

MOTORE
SANITÀ

DOCUMENTO DI SINTESI



MALATTIE RARE = STATI GENERALI

NORD EST ITALIA



www.motoresanita.it



23 e 24 Febbraio **2023**

PADOVA
Palazzo della Salute
Via S. Francesco, 90

Evento promosso da



REGIONE DEL VENETO



Dipartimento Funzionale
Malattie Rare



REGIONE DEL VENETO
Azienda Ospedale
Università Padova





Con il patrocinio di



UNIVERSITÀ
DEGLI STUDI
DI PADOVA



Comune di Padova



PROVINCIA AUTONOMA DI TRENTO



ALMA MATER STUDIORUM
UNIVERSITÀ DI BOLOGNA
DIPARTIMENTO DI SCIENZE POLITICHE E SOCIALI



Prevenzione tumori
ASSOCIAZIONE PER LA PREVENZIONE
E LA CURA DEI TUMORI ETS ODV



*Istituto Superiore
di Sanità*



ÜNIAMO
Federazione Italiana Malattie Rare



INDICE I GIORNATA

INTRODUZIONE DI SCENARIO	pag.6
SALUTI ISTITUZIONALI	pag.8
LE MALATTIE RARE COME PARADIGMA DI UNA FUTURA SANITÀ NAZIONALE ED EUROPEA	pag.10
WELFARE EUROPEO VS WELFARE ITALIANO	pag.11
PARTE I	
IL QUADRO NORMATIVO ITALIANO NEL CONTESTO EUROPEO	pag.15
LE RETI DI RIFERIMENTO EUROPEE: L'ESPERIENZA DELL'ERN PER LE MALATTIE METABOLICHE EREDITARIE RARE METABERN	pag.22
PARTE II	
STRUMENTI DI PROGRAMMAZIONE REGIONALE E MALATTIE RARE	pag.26
COME DARE RAPIDO MA SOSTENIBILE ACCESSO ALLE TERAPIE INNOVATIVE: PROPOSTE E BEST PRACTICE	pag.38
L'APPORTO DELLE ASSOCIAZIONI DEI PAZIENTI	pag.43
MODELLI IN RETE VENETO, EMILIA-ROMAGNA	pag.45
LA RIVOLUZIONE DELLA GENOMICA CLINICA: COME GOVERNARLA?	pag.56
TERAPIE INNOVATIVE PER UNA PRESA IN CARICO OTTIMALE DEL PAZIENTE CON MALATTIA RARA. TARGET THERAPY E TUMORI RARI	pag.58
HORIZON SCANNING: UNO STRUMENTO UTILE PER PROGRAMMARE E PREPARARE IL SISTEMA ALL'INNOVAZIONE	pag.60
CONCLUSIONI	pag.62
PANELIST	pag.64



INDICE II GIORNATA

SESSIONE I

I PRINCIPI ISPIRATORI DELL'UNIONE EUROPEA E IL SUO AVVENIRE

pag.68

SESSIONE II

ATTUALI PROGETTI PER LA COSTRUZIONE DELL'UNIONE EUROPEA DELLA SALUTE

pag.88

SESSIONE III

LA DIGITALIZZAZIONE E LE NUOVE TECNOLOGIE A SERVIZIO DEL CAMMINO VERSO L'UNIONE EUROPEA DELLA SALUTE E LE GRANDI PROSPETTIVE FUTURE DI SALUTE INDIVIDUALE E PUBBLICA CHE ESSE LASCIANO PREVEDERE

pag.99

SESSIONE IV

ELEMENTI DI FATTIBILITÀ DEL CAMMINO VERSO L'UNIONE EUROPEA DELLA SALUTE

pag.113

SESSIONE V

COME PROMUOVERE UN PROCESSO "BOTTOM UP" PER LA REALIZZAZIONE DELL'UNIONE EUROPEA DELLA SALUTE CHE INCONTRI QUELLO "TOP DOWN ONE" PIANIFICATO DALLA COMMISSIONE EUROPEA

pag.115

CONCLUSIONI

pag.117

PANELIST

pag.119



I GIORNATA

COME RIORGANIZZARE IL FUTURO TRA DIFFICOLTÀ E BUONE PRATICHE?

