli di riferimento (in termini di contenuti e di logica per singola patologia vs. gruppi di patologie). Da segnalare positivamente anche la maggiore attenzione verso gli interventi di sostegno alla famiglia e/o al caregiver che si prendono cura di persone con malattia rara ad elevata intensità assistenziale, ancorché generalmente in programmi di intervento rivolti più genericamente alle persone con disabilità e/o non auto-sufficienti. Da segnalare comunque anche interventi specifici come quello approvato dalla Regione Umbria nel 2017 con la DGR n.454 del 21/4/2017 avente ad oggetto la sperimentazione temporanea di interventi di assistenza indiretta per favorire la permanenza a domicilio di persone con gravissime patologie invalidanti associate a malattia rara.

Fra gli aspetti che permangono ancora più critici, con peraltro un accentuato gradiente nord-sud, si segnalano la mancata regolamentazione della somministrazione di terapie farmacologiche e non in ambito scolastico<sup>9</sup> e l'assenza di programmi di sollievo presso strutture di degenza competenti non ospedaliere per le persone con malattia rara, aspetto sul quale ci si attende che la Legge n. 112/2016 (cd. "dopo di noi") possa portare a breve un positivo contributo.

Per quanto attiene all'area di intervento "**Associazioni/Empowerment**" (3.5), come già visto nella Sezione C) par. 1.1 sono ormai 14 le Regioni che hanno formalizzato la partecipazione dei rappresentanti delle associazioni dei pazienti in attività di programmazione regionale in materia di malattie rare: generalmente si tratta del coinvolgimento in quello che nella Sezione C) par. 1.2 è stato definito organismo di partecipazione a livello regionale sulle malattie rare o gruppo di indirizzo regionale sulle malattie rare. In metà di queste regioni è stato adottato il principio di rappresentanza per determinare la scelta delle organizzazioni dei pazienti da includere nei processi decisionali. Nel caso dell'Emilia Romagna è, invece, stata formalizzata la partecipazione delle associazioni dei pazienti nelle determine di istituzione dei gruppi tecnici per le diverse malattie rare. Nelle altre Regione la discussione è stata quantomeno avviata, eccezion fatta per le Regioni Abruzzo e Molise dove la questione non è stata ancora affrontata.

Nell'area di intervento relativa alla "**Formazione**" (3.7) si registrano alcuni segnali positivi: innanzitutto il tema delle malattie rare è già stato inserito da parte di 15 Regioni nei contenuti della formazione ECM regionale, spesso attraverso l'organizzazione di corsi da parte direttamente del Centro di Coordinamento Regionale, mentre in altre tre (Liguria, Sicilia e Veneto) ne è stata formalizzata l'approvazione. La distribuzione è sostanzialmente analoga per quanto riguarda l'inserimento del tema delle malattie rare nei piani formativi delle Aziende

sanitarie di ciascuna regione: 13 Regioni vi hanno già provveduto<sup>10</sup>. Interessante segnalare anche l'intervento programmato nel 2016 e realizzato nei primi del 2017 in Veneto, dove si è strutturata un'azione formativa sui futuri MMG, in collaborazione con la Scuola Regionale di Formazione Specifica in Medicina Generale: fra gli obiettivi formare alla cultura del sospetto diagnostico di malattia rara e diffondere la conoscenza sull'organizzazione della rete regionale per le malattie rare. L'aspetto più critico su questo fronte rimane l'ancora scarsa diffusione di sistemi di valutazione dell'efficacia della formazione continua nel modificare le prassi assistenziali dei professionisti. Per quanto riguarda, invece, la formazione rivolta a pazienti, familiari e *caregiver*, rimane confermato l'impegno di oltre la metà delle reti di assistenza regionali o interregionali nella programmazione di azioni tendenti a fornire ai singoli pazienti e loro familiari conoscenze e competenze nella gestione della loro condizione e la formazione delle persone impegnate nell'assistenza al paziente con malattia rara fanno eccezione su entrambi i versanti Abruzzo, Campania, Lombardia e Umbria.

