

I QUADERNI DI OSSFOR

6

L'ASSISTENZA DOMICILIARE AI MALATI RARI



Disclaimer: Il presente documento, finito di stampare nel mese di Maggio 2022 non ha alcun valore legale. Le informazioni in esso contenute non hanno la pretesa di essere esaustive. I contenuti sono di proprietà di Osservatorio Farmaci Orfani e possono essere utilizzati esclusivamente ad uso personale e NON commerciale previa richiesta scritta da inviare a collet@osservatoriofarmaciorfani.it e citazione della fonte.

©Osservatorio Farmaci Orfani

OSSERVATORIO FARMACI ORFANI OSSFOR

L'Osservatorio Farmaci Orfani OSSFOR è il primo centro studi e think-tank interamente dedicato allo sviluppo delle policies per la governance e la sostenibilità nel settore delle malattie rare. Fondato nel 2016 da una iniziativa congiunta del Centro di ricerca C.R.E.A. Sanità (Centro per la Ricerca Economica Applicata in Sanità) e della testata Osservatorio Malattie Rare OMAR, lavora per colmare la lacuna di conoscenze e informazioni sul settore, favorire un confronto aperto e diretto tra istituzioni e principali stakeholder. L'obiettivo è contribuire a garantire un rapido accesso alle terapie e alla assistenza per i malati rari, favorendo una sinergia tra il mondo istituzionale, politico, accademico ed imprenditoriale, attraverso un libero confronto utile ad identificare le migliori strategie da mettere in atto. A tal fine, svolge una continuativa attività di ricerca e monitoraggio che esita in un Rapporto Annuale e in una serie di pubblicazioni utili a diffondere, ad un ampio pubblico, alcune tematiche di rilevante importanza. Le pubblicazioni di OSSFOR - Rapporti, quaderni, analisi, documenti preparatori, proposte organizzative e normative ed ogni altro documento elaborato - sono resi pubblici attraverso la pubblicazione sul sito www.osservatoriofarmaciorfani.it.

I QUADERNI DI OSSFOR

I Quaderni OSSFOR realizzano approfondimenti monotematici su argomenti utili a fornire un quadro più organico del settore. Allo stato sono stati pubblicati 5 Quaderni:

1. *La regolamentazione delle malattie rare e dei farmaci orfani* (Giugno 2017)
2. *Gli Early Acces Programmes (EAPs)* (Settembre 2017)
3. *L'HTA dei piccoli numeri* (Settembre 2018)
4. *Proposte per la strutturazione dei Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali delle malattie rare* (Novembre 2019)
5. *Il riconoscimento dell'innovatività per i Farmaci Orfani* (Novembre 2020)

“L'Assistenza Domiciliare ai malati rari” è il 6° Quaderno OSSFOR e nasce con la finalità di analizzare i servizi proposti sul territorio e la normativa che regola questo settore. La pubblicazione contiene i risultati di un'indagine condotta da C.R.E.A. Sanità che ha coinvolto i responsabili dei Coordinamenti Regionali Malattie Rare, le Associazioni dell'Alleanza Malattie Rare e le Aziende che sostengono incondizionatamente le attività di OSSFOR.

L'Osservatorio si finanzia attraverso un contributo annuale ed incondizionato del maggior numero possibile di aziende impegnate nella ricerca e nello sviluppo di farmaci orfani. L'estrema «parcellizzazione» dei finanziatori è massima garanzia di indipendenza e terzietà rispetto ai finanziatori stessi e nei confronti delle istituzioni.

LE ATTIVITÀ DI OSSFOR SONO REALIZZATE GRAZIE AL CONTRIBUTO NON CONDIZIONATO DI:



Gli Sponsor dell'iniziativa - di cui GSK fa parte - non hanno avuto alcun ruolo nella *review* dei contenuti, redatti autonomamente ed integralmente da RARELAB, editore di Osservatorio Malattie Rare, e dai propri collaboratori, che se ne assumono l'esclusiva responsabilità.



INDICE

pag. 7	1 - INTRODUZIONE
pag. 11	2 - IL PUNTO DI VISTA DELLE REGIONI
pag. 17	3 - ANALISI
pag. 37	ALLEGATO 1 L'ASSISTENZA DOMICILIARE AI MALATI RARI IN ITALIA
pag. 45	ALLEGATO 2 LA NORMATIVA DI RIFERIMENTO



1 - INTRODUZIONE

Da diverso tempo ormai, il modello organizzativo della sanità nel nostro Paese sta abbandonando una concezione cosiddetta ospedalocentrica, per puntare verso l'erogazione al di fuori dell'ospedale delle prestazioni mediche, infermieristiche, riabilitative e socio-assistenziali, utilizzando i servizi distribuiti sul territorio, e portando l'assistenza direttamente a casa dei pazienti.

A proposito dell'assistenza domiciliare, secondo l'Organizzazione Mondiale della Sanità con tale termine si intende “la possibilità di erogare a domicilio del paziente cure appropriate e di alta qualità, usufruendo di tecnologie, operatori sanitari e *caregiver* per il mantenimento del massimo livello di benessere e salute”.

Il principale vantaggio atteso dalla domiciliarizzazione dell'assistenza è il miglioramento della qualità di vita del paziente, che viene curato/assistito in un ambiente familiare; inoltre, va considerato il beneficio della potenziale riduzione dei ricoveri ospedalieri, derivante dalla possibilità di monitorare pazienti anche non perfettamente stabili, nel loro ambiente domestico.

L'assistenza domiciliare consente, quindi, la permanenza a domicilio di persone fragili e con patologie croniche e l'attuazione di percorsi terapeutici integrati dal punto di vista sanitario e sociale, garantendo nel contempo il mantenimento di una adeguata socialità e anche la prossimità della rete dell'assistenza primaria.

L'assistenza domiciliare è regolamentata da normative sia nazionali che regionali. Dobbiamo osservare che l'organizzazione su base regionale ha generato forte disomogeneità, con rilevanti differenze anche a livello di singole Aziende Sanitarie Locali (ASL) della stessa Regione. Di conseguenza, per le attività e le prestazioni connesse all'assistenza domiciliare, si osserva una variazione sia in relazione ai bisogni propri di ciascun paziente, ma anche in funzione dei modelli gestionali-organizzativi attivati dalle diverse Regioni.

In ogni caso, l'assistenza domiciliare è generalmente gestita direttamente dal Distretto Socio-Sanitario (DSS) delle ASL, in collaborazione con i Comuni, che sono competenti in relazione alle prestazioni di natura sociale.

A livello nazionale, uno dei principali riferimenti normativi è il documento “Nuova caratterizzazione dell'assistenza territoriale domiciliare e degli interventi ospedalieri a domicilio”; tale documento, approvato dalla Commissione Nazionale per la definizione e l'aggiornamento dei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA) il 18.10.2006, pur non avendo valore normativo, è stato recepito da molte Regioni nei loro atti programmatici.

Il documento articola il sistema di assistenza domiciliare su tre livelli di diversa intensità, in relazione sia alla natura e alla complessità del bisogno della persona, sia all'intensità e alla durata dell'assistenza:

- **primo livello** o assistenza domiciliare a bassa intensità sanitaria, è quella destinata a persone parzialmente non autosufficienti o a rischio di emarginazione, che richiedono interventi di sostegno psico-sociale e di cura; consiste nella presa in carico continuativa medica e/o infermieristica e/o sociale, con minima la necessità di integrazione;
- **secondo livello** o assistenza domiciliare a media intensità sanitaria, è quella che consiste nell'erogazione di interventi di natura sanitaria, rivolta a persone non autosufficienti o di recente dimissione ospedaliera, che richiedono prestazioni infermieristiche, riabilitative e mediche
- **terzo livello** o assistenza domiciliare ad alta intensità sanitaria, è quella dedicata alle situazioni più complesse, che richiedono integrazione di prestazioni sanitarie e sociali; in questo livello troviamo l'ADI (Assistenza Domiciliare Integrata) e l'Ospedalizzazione Domiciliare Integrata; nel terzo livello, il servizio di assistenza medica è coordinato con quello socio-assistenziale, trattandosi di conseguenza di una fusione vera e propria dei primi due livelli. Va notato che spesso si usa l'acronimo ADI per indicare nel complesso l'assistenza a domicilio. In realtà, come appena mostrato, quest'ultima si struttura in modo più articolato, abbracciando molteplici esigenze, anche quelle che non richiedono assistenza medica.

L'ADI, in particolare, è la modalità privilegiata di intervento per rispondere ad esigenze complesse di persone non autosufficienti, poiché permette l'erogazione di prestazioni sanitarie e sociosanitarie anche di elevata complessità ed intensità assistenziale, favorendo il mantenimento del paziente nel contesto abitativo e familiare. L'ADI prevede l'erogazione coordinata e continuativa di un insieme integrato di prestazioni, sia sanitarie (ad es. mediche, infermieristiche e riabilitative, assistenza farmaceutica e accertamenti diagnostici), sia socio-assistenziali (cura della persona, fornitura dei pasti, cure domestiche), da parte di diverse figure professionali.

La responsabilità clinica è attribuita al Medico di Medicina Generale o al Pediatra di Libera Scelta o, nei casi previsti, al medico competente per la terapia del dolore e le cure palliative.

L'attivazione dell'ADI richiede la presa in carico della persona, con la preliminare valutazione multidimensionale del bisogno e la definizione di un Piano di Cura Personalizzato, che individua gli obiettivi di cura e dei tempi di recupero, delle tipologie di intervento e della frequenza degli accessi.

I servizi domiciliari devono orientare la loro azione sulla base di svariati criteri: mantenere la persona nel suo ambiente di vita, supportare la famiglia, offrire soluzioni alternative quando tale supporto manca o viene meno, assicurare continuità assistenziale mediante "dimissioni programmate" dall'ospedale per acuti, così come dalle strutture riabilitative (post-acute ed estensive) o dalla Residenze sanitarie assistenziali (RSA)¹.

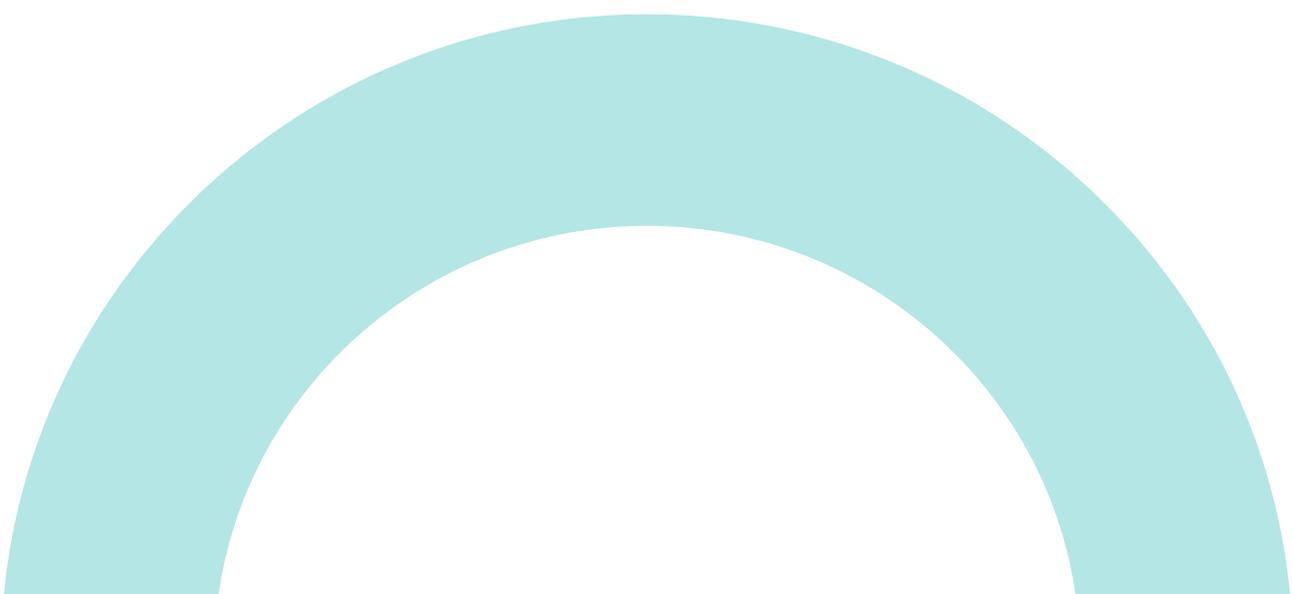
¹ https://www.salute.gov.it/imgs/C_17_pubblicazioni_2584_allegato.pdf

Con la pandemia da Covid-19 l'assistenza domiciliare, o meglio la sua gestione ottimale per curare il paziente a casa propria, è tornata protagonista del dibattito. Il Dm 71, che non è stato approvato in Conferenza Stato Regioni ma con un apposito DPCM, ridisegna la presa in carico del paziente a domicilio, in allineamento con quanto previsto dalla Missione 6 del Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza (PNRR) di cui fa parte anche l'obiettivo "Casa come primo luogo di cura e telemedicina" a cui sono dedicati investimenti per 4 miliardi di euro.

Il DM 71 rafforza i servizi territoriali attraverso lo sviluppo di strutture di prossimità (Case della Comunità), e potenziando le cure domiciliari, con l'integrazione tra assistenza sanitaria e sociale, introducendo modelli di servizi digitalizzati anche per l'assistenza a domicilio.

Occorre inoltre segnalare anche la Risoluzione n. 8-00158² sullo stato di attuazione del PNRR, approvata a metà marzo 2022 dalla Commissione XII della Camera (Affari sociali) che impegna il Governo a prevedere, tra le altre cose, misure per rafforzare l'AD per persone con patologie croniche complesse, ivi inclusi i pazienti con malattie rare.

² <http://documenti.camera.it/leg18/resoconti/commissioni/bollettini/pdf/2022/03/17/leg.18.bo10762.data20220317.com12.pdf>



2 - IL PUNTO DI VISTA DELLE REGIONI

In questo paragrafo cerchiamo di delineare le sfide dell'assistenza Domiciliare Integrata per i malati rari (MR): cosa si è fatto finora e cosa occorre ancora fare per una gestione a domicilio efficiente del paziente con malattia rara, come la pandemia ha impattato sull'assistenza ai MR e come la telemedicina potrebbe fare la differenza per questi pazienti.

Per fare il punto dell'AD nelle malattie rare abbiamo somministrato questionari ad alcuni referenti dei Centri di Coordinamento malattie rare regionali: la Professoressa Paola Facchin (Veneto), il Professor Dino Bramanti (Sicilia), la Dottoressa Giuseppina Annicchiarico (Puglia), il Professor Giuseppe Limongelli (Campania), la Dottoressa Silvia Di Michele (Abruzzo), il Dottor Rossano Di Luzio (Direttore della UOC Organizzazione e Cure Territoriali, ASL Pescara) e il Dottor Gianmarco Luciani (Referente Infermieristico Centro Erogazione Servizi (CERS) di Cepagatti, ASL Pescara). A seguire viene riportata una sintesi dei loro pareri per i singoli punti affrontati nelle survey.

L'AD per le malattie rare

Secondi gli esperti intervistati, l'attuale AD funziona per il malato cronico, ma non è strutturata per il malato raro. In alcune Regioni purtroppo non esiste nemmeno un numero verde di riferimento.

Ci sono situazioni che necessitano cure domiciliari di almeno 12 ore al giorno e se ne ricevono la metà. Per cui ad oggi, l'AD non è garantita a tutti coloro che ne hanno bisogno. O, qualora sia garantita, è erogata in maniera discontinua o ridotta al minimo. Spesso l'assistenza domiciliare è carente in determinati interventi, come quelli riabilitativi o delle terapie farmacologiche al domicilio. Detto questo, alcuni intervistati hanno rilevato che negli ultimi tempi l'AD per i MR si sia sviluppata molto più di quello che si poteva immaginare.