INTRODUZIONE DI SCENARIO

Sul tema Malattie Rare (MR), dato il rapido evolvere dello scenario legislativo, organizzativo-gestionale e tecnico-scientifico, vi è il bisogno a livello di comunità medico-scientifica, di singolo operatore ed anche delle realtà associative, di promuovere un aggiornamento culturale e un processo di sensibilizzazione continui.

Una malattia si definisce rara quando la sua prevalenza, non supera una soglia stabilita, che in UE è fissata in 5 casi su 10.000 persone. Ma il numero di malattie rare conosciute e diagnosticate oggi oscilla tra le 7.000 e le 8.000, cifra che cresce appunto con i progressi della ricerca genetica, per cui si può parlare di un interessamento di milioni di persone.

In base ai dati coordinati dal registro nazionale malattie rare dell'ISS, in Italia si stimano oltre 90 casi di malattie rare ogni 10.000 abitanti, con una incidenza di oltre 19.000 nuovi casi segnalati dalle oltre 200 strutture sanitarie che li seguono.

Ma secondo la rete Orphanet il sommerso potrebbe essere molto elevato con stime in Italia di 1,5-2 milioni di cittadini.

Il 2021, in Italia, è stato segnato da importanti novità legislative, mentre, in Europa, il 2022 è iniziato con una nuova fase della storia degli European Reference Networks (ERN).

Sarà pertanto importante, per il Governo Centrale e le Regioni Italiane, farsi trovare pronti ad interpretare i nuovi dettami di legge, sfruttando appieno le nuove opportunità che essa offre per il perseguimento del bene dei pazienti con MR e soprattutto a confermare il proprio ruolo in Europa nel campo delle MR.



Per far questo si dovrà passare alla fase realizzativa attraverso opportuni decreti attuativi, che seguano una tabella di marcia condivisa con precise priorità, giuste risorse allocate, coerenti con gli obiettivi ambiziosi descritti.

Non tutto sarà attuabile da subito, contemporaneamente ed uniformemente poiché la presa in carico dei pazienti affetti da MR è differente nelle varie Regioni, con centri di riferimento nazionali ed internazionali in alcune, ma con carenze di offerta assistenziale e di comunicazione in altre.

A questo si aggiunga che non tutte le regioni lavorano in rete e non tutte sono in grado di offrire una continuità delle cure trasversale con percorsi facilitati dei pazienti MR, che per definizione sono pazienti cronici necessitanti di un'assistenza integrata spesso, ma non sempre, dall'infanzia all'età adulta.

In questa prospettiva la progressiva implementazione della genomica e nello specifico delle moderne tecniche di sequenziamento nella pratica clinica, della digitalizzazione della medicina e delle moderne tecnologie della comunicazione stanno aprendo ampie e entusiasmanti prospettive per ulteriori e significativi progressi nella prospettiva di una sempre più efficace risoluzione delle problematiche a cui i pazienti con MR vanno incontro.

Per tale motivo Motore Sanità, in piena sinergia e su stimolo del Dipartimento Funzionale di Malattie Rare dell'Azienda Ospedale Università di Padova, intende organizzare delle giornate di analisi e proposte per macroregioni, nord ovest- nord est-centro-sud ed isole, per implementarne azioni concrete, rappresentando le MR il paradigma del futuro SSN in termini organizzativi e di innovazione diagnostico/terapeutica.

Partendo dal presupposto che tutto ciò dovrà richiedere un grande cambio di preparazione culturale professionale ma anche un nuovo umanesimo.



SALUTI ISTITUZIONALI

L'attenzione del Governo italiano è massima nei confronti del mondo dei pazienti con malattie rare perché queste persone sono bisognose e desiderose di aiuto.

Le forze politiche, di tutti gli schieramenti, hanno dimostrato di non conoscere barriere culturali nei confronti di queste necessità avendo licenziato il testo unico sulle malattie rare all'unanimità.

Inoltre, il testo unico ha dimostrato di come sia fondamentale il dialogo e la cooperazione tra forze politiche, associazioni dei pazienti, società scientifiche e professionisti per riuscire a trasformare le reali necessità degli stakeholder in un progetto di legge.

Ora però le forze politiche devono dare un ulteriore segnale di vicinanza al mondo delle malattie rare attraverso un maggiore finanziamento di tutto il sistema di prevenzione, diagnosi, terapia e ricerca.