Nell'area di intervento relativa alla "**Informazione**" (3.8), di cui si è già parlato nella Sezione C) par. 1.2, sono 17 le Regioni che dichiarano l'esistenza di una help-line istituzionale propriamente detta a livello regionale sulle malattie rare (es. Veneto, Lombardia, Piemonte, Valle d'Aosta, Friuli Venezia Giulia, Toscana, Lazio, P.A di Trento, Sicilia, Sardegna, Liguria) o comunque di un numero telefonico di riferimento a livello regionale (es. Campania, Emilia-Romagna, Umbria e Molise). A queste regioni si aggiunge anche la Basilicata che risulta in fase di avvio. Permane una situazione di problematicità al riguardo nelle Regioni Abruzzo e Marche.

Rispetto all'area di intervento relativa alla "**Prevenzione**" (3.9), molte cose sono già state dette sopra nella Sezione C) par. 3.2. Ci limitiamo in questa sede ad evidenziare come, fatta eccezione per alcune situazioni puntuali, la stragrande maggioranza delle Regioni avesse già messo in pratica nel 2015 le azioni previste dal PNMR sia per la prevenzione primaria (nel 2016 c'è un avanzamento in particolare della Regione Basilicata), che per la prevenzione secondaria (nel 2016 miglioramento per Basilicata e Puglia) che per la diagnosi prenatale (nel 2016 miglioramento per Basilicata e Marche). La situazione più critica su questa area di intervento rimane quella dell'Abruzzo.

Per l'area di intervento relativa ai "**Farmaci**" (3.10) gli obiettivi del PNMR sono "*la riduzione dei tempi d'attesa per la disponibilità e l'effettivo utilizzo dei farmaci destinati alla cura delle patologie rare*". A livello nazionale valgono le considerazioni svolte nella Sezione c) par. 3.4, mentre a livello territoriale già per il 2015 buona parte delle Regioni aveva dichiarato di aver già proceduto ad approvare o di avere in corso di approvazione misure atte a semplificare e omogenizzare le modalità prescrittive, di approvvigionamento, erogazione e somministrazione dei trattamenti, in linea con le azioni già da tempo attivate su questo fronte. Anche per questa area di intervento si segnala per il 2016 un miglioramento dello stato di avanzamento delle azioni in Basilicata e si conferma la criticità dell'Abruzzo.

L'area di intervento relativa alla **“Sostenibilità economica”** (3.11) rappresenta un altro dei tasti dolenti per quanto riguarda l'implementazione del PNMR, chiaramente determinato dal fatto che non vi sono state risorse specificatamente destinate all'implementazione del Piano (un aspetto che rischia di essere ancora più complesso con l'intervenuta approvazione del DPCM di revisione dei LEA che va ad ampliare la gamma di prestazioni offerte anche nel settore delle malattie rare): 4 Regioni riferiscono di avere avviato sperimentazioni gestionali ed amministrative tendenti a valutare la fattibilità di modalità di remunerazione che considerino la complessità della gestione assistenziale del malato raro nel setting ospedaliero e territoriale; mentre solo il Veneto, dichiara di avere in cantiere lo svolgimento di sperimentazioni gestionali ed amministrative tendenti a valutare la fattibilità di tariffe riguardanti prestazioni specifiche di telemedicina e tele-consulto per le malattie rare (nelle AO di Padova e di Verona).

Pur nei limiti dell'impianto di analisi utilizzato e dei dati disponibili è possibile evidenziare come, accanto ad alcune situazioni di raggiunta “maturità” del sistema, il cammino da percorrere per raggiungere pienamente gli obiettivi del PNMR 2013-2016 sia per alcune reti regionali delle malattie rare ancora lunghi dal completarsi: una diseguità sulla quale non si può non richiedere un supplemento di impegno a tutte le istituzioni, ai diversi livelli di governo.