Affinché l'AD per le malattie rare sia adeguata alle richieste, occorre investire in termini di organizzazione e di sinergie tra i servizi e i professionisti, e comprendere che l'assistenza domiciliare, senza un adeguato sviluppo dei servizi specialistici, non può essere un valido supporto ai pazienti. Occorre definire percorsi integrati e PDTA specifici per patologie.

Il compito di chi effettua la diagnosi non termina infatti con l'individuazione della malattia, ma inizia appunto dal momento in cui il paziente si affida ai servizi: il paziente ha bisogno non solo di supporto clinico, ma anche psicologico, affettivo, lavorativo in modo che diventi autonomo e autosufficiente.

Gli aspetti su cui occorre intervenire

Secondo gli esperti, l'AD per i MR andrebbe customizzata sul paziente per le specifiche e diverse necessità, cliniche, assistenziali, sociali. L'organizzazione si deve evolvere sostanziandosi nella crescita delle competenze dei professionisti che operano nei territori, attraverso programmi di formazione continua incentrati sulla medicina di iniziativa e mettendo in relazione il Centro di Riferimento del malato con i professionisti della cura domiciliare. Gli intervistati sono tutti concordi nell'affermare che prima di tutto, per gestire al meglio il Malato Raro, occorre rafforzare i percorsi assistenziali, a cominciare dai Centri Territoriali Malattie Rare (CTMR), uno per ciascuna ASL, con l'avvio di altri strumenti declinati secondo le esigenze di ciascuna Regione, come ad esempio il Nucleo Assistenza Territoriale (NAT) previsto dalla Regione Puglia.

Una delle maggiori criticità nella gestione dei pazienti affetti da malattia rara è la carenza dell'offerta di assistenza socio-sanitaria e domiciliare dedicata, criticità di cui si è capita la reale importanza soprattutto a seguito delle restrizioni dettate dall'emergenza Covid-19.

Un altro punto di estremo accordo tra gli intervistati è stata la necessità di investire in formazione di medici e operatori sanitari nella gestione dei pazienti con malattie rare ed in particolare di quelli coinvolti nelle cure di prossimità, sui bisogni trasversali e specifici (cura personalizzata) del malato in AD.

A differenza delle malattie croniche che interessano soprattutto le persone anziane, con i MR l'approccio deve essere diverso. Olistico. A cominciare dai Medici di Medicina Generale (MMG) e Pediatri di Libera Scelta (PLS) che devono avere le competenze per intercettare i MR sul territorio, attivando, in caso di sospetto, il percorso diagnostico più idoneo e tempestivo. Purtroppo, il ritardo diagnostico può arrivare fino ai 7-10 anni, tempo che rende difficile l'approccio terapeutico anche alle patologie che hanno una cura specifica. Una volta posto il sospetto, è importante erogare informazioni corrette affinché il paziente possa accedere al suo corretto percorso nella rete: questo richiede un collegamento con i principali presidi e con i Centri di Coordinamento regionale, che hanno delle help line dedicate ed un sito internet dove trovare tutte le informazioni necessarie, e che gestiscono i registri regionali malattie rare.

Anche le associazioni di pazienti possono svolgere un importante ruolo perché sono in grado di fornire tutte le informazioni necessarie e di favorire il contatto dei pazienti con i Centri di riferimento che spesso sono ubicati fuori regione.

L'ideale sarebbe creare una continuità tra i Centri di Riferimento ove i pazienti sono seguiti e il territorio a cui poi vengono affidati. Nel territorio non sempre si può garantire una documentata *expertise* per la singola patologia rara o rarissima, ma attraverso la collaborazione con esperti del settore, si potrebbero formare gli operatori sui bisogni e sui "red flags" specifici da monitorare nel singolo caso. In tal modo si migliora l'assistenza, si supportano i caregiver e i pazienti nel loro contesto di vita domiciliare, riducendo le ospedalizzazioni.

Occorre pertanto investire risorse negli ospedali specializzati, rinforzare giovani medici e professionalità sanitarie ed investire anche nell'assistenza domiciliare.



Declinare l'assistenza a misura del Malato Raro

I LEA riguardano tutti i pazienti, ma non esistono LEA a misura di malato raro. L'assistenza domiciliare integrata è nata per malattie croniche per anziani, ma non per i malati rari. È stata istituita come alternativa alla residenzialità extra familiare ma il malato raro ha bisogno di altro: ci vuole un team multidisciplinare; strumenti ad hoc; assistenza h24. Ovvero l'AD va declinata per bisogni complessi.

Il punto è che per i MR non si sta riconoscendo nulla di diverso, di specifico per loro. I Livelli Essenziali di Assistenza (LEA) dovrebbero essere concepiti sul bisogno del malato, non su uno standard medio. Questo è un punto, secondo alcune risposte della survey, che avrebbe dovuto essere chiarito meglio anche in seno al Testo Unico. Per il MR occorre declinare ciò che già esiste a livello di assistenza sanitaria sui bisogni di questi pazienti che non sono solo fragili, ma la cui patologia può manifestarsi in modo completamente diverso da paziente a paziente. Ogni soggetto ha bisogni di cura diversi, anche nell'ambito della stessa malattia rara.

Il mondo delle MR non è un sistema chiuso: più si creano ponti tra questo sistema e il resto del SSN, tanto più il SSN avrà gambe per reggere le sfide del futuro. Perché ciò che si impara nella gestione della malattia rara e del paziente raro può essere declinabile anche in altri contesti. E tutto questo non può avvenire solo in ospedale, ma sul territorio. Ecco perché l'AD per i MR può fare la differenza.

La gestione del malato raro non può essere solo in ospedale, ma va declinata nella multidimensionalità del territorio dove il soggetto può ricevere un'assistenza sia sanitaria sia sociale. Può curare la malattia, andare a scuola, lavorare...e per fare questo ha bisogno di una rete collegata al luogo in cui vive.

Gli ospedali che hanno al loro interno un centro per malattie rare devono avere tutte le competenze per gestire la presa in carico complessiva, utile non solo per somministrare farmaci, ma anche per la riabilitazione, la dieta, etc. Ci vogliono più professionisti con diverse competenze.

L'impatto della pandemia sull'assistenza ai malati rari

Durante la pandemia molte famiglie hanno rinunciato all'assistenza domiciliare perché temevano che gli operatori potessero essere fonte di contagio, soprattutto quando ancora non erano disponibili i vaccini.

Sin dai primi mesi del periodo pandemico, in molti casi è stata potenziata la linea telefonica dedicata con aggiunta di un cellulare aziendale, attivo 12 h al giorno, tutti i giorni, per fornire indicazioni, consigli e orientamento ai pazienti, alle associazioni e a tutti i componenti della Rete Malattie Rare.

Le principali richieste dei malati rari hanno riguardato la facilitazione dei rinnovi dei Piani Terapeutici e la possibilità di consegna dei farmaci a domicilio; la dotazione di dispositivi di protezione e il supporto ai caregiver che si sono ritrovati completamente soli a gestire i pazienti.

Ma le difficoltà non sono mancate anche da parte degli operatori: secondo una survey condotta tra gli esperti di malattie rare in Campania e pubblicata sul Journal of Public Health, da gennaio ad aprile 2020, sono calate in modo significativo, nella sola Regione Campania, le certificazioni di diagnosi di malattia rara. La difficoltà di fare diagnosi si è registrata nel 95% dei casi, seguita dalle difficoltà di accesso alla diagnosi (80%) e follow-up (72%); mancanza di DPI (60%), mancanza di linee guida per Covid-19 (50%), e la necessità di home therapy (78%) sono stati i problemi più rilevanti. I rallentamenti per le diagnosi si sono registrati un po' in tutta Italia.

In alcuni casi, non si è neppure riusciti a garantire il livello minimo dell'assistenza domiciliare, sono saltate le riabilitazioni, i controlli, i supporti (ad esempio quello ventilatorio o l'ossigenoterapia). La diminuzione della terapia di supporto in alcuni casi, purtroppo, ha determinato una diminuzione della sopravvivenza.

In epoca pandemica molti degli ospedali, sede di Centri di Riferimento MR, sono stati destinati ai pazienti Covid-19, facendo saltare i normali percorsi di cura per i MR costretti, quindi, a ritardare follow up o ad aspettare ore per l'esecuzione di tamponi.

Quando possibile, si è cercato di garantire tutte le prestazioni indifferibili e in alcuni casi, come in Abruzzo, si è creato un setting "covid-free" spostando lo sportello regionale dall'area ospedaliera a un'area territoriale dedicata. Si è cercato di rinnovare in modo automatico i piani terapeutici, e tutte le prescrizioni di assistenza ex DPCM 12/01/2017, inclusa l'erogazione di materiale di medicazione o materiale d'uso, di alimenti speciali, dispositivi monouso a autorizzazione mensile, di dispositivi per l'auto-monitoraggio glicemico e di assistenza protesica. In altri casi il supporto da parte delle associazioni dei pazienti si è dimostrato prezioso per supportare le famiglie di MR, reperendo materiale come le mascherine.

Il Covid-19 ha seriamente stressato tutti i sistemi sanitari ma anche fatto emergere come sia possibile ridefinire i compiti e i ruoli in base alle necessità e agli obiettivi di salute.

Il ruolo della telemedicina per i malati rari

Se c'è un ambito in cui la Telemedicina è importante è proprio quello delle malattie rare. La pandemia da Covid-19 ha dimostrato la validità della telemedicina come strumento sicuro di cura ed assistenza anche per i pazienti fragili e cronici come i MR. Il Teleconsulto (consulto multidisciplinare), la Televisiva (visita medico-paziente), il Telemonitoraggio (monitoraggio a distanza dei parametri vitali) sono tutti sistemi attraverso cui si possono facilitare i percorsi dei MR, ed alcuni esempi stanno partendo per patologie ematologiche (es emofilia, pneumologiche, fibrosi polmonare o alfa-1 antitripsina), e metaboliche (m. lisosomiali).

Questi sistemi sono in grado di garantire una presa in carico globale del paziente, riducendo gli spostamenti tra il Centro di riferimento ed il domicilio del paziente stesso. Questo comporta una riduzione dei costi che le famiglie devono sostenere, anche in termini di permessi di lavoro, a volte non retribuiti, e perdita di giornate produttive. Allo stesso tempo, la Telemedicina facilita il sistema sanitario e il medico nel fornire supporto immediato al paziente, e riuscire a dare la cura più appropriata e nei giusti tempi riduce il numero di accessi in ospedale.

La Telemedicina è sostanziale per mettere in rete tutti gli attori dell'assistenza del MR, lontani tra loro anche migliaia di chilometri: l'ospedale di riferimento con l'Hub territoriale fino al Distretto Socio-Sanitario, al PLS ed il MMG e al domicilio.

Le famiglie dei MR sono già abituate a fare manovre che fanno di solito gli infermieri, ma chiedono supporto. La telemedicina in questo senso potrebbe essere utile per supportare caregiver ed anche medici, infermieri e tutti i professionisti che assistono a domicilio.

Nel 2015 era stato firmato un Accordo Stato Regioni che declinava le responsabilità e i ruoli di ciascun attore della cura, dal Centro MR di Riferimento al medico di prossimità, ma l'Accordo non è mai diventato operativo. La Telemedicina è utilizzata, sotto forma di Teleconsulto, già da diversi anni nelle piattaforme ERN (i.e. European Reference Network, reti europee di riferimento) per patologie rare.

In alcune Regioni la Telemedicina per i pazienti rari è stata attivata. Per esempio, il sistema ADI della ASL Pescara prevede il supporto di un software che permette sia il Telemonitoraggio, sia la registrazione degli interventi che l'operatore esegue a domicilio. Sono state inoltre attivate Teleconferenze tra i professionisti di centri nazionali (ad esempio l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù o l'Istituto Neurologico Besta di Milano) e i professionisti del territorio (ADI, cure palliative, rianimatori, pediatri e medici di famiglia, infermieri, psicologici, etc) realizzate prima della dimissione di pazienti ad alta complessità assistenziale.

Sarebbe un sistema da implementare in tutte le Regioni, per far sì che tutti i centri lo utilizzino a beneficio di un maggior numero di MR o disabili gravi.



I prossimi passi

Alla luce di quanto emerso in queste interviste, i prossimi e prioritari step su cui lavorare per rendere l'AD per i MR davvero efficace ed efficiente riguardano la formazione del personale, l'integrazione di nuove professionalità nel team assistenziale (ad esempio un referente per le malattie rare potrebbe supportare il lavoro di UVM e/o ADI); un uso maggiore della Telemedicina, un aumento generale delle ore dedicate all'AD, soprattutto per i malati ad alta complessità.

Occorrerà inoltre:

- implementare in ogni ASL, come indicato da DM 71, almeno un Hub di assistenza territoriale per MR collegato funzionalmente al Coordinamento Malattie rare della rispettiva Regione
- incrementare il numero dei professionisti e delle risorse umane, soprattutto infermieri, logopedisti, disfagisti, fisioterapisti anche respiratori, OSS etc dedicati alla cura dei MR nei territori anche a garanzia della interdisciplinarietà della cura
- implementare i programmi di teleassistenza anche interregionali
- collaborare a livello interaziendale ed interregionale.

Sono tutti pezzi di un “puzzle” da comporre nel miglior modo possibile. Per tale tipologia di assistenza, è fondamentale che siano formulate indicazioni omogenee su tutto il territorio regionale e nazionale affinché le unità territoriali, che potranno avvalersi di molteplici professionalità, siano connesse in termini organizzativi ed informativi ai presidi di riferimento, attraverso la tecnologia e secondo protocolli e percorsi definiti.

Gli intervistati sono tutti, inoltre, d'accordo con la necessità di dedicare maggiori risorse al settore malattie rare, dalla ricerca all'assistenza, all'integrazione dei centri nazionali con i servizi territoriali per poter garantire il miglior accesso alle cure, anche nelle Regioni più piccole. E in tutto questo non può mancare l'assunzione del personale, vero tallone d'Achille del SSN. Con il PNRR, infatti, si sono stanziati miliardi per realizzare ospedali territoriali e case di cura, per potenziare l'AD e la telemedicina ma occorrono persone per poter far decollare questi servizi.

3 - L'ANALISI

Materiali e metodi

L'obiettivo che ci si è posti con questo Quaderno è stato quello di analizzare le effettive opportunità di accesso dei pazienti con malattia rara ai servizi di assistenza domiciliare: tanto in termini di specifici servizi a cui accedono, sia della relativa modalità di erogazione.

A tal fine sono state predisposte due *survey*: la prima, rivolta ai pazienti, è stata somministrata con il metodo CAPI, grazie alla collaborazione di 250 associazioni di pazienti con malattie rare che aderiscono all'Alleanza Malattie Rare. Le risposte sono state fornite in modo anonimo e trattate in modalità aggregata.