Veneto

In Veneto circa 50mila persone stanno lottando contro le Malattie Rare. Pazienti che fino ad alcuni anni fa erano pressoché invisibili alle istituzioni e nei grandi numeri della sanità.

Ma il Veneto ha avviato, da tempo, un percorso di eccellenza nella ricerca e nella cura di queste malattie. Ed oggi è la regione, il territorio, che in Europa guida ogni classifica in questo campo. Emblematico l'esempio di Padova: l'Azienda Ospedale Università Padova che è parte di 22 dei 24 European References Networks (altrimenti noti con l'acronimo ERN), ossia le reti europee che legano fra loro gli istituti di eccellenza per 24 gruppi di Malattie Rare rispettivamente.

Il Veneto oggi ha acquisito negli anni una posizione di leadership a livello europeo ed extraeuropeo. L'attrattività regionale del Veneto è del 30,3 per cento dei pazienti pediatrici e del 20 per cento nell'adulto.

Le Malattie Rare sono un tema apparentemente di nicchia, ma in realtà ampiamente diffuso nella società odierna: nella sola Padova si curano oltre 500 di queste patologie. E sono sempre di più i pazienti che scelgono il Veneto come meta per la diagnosi e la cura delle proprie patologie rare. La sfida è lanciata: il percorso dell'eccellenza tracciato.





LE MALATTIE RARE COME PARADIGMA DI UNA FUTURA SANITÀ NAZIONALE ED EUROPEA

Le malattie rare, definite come malattie che colpiscono meno di 5 persone su 10.000, rappresentano un grande problema sanitario a livello mondiale. In Europa, ci sono circa 30 milioni di persone affette da malattie rare, il che equivale al 6-8% della popolazione.

Le malattie rare sono spesso diagnosticate tardivamente o non diagnosticati affatto, a causa della mancanza di conoscenza medica e della complessità delle malattie stesse. Inoltre, le cure per le malattie rare sono spesso costose e difficili da trovare, rendendo difficile per i pazienti l'accesso ai trattamenti necessari.

Il problema delle malattie rare ha portato alla creazione di politiche e iniziative a livello nazionale ed europeo per garantire un accesso adeguato alle cure per i pazienti affetti da queste patologie. Ad esempio, nel 2009 è stata adottata la prima strategia europea per le malattie rare, che ha lo scopo di coordinare gli sforzi a livello europeo per migliorare la diagnosi e il trattamento delle malattie rare.

Inoltre, ci sono state iniziative a livello nazionale per migliorare la ricerca e lo sviluppo di trattamenti per le malattie rare. In Italia, ad esempio, è stato istituito il Registro Nazionale delle Malattie Rare, che raccoglie informazioni sulle malattie rare presenti sul territorio italiano e sui pazienti affetti da queste patologie.

Inoltre, sono state create reti di riferimento per le malattie rare, che consentono ai pazienti di accedere ai trattamenti necessari anche in aree dove non ci sono centri specializzati.

In sintesi, le malattie rare rappresentano una sfida importante per la sanità nazionale ed europea, ma le politiche e le iniziative messe in atto negli ultimi anni dimostrano un impegno crescente per migliorare la diagnosi, il trattamento e l'accesso alle cure per i pazienti affetti da queste patologie.

Queste iniziative rappresentano anche un paradigma per una futura sanità nazionale ed europea, basata sulla collaborazione tra paesi e sulle nuove tecnologie per migliorare la salute dei cittadini.



WELFARE EUROPEO VS WELFARE ITALIANO

Anche prendendo in considerazione la spesa per il welfare a parità di potere d'acquisto pro capite calcolata in migliaia di euro, restano differenze marcate tra i diversi Stati membri dell'UE. Dopo il Lussemburgo (14.9), la spesa pro capite più elevata si registra in Danimarca (quasi 12 mila euro), Germania, Paesi Bassi, Austria e Francia (circa 11 mila euro). Al contrario.

La spesa pro capite più bassa si segnala in Bulgaria, Romania, Lettonia (circa 3 mila euro). Rispetto ad una media UE di 8.400 euro pro capite, l'Italia si attesta ad un livello leggermente superiore con 8.200 euro.

Passando però ad analizzare come vengono ripartite a livello settoriale le percentuali di spesa per il welfare, vediamo come la sanità, rispetto ad una media UE del 37,1%, l'Italia con il 28,8% registra un dato ben inferiore.