### 3.1 Rete

Azione	Non ancora affrontata	In fase di discussione	Approvata/in fase di avvio	Realizzata/ in corso
a) Accordi interregionali per realizzare "alleanze/coalizioni" per le malattie più rare e complesse dal punto di vista diagnostico e terapeutico	(6) Abruzzo, Emilia Romagna, Lombardia, Puglia, Sardegna, Sicilia	(3) Basilicata, Campania, Liguria		Friuli V.G., Lazio, Liguria*, Marche, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto
b) Accordi di cooperazione tra le Regioni e Province Autonome per realizzare aree interregionali di intervento assistenziale progressivamente omogenee e integrate	(5) Abruzzo, Lazio, Lombardia, Lombardia, Molise, Sicilia	(5) Basilicata, Campania, Liguria, Marche*, Toscana		Emilia Romagna, Friuli V.G., P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto
c) Valutazione periodica dei presidi/strutture sulla base di indicatori di attività e di risultato	Molise,	Liguria, Sardegna, Umbria*,	(3) Basilicata*, Campania, Lazio	Abruzzo, Emilia Romagna, Friuli V.G.*, Lombardia, Marche, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sicilia, Toscana, Valle d'Aosta, Veneto
d) Utilizzo di soluzioni tecnologiche per supportare la	(3) Abruzzo, Molise, Umbria,	(8) Basilicata, Lazio, Liguria, Lombardia,	Friuli V.G., Campania*,	Emilia Romagna, P.A. Bolzano*, P.A.

condivisione dell'informazione clinica (es. telemedicina, teleconsulto) e per ridurre la mobilità dei pazienti		Marche*, Toscana		Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Valle d'Aosta, Veneto
e) Adozione di nuovi strumenti amministrativi per riconoscere e garantire l'adeguata remunerazione delle prestazioni di consulenza a distanza dei centri di riferimento	(8) Abruzzo, Campania, Lazio, Molise, P.A. Trento, Sicilia, Umbria,	Emilia Romagna*, Basilicata, Liguria, Friuli V.G., Lombardia, P.A. Bolzano, Piemonte, Puglia, Sardegna, Toscana, Valle d'Aosta,	Veneto	(1) Marche
f) Sviluppo di programmi assistenziali in grado di garantire la transizione dall'età pediatrica all'età adulta	(3) Abruzzo, Molise,	Lombardia, Sardegna, Toscana, Umbria*,	(7) Basilicata*, Friuli V.G., Piemonte, Puglia, Sicilia	Campania, Emilia Romagna, Liguria, Lazio*, Marche, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Valle d'Aosta*, Veneto

### 3.2 Sistema nazionale di sorveglianza e monitoraggio: Registro Nazionale Malattie Rare, Registri regionali, interregionali e flusso informativo

Azione	Non ancora affrontata	In fase di discussione	Approvata/in fase di avvio	Realizzata/ in corso
a) Raccolta nel RRMR anche di dati ulteriori rispetto al dataset minimo di riferimento concordato con RNMR	Abruzzo	Campania, Friuli V.G., Liguria, Marche*, Molise*		(14) Basilicata, Emilia Romagna, Lazio, Lombardia, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto
b) 1) Estensione della raccolta dei dati contenuti nel RRMR anche ad altre malattie non comprese nell'Allegato A del DM 279/2001 <sup>11</sup>	(5) Abruzzo, Emilia Romagna, Lombardia, Molise, Sicilia	Campania, Friuli V.G., Liguria		(12) Basilicata, Lazio, Marche*, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto
2) Estensione della raccolta dei dati contenuti nel RRMR alle nuove patologie	Campania, Emilia Romagna,	Liguria, Marche,		Abruzzo , Basilicata*, Friuli V.G., Lazio,

<p>comprese nell'Allegato 7 del DPCM 12 gennaio 2017</p>	<p>Sicilia</p>			<p>Lombardia, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto</p>
<p>c) Recepimento nel RRMR delle indicazioni del documento "Core Recommendations on rare disease patient registration and data collection" elaborato e adottato da EUCERD</p>	<p>Puglia, Sardegna, Umbria, Valle d'Aosta, Sicilia</p>	<p>Campania*, Liguria, Molise, Toscana</p>	<p>Friuli V.G.</p>	<p>Abruzzo, Lombardia, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte*, Veneto</p>

### 3.3 Nomenclatura e codifica

Azione	Non ancora affrontata	In fase di discussione	Approvata/in fase di avvio	Realizzata/ in corso
a) Utilizzo dei codici ORPHA nel RRMR	Abruzzo, Marche, Molise, Sicilia	Campania, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Piemonte, Toscana, Valle d'Aosta	Sardegna	(7) Basilicata, Emilia Romagna, Lombardia, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Puglia*, Umbria, Veneto
b) Utilizzo dei codici ORPHA in flussi informativi sanitari correnti	Abruzzo, Emilia Romagna, Lazio, Lombardia, Marche, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Umbria, Valle d'Aosta	Campania, Friuli V.G., Liguria, Molise, P.A. Bolzano, Toscana		(2) Basilicata*, Veneto