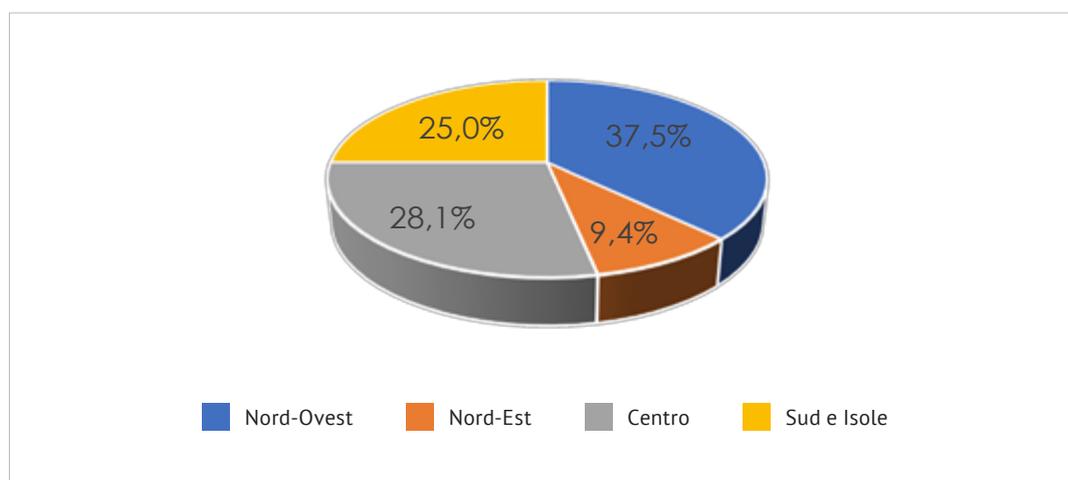
La seconda, elaborata sotto forma di domande aperte, è stata inviata ad 11 aziende farmaceutiche produttrici di farmaci orfani. Le risposte, anche in questo caso, sono state trattate in modo aggregato.

Survey pazienti: risultati

Allo studio hanno partecipato 646 individui, ma solamente 64 hanno completato il questionario: sono quindi state elaborate le sole risposte complete.

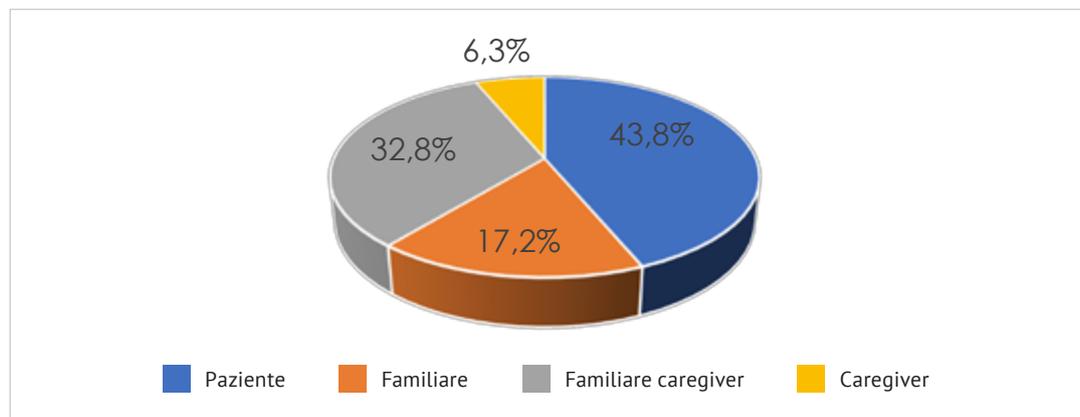
Il 37,5% dei rispondenti (che hanno completato la *survey*) risiede nelle Regioni del Nord-Ovest, il 9,4% in quelle del Nord-Est, il 28,1% nelle Regioni della ripartizione centrale e il rimanente 25,0% nel Sud e nelle Isole (**Figura 1**).

Figura 1
Ripartizione di appartenenza dei rispondenti



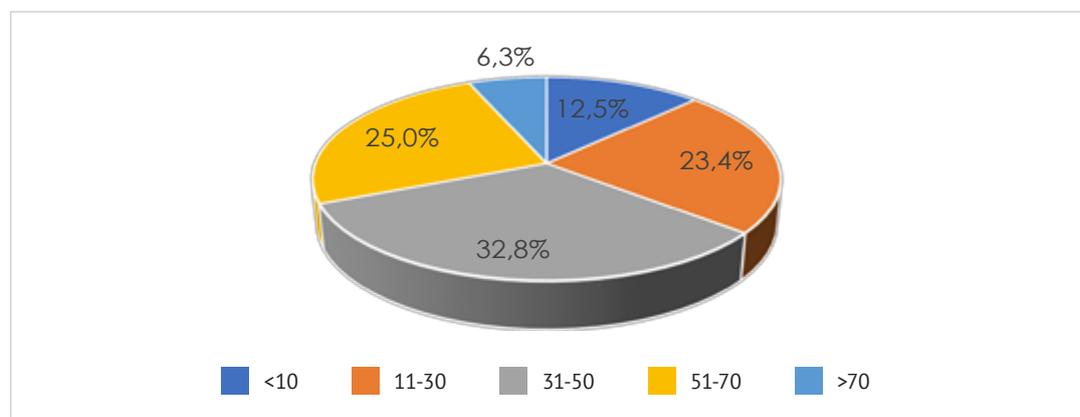
Il 43,8% di coloro che hanno completato il questionario sono pazienti che hanno risposto in maniera autonoma, nel 17,2% dei casi il questionario è stato compilato da familiari non *caregivers*, nel 32,8% da familiari *caregivers* e nel residuale 6,3% da *caregivers* che non hanno legami di parentela con i pazienti (Figura 2).

Figura 2
Ruolo dei rispondenti



Il 12,5% dei pazienti a cui si riferisce l'indagine ha meno di 10 anni, il 23,4% tra 11 e 30 anni, il 32,8% ha un'età compresa tra 31 e 50 anni, il 25,0% appartiene alla classe di età 51-70 anni e infine il 6,3% ha superato i 70 anni (Figura 3).

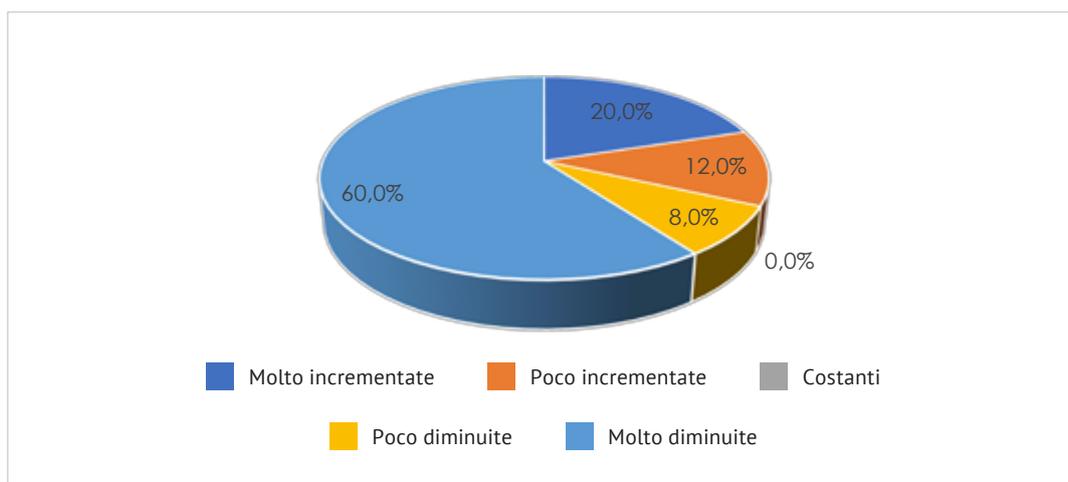
Figura 3
Età dei pazienti



È stato chiesto ai partecipanti se, durante la pandemia, avessero osservato variazioni nelle ore di assistenza domiciliare ricevute: secondo il 60,9% dei rispondenti non ci sono state variazioni.

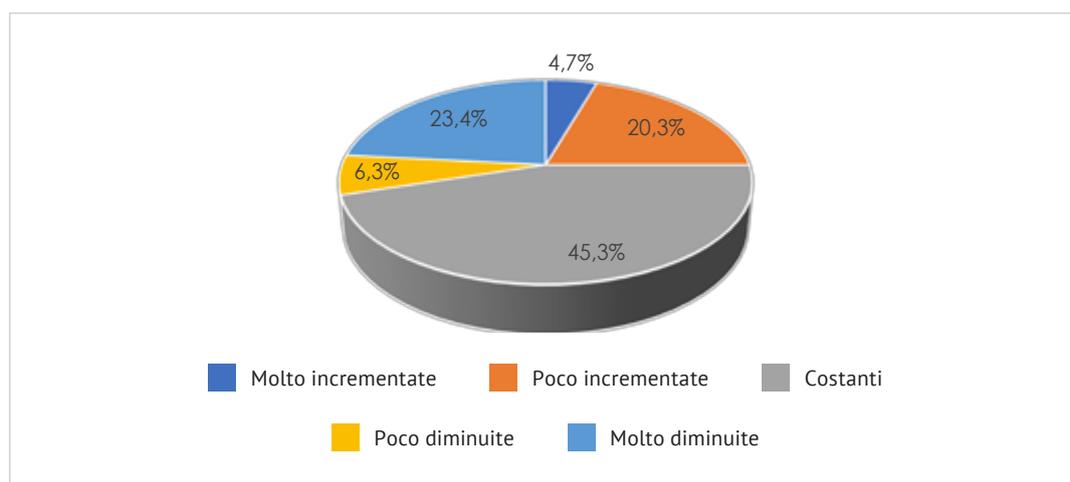
Tra coloro che hanno evidenziato l'esistenza di una variazione durante la pandemia, il 20,0% afferma che le ore di assistenza sono sensibilmente aumentate, e il 12,0% che c'è stato un incremento ma poco ragguardevole, il 60,0% ha, al contrario, evidenziato una drastica contrazione delle ore di assistenza domiciliare ricevute e l'8,0% una lieve flessione (Figura 4).

Figura 4
Variazione delle ore assistenza di domiciliare per effetto della pandemia



Tenendo presente quanto registrato in relazione all'impatto della pandemia sull'assistenza domiciliare, alla domanda se le ore di assistenza domiciliare erogate nell'ultimo quinquennio fossero variate, il 4,7% del totale dei rispondenti ha risposto dichiarandone un sensibile aumento e un ulteriore 20,3% un modesto aumento; il 45,3% ha risposto che le ore di assistenza domiciliare si sono mantenute sostanzialmente stabili; il 6,3% ha evidenziato un calo contenuto e, infine, il 23,4% ha messo in evidenza una flessione (Figura 5).

Figura 5
Variatione delle ore assistenza domiciliare nell'ultimo quinquennio



Il 49,0% ha, inoltre, dichiarato che l'assistenza domiciliare di cui ha beneficiato è stata fornita dal SSN (Servizio Sanitario Nazionale); il 19,8%, invece, tramite l'erogazione di *voucher* o assegni di cura/assistenza per l'assistenza domiciliare e il restante 31,2% tramite strutture e associazioni private.

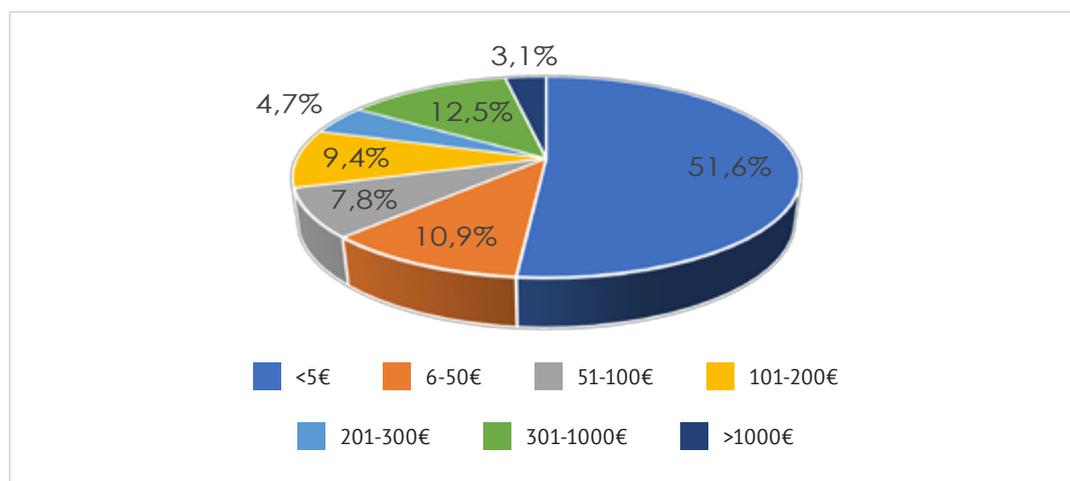
Nello specifico, a nessun paziente l'assistenza è stata erogata totalmente dal SSN, mentre al 17,2% dei pazienti l'assistenza è stata erogata esclusivamente con l'erogazione di *voucher* o assegni di cura/assistenza e al 31,2% esclusivamente da strutture/associazioni private (aziende del settore sanitario, farmaceutiche, *device*, etc., ovvero associazioni di volontariato, o assicurazioni private).

L'11,5% dei rispondenti ha usufruito di assistenza domiciliare con la presenza di un medico; il 28,3%, con la presenza dell'infermiere, l'8,7% con la presenza di un assistente sociale e il 50,0% alla presenza di una diversa figura professionale.

Per quanto riguarda gli oneri sostenuti (**Figura 6**), e in particolare la compartecipazione alla spesa (*ticket*):

- il 51,6% dei rispondenti ha affermato di avere sostenuto un costo inferiore a € 5,0 annuali
- il 10,9% tra € 6,0 e € 50,0
- il 7,8% tra € 51,0 e € 100,0,
- il 9,4% tra € 101,0 a € 200,0
- il 4,7% tra € 201,0 e € 300,0
- il 21,5% tra € 301,0 e € 1.000,0
- il 3,1% oltre € 1.000,0.

Figura 6
Spesa media mensile a carico del paziente



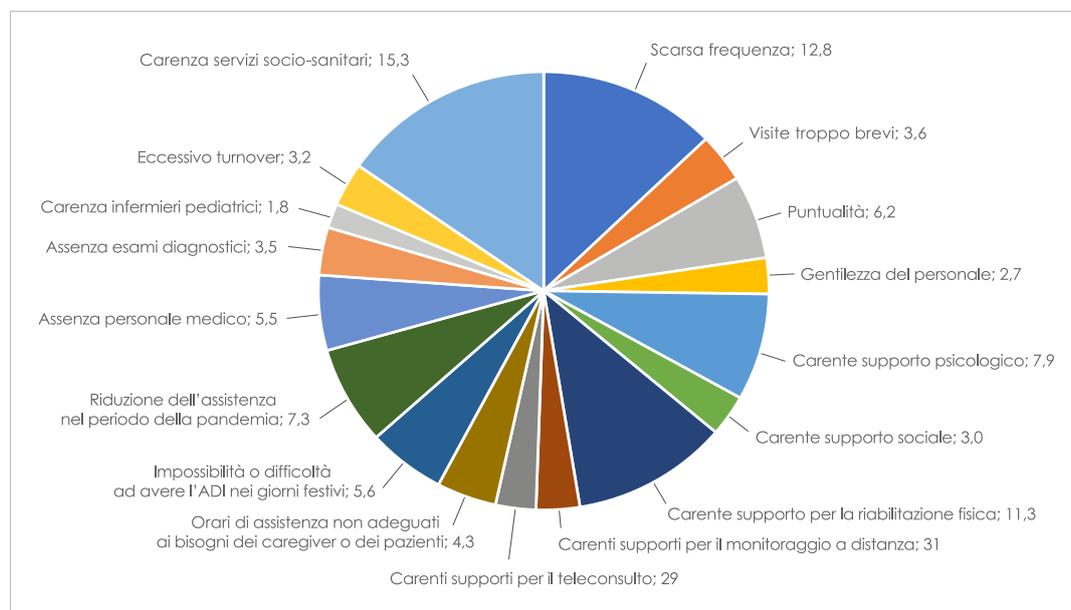
Per quanto riguarda il supporto psicologico fornito alla famiglia e/o al *caregiver*, l'87,5% dei pazienti ne ha beneficiato senza alcun onere economico; il 4,7% ha affrontato una spesa compresa tra € 1,0 e € 10,0 mensili; il 3,1% tra € 11,0 e € 50,0; il 3,1% tra € 51,0 e € 100,0; l'1,6% ha speso più di € 100,0 mensili (**Figura 7**).