Buona parte della spesa viene infatti assorbita da pensioni e benefit per la terza età che in Italia si attestano al 57,8%, dato ben più alto rispetto al 45,8% della media europea.

In media nell'UE, le prestazioni per la vecchiaia hanno rappresentato quasi il 46% delle prestazioni sociali totali nel 2017 e hanno costituito la maggior parte delle spese per protezione sociale in quasi tutti gli Stati membri.

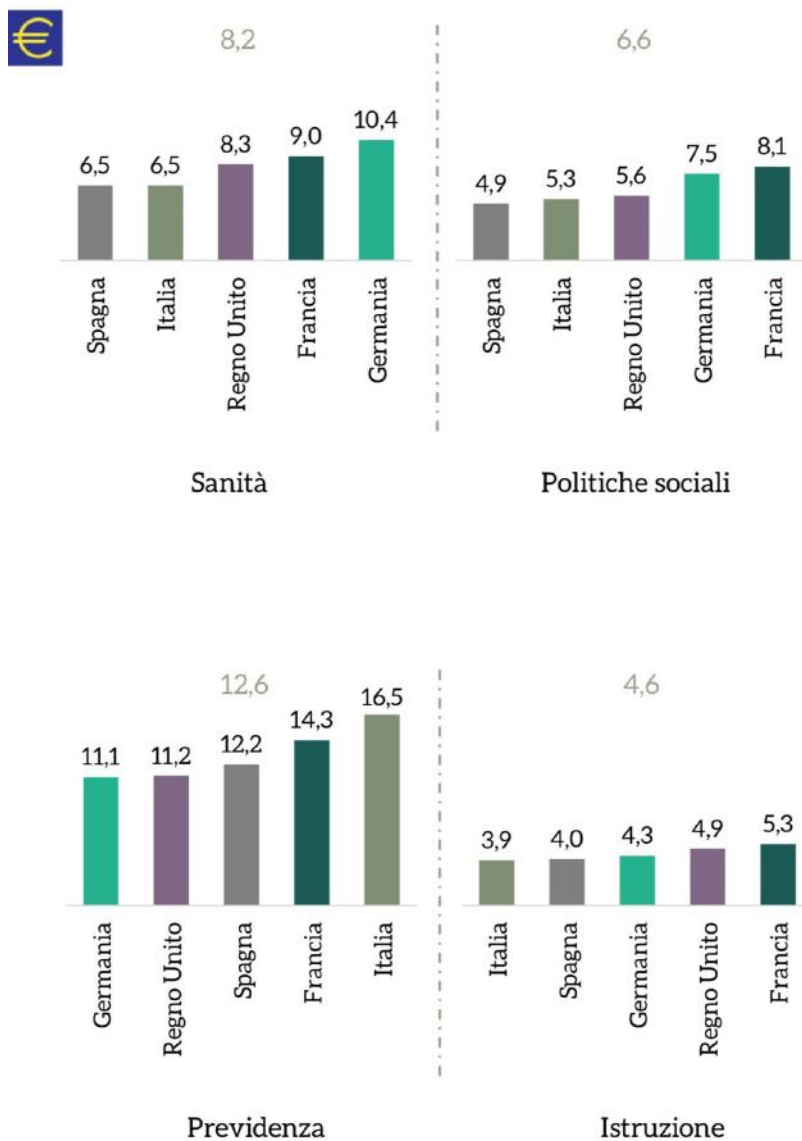
Le percentuali più alte si sono registrate in Grecia (63%), Portogallo e Italia (entrambe al 58%), Romania e Cipro (entrambe al 56%), mentre era più bassa in Irlanda (34%), Germania e Danimarca (39%) e Lussemburgo (40%).

Le prestazioni in favore delle famiglie hanno rappresentato in media poco meno del 9% rispetto a quelle totali, mentre quelle per la disoccupazione hanno pesato per il 4%, così come le prestazioni in favore dell'esclusione sociale e abitativa.

La quota delle prestazioni per le famiglie oscilla dal 4% nei Paesi bassi e dal 5% del Portogallo e Spagna ad oltre il 15% in Lussemburgo, ed al 13% in Polonia ed Estonia.