### 3.4 Percorso diagnostico-terapeutico assistenziale

Azione	Non ancora affrontata	In fase di discussione	Approvata/in fase di avvio	Realizzata/ in corso
a) Definizione di interventi e strumenti capaci di guidare ed orientare i medici verso il sospetto di MR per ridurre il ritardo diagnostico		Molise, Sardegna	Abruzzo *, Basilicata*, Campania, Sicilia	Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio*, Liguria, Lombardia, Marche, P.A. Bolzano*, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto
b) Definizione dei Percorsi Diagnostici Terapeutici Assistenziali (PDTA) per le malattie rare		Molise, Sardegna,	Abruzzo*, Campania, Liguria	(14) Basilicata*, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Lombardia, Marche, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia*, Sicilia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto
c) Accesso degli specialisti e professionisti delle ASL di residenza ai Presidi della rete, anche di altre Regioni/PPAA, per aggiornare le competenze necessarie a seguire adeguatamente i propri pazienti	Lombardia, Umbria	Campania, Molise, Puglia*, Sardegna	(3) Basilicata*, Friuli V.G.*, Lazio	Abruzzo*, Emilia Romagna, Liguria*, Marche, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Sicilia, Toscana, Valle d'Aosta, Veneto
d) Regolamentazione della somministrazione di terapie farmacologiche e non in ambito	Abruzzo, Friuli V.G., Lazio, Marche, P.A. Bolzano,	(5) Basilicata*, Campania, Marche, Molise, PA	Puglia*	Emilia Romagna, Liguria, Lombardia, Piemonte, Puglia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta,

scolastico	Sardegna, Sicilia	Trento		Veneto
e) Possibilità di brevi ricoveri di sollievo presso strutture di degenza competenti non ospedaliere per le persone con MR	Abruzzo, P.A. Bolzano, Sardegna, Sicilia	Campania, Friuli V.G., Marche, Molise, Puglia, Toscana	Emilia Romagna, Lazio, Veneto	(5) Basilicata*, Liguria*, Lombardia, Piemonte, P.A. Trento, Umbria*, Valle d'Aosta
f) Azioni di sostegno alla famiglia e/o al caregiver che si prendono cura di persone con MR con necessità di elevata intensità assistenziale	Abruzzo, Lazio, P.A. Bolzano	Campania, Marche, Molise	(1) Sicilia	(12) Basilicata*, Emilia Romagna, Friuli V.G., Liguria*, Lombardia, P.A. Trento*, Piemonte, Puglia, Sardegna, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto

### 3.5 Associazioni/Empowerment

Azione	Non ancora affrontata	In fase di discussione	Approvata/in fase di avvio	Realizzata/ in corso
a) Partecipazione formalizzata dei rappresentanti delle associazioni dei malati in attività di programmazione regionale in materia di MR	Molise	(3) Basilicata, P.A. Bolzano, Umbria, Valle d'Aosta**		Abruzzo*, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, Marche, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Toscana, Sicilia, Veneto*

### 3.7. Formazione - Professionisti

Azione	Non ancora affrontata	In fase di discussione	Approvata/in fase di avvio	Realizzata/ in corso
a) Inserimento del tema delle MR nei contenuti della formazione ECM regionale/provinciale		P.A. Bolzano, Valle d'Aosta**	Sicilia	Abruzzo*, Basilicata*, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria*, Lombardia, Marche, Molise, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Toscana, Umbria, Veneto*
b) Inserimento del tema delle MR nei Piani Formativi delle Aziende sanitarie della regione/PA	Abruzzo	Emilia Romagna, P.A. Bolzano, Sicilia, Valle d'Aosta**	(3) Basilicata*	Campania, Friuli V.G., Lazio*, Liguria*, Lombardia, Marche, Molise, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Toscana, Umbria, Veneto*
c) Creazione di sistemi di valutazione dell'efficacia della formazione continua nel modificare le prassi assistenziali dei professionisti	Abruzzo, Emilia Romagna, Lombardia, P.A. Trento, Puglia, Sardegna, Sicilia, Umbria, Toscana, Valle d'Aosta	Campania, Molise, P.A. Bolzano, Piemonte*	(2) Basilicata*	Friuli V.G., Lazio*, Liguria*, Marche, Veneto*