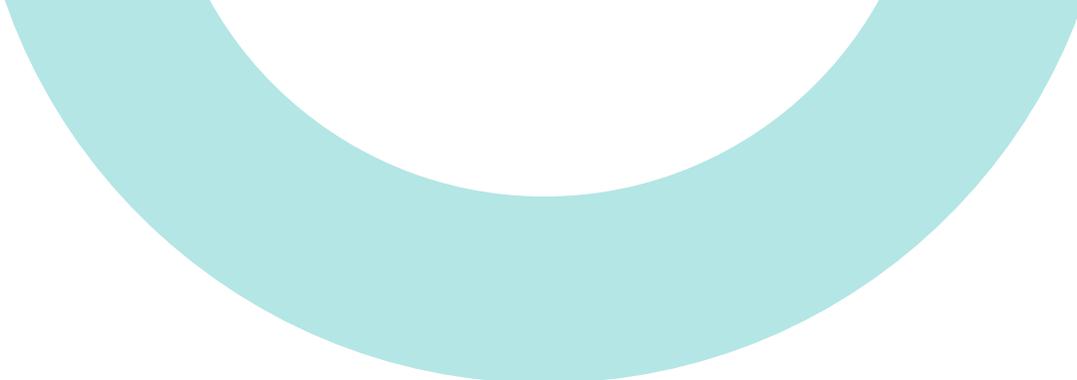
Ancora, il 17,2% dei rispondenti ha ricevuto servizi di telemedicina (telemonitoraggio, teleconsulto, etc...).

Ai partecipanti alla *survey* è stato, infine, chiesto di indicare quali siano le maggiori carenze che hanno riscontrato nell'assistenza domiciliare ricevuta, scegliendole da una lista predeterminata: la scarsa frequenza delle visite, la brevità, la puntualità, la gentilezza del personale, la carenza di supporto psicologico, la carenza di supporto sociale al carente supporto per la riabilitazione fisica, al carente supporto per il monitoraggio a distanza delle condizioni dei malati rari, al carente supporto per il teleconsulto, agli orari di assistenza non consoni ai bisogni dei *caregivers* o dei pazienti, all'impossibilità o difficoltà di usufruire dei servizi domiciliari nei giorni festivi, alla riduzione delle cure domiciliari verificatasi durante la pandemia, all'assenza di personale medico, all'assenza di esami diagnostici, alla scarsa presenza di infermieri pediatrici, all'eccessivo turnover e, infine, alla carenza di servizi socio-sanitari. Le risposte sono state pesate dai rispondenti, impiegando un punteggio compreso tra 0 e 100 punti.

Le carenze a cui i rispondenti hanno attribuito maggior punteggio sono state carenza dei servizi socio-sanitari, la scarsa frequenza degli accessi, nonché il carente supporto psicologico.

Figura 7
Carenze riscontrate nell'assistenza domiciliare





Riflessioni finali

Il progressivo abbandono di una concezione prettamente ospedalocentrica delle cure con reindirizzamento di quelle croniche al territorio, ha portato ad una progressiva “intensificazione” dell’assistenza territoriale nelle sue varie declinazioni: una di queste è l’assistenza domiciliare integrata che la stessa l’Organizzazione Mondiale della Sanità identifica con “la possibilità di erogare a domicilio del paziente cure appropriate e di alta qualità, usufruendo di tecnologie, operatori sanitari e *caregiver* per il mantenimento del massimo livello di benessere e salute”.

I malati rari, al pari degli altri malati cronici, dovrebbero poter usufruire dei servizi previsti dall’assistenza domiciliare. Il quesito fondamentale, quindi, al quale si è tentato di dare una risposta tramite la *survey* in oggetto è stato quello di valutare le effettive opportunità di accesso dei pazienti con malattia rara ai servizi di assistenza domiciliare.

La “scarsità” dei questionari completati (circa il 10,0% di quelli somministrati), tuttavia, non consente di trarre delle conclusioni univoche e incontrovertibili.

In ogni caso, dalle risposte pervenute è stato possibile evidenziare che, al pari di quanto verificatosi in altri *settings* assistenziali, la pandemia in atto dai primi mesi del 2020 ha comportato una contrazione in termini orari dei servizi domiciliari offerti (per circa il 70,0% dei rispondenti); ma se l’arco temporale analizzato comprende l’ultimo quinquennio la maggior parte dei rispondenti non ha rilevato sostanziali variazioni nella fruizione dei servizi in oggetto. Ciò significa che la crisi pandemica ha, nei fatti, cristallizzato lo sviluppo dell’assistenza domiciliare al periodo antecedente al suo verificarsi.

Inoltre, l’assistenza domiciliare continua ad essere un servizio caratterizzato da un ruolo ancora molto marginale dell’innovazione tecnologica (telemonitoraggio, teleconsulto, etc..), sia nei processi che nelle attività, a partire dalla scarsa informatizzazione dei dati di monitoraggio e delle informazioni sui pazienti fino al davvero ridotto ricorso alle ampie opportunità offerte dalla tecnoassistenza all’assistenza a domicilio (solamente il 17,2% dei rispondenti ha beneficiato del teleconsulto).

Ancora, le carenze a cui i rispondenti hanno attribuito maggior importanza sono state: carenza dei servizi socio-sanitari, scarsa frequenza degli accessi e carente supporto psicologico.

In buona sostanza, manca la messa a regime di un modello organizzativo virtuoso e omogeneo, in grado di sfruttare le opportunità offerte dalla digitalizzazione e dalle nuove tecnologie per rendere i servizi più efficaci, efficienti e replicabili nelle diverse aree del Paese.

L’auspicio è che in un futuro prossimo si possano verificare quali siano le condizioni e le possibilità di allargamento e di messa a regime di questa forma assistenziale che può risultare oltremodo strategica nella misura in cui si dimostri in grado di dare risposte efficaci ai bisogni dei malati rari e soprattutto alla condizione di cronicità che spesso li caratterizza, in cui è proprio la dimensione assistenziale ad essere strategica.

Il punto di vista delle aziende produttrici di farmaci orfani

Durante il contesto pandemico, il bisogno di strategie innovative di erogazione dell'assistenza sanitaria si è ulteriormente esacerbato, tanto da rendersi necessari dei programmi territoriali di supporto al paziente in cui le attività dei normali *provider* di servizi (ospedali, ASL, cooperative servizi accreditate) sono state integrate dall'azione dell'industria farmaceutica, che ha messo in campo risorse economiche ed umane per ridurre il carico di lavoro sul SSN almeno nel monitoraggio domiciliare degli esiti e dell'aderenza farmacologica su *cluster* di pazienti particolarmente fragili (Oliveria et al, 2015)².

I Programmi di Supporto ai Pazienti: definizione

I Programmi di Supporto al Paziente (PSP), nascono con l'intento di aumentare l'aderenza dei pazienti alle terapie (Ozkaynak et al, 2013)³, riducendo l'interruzione inappropriata o l'assunzione scorretta di determinati medicinali (Khurana, 2015)⁴. Specie per i malati più fragili, come sostenuto dall'OMS (2003)⁵, una scarsa aderenza alla terapia medicinale può comportare un aumento delle complicazioni della malattia, una ridotta qualità della vita e ad un aumento incontrollato dei costi sanitari complessivi legati alle complicazioni sorgenti da una mancata (o errata) assunzione del farmaco.

I PSP consistono, in generale, nella fornitura di assistenza al paziente o al *caregiver* nella gestione dell'assunzione dei medicinali e nel monitoraggio dei parametri biomedici, mediante una interazione tra gli operatori sanitari e *provider* dei servizi.

Esistono, allo stato attuale, diversi tipi di PSP, costruiti sui seguenti possibili schemi di interazione con il paziente:

- l'istituzione di un call center a cui i pazienti possono riferirsi per qualsiasi consiglio legato alla somministrazione della terapia o al decorso della malattia
- l'invio a domicilio di personale infermieristico specializzato, finalizzato alla somministrazione di farmaci e la gestione degli esiti della patologia (Khurana et al, 2017)⁶
- la fornitura di un servizio di *coaching* telefonico o per email, attraverso cui i pazienti vengono contattati da personale infermieristico specializzato, ad orari stabili, per ricordare quando e come effettuare l'assunzione della terapia farmacologica, verificandone l'effettiva aderenza (Duck et al, 2015)⁷.

³ Oliveira P, Zejnilovic L, Canhão H, von Hippel E. Innovation by patients with rare diseases and chronic needs. *Orphanet J Rare Dis.* 2015;10:41.

⁴ Ozkaynak, M., Flatley Brennan, P., Hanauer, D. A., Johnson, S., Aarts, J., Zheng, K., & Haque, S. N. (2013). Patient-centered care requires a patient-oriented workflow model. *Journal of the American Medical Informatics Association*, 20(e1), e14-e16.

⁵ Khurana, A., Rastogi, R., & Gamperl, H. J. (2017). Patient Support Program in Pharmacovigilance: Foster Patient Confidence and Compliance. *International Journal of Pharmacological and Pharmaceutical Sciences*, 11(4), 148-151.

⁶ World Health Organization. (2003). *Adherence to long-term therapies: evidence for action.* World Health Organization.

⁷ WKhurana, A., Rastogi, R., & Gamperl, H. J. (2017). Patient Support Program in Pharmacovigilance: Foster Patient Confidence and Compliance. *International Journal of Pharmacological and Pharmaceutical Sciences*, 11(4), 148-151.

⁸ Duck, A., Pigram, L., Errhalt, P., Ahmed, D., & Chaudhuri, N. (2015). IPF Care: a support program for patients with idiopathic pulmonary fibrosis treated with pirfenidone in Europe. *Advances in therapy*, 32(2), 87-107.



In Europa e in Italia, a quanto detto, si aggiungono, molte esperienze di consegna a domicilio di farmaci a pazienti particolarmente fragili, affetti da patologie molto gravi (spesso correlate ad immunodeficienza o elevati rischi infettivi), che sono impossibili all'approvvigionamento autonomo del medicinale.

In ogni caso, tutte le iniziative di PSP condividono gli stessi obiettivi fondamentali:

- stabilire un sistema di supporto ai pazienti, durante il periodo di adattamento alla diagnosi e al trattamento;
- fornire informazioni e supporto, al fine di stimolare l'*empowerment* del paziente nella consapevolezza della propria patologia e condizione clinica; ciò si estrinseca nell'educazione dei pazienti in merito alle caratteristiche della malattia e di come possano ottenere il massimo beneficio dal trattamento farmacologico
- gestire con successo gli esiti delle cure ai potenziali eventi avversi, fornendo consigli su come convivere con lo stato patologico, adattando il proprio stile di vita,
- fornire supporto e informazioni ai professionisti clinici che supportano il paziente, interagendo con i team sanitari specializzati che lo hanno in carico (Duck et al, 2015)⁸.

Diverse esperienze di PSP (MacQuarrie et al, 2014⁹; Chuang et al, 2011¹⁰; Duck et al, 2015¹¹) hanno dimostrato quanto educazione ed *empowerment* del paziente siano fondamentali rispetto al raggiungimento degli *endpoint* socio-sanitari connessi positivamente al percorso di cura. In particolare, i PSP risultano positivamente correlati all'aderenza al trattamento, al miglioramento dei risultati clinici, all'incremento della qualità della vita e alla riduzione dei costi per assistenza sanitaria.

⁹ Duck, A., Pigram, L., Errhalt, P., Ahmed, D., & Chaudhuri, N. (2015). *IPF Care: a support program for patients with idiopathic pulmonary fibrosis treated with pirfenidone in Europe*. *Advances in therapy*, 32(2), 87-107

¹⁰ MacQuarrie, J. L., & Lebel, F. (2014). *Pirfenidone use in clinical practice: analysis of data from a Canadian patient support program for patients with idiopathic pulmonary fibrosis (INSPIRATION)*. In A38. *DIAMONDS ARE FOREVER BUT NEW TREATMENTS FOR INTERSTITIAL LUNG DISEASE CAN'T WAIT* (pp. A1428-A1428). American Thoracic Society.

¹¹ Chuang, C., Levine, S. H., & Rich, J. (2011). *Enhancing cost-effective care with a patient-centric chronic obstructive pulmonary disease program*. *Population health management*, 14(3), 133-136.

¹² Duck, A., Pigram, L., Errhalt, P., Ahmed, D., & Chaudhuri, N. (2015). *IPF Care: a support program for patients with idiopathic pulmonary fibrosis treated with pirfenidone in Europe*. *Advances in therapy*, 32(2), 87-107.

Il riquadro di seguito approfondisce i dati relativi a programmi PSP in Europa.

I PSP in Europa

Da uno studio di A. Ganguli et al. (2016)¹², su 64 programmi in essere in Europa nell'anno 2016, le malattie la cui gestione è maggiormente supportata da programmi di PSP sono il diabete mellito di tipo 2 (18,8%) ed il virus dell'HIV (17,2%), con il restante 64% frammentato su una platea molto eterogena di altre patologie.

Oltre il 90% dei programmi è stata sviluppato e implementato da operatori sanitari; la restante parte è stato gestito da altri *provider* operanti nel settore sanitario, afferenti all'industria farmaceutica e al settore delle assicurazioni.

Oltre il 42% dei programmi si sono incentrati sul supporto di pazienti che necessitavano di uno specifico farmaco per la cura di una patologia specifica (ad es. terapia retrovirale nell'HIV, β -agonisti nell'asma, immunosoppressori/immunomodulante nel post-trapianto, fattori di necrosi antitumorale nell'artrite reumatoide). Il restante 58% è stato, invece, focalizzato su classi patologiche più genericamente individuabili (ad es. insufficienza cardiaca congestizia, sindrome metabolica).

Circa l'85% dei programmi PSP sono stati finanziati con risorse specificatamente stanziare. Tra questi: il 32% sono stati supportati dall'industria farmaceutica, il 31% dall'intervento pubblico ed il 37% da contributi privati erogati direttamente dai pazienti.

A livello operativo, il 55% dei PSP hanno erogato supporto telefonico, il 14 % hanno fornito, invece, supporto a domicilio. I programmi sono stati gestiti da diverse professionalità: il 45% da farmacisti, il 30% da infermieri, il 13 % da medici ed il 12 % da para-professionisti come educatori sanitari, consulenti formati, operatori sanitari della comunità.

¹³ Ganguli, A., Clewell, J., & Shillington, A. C. (2016). *The impact of patient support programs on adherence, clinical, humanistic, and economic patient outcomes: a targeted systematic review. Patient preference and adherence*, 10, 711.

I Programmi di Supporto ai Pazienti: aspetti normativi

Nonostante il recente impulso verso i PSP e la diffusione di attività di supporto domiciliare (durante la pandemia) al paziente su tutto il territorio nazionale, ad oggi non sono presenti disposizioni normative, legislative o regolamentari, che disciplinino con precisione tale attività assistenziale di supporto al SSN.

L'unica fonte regolatoria da cui sembra possibile individuare i “contorni” del PSP è il Codice Deontologico di Farmindustria, che all'articolo 4.7 introduce una sua definizione, quale: *“programma di assistenza sanitaria realizzato a beneficio del paziente in trattamento con un farmaco già autorizzato all'immissione in commercio da parte dell'azienda/e farmaceutica/e (es.: servizi telefonici e domiciliari di supporto alla terapia, servizi di monitoring della terapia anche attraverso attività diagnostiche, ecc.)”*.

In tal senso, quindi, si tratta di un servizio di assistenza “aggiuntiva” il cui scopo principale è il beneficio per il paziente, che si attiva in presenza di una somministrazione farmacologica; in altri termini, possiamo parlare di PSP solo quando abbiamo un paziente già in cura con uno specifico medicinale, la cui somministrazione richiede un'assistenza particolare o la necessità di un monitoraggio costante.