Le indennità di disoccupazione variano da meno dell'1% in Romania e 1% Regno Unito, fino al 9% in Irlanda e all'8% in Spagna. Infine, le indennità di alloggio e di esclusione sociale vanno dall'1% circa in Polonia, Portogallo ed Estonia, al 9% a Cipro e al 7% in Danimarca.





Le attuali tendenze connesse a invecchiamento e denatalità modificheranno la struttura demografica dell'Italia, generando una riduzione significativa delle persone in età lavorativa. Si stima che esse diminuiranno di 1,9 milioni al 2030 (-5%) e di 7,6 milioni al 2050 (-19%), attestandosi a circa 31,2 milioni, con potenziali effetti negativi sulla capacità produttiva del Paese.

Di conseguenza, aumenterà in maniera rilevante anche l'indice di dipendenza degli anziani: secondo le proiezioni, l'incidenza delle persone over-65 sulla popolazione in età lavorativa è destinata ad attestarsi in un valore compreso tra il 60% e il 65% dal 2045 in poi.

Oltre alle implicazioni in termini di capacità di sostenere la crescita economica, l'invecchiamento della popolazione determinerà necessariamente un adeguamento della spesa sanitaria, in modo tale da rispondere alla crescente domanda di assistenza e di Long-Term Care.

Inoltre, a seguito della grande crisi economica globale manifestatasi a partire dal 2008, il sistema dello stato sociale è entrato in una crisi che da molti viene giudicata irreversibile e una buona parte della cittadinanza che apparteneva al ceto medio si è trovata "retrocessa" in classi sociali con meno disponibilità economiche e maggiore bisogno di assistenza da parte dello stato. Questo peggioramento, con diverse misure e caratteristiche, è riscontrabile in tutti i modelli di stato sociale sopra individuati e descritti.

È quindi necessario chiedersi se ora e nel futuro ci si potrà ancora permettere uno stato sociale e un servizio sanitario così come oggi.

Alcuni arrivano così oggi a mettere in dubbio la possibilità di continuare a sostenere lo stato sociale, altri propongono di diminuire la spesa pubblica e il prelievo fiscale. Il divario sociale all'interno dei singoli stati europei, ma anche nell'Europa nel suo complesso, è aumentato, con gravi ripercussioni sui problemi di giustizia e di equità sociale.



La riflessione sui sistemi di welfare che possano, nella congiuntura attuale, rispondere ai bisogni della popolazione, ha portato a nuovi modelli.

Si è fatta strada anche la proposta di soluzioni di Commonfare (welfare dei beni comuni), che si basa sulla concessione di un reddito minimo garantito a tutti i cittadini, sulla definizione di un salario minimo e sulla gestione condivisa dei beni comuni.





PARTE I

IL QUADRO NORMATIVO ITALIANO NEL CONTESTO EUROPEO

In Italia, le malattie rare sono regolate da diverse leggi e regolamenti che si basano sulle direttive europee. La principale normativa a livello europeo è la "Regolamentazione Europea sui medicinali per le malattie rare", che ha lo scopo di incoraggiare lo sviluppo di medicinali per il trattamento delle malattie rare.

In Italia, la legge che regola le malattie rare è la legge n. 648/1996, che definisce le malattie rare come patologie che colpiscono non più di 5 persone su 10.000.

La legge prevede l'istituzione di un registro nazionale delle malattie rare e di un comitato nazionale per le malattie rare, che ha il compito di coordinare la raccolta di dati e di promuovere la ricerca e la diffusione delle conoscenze sulle malattie rare.

Inoltre, l'Italia ha anche adottato la "Strategia Nazionale per le Malattie Rare", che mira a migliorare l'accesso alle cure e ai servizi per le persone affette da malattie rare, promuovendo la collaborazione tra le diverse regioni italiane.

A livello europeo, l'Unione Europea ha adottato diverse misure per promuovere la ricerca sulle malattie rare, tra cui la "Strategia Europea per le Malattie Rare", che mira a migliorare l'accesso alle cure per le persone affette da malattie rare, promuovendo la cooperazione tra i paesi europei.

Inoltre, l'Unione Europea ha istituito il "Registro Europeo delle Malattie Rare", che raccoglie dati sulle malattie rare e sulle terapie disponibili, e ha creato una rete di centri di riferimento per le malattie rare, con lo scopo di promuovere la diagnosi e il trattamento delle malattie rare in tutta Europa.