### 3.7. Formazione - Pazienti, caregiver, familiari, volontari

Azione	Non ancora affrontata	In fase di discussione	Approvata/in fase di avvio	Realizzata/ in corso
d) Programmazione da parte delle reti di assistenza regionali o interregionali di azioni tendenti a fornire ai singoli pazienti e loro familiari conoscenze e competenze nella gestione della loro condizione	Lombardia, Umbria	Campania*, Marche, Molise	(2) Basilicata, Sicilia, Toscana**, Valle d'Aosta**	Abruzzo, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, P.A. Bolzano*, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Veneto
e) Formazione delle persone impegnate nell'assistenza al paziente con MR attraverso specifici piani formativi elaborati e condotti sia dai centri di expertise, sia dai servizi territoriali	Abruzzo, Lombardia, Umbria, Valle d'Aosta**	Campania*, Molise, P.A. Bolzano		(14) Basilicata, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Marche, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Veneto

### 3.8. Informazione

Azione	Non ancora affrontata	In fase di discussione	Approvata/in fase di avvio	Realizzata/ in corso
a) Potenziamento e sostegno alla massima diffusione delle fonti informative istituzionali attualmente disponibili		Campania, Marche, Molise, Umbria, Valle d'Aosta,		Abruzzo, Basilicata*, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte*, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Veneto
b) Esistenza di una help line istituzionali a livello regionale sulle malattie rare		(1) Marche, Valle d'Aosta**	(1) Basilicata*	Abruzzo, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Umbria, Veneto

### 3.9 Prevenzione

#### 3.9.1 Prevenzione primaria

Azione	Non ancora affrontata	In fase di discussione	Approvata/in fase di avvio	Realizzata/ in corso
a) Erogazione del counselling preconcezionale alle coppie in età fertile che stanno pianificando una gravidanza ed il monitoraggio in gravidanza	(1) Abruzzo	(1) Marche		Abruzzo, Basilicata*, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Umbria, Toscana, Valle d'Aosta, Veneto
b) Realizzazione di programmi per incentivare l'adozione di corretti stili di vita (inclusa la corretta alimentazione e l'assunzione appropriata di acido folico)	Abruzzo, P.A. Bolzano		(3) Basilicata*, Sicilia, Umbria	Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, Marche, Molise, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Toscana, Valle d'Aosta, Veneto
c) Erogazione della consulenza genetica, quando indicato				Abruzzo Basilicata, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, Marche*, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto

### 3.9.2 Prevenzione secondaria

Azione	Non ancora affrontata	In fase di discussione	Approvata/in fase di avvio	Realizzata/ in corso
a) Realizzazione di modelli operativi per i programmi di screening delle MR, inclusi gli screening di popolazione in epoca neonatale, basati su evidenze scientifiche, criteri di equità di accesso, aspetti etici, disponibilità di terapia di provata efficacia				Abruzzo, Basilicata*, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, Marche, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto
b) Promozione del consenso informato all'esecuzione dei test di screening				Abruzzo, Basilicata*, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, Marche, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto
c) Promozione della comunicazione dell'esito, anche negativo, dei test di screening	Molise, Toscana**	Campania*, Liguria, P.A. Bolzano, Emilia Romagna*		Abruzzo, Basilicata*, Friuli V.G., Lazio, Lombardia, Marche, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto
d) Erogazione della consulenza genetica ai familiari delle	Molise**			Abruzzo, Basilicata, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G.,