Di conseguenza, il PSP non può mai riguardare farmaci ancora in sperimentazione o utilizzati al di fuori di una prescrizione medica (ad es. farmaci ad uso compassionevole).

Anche a livello europeo il quadro normativo sui PSP rimane molto frammentato e legato a contesti locali, senza una definizione uniforme valida all'interno del territorio dell'Unione Europea. Solo l'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA), nelle sue Linee Guida sulla Buona Pratica di Farmacovigilanza (GVP - *Good pharmacovigilance practices*), ha richiamato formalmente l'esistenza dei PSP tra gli strumenti informativi mediante cui un titolare di un'autorizzazione all'immissione in commercio di un farmaco riceve e raccoglie informazioni relative all'uso dei suoi medicinali. In tal senso l'EMA, seppure in modo generico, riconosce ai PSP una funzione di raccolta dati sull'efficacia del prodotto e sulla *compliance* da parte dei pazienti¹³. Nei documenti ufficiali EMA, infatti, i PSP sono considerati tra le fonti informative privilegiate per la stesura dei Rapporti di aggiornamento periodico sulla sicurezza del farmaco (Periodic Update Safety Report – PSUR), realizzati ai fini dei processi di valutazione rischi-benefici dell'assunzione del medicinale¹⁴.

¹⁴ In particolare, riconoscendo l'esistenza di un rapporto di servizio tra azienda e paziente, l'EMA sottolinea come le informazioni tratte dai PSP siano considerabili come “su richiesta” di un provider e quindi la loro valutazione debba avvenire secondo regole differenti rispetto ai report rilasciati spontaneamente dai pazienti (Fonte: *Guideline on good pharmacovigilance practices (GVP) – Annex I (Rev 4) EMA/876333/2011 Rev 4, pag. 28*).

¹⁵ Fonte: *Guideline on good pharmacovigilance practices (GVP) – Module VII (Rev 1) EMA/816292/2011 Rev 1, pag. 10*.

Survey aziende farmaceutiche: risultati

Al fine di investigare il tema dei PSP nello specifico contesto della continuità assistenziale offerta ai malati rari, è stato somministrato un breve questionario ad alcune aziende farmaceutiche produttrici e fornitrici di farmaci orfani.

Il questionario aveva come obiettivo quello di indagare qualitativamente¹⁵ sulle variabili organizzative e socio-economiche che hanno spinto le aziende, tipicamente fornitrici di beni, a “integrare” la propria *mission* aziendale, muovendosi verso la fornitura di servizi accessori ai malati rari, poi realizzata mediante l’integrazione delle proprie competenze e reti operative con le attività territoriali svolte dalle ASL di riferimento.

La ricerca, esplorativa, ha voluto, in particolare, analizzare gli aspetti connessi alla pianificazione strategica dei programmi PSP sui malati rari, anche in considerazione delle mutate condizioni sanitarie durante la pandemia; nello specifico:

1. tipologia di servizi offerti ai malati rari
2. filosofia con cui i servizi sono stati progettati
3. effetto del Covid-19 nella pianificazione dei PSP
4. soddisfazione e gradimento da parte degli utenti dei PSP
5. esistenza di barriere all’accesso e difficoltà di realizzazione dei servizi
6. prospettive operative e sostenibilità dei servizi PSP nel prossimo futuro.

Il questionario è stato distribuito a **11 aziende** impegnate nella cura delle malattie rare, per un periodo di due settimane. Sei aziende hanno completato per iscritto, in modo anonimo, l’intero set di domande. A seguire si riassumono i principali risultati registrati.

Tipologia di servizi offerti ai malati rari

Tutte le aziende rispondenti si dichiarano impegnate nella realizzazione di PSP per pazienti affetti da malattie rare. La tipologia di servizi offerti copre l’intera gamma di PSP realizzabili in conformità al codice deontologico di Farmindustria; ovvero:

- consegna del farmaco a domicilio
- somministrazione del farmaco a domicilio
- interazione telefonica del paziente con un infermiere specializzato che fornisce informazioni di base sulla patologia e predispone, eventualmente, la spedizione farmaco in base al piano terapeutico
- *training* personalizzato per l’auto-somministrazione della terapia farmacologica
- monitoraggio e controllo delle condizioni cliniche ed emotive del paziente, tramite personale specializzato inviato presso il domicilio del malato, o attraverso infrastrutture tecnologiche operanti in telemedicina.

¹⁵ Patton, Michael Quinn. 2002. *Two decades of developments in qualitative inquiry: A personal, experiential perspective. Qualitative Social Work* 1: 261–83.



Tutti questi servizi, come specificato da alcune delle aziende rispondenti, riguardano attività addizionali, integrative e non sostitutive di quelle in capo ai singoli centri sanitari afferenti al SSN, in perfetta coerenza con quanto definito dal codice deontologico di Farmindustria.

I programmi sono attivati, previo opportuno coinvolgimento delle strutture interessate, su richiesta del clinico in base alle esigenze specifiche del paziente e sono erogati direttamente o attraverso terzi fornitori, con il fine di offrire un'assistenza personalizzata ad elevati *standard* di sicurezza ed efficacia.

Filosofia con cui i servizi sono stati progettati

Secondo le aziende rispondenti la principale motivazione che spinge alla realizzazione di PSP, risiede nella volontà di rispondere ai bisogni insoddisfatti dei pazienti: ciò ha determinato una propensione al miglioramento della vita del malato raro attraverso atti concreti, finalizzati ad appagare le effettive necessità dell'individuo che verte in stato di fragilità; le condizioni patologiche spesso comportano per l'individuo difficoltà o impossibilità di spostamento, come anche sovra-esposizione a rischi clinici ed infettivi, o necessità di monitoraggio costante dei parametri biomedici o, ancora, esigenza di conoscere approfonditamente la propria patologia. Ne discendono azioni messe on campo nei PSP, che mirano ad incrementare la continuità assistenziale per il paziente all'interno del territorio.

Quanto evidenziato si traduce nella predisposizione di servizi mirati a:

- creare un legame continuo tra operatore sanitario e paziente
- garantire flessibilità organizzativa
- salvaguardare l'aderenza terapeutica, rispetto ad accadimenti esogeni (ad es. la paura infezioni e/o contagi che potrebbe limitare l'accesso ospedaliero per visite di controllo e/o di aggiustamento della terapia).

Effetto del Covid-19 nella pianificazione dei PSP

Due delle sei aziende farmaceutiche rispondenti al questionario hanno attivato i propri PSP durante la pandemia, in risposta alle difficoltà di accesso presso le strutture ospedaliere, esacerbate anche dalla presenza di rischi infettivi. Le altre 4 aziende avevano PSP attivi già prima dell'emergenza.

In ogni caso, come ampiamente atteso, il Covid-19 ha giocato un ruolo fondamentale nello stimolare un processo di integrazione dei servizi assistenziali territoriali privati a quelli già erogati dalle organizzazioni afferenti al SSN. Tutti le aziende intervistate che avevano attivato dei PSP già prima dell'emergenza sanitaria, riferiscono di aver dovuto aumentare i propri servizi in risposta alla crescente domanda di assistenza da parte dei pazienti. In particolare, stando alle risposte del questionario, la pandemia:

- ha accresciuto la necessità di tutti i servizi sanitari (diagnostici e/o terapeutici) che consentono una gestione domiciliare del paziente
- ha comportato una forte accelerazione della digitalizzazione della medicina e degli strumenti di supporto ai pazienti, consentendo l'operatività di alcuni servizi completamente da remoto
- ha incrementato la platea dei servizi offerti mediante PSP, consentendo maggiore differenziazione tra le prestazioni erogabili presso il domicilio del paziente (ad es. esami diagnostici oltre che somministrazioni della terapia farmacologica).

Una delle aziende rispondenti ha anche affermato di aver ottenuto formale apprezzamento da parte di alcune Regioni sull'importanza dei servizi PSP per i malati rari.

Soddisfazione e gradimento da parte degli utenti dei PSP

Tutte le interviste hanno, inoltre, riportato un forte apprezzamento di pazienti e *caregiver* rispetto ai PSP di supporto domiciliare. In particolare, stando a quanto dichiarato dalle aziende farmaceutiche coinvolte nell'erogazione di servizi territoriali accessori alla fornitura del farmaco, i pazienti hanno avuto una risposta positiva, coerente con gli obiettivi e la filosofia con cui i servizi sono stati progettati. In dettaglio:

- i pazienti si reputano soddisfatti perché riescono a gestire più consapevolmente e con maggiore propensione agli esiti la propria patologia
- l'apprezzamento del paziente è dovuto principalmente all'interazione più frequente con personale sanitario qualificato che supporta e istruisce l'ammalato nella somministrazione farmacologica e nel monitoraggio degli esiti, ma anche per la comodità di ricevere il medicinale presso il proprio domicilio senza oneri da spostamento; inoltre, la soddisfazione dei pazienti si ripercuote, direttamente, anche sui clinici del SSN che da un lato si sentono supportati dal fornitore un farmaco anche nella continuità assistenziale territoriale, decrementando così il "burden of disease", e dall'altra rilevano un miglioramento complessivo dello stato di salute dei pazienti, dovuto ad una maggiore aderenza alla terapia farmacologica, supportata da un monitoraggio dei parametri vitali dell'ammalato.

Barriere all'accesso e difficoltà di realizzazione dei servizi

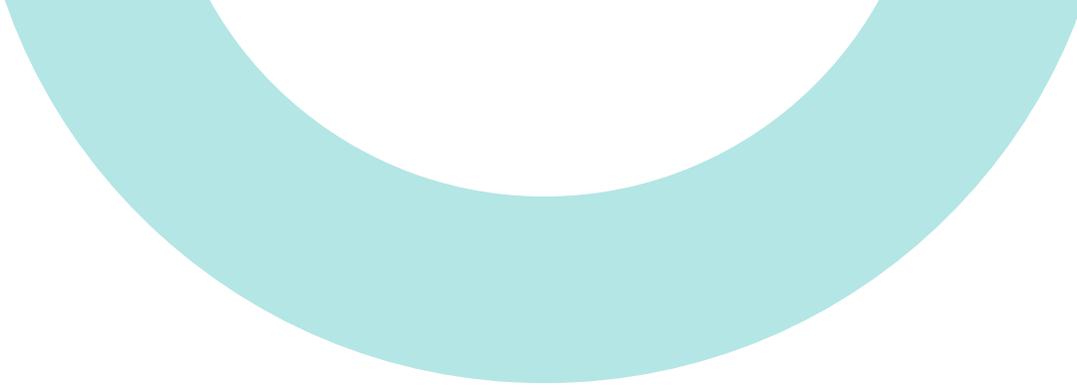
Per quanto concerne le barriere alla realizzazione di un PSP, le difficoltà più comunemente riscontrate, dai rispondenti, possono essere sintetizzate come segue:

- barriere normative, quali l'assenza di un quadro normativo di riferimento comporta una disomogeneità nell'organizzazione dei PSP tra le diverse Regioni; ciò determina una impossibilità di erogazione omogenea dello stesso servizio su tutto il territorio nazionale, con evidenti ripercussioni di accessibilità da parte del malato e carenza dell'universalità. Inoltre, come risulta nella metà delle risposte, dove l'integrazione tra azienda farmaceutica e normativa regionale è possibile, il livello di burocrazia è molto consistente; ciò evidentemente mina la possibilità di attivazione tempestiva del servizio, in caso di necessità
- barriere comunicative, quali la frequente carenza di informazione dei pazienti sull'opportunità di poter usufruire dei servizi connessi ai PSP; la comunicazione dell'esistenza di tali programmi e la proposta di arruolamento al progetto è demandata esclusivamente ai referenti clinici del paziente, senza alcuna possibilità di intermediazione/pubblicità da parte dell'azienda farmaceutica
- barriere tecnologiche, presenti nei servizi che si avvalgono di strumenti tecnologici (sensori di diagnostica, apparecchi di comunicazione dedicati, *device* di somministrazione farmacologica), quali l'alfabetizzazione tecnologica dei pazienti, che per alcune classi di età è molto ridotta se non del tutto assente
- barriere di coordinamento, riscontrabili nelle opinioni di alcune delle aziende intervistate, secondo le quali non è di facile attuazione un coordinamento trasversale tra il *provider* del PSP, la comunità scientifica e le associazioni dei pazienti, utile per tradurre le necessità di questi ultimi in servizi di continuità assistenziale realizzabili ed effettivamente fruibili da parte della popolazione
- barriere intrinseche al servizio clinico, sono state rilevate osservando che alcuni operatori sanitari del SSN si sono mostrati scettici nei confronti dei PSP, tanto da ostacolarne l'operatività ed il corretto funzionamento; viene riportato da una delle aziende intervistate che in alcuni casi, in relazione a servizi di consegna a domicilio dei medicinali, i farmacisti ospedalieri non sono stati disposti a consegnare il farmaco a persone diverse dal paziente o dal *caregiver* delegato, creando un evidente disservizio per l'ammalato.

Prospettive dei PSP nel prossimo futuro

Tutte le aziende intervistate hanno palesato la propria volontà di incrementare ulteriormente i servizi di PSP offerti ai pazienti, mediante:

- aumento della tipologia di servizi offerti
- estensione dei PSP a diverse aree cliniche e terapeutiche (sempre correlate alle patologie rare)
- ampliamento delle aree territoriali in cui implementare i PSP
- introduzione di tecnologie digitali, come app o *device* integrati di telemedicina, in grado di rispondere all'evoluzione dei bisogni dei pazienti
- collaborazione con le associazioni di pazienti per co-creare l'architettura dei servizi offerti, rafforzando l'orientamento alle necessità dei malati come obiettivo primario dei PSP, nella logica della medicina di precisione applicata al *patient-oriented care*.



Viene rilevato come la filosofia con cui i servizi PSP sono stati sinora progettati, appaia coerente con le prescrizioni del codice deontologico di Farmindustria, sia con la volontà dell'azienda di rispondere a quei bisogni del malato raro di cui il SSN non riesce a farsi carico, per mancanza di risorse o perché al di fuori delle proprie competenze. Troviamo quindi, tra i PSP risultanti dall'indagine, esperienze eterogenee che vanno dalla *home delivery* del medicinale, a servizi di monitoraggio dell'aderenza terapeutica, alle attività di controllo domiciliare degli esiti delle cure.

Da quanto riferito, i pazienti sono soddisfatti dei servizi ricevuti nell'ambito dei PSP; ciò sembrerebbe in linea con lo studio di Levine (2015)¹⁷, secondo il quale, un approccio alle cure centrato sul paziente tende a migliorare la qualità delle interazioni tra i fornitori di beni e servizi e le istituzioni pubbliche, e di conseguenza un allineamento degli intenti su ciò che crea valore e benessere per i “consumatori sanitari” e le loro famiglie.

Inoltre, in prospettiva, il coinvolgimento dei pazienti (attraverso associazioni di categoria o collaborazione diretta con i referenti clinici) nella co-progettazione di PSP sembrerebbe essere un'ulteriore opportunità per incrementare il valore dell'assistenza domiciliare (Danaher et al., 2016)¹⁸ con l'intento duplice di massimizzare il rapporto costo-benefici per il SSN e di minimizzare quello tra rischi-benefici per il malato.

Certamente la pandemia Covid-19 ha dato una forte spinta ai PSP; oltre a stimolare forme di etica collaborazione del privato, che ha voluto proattivamente contribuire alla gestione della crisi, l'emergenza epidemiologica ha dato una forte spinta al cambiamento delle modalità di erogazione dell'assistenza sanitaria, in risposta alle necessità di distanziamento sociale e riduzione degli accessi ospedalieri. Da questo punto di vista i possibili sviluppi dei PSP, in termini di rafforzamento della continuità assistenziale, non sembrano essere molto difforni dalle strategie di gestione del malato in Telemedicina, divenute recentemente un nuovo *standard* come primo accesso alle cure (Chunara et al, 2021)¹⁹.

Se, dunque, i PSP possono essere considerati un valido strumento per aumentare il valore clinico dell'assistenza sanitaria, incrementando il grado di soddisfazione del paziente rispetto alla gestione della patologia e la conoscenza degli esiti della propria salute, occorre operare una seria riflessione sulle modalità per rendere, prospetticamente, i PSP sostenibili dal punto di vista economico.

Ad oggi, infatti, tali iniziative sono finanziate esclusivamente dalla liberalità delle aziende farmaceutiche che producono tali servizi di continuità assistenziale sospinte da una responsabilità accessoria rispetto alla mera fornitura del medicinale.

¹⁸ Levine, S. (2015). *We are all patients, we are all consumers*. NEJM Catalyst.

¹⁹ Danaher TS, Gallan AS (2016) *Service research in health care: positively impacting lives*. SAGE Publications Sage CA: Los Angeles, CA.

²⁰ Chunara, R., Zhao, Y., Chen, J., Lawrence, K., Testa, P. A., Nov, O., & Mann, D. M. (2021). *Telemedicine and healthcare disparities: a cohort study in a large healthcare system in New York City during COVID-19*. *Journal of the American Medical Informatics Association*, 28(1), 33-41.



La continuità dei PSP, in futuro, sembra debba passare per forme di remunerazione del farmaco in grado di considerare anche il ruolo che svolge l'azienda farmaceutica nell'integrare le attività ed i servizi già svolti dal SSN nell'assistenza domiciliare.

Sarebbe pensabile, in una qualche relazione ibrida di partenariato pubblico-privato, promuovere forme contrattualistiche di *pay-for-performance* (Manial et al., 2013), in cui si preveda che l'azienda farmaceutica possa trovare la propria remunerazione complessiva a seguito degli esiti e degli *outcomes* ottenuti sul paziente (Borgonovi, 2017)²⁰. Una forma di remunerazione fondata, quindi, non solo sulla base del medicinale fornito, ma anche in relazione ai servizi resi, funzionali alla corretta assunzione del farmaco, all'incremento all'aderenza terapeutica e alle possibilità di adattamento della terapia grazie al monitoraggio dei parametri vitali agli esiti delle cure²¹.

Non sembra inappropriato supporre che, in un prossimo futuro, le gare di fornitura dei farmaci per la cura di alcune patologie rare, possano prevedere l'obbligatorietà di erogazione accessoria di forme di PSP, con il fine di garantire la continuità assistenziale sul territorio; questa opzione appare allineata con quello che già oggi accade nei bandi di gara per l'acquisto di *device* cardiologici impiantabili (ICD, CRT, PMK) per i quali, in molti casi, è richiesta la fornitura di sistemi accessori di comunicazione, utilizzabili all'uopo per il monitoraggio del deterioramento dei parametri vitali finalizzati al miglioramento degli esiti delle cure.

Resta inteso, che il tema dei PSP in Italia è molto acerbo e la loro considerazione strutturata nell'ambito del sistema sanitario, e dell'assistenza domiciliare, nello specifico, ancora prematura. Tuttavia, le loro potenzialità per il benessere dell'ammalato, anche in risposta alle esigenze di sostenibilità economica dell'assistenza domiciliare, rendono la tematica di grande rilievo per il prossimo futuro, anche in considerazione del rapido processo di ammodernamento a cui il sistema sanitario è chiamato ad adeguarsi, in risposta ai recenti mutamenti demografici ed epidemiologici della cittadinanza.

²¹ Borgonovi, E. (2017). *Prepararsi alla medicina personalizzata e di precisione*. *Mecosan*, 104-4, 3-6.

²² In tal senso, esistono già esperienze in Italia di remunerazione di farmaci, particolarmente costosi ed innovativi, sulla base del risultato clinico ottenuto sul malato raro; si veda ad esempio il *tisagenlecleucel* nella cura di pazienti pediatrici e adulti fino a 25 anni affetti da Leucemia Linfoblastica Acuta a cellule B refrattaria. <https://www.osservatorioterapieavanzate.it/regolatorio/car-t-farmaco-di-novartis-innovativo-anche-nel-modello-di-pagamento>

ALLEGATI



ALLEGATO 1

L'ASSISTENZA DOMICILIARE AI MALATI RARI IN ITALIA

Tavolo tecnico interregionale malattie rare presso la Commissione Salute, Silvia Di Michele (Regione Abruzzo), Giulia Motola (Regione Basilicata), Francesco Benedicenti (Provincia Autonoma di Bolzano), Elisa Rozzi, Matteo Volta (Regione Emilia Romagna), Maurizio Scarpa (Regione Friuli Venezia Giulia), Rosa Bellomo (Regione Liguria), Erica Daina, Federica Falcone (Regione Lombardia), Alba Minnozzi (Regione Marche), Simone Baldovino (Regione Piemonte), Giuseppina Annicchiarico, Sonia Storelli (Regione Puglia), Stefano Campo, Maria Piccione (Regione Sicilia), Cecilia Berni, Valeria Di Fabrizio (Regione Toscana), Maria Concetta Patisso, Ombretta Checconi (Regione Umbria), Alessandra Caci, (Regione Valle d'Aosta), Paola Facchin, Monica Mazzucato, Laura Visonà Dalla Pozza (Regione Veneto)

Premessa

La progressiva costruzione delle reti di assistenza per i malati rari è iniziata circa 20 anni fa con la definizione e successiva rivalutazione dei Centri di riferimento per malattie rare via via programmati in modo sempre più omogeneo per ampi gruppi di patologia e spesso comprendenti più UU.OO. per garantire la necessaria multi-disciplinarietà che la diagnosi e la presa in carico dei malati rari richiede. Man mano che questo lavoro andava sempre più coinvolgendo tutte le regioni d'Italia e assumendo connotati più omogenei e relazionati a dati oggettivi di attività, si è resa sempre più evidente la necessità di integrare l'attività di questi Centri con quella della rete costituita dai servizi territoriali e ospedalieri che operano più vicino al luogo di vita del malato fino al suo proprio domicilio. L'importanza dell'assistenza territoriale e di una sotto-parte di essa, quali le cure domiciliari, è stata ulteriormente evidenziata con le vicende che hanno caratterizzato gli ultimi 2 anni, in cui i sistemi sanitari sono stati completamente travolti e orientati dalla pandemia di COVID-19. Una prima lezione che la pandemia ha dato è stata quella della necessità assoluta di creare sistemi sanitari regionali e quindi nazionali caratterizzati da un equilibrio tra offerte assistenziali e risorse impiegate per lo sviluppo e la qualità della rete ospedaliera e offerte di servizio e risorse gestite dalla rete territoriale.

La seconda lezione è stata quella di imporre, vista la limitazione dell'accesso a strutture anche ambulatoriali gestite dagli ospedali, organizzazioni alternative alle tradizionali per permettere la continuità assistenziale specie dei malati cronici e complessi o comunque in situazioni di gravità. Le conseguenze di queste due lezioni sono state da un lato il rinnovato interesse per l'organizzazione territoriale che si rispecchia con l'ipotesi di un D.M. sugli *standard* (il cosiddetto D.M. 71) che riguarda il territorio, analogamente a quanto è già stato prodotto per le reti ospedaliere (D.M. 70). Un secondo prodotto è stato quello di accelerare in modo improvviso e spesso spettacolare l'utilizzo di modalità di tele-assistenza o assistenza via web e di organizzazione a domicilio di assistenza fino alla distribuzione di prodotti per trattamenti che non potevano essere sospesi né approvvigionati direttamente dalle farmacie aperte al pubblico. Stiamo parlando di erogazione e somministrazione di farmaci spesso innovativi e ad alto costo, di dietetici, di presidi e altri supporti distribuiti direttamente a domicilio dei malati. Queste conseguenze della pandemia da COVID-19 hanno interessato, come già detto, molte categorie di malati cronici e complessi.



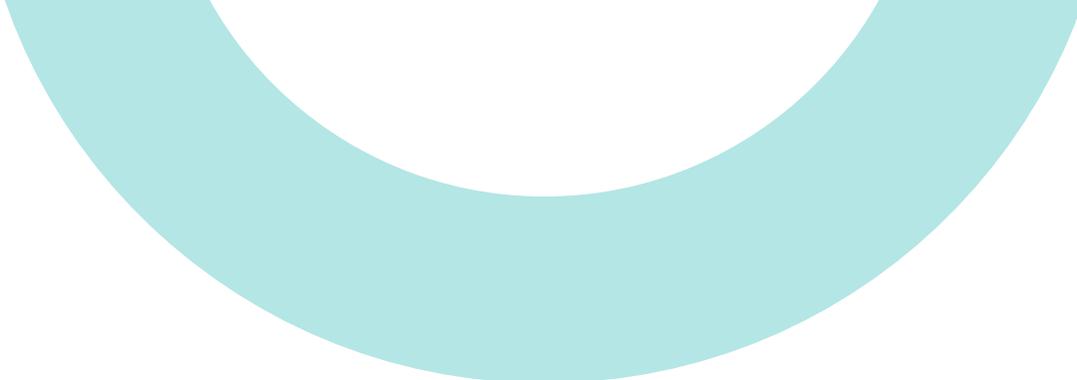
Non ci sono dati a livello nazionale che possano orientare circa l'impatto che questi cambiamenti hanno prodotto nell'assistenza ai malati rari. Esistono solo alcune rilevazioni prodotte da alcune associazioni di utenza basate su interviste che hanno interessato in modo volontario solo alcune classi di malati rari e un numero abbastanza ridotto di pazienti. È pertanto molto difficile estrapolare da questi dati ciò che è davvero successo nell'universo dei malati rari e del tutto impossibile fare qualsiasi inferenza statistica rispetto alla complessiva situazione attuale e futura. Per tale ragione, i rappresentanti delle reti regionali per malati rari presenti nel Tavolo tecnico interregionale per le malattie rare istituito presso la Commissione Salute si sono posti una prima domanda: ma quanti sono i malati rari che prima e successivamente alla pandemia sono seguiti in Italia in una assistenza domiciliare integrata? Quanti in età pediatrica e quanti in età adulta e anziana? Per quali gruppi di patologie prevalenti?

Per rispondere a queste domande preliminari è stata quindi condivisa una rilevazione attuata in tutte le regioni di cui questo breve capitolo porta i primi risultati.

Materiali e metodi

Per rendere omogenea la rilevazione per tutte le regioni italiane e quindi comparabili i dati raccolti, si è deciso di utilizzare flussi informativi correnti all'interno della struttura NSIS, flussi peraltro legati al monitoraggio LEA. Il vantaggio di questa scelta sta nella omogeneità dei contenuti raccolti e del metodo di rilevazione, nell'eshaustività delle informazioni interessanti tutte le regioni e infine, dato da non sottovalutare, nella disponibilità di dati senza dover ricorrere a raccolte ad hoc costose e richiedenti un tempo futuro di rilevazione e monitoraggio. Si è pertanto deciso di utilizzare fundamentalmente due fonti di rilevazione: la prima data dalle Anagrafi sanitarie che registrano i dati anagrafici e nominativi dei pazienti e la presenza di eventuali esenzioni tra cui quelle per gruppi di malattie rare. In questo modo è stato possibile rilevare i denominatori per ciascuna Regione o PP.AA. dati dai residenti o domiciliati assistiti in regione noti perché affetti da malattie rare. Estratti questi record è stato poi possibile utilizzare l'identificativo univoco non nominativo mantenendo alcune informazioni anagrafiche, quali l'età divisa nelle classi 0-17 e ≥ 18 , lo stato in vita e il macro-gruppo di malattie rare di cui il soggetto è affetto secondo la codifica ICD9-CM. Per fare questo, sono stati predisposti 16 gruppi contenenti i codici di esenzione del D.M. del febbraio 2017 in modo che la rilevazione fosse omogenea in tutte le regioni.

La seconda fonte d'informazione è consistita nel flusso informativo nazionale per il monitoraggio dell'assistenza domiciliare (NSIAD), flusso istituito con D.M.S. del 2008, in seguito ad Accordo tra Stato e Regioni e PP.AA, e modificato con D.M.S. del 2012. Alcune regioni avevano istituito un flusso sull'assistenza domiciliare integrata ADI in precedenza al sistema informativo di monitoraggio nazionale ma, in seguito all'istituzione di tale sistema di monitoraggio tutti i flussi già eventualmente esistenti si sono adeguati nelle strutture, definizioni operative e modalità di raccolta. Il flusso è complesso raccogliendo informazioni sui soggetti per cui è attivata un'assistenza domiciliare, comprese le codifiche delle diagnosi e dei profili di bisogni assistenziali. Nel caso di pazienti complessi con più di 4 bisogni sono rilevate anche le caratteristiche principali tratte dalle Unità Valutative distrettuali. Sono poi rilevati gli accessi a domicilio, gli operatori interessati, la chiusura dell'assistenza domiciliare



che avviene in caso di guarigione o decesso o di ricovero ospedaliero per più di 5 giorni o di chiusura per durata superiore all'anno.

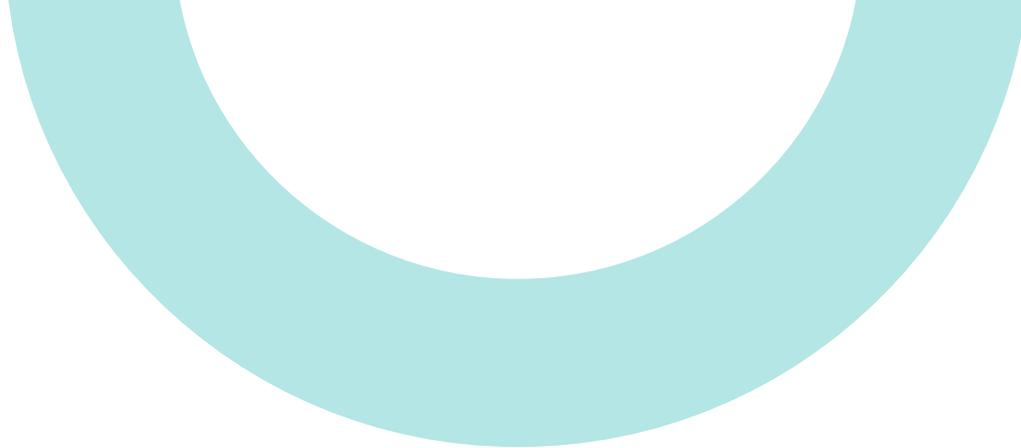
Di tutto questo patrimonio informativo si è deciso di utilizzare solo l'informazione circa i soggetti con assistenza domiciliare e la loro divisione nelle due classi di età pediatrica e dell'adulto. Una volta rilevati i dati si è predisposto un file merge sui record pseudo-anonimizzati per definire i malati rari che erano presenti nel flusso dell'assistenza domiciliare e le loro distribuzioni nelle due classi d'età e nei 16 macro-gruppi di patologia. Poiché la diffusione dell'assistenza domiciliare ha delle variazioni tra le regioni si è voluto anche verificare la frequenza di assistenza domiciliare in base alla popolazione residente in toto oltre che le due percentuali di assistenza domiciliare sui malati e di assistenza domiciliare per malati rari su tutti coloro che hanno un'assistenza domiciliare.

Di seguito si riportano le tabelle delle regioni che hanno potuto rilevare i dati entro la scadenza prefissata. La regione Lazio è stata impossibilitata a partecipare alla rilevazione a causa della difficoltà di utilizzare i flussi informativi dell'ADI per le annualità 2019-2020 in seguito all'attacco hacker subito qualche tempo fa. La regione Sardegna è riuscita a fornire per la data prefissata solo dati parziali di alcune ASL e la PP.AA. di Trento e le Regioni Molise, Campania e Calabria non sono riuscite a completare la rilevazione entro il tempo previsto. Sono presenti le rilevazioni di 15 Regioni o PP.AA.