persone affette per le MR genetiche (cluster a rischio)				Lazio, Liguria, Lombardia, Marche, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia*, Sardegna, Sicilia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto
e) Attivazione delle procedure per la diagnosi nel nato morto quando necessario per la definizione del rischio di ricorrenza	Abruzzo, Molise, Puglia	P.A. Bolzano	(1) Basilicata , Emilia Romagna**	Campania, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Marche, P.A. Trento, Piemonte, Sardegna, Sicilia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto
f) Attuazione dell'Accordo tra il Governo, le Regioni e le Province autonome di Trento e Bolzano in materia di linee guida per le attività di genetica medica (Rep. Atti n. 241/CSR del 26-11-2009)	Molise	(2) P.A. Bolzano, Sardegna		Abruzzo, Basilicata, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio Liguria, Lombardia, Marche, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sicilia, Toscana, Valle d'Aosta, Veneto
g) Formazione dei MMG e PLS sulle aggregazioni di segni e sintomi clinici in grado di determinare il sospetto di MR	Abruzzo	Valle d'Aosta**	Sicilia	(17) Basilicata, Campania, Emilia Romagna*, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, Marche, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Toscana, Umbria, Veneto

### 3.9.3 Diagnosi prenatale

Azione	Non ancora affrontata	In fase di discussione	Approvata/in fase di avvio	Realizzata/ in corso
a) Accesso alla diagnosi prenatale alle coppie appropriatamente individuate in base al rischio aumentato rispetto alla popolazione generale	Abruzzo			(19) Basilicata*, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, Marche*, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto
b) Effettuazione dell'esame morfologico prenatale in strutture specificamente accreditate e da professionisti in possesso di particolare qualificazione				Abruzzo*, Basilicata, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, Marche, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto*
c) Accreditamento e certificazione delle strutture e dei laboratori di genetica che si occupano di diagnosi prenatale	Molise	Emilia Romagna	Abruzzo*	(16) Basilicata, Campania, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, Marche*, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto*

### 3.10 Farmaci

Azione	Non ancora affrontata	In fase di discussione	Approvata/in fase di avvio	Realizzata/ in corso
a) Semplificazione e omogeneizzazione delle modalità prescrittive dei trattamenti farmacologici per le persone con MR			(1) Basilicata*	Abruzzo*, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, Marche, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Valle d'Aosta, Veneto
b) Semplificazione e omogeneizzazione delle modalità di approvvigionamento dei trattamenti farmacologici per le persone con MR		Sicilia	(1) Basilicata*	Abruzzo*, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio*, Liguria, Lombardia, Marche, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia*, Sardegna, Toscana, Valle d'Aosta, Veneto
c) Semplificazione e omogeneizzazione delle modalità di erogazione dei trattamenti farmacologici per le persone con MR		(1) Sicilia	(1) Basilicata *	Abruzzo*, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio*, Liguria, Lombardia, Marche, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Toscana, Valle d'Aosta, Veneto
d) Semplificazione e omogeneizzazione delle modalità di somministrazione dei trattamenti farmacologici per le persone con MR		(2) Sicilia, Toscana	(1) Basilicata*	Abruzzo*, Campania, Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio*, Liguria, Lombardia, Marche, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Puglia, Piemonte, Sardegna, Valle d'Aosta, Veneto

### 3.11 Sostenibilità economica

Azione	Non ancora affrontata	In fase di discussione	Approvata/in fase di avvio	Realizzata/ in corso
a) Sperimentazioni gestionali ed amministrative tendenti a valutare la fattibilità di modalità di remunerazione che considerino la complessità della gestione assistenziale del malato raro nel setting ospedaliero e territoriale	Abruzzo, Emilia Romagna, Molise, P.A. Bolzano, Sardegna, Sicilia, Toscana, Umbria,	(6) Basilicata, Campania* , Lombardia, Liguria, Piemonte, Marche, Valle d'Aosta		Friuli V.G., Lazio, P.A. Trento, Puglia* , Veneto
b) Sperimentazioni gestionali ed amministrative tendenti a valutare la fattibilità di tariffe riguardanti prestazioni specifiche di telemedicina e tele-consulto	Abruzzo, Molise, P.A. Bolzano, P.A. Trento, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana	(10) Basilicata, Campania* , Emilia Romagna, Friuli V.G., Lazio, Liguria, Lombardia, Marche, Piemonte, Umbria, Valle d'Aosta		Veneto

\* la regione in questione ha fatto passi avanti rispetto all'anno scorso.

\*\* la regione in questione ha fatto passi indietro rispetto all'anno scorso.