Nelle tabelle successive sono riportati i risultati riguardanti 45.433.594 milioni di abitanti sottoposti a monitoraggio (76,2% della popolazione italiana), 14.207.894 milioni non sono stati invece monitorati entro la scadenza temporale prevista (24% della popolazione italiana).

Risultati

Nella **tabella 1** sono riportati i dati per gli anni 2019 (pre-COVID) e 2020 (primo anno di pandemia) per regione e nel totale delle regioni monitorate. Per l'anno 2020 su circa 45.434.000 soggetti 320.101 sono registrati come malati rari e di questi 10.762 hanno ricevuto un'assistenza domiciliare integrata. Tra tutti i malati rari quelli con ADI sono stati mediamente 3,4% e tra tutti i malati seguiti in ADI 1,6% sono malati rari. Questi dati sono relativi all'estensione dell'assistenza domiciliare integrata sui residenti delle varie regioni che come è evidente fluttua in modo anche consistente da un massimo di 5,5% residenti a un minimo di 0,3% residenti. È evidente che dove il numero di pazienti seguiti in ADI è più elevato minore è la percentuale dei malati rari seguiti in ADI su tutti i seguiti in ADI. Ciò che è interessante sottolineare è peraltro il numero consistente pari a 10.762 migliaia di malati rari che sono stati seguiti in ADI nel 2020, dato in crescita nel primo anno di pandemia rispetto a quello nell'anno immediatamente precedente. Il delta percentuale della crescita tra i seguiti in ADI dei malati rari è peraltro del tutto sovrapponibile al delta percentuale della crescita dei malati seguiti in ADI in generale nel corso del primo anno di pandemia. Ciò significa che la decisione di seguire più malati rari in ADI non ha risposto tanto ad una programmazione unicamente riservata ai malati rari ma piuttosto ad un atteggiamento diffuso che ha coinvolto varie categorie di malati cronici e complessi tra cui anche i malati rari.



Nella tabella successiva (**tabella 2**) si riproduce per regione la distribuzione dei malati rari in ADI per le due classi d'età pediatrica e dell'adulto e i rapporti percentuali di malati rari in ADI rispetto a tutti i malati rari e i malati rari in ADI rispetto a tutti i pazienti in ADI. Infine, nella **tabella 3** sono riportati globalmente le distribuzioni dei malati rari in ADI per i 16 gruppi di patologia e per l'età pediatrica e dell'adulto.

Questo lavoro riproduce solo dei risultati preliminari ma è comunque di interesse poiché mette in luce come l'attività di assistenza domiciliare sia presente e sviluppata nel territorio nazionale, e sia cresciuta durante la pandemia. Bisogna tenere conto che le fonti utilizzate producono una sottostima del fenomeno in quanto non registrano tutte le assistenze a domicilio ma solo quelle che hanno una certa caratteristica di attività e intensità e quindi molte attività che comunque possono essere sviluppate nei confronti dei malati rari possono non essere comprese in questa rilevazione. Nonostante questo, certamente le attività di assistenza domiciliare vanno ancora potenziate e sviluppate ma è molto importante, nel momento in cui si sta pensando alla riorganizzazione e al nuovo modello di cure territoriali, pensare che già ora e tanto più nel futuro malati molto complessi, tra cui certamente i malati rari, devono essere assistiti e richiedono un'organizzazione che tenga conto dei loro bisogni e che sviluppi una struttura anche verticale dell'offerta dei servizi territoriali per diverse aree di complessità così come già avvenuto nello sviluppo delle reti ospedaliere.

Tabella 1

	2019						2020					
	MR	MR in ADI	%MR in ADI/ tot MR	TOT PAZ ADI	%MR in ADI/ tot paz ADI	% ADI/ res	MR	MR in ADI	%MR in ADI/ tot MR	TOT PAZ ADI	%MR in ADI/ tot paz ADI	% ADI/ res
ABRUZZO	1.591	194	12,2	17.028	1,1	1,3	2.765	255	9,2	18.713	1,4	1,4
BASILICATA	3.476	78	2,2	9.120	0,9	1,6	3.670	93	2,5	8.346	1,1	1,5
PA BOLZANO							4.832	63	1,3	2.622	2,4	0,5
EMILIA ROMAGNA	33.742	1.471	4,4	101.125	1,5	2,3	36.706	1.605	4,4	100.703	1,6	2,3
FRIULI VENEZIA GIULIA	1.052	222	21,1	66.429	0,3	5,5	864	126	14,6	66.567	0,2	5,5
LIGURIA	14.588	405	2,8	34.709	1,2	2,3	14.230	696	4,9	53.498	1,3	3,5
LOMBARDIA	80.516	2.163	2,7	105.722	2,0	1,1	83.587	2.471	3,0	119.424	2,1	1,2
MARCHE							8.705	216	2,5	14.469	1,5	1,0
PIEMONTE	46.618	576	1,2	20.448	2,8	0,5	46.190	710	1,5	29.137	2,4	0,7
PUGLIA	21.974	1.253	5,7	25.159	5,0	0,6	24.210	807	3,3	24.255	3,3	0,6
SICILIA	13.822	409	3,0	70.496	0,6	1,4	16.322	437	2,7	64.696	0,7	1,3
TOSCANA	27.749	413	1,5	13.875	3,0	0,4	29.350	395	1,3	11.264	3,5	0,3
UMBRIA	6.274	149	2,4	11.209	1,3	1,3	6.632	161	2,4	10.561	1,5	1,2
VALLE D'AOSTA	819	16	2,0	400	4,0	0,3	866	12	1,4	351	3,4	0,3
VENETO	38.706	2.312	6,0	132.198	1,7	2,7	41.172	2.715	6,6	145.500	1,9	3,0
TOTALE	290.927	9.661	3,3	607.918	1,6	1,4	320.101	10.762	3,4	670.106	1,6	1,5

Tabella 2

	2019						2020									
	PAZ MR in ADI		%MR in ADI/ tot MR		PAZ TOT ADI		%MR in ADI/ tot ADI		PAZ MR in ADI		%MR in ADI/ tot MR		PAZ TOT ADI		%MR in ADI/ tot ADI	
	0-17	≥18	0-17	≥18	0-17	≥18	0-17	≥18	0-17	≥18	0-17	≥18	0-17	≥18	0-17	≥18
ABRUZZO	19	175	5,0	14,4	*	*	*	*	16	239	3,0	10,7	*	*	*	*
BASILICATA	24	54	4,8	1,8	104	9.016	23,1	0,6	24	69	4,6	2,2	95	8.251	25,3	0,8
PA BOLZANO									27	36	4,0	0,9	598	2.024	4,5	1,8
EMILIA ROMAGNA	208	1.263	3,9	4,4	665	100.460	31,3	1,3	215	1.390	3,6	4,5	663	100.040	32,4	1,4
FRIULI VENEZIA GIULIA	23	199	10,8	23,7	479	65.950	4,8	0,3	14	112	5,6	18,2	524	66.043	2,7	0,2
LIGURIA	30	375	1,6	3,0	183	34.526	16,4	1,1	73	623	4,1	5,0	3.407	50.091	2,1	1,2
LOMBARDIA	275	1.888	2,8	2,7	1.050	104.672	26,2	1,8	327	2.144	3,3	2,9	1.371	118.053	23,9	1,8
MARCHE									42	174	2,9	2,4	138	14.331	30,4	1,2
PIEMONTE	74	502	0,9	1,3	178	20.270	41,6	2,5	78	632	1,0	1,6	306	28.831	25,5	2,2
PUGLIA	255	998	6,5	5,5	*	24.928	*	4,0	124	683	2,8	3,4	209	24.046	59,3	2,8
SICILIA	*	*	*	*	*	*	*	*	*	*	*	*	*	*	*	*
TOSCANA	89	324	2,3	1,4	*	13.847	*	2,3	65	330	1,6	1,3	*	11.224	*	2,9
UMBRIA	20	129	2,0	2,5	47	11.162	42,6	1,2	25	136	2,3	2,4	58	10.503	43,1	1,3
VALLE D'AOSTA	5	11	4,1	1,6	14	386	35,7	2,8	4	8	3,2	1,1	12	339	33,3	2,4
VENETO	282	2.030	4,1	6,4	1.062	131.136	26,6	1,5	335	2.380	4,7	7,0	3.137	142.363	10,7	1,7
TOTALE	1.304	7.948	2,9	3,2	3.782	516.353	34,5	1,5	1.369	8.956	2,8	3,3	10.518	576.139	13,0	1,6

* mancano i dati per fasce d'età

Tabella 3

GRUPPI MALATTIE	2019					2020						
	PAZ MR	PAZ MR 0-17	PAZ MR ≥18	PAZ MR in ADI	PAZ MR in ADI 0-17	PAZ MR in ADI ≥18	PAZ MR	PAZ MR 0-17	PAZ MR ≥18	PAZ MR in ADI	PAZ MR in ADI 0-17	PAZ MR in ADI ≥18
MALATTIE INFETTIVE E PARASSITARIE	650	23	627	21	0	21	714	694	20	20	0	20
TUMORI	10.950	2.593	8.357	113	18	89	12.479	9.595	147	20	20	121
MALATTIE DELLE ghiandole endocrine	14.175	4.899	9.276	97	36	57	16.025	10.476	118	41	41	74
MALATTIE DEL METABOLISMO	20.908	4.151	16.757	591	202	362	22.427	17.898	625	191	191	403
MALATTIE DEL SISTEMA IMMUNITARIO	11.059	1.817	9.242	161	26	131	12.333	10.373	245	34	34	205
MALATTIE DEL SANGUE E DEGLI ORGANI EMATOPOIETICI	46.866	5.511	41.355	561	60	469	50.735	44.904	813	68	68	708
MALATTIE DEL SISTEMA NERVOSO CENTRALE E PERIFERICO	41.707	3.069	38.638	4.822	358	4.220	45.361	41.999	4.850	384	384	4.254
MALATTIE DELL'APPARATO VISIVO	27.682	947	26.735	196	13	176	31.250	30.295	282	22	22	251
MALATTIE DEL SISTEMA CIRCOLATORIO	19.406	1.153	18.253	459	5	444	21.050	19.824	582	7	7	563
MALATTIE DELL'APPARATO RESPIRATORIO	8.899	186	8.713	213	13	191	10.280	10.069	290	9	9	264
MALATTIE DELL'APPARATO Digerente	5.323	463	4.860	134	19	109	5.949	5.467	149	15	15	131
MALATTIE DELL'APPARATO GENITO - URINARIO	5.892	530	5.362	83	10	70	6.608	5.999	97	15	15	80
MALATTIE DELLA cute e DEL TESSUTO SOTTOCUTANEO	13.089	1.316	11.773	518	28	473	15.246	13.488	549	28	28	505
MALATTIE DEL SISTEMA OSTEOMUSCOLARE e DEL TESSUTO CONNETTIVO	23.155	254	22.901	817	4	802	23.998	23.142	925	4	4	910
MALEFORMAZIONI CONGENITE, CROMOSOMOPATIE e SINDROMI GENETICHE	40.917	18.198	22.719	861	510	322	44.714	25.235	998	527	527	439
ALCUNE CONDIZIONI MORBOSE DI ORIGINE PERINATALE	249	132	117	14	2	12	1.532	1.314	32	4	4	28
TOTALE	290.927	45.242	245.685	9.661	1.304*	7.948*	320.101	270.772	10.762	1.369*	8.956*	

* mancano i dati per fasce d'età per 1 regione



ALLEGATO 2

LA NORMATIVA DI RIFERIMENTO

Premessa

Come già descritto in precedenza, i principali vantaggi che possono essere associati alle cure domiciliari sono: il miglioramento della qualità di vita del paziente curato in un ambiente familiare e la riduzione dei ricoveri ospedalieri.

Esse costituiscono un modello di cura alternativo al ricovero ospedaliero, che consente la permanenza a domicilio di persone fragili e con patologie croniche e l'attuazione di percorsi terapeutici integrati dal punto di vista sanitario e sociale, garantendo nel contempo una adeguata socialità e la prossimità della rete dell'assistenza primaria. Le cure domiciliari in Italia sono regolamentate da normative sia nazionali che regionali. L'organizzazione adottata su base regionale è molto disomogenea, con forti differenze anche a livello di singole ASL della stessa regione. Di conseguenza, le attività e le prestazioni connesse alle cure domiciliari, variano sia in relazione ai bisogni propri di ciascuna patologia ma anche in funzione dei modelli gestionali- organizzativi attivati dalle diverse regioni.

Sono generalmente gestite e coordinate direttamente dal Distretto Socio-Sanitario (DSS) delle Aziende Sanitarie Locali (ASL), in collaborazione con i Comuni, che si occupano soprattutto delle prestazioni di natura sociale.

Nel panorama nazionale, uno dei principali documenti sul quale si basa lo sviluppo del sistema dell'assistenza domiciliare è "Nuova caratterizzazione dell'assistenza territoriale domiciliare e degli interventi ospedalieri a domicilio", approvato dalla Commissione Nazionale per la definizione e l'aggiornamento dei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA) il 18 ottobre 2006, che pur non avendo valore normativo, è stato recepito da molte regioni nei loro atti programmatici. Quest'ultimo articola il sistema di assistenza domiciliare su tre livelli di diversa intensità, in relazione alla natura e alla complessità del bisogno della persona, all'intensità e alla durata dell'assistenza:

- Primo livello o assistenza domiciliare a bassa intensità sanitaria, destinata a persone parzialmente non autosufficienti o a rischio di emarginazione, che richiedono interventi di sostegno psico-sociale e di cura; consiste nella presa in carico continuativa medica e/o infermieristica e/o sociale ed è minima la necessità di integrazione;
- Secondo livello o assistenza domiciliare a media intensità sanitaria, consiste nell'erogazione di interventi di natura sanitaria, rivolta a persone non autosufficienti o di recente dimissione ospedaliera, che richiedono prestazioni infermieristiche, riabilitative e mediche;
- Terzo livello o assistenza domiciliare ad alta intensità sanitaria, dedicata alle situazioni più complesse, nelle quali vengono affrontate le situazioni più difficili, quelle che richiedono l'ADI (Assistenza Domiciliare Integrata) o l'Ospedalizzazione Domiciliare Integrata. L'aggettivo "integrata" descrive l'integrazione delle componenti sanitarie e quelle socio-assistenziali. Qui il servizio di assistenza medica è coordinato con quello socio - assistenziale, trattandosi di conseguenza di una fusione vera e propria dei primi due livelli. Spesso si usa l'ADI, ovvero il III° livello, per indicare il concetto in sé stesso di assistenza a domicilio. In realtà, come appena mostrato, quest'ultima si struttura in modo più articolato, abbracciando molteplici esigenze, anche quelle che non richiedono assistenza medica.

Assistenza Domiciliare Integrata – ADI - focus normativa

Al fine di strutturare un Servizio Sanitario Nazionale il più possibile vicino al cittadino, con la legge n. 833 del 1978, le prestazioni curative comprensive dell'assistenza medico-generica, di quella specialistica, infermieristica, ospedaliera e farmaceutica possono essere erogate sia in forma ambulatoriale che domiciliare²². Successivamente, con il Decreto Legislativo n. 229 del 1999²³, l'Assistenza Domiciliare Integrata – ADI è stata indicata tra le funzioni e i servizi che i distretti sociosanitari sono tenuti a garantire, affidando la disciplina dell'organizzazione di questi servizi alle regioni.

Con la legge n. 328 del 2000, “Legge quadro per la realizzazione del sistema integrato di interventi e servizi sociali”, il legislatore ha voluto promuovere interventi sociali, assistenziali e sociosanitari per garantire un aiuto concreto alle persone e alle famiglie in difficoltà, in particolare questa legge assicura alle persone e alle famiglie un sistema integrato di interventi e servizi sociali, attraverso la promozione di interventi per garantire la qualità della vita, pari opportunità, non discriminazione e diritti di cittadinanza, al fine di prevenire, eliminare o ridurre le condizioni di disabilità, di bisogno e di disagio individuale e familiare, derivanti da inadeguatezza di reddito, difficoltà sociali e condizioni di non autonomia, in coerenza con gli articoli 2, 3 e 38 della Costituzione. L'organizzazione e l'erogazione dei servizi indicati dalla legge quadro, tra i quali l'assistenza domiciliare, devono essere definite attraverso legge regionale tenuto conto delle disposizioni di carattere generale stabilite dallo Stato e secondo i modelli organizzativi legati alle diverse esigenze delle aree urbane e rurali.

L'importanza dell'assistenza domiciliare viene ribadita dal Decreto del Presidente della Repubblica – DPCM del 14 febbraio 2001 che indica gli interventi di sostegno e di aiuto domestico familiare finalizzati a favorire l'autonomia e la permanenza nel proprio domicilio di persone non autosufficienti, come prestazioni sociali a rilevanza sanitaria importanti per supportare la persona in stato di bisogno, con problemi di disabilità o di emarginazione condizionanti lo stato di salute. Le Regioni nell'ambito della programmazione degli interventi socio-sanitari determinano gli obiettivi, le funzioni, i criteri di erogazione nonché i criteri di finanziamento avvalendosi del concerto della Conferenza permanente per la programmazione sanitaria e socio-sanitaria regionale secondo quanto previsto dal D.lgs 502/92.

Con il DPCM 29 novembre 2001, “Definizione dei Livelli Essenziali di Assistenza”, le Cure domiciliari vengono inserite nell'ambito dell'assistenza distrettuale, da attuarsi attraverso l'assistenza programmata a domicilio (assistenza domiciliare integrata, assistenza programmata domiciliare comprese le varie forme di assistenza infermieristica territoriale), l'attività sanitaria e sociosanitaria rivolta a pazienti nella fase terminale (domiciliare) e l'attività sanitaria e sociosanitaria rivolta alle persone con infezione da HIV (domiciliare).

Questo Decreto è stato successivamente sostituito dal Decreto del Presidente della Repubblica del 12 gennaio 2017, con cui sono stati definiti i nuovi Livelli Essenziali di Assistenza. In

²² Art. 25, Prestazioni di cura

²³ Recante: “Norme per la razionalizzazione del servizio sanitario nazionale



particolare, l'articolo 21 riferito ai “Percorsi assistenziali integrati”, stabilisce che i percorsi assistenziali domiciliari, territoriali, semiresidenziali e residenziali prevedono l'erogazione congiunta di attività e prestazioni afferenti sia all'area sanitaria che a quella dei servizi sociali. Attraverso il Progetto di Assistenza Individuale – PAI, redatto dall'unità di valutazione multidimensionale, con il coinvolgimento di tutte le componenti dell'offerta assistenziale sanitaria, sociosanitaria e sociale, del paziente e della sua famiglia, vengono definiti i bisogni terapeutico-riabilitativi e assistenziali della persona.

In virtù di quanto stabilito dal decreto, nell'ambito dell'assistenza distrettuale territoriale sono privilegiati gli interventi che favoriscono la permanenza delle persone assistite al proprio domicilio, attraverso l'attivazione delle risorse disponibili, formali e informali.

Il successivo articolo 22, interamente dedicato alle cure domiciliari, stabilisce che il Servizio sanitario nazionale garantisce alle persone non autosufficienti e in condizioni di fragilità, con patologie in atto o esiti delle stesse, percorsi assistenziali a domicilio costituiti dall'insieme organizzato di trattamenti medici, riabilitativi, infermieristici e di aiuto infermieristico necessari per stabilizzare il quadro clinico, limitare il declino funzionale e migliorare la qualità della vita. Le cure domiciliari devono poi essere integrate con le prestazioni di assistenza sociale e di supporto alla famiglia.

Il bisogno clinico, funzionale e sociale delle persone cui è riconosciuto questo servizio, come anticipato, viene accertato attraverso idonei strumenti di valutazione multidimensionale che consentono la presa in carico della persona e la definizione del «Progetto di assistenza individuale» (PAI) sociosanitario integrato. In relazione al bisogno di salute dell'assistito ed al livello di intensità, complessità e durata dell'intervento assistenziale, possono essere erogate le seguenti categorie di cure domiciliari:

- cure domiciliari di livello base: costituite da prestazioni professionali in risposta a bisogni sanitari di bassa complessità di tipo medico, infermieristico e/o riabilitativo, anche ripetuti nel tempo; le cure domiciliari di livello base, attivate con le modalità previste dalle regioni e dalle province autonome, sono caratterizzate da un «Coefficiente di intensità assistenziale» (CIA (1)) inferiore a 0,14;
- cure domiciliari integrate (ADI) di I^ livello: costituite da prestazioni professionali prevalentemente di tipo medico-infermieristico-assistenziale ovvero prevalentemente di tipo riabilitativo-assistenziale a favore di persone con patologie o condizioni funzionali che richiedono continuità assistenziale ed interventi programmati caratterizzati da un CIA compreso tra 0,14 e 0,30 in relazione alla criticità e complessità del caso; quando necessari sono assicurati gli accertamenti diagnostici, la fornitura dei farmaci di cui all'art. 9 e dei dispositivi medici di cui agli articoli 11 e 17, nonché dei preparati per nutrizione artificiale. Le cure domiciliari di primo livello richiedono la valutazione multidimensionale, la «presa in carico» della persona e la definizione di un «Progetto di assistenza individuale» (PAI) ovvero di un «Progetto riabilitativo individuale» (PRI) che definisce i bisogni riabilitativi della persona, e sono attivate con le modalità definite dalle regioni e dalle province autonome anche su richiesta dei familiari o dei servizi sociali. Il medico di medicina generale o il pediatra di libera scelta assumono la responsabilità clinica dei processi di cura, valorizzando e sostenendo il ruolo della famiglia;
- cure domiciliari integrate (ADI) di II^ livello: costituite da prestazioni professionali prevalentemente di tipo medico-infermieristico-assistenziale ovvero prevalentemente di



tipo riabilitativo-assistenziale a favore di persone con patologie o condizioni funzionali che richiedono continuità assistenziale ed interventi programmati caratterizzati da un CIA compreso tra 0,31 e 0,50, in relazione alla criticità e complessità del caso; quando necessari sono assicurati gli accertamenti diagnostici, la fornitura dei farmaci di cui all'art. 9 e dei dispositivi medici di cui agli articoli 11 e 17, nonché dei preparati per nutrizione artificiale. Le cure domiciliari di secondo livello richiedono la valutazione multidimensionale, la «presa in carico» della persona e la definizione di un «Progetto di assistenza individuale» (PAI) ovvero di un «Progetto riabilitativo individuale» (PRI), e sono attivate con le modalità definite dalle regioni e dalle province autonome anche su richiesta dei familiari o dei servizi sociali. Il medico di medicina generale o il pediatra di libera scelta assumono la responsabilità clinica dei processi di cura, valorizzando e sostenendo il ruolo della famiglia;

- cure domiciliari integrate (ADI) di III[^] livello: costituite da prestazioni professionali di tipo medico, infermieristico e riabilitativo, accertamenti diagnostici, fornitura dei farmaci di cui all'art. 9 e dei dispositivi medici di cui agli articoli 11 e 17, nonché dei preparati per nutrizione artificiale a favore di persone con patologie che, presentando elevato livello di complessità, instabilità clinica e sintomi di difficile controllo, richiedono continuità assistenziale ed interventi programmati caratterizzati da un CIA maggiore di 0,50, anche per la necessità di fornire supporto alla famiglia e/o al *caregiver*. Le cure domiciliari ad elevata intensità sono attivate con le modalità definite dalle regioni e dalle province autonome richiedono la valutazione multidimensionale, la presa in carico della persona e la definizione di un «Progetto di assistenza individuale» (PAI). Il medico di medicina generale o il pediatra di libera scelta assumono la responsabilità clinica dei processi di cura, valorizzando e sostenendo il ruolo della famiglia.

Il Decreto, inoltre ribadisce che le cure domiciliari debbano essere integrate da prestazioni di aiuto infermieristico e assistenza tutelare professionale alla persona. Queste prestazioni erogate secondo i modelli assistenziali disciplinati dalle regioni e dalle province autonome, sono a interamente carico del Servizio sanitario nazionale per i primi trenta giorni dopo la dimissione ospedaliera protetta e per una quota pari al 50 per cento nei giorni successivi. Le cure domiciliari sono, inoltre, integrate da interventi sociali in relazione agli esiti della valutazione multidimensionale.

Assistenza domiciliare nel Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza - PNRR

L'emergenza sanitaria da Covid 19 ha mostrato la necessità di intervenire e di rinnovare alcuni elementi chiave del SSN al fine di risolvere le criticità connesse all'erogazione di una serie di servizi. In particolare, con la pandemia si è evidenziato il divario, già esistente, tra livelli di salute erogati dalle regioni italiane, soprattutto in termini di prevenzione e assistenza territoriale.

A questo proposito, tra gli obiettivi del PNRR indicati nella Missione n. 6 "Salute", vi è quello di stabilire un nuovo modello di assistenza sanitaria territoriale, vicino alle esigenze dei cittadini, garantendo alla popolazione un'effettiva equità di accesso all'assistenza sanitaria e ai servizi di natura sociale, attraverso la definizione di *standard* qualitativi e quantitativi omogenei, il rafforzamento della rete dei servizi distrettuali, nonché attraverso il consolidamento dell'ospedale e la rete di emergenza integrata al suo interno; per realizzare questo intervento verranno istituite e costituite le Case della Salute o le Case di Comunità, come punto di riferimento locale per il sociale e la salute, in questi luoghi sarà garantita la continua presa in carico dei pazienti con cronicità, collocando nello stesso spazio fisico un insieme di prestazioni sanitarie e socio-sanitarie.

L'assistenza domiciliare integrata (ADI), nel corso della pandemia, ha dimostrato di essere lo strumento in grado di rispondere alla necessità di tenere lontani i pazienti con pregresse fragilità dagli ambienti ospedalieri e residenziali ospitanti le persone contagiate da Covid-19. Questo strumento, infatti, ha dimostrato di essere in grado di rispondere ai cambiamenti epidemiologici della popolazione (invecchiamento, aumento della comorbidità e delle patologie croniche) e alle esigenze di sostenibilità economica del Servizio Sanitario Nazionale.

Al fine di promuovere e rafforzare l'assistenza domiciliare, è necessario riorganizzare la gestione dei servizi di cure domiciliari integrate, sviluppando un modello digitale dell'ADI che renda fruibili soluzioni e strumenti di telemedicina e *connected care*, fondamentali per la presa in carico al domicilio, il monitoraggio e la diagnosi a distanza dei pazienti. L'obiettivo indicato nel PNRR è quello di definire a livello nazionale indicazioni per l'erogazione di prestazioni in telemedicina entro il 2022 e di implementare e mettere a regime un nuovo modello ADI entro il 2026, con 575 Centrali di coordinamento attivate, 51.750 medici e altri professionisti nonché 282.425 pazienti con kit *technical package* attivo. Risultati attesi: circa 500.000 nuovi pazienti over 65 Presi in Carico (PIC).

Il Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza – PNRR, finanziato grazie al programma dell'Unione europea "Next Generation Europe", contiene nella Missione 6 Salute (M6) tutti gli interventi a titolarità del Ministero della Salute suddivisi in due componenti (C).

Il PNRR ha destinato alla Missione Salute € 15,63 miliardi, circa l'8,16% delle risorse totali, per sostenere le riforme e gli investimenti a beneficio del Servizio Sanitario Nazionale, da realizzare entro il 2026. Complessivamente le risorse straordinarie per l'attuazione del PNRR e il rinnovamento della sanità pubblica italiana superano i 20 miliardi di euro.

La M6 si articola in due componenti principali: il potenziamento dell'assistenza territoriale, tramite la creazione di nuove strutture (Strutture intermedie e Case della Comunità), il



rafforzamento dell'assistenza domiciliare e sviluppo della telemedicina e la digitalizzazione e il consolidamento del capitale umano del SSN attraverso il potenziamento della ricerca e della formazione.

In riferimento al tema dell'assistenza territoriale, con il Dm 71 recante “Modelli e standard per lo sviluppo dell'Assistenza territoriale nel Servizio sanitario nazionale” (così denominato con l'intento di richiamare una sorta di continuità con il Decreto precedente DM 70 del 2015 “Regolamento recante definizione degli standard qualitativi, strutturali, tecnologici e quantitativi relativi all'assistenza ospedaliera”, ancora operativo) il Governo ha fissato la premessa e il punto di partenza della Riforma dell'Assistenza Territoriale.

Con l'obiettivo di rispettare l'imminente scadenza prevista per il 30 giugno 2022, e dunque per evitare di perdere i fondi indicati dal PNRR, dedicati a questo tema, il Consiglio dei Ministri ha deciso di andare avanti attraverso l'approvazione di una delibera motivata che autorizza il Ministero della Salute ad adottare il decreto ministeriale (di concerto col MEF) sui “modelli e standard per lo sviluppo dell'Assistenza territoriale” che recepisce il cosiddetto “Dm 71” con gli standard per l'assistenza territoriale.

A seguito della mancata intesa Stato – Regioni, dovuta alla reiterata opposizione da parte della Regione Campania, il Governo ha ritenuto di adottare autonomamente un provvedimento motivato in caso di mancata intesa con le Regioni entro un mese dal primo esame, secondo quanto previsto dall'articolo 3 del DECRETO LEGISLATIVO n. 281 del 1997.



Centro per la Ricerca Economica
Applicata in Sanità

Il Centro per la Ricerca Economica Applicata in Sanità (C.R.E.A. Sanità), già consorzio promosso nel 2013 dall'Università di Roma "Tor Vergata" e dalla Federazione Italiana Medici di Medicina Generale (F.I.M.M.G.), nasce con l'aspettativa di essere un punto di aggregazione di competenze multi-disciplinari e con l'obiettivo di sviluppare analisi, studi e progetti di formazione rivolti alle professioni sanitarie e sociali. Il team di ricerca di C.R.E.A. Sanità realizza ricerche nel campo dell'economia e del management sanitario, sviluppa banche dati, offre formazione e supporto a enti pubblici e privati, elabora valutazioni di HTA e di farmacoeconomia, oltre a servizi di consulenza e organizzativi.

C.R.E.A. Sanità - Centro per la Ricerca Economica Applicata in Sanità
www.creasanita.it
barbara.polistena@uniroma2.it



L'Osservatorio Malattie Rare OMAR è l'unica testata giornalistica, in Italia ed in Europa, esclusivamente focalizzata sulla tematica delle malattie rare e dei farmaci orfani e ad accesso interamente gratuito. Nato nel 2010, in sette anni ha costruito stretti rapporti di scambio di informazioni e di collaborazione con il mondo delle associazioni pazienti, con le istituzioni, con i medici e i ricercatori attivi nel settore e con le aziende farmaceutiche impegnate nel settore dei farmaci orfani. Il portale ha ottenuto la certificazione Hon Code per l'affidabilità dell'informazione medica.

Osservatorio Malattie Rare – O.Ma.R.
www.ossevatoriomalattierare.it
Contatti: direttore@ossevatoriomalattierare.it



WWW.OSSERVATORIOFARMACIORFANI.IT