La nuova legge sulle malattie rare

La normativa italiana sulle malattie è stata di recente aggiornata attraverso l'approvazione da entrambi i rami del parlamento italiano della legge "Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione di farmaci orfani 175/2021".

Questa legge fornisce una cornice normativa per uniformare il trattamento delle malattie rare su tutto il territorio italiano e implementare la ricerca nel campo delle malattie rare, preservando le buone pratiche e tutti i percorsi sviluppati negli ultimi anni.

Le finalità della Legge sono di tutelare il diritto alla salute delle persone affette da malattie rare attraverso:

- L'uniformità della erogazione sul territorio nazionale delle prestazioni e dei farmaci.
- Il coordinamento e l'aggiornamento periodico dei livelli essenziali di assistenza LEA e dell'elenco malattie rare.
- Il coordinamento, il riordino e il potenziamento della Rete nazionale per le malattie rare, comprensiva dei centri che fanno parte delle Reti di riferimento europee "ERN", per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare.
- Strutturazione Percorsi Transizione età pediatrica-età adulta.
- Il sostegno alla ricerca scientifica.



La Legge prevede per i cittadini con malattia rara un piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato che si basa su:

- Prestazioni per il percorso diagnostico
- Prestazioni correlate al monitoraggio clinico
- Terapie farmacologiche, anche innovative
- Prodotti dietetici, formulazioni galeniche e magistrali
- Dispositivi medici anche personalizzati
- Riabilitazione (compresa quella occupazionale)
- Trattamenti nutrizionali
- Cure palliative
- Prestazioni sociosanitarie





Inoltre, un passaggio molto importante della nuova legge è l'istituzione del fondo di solidarietà che garantisce un finanziamento per misure per il sostegno del lavoro di cura e assistenza delle persone affette da malattie rare.

Questo fondo serve per:

- Riconoscere alle famiglie e ai caregiver benefici e contributi per il sostegno e la cura dei malati in funzione delle disabilità e dei bisogni assistenziali.
- Garantire il diritto all'educazione e alla formazione delle persone affette da malattie rare, nelle scuole di ogni ordine e grado, assicurando che il piano terapeutico sia effettuato anche in ambiente scolastico.
- Favorire l'inserimento lavorativo della persona affetta da una malattia rara, garantendo la possibilità di mantenere una condizione lavorativa autonoma.

Questo fondo, quindi, garantisce alle persone di vivere, lavorare e studiare in un ambiente dignitoso per i propri bisogni e garantisce ad ogni persona il diritto di realizzare i propri sogni di vita cercando di dare più autonomia possibile.



Due articoli della nuova legge sono invece dedicati alla ricerca.

È stato in primo luogo migliorato il finanziamento alla ricerca:

- Studi preclinici e clinici promossi nel settore delle malattie rare
- Studi osservazionali e registri di uso compassionevole di farmaci non ancora commercializzati in Italia
- Programmi di sorveglianza su farmaci orfani e su altri trattamenti innovativi immessi in commercio sulla base di ipotesi biologiche e di evidenze iniziali di efficacia, ma privi di conoscenze certe sull'efficacia e sulla sicurezza del loro uso a medio e lungo termine.
- Ricerca e sviluppo organi plasmaderivati.
- Progetti di sviluppo di test per screening neonatale per diagnosi di malattie rare per cui sia disponibile, o in fase di sviluppo avanzato comprovato, una cura.

Inoltre, è stata prevista l'integrazione di versamento pari al 2% delle spese autocertificate ogni anno da parte delle aziende farmaceutiche sull'ammontare complessivo della spesa sostenuta nell'anno precedente per le attività di promozione rivolte al personale sanitario.

Per finanziare la ricerca sono stati previsti anche incentivi fiscali come il credito d'imposta pari al 65% delle spese sostenute per l'avvio e per la realizzazione di progetti fino all'importo massimo annuale di euro 200.000 per ciascun beneficiario, nel limite di spesa complessivo di 10 milioni di euro annui.

Questo servirà a favorire l'accesso ai soggetti pubblici o privati che svolgono attività di ricerca o che finanziano progetti di ricerca sulle malattie rare o sui farmaci orfani.



Per costruire tutto questo dal livello nazionale a quello regionale è stato istituito il Comitato Nazionale attraverso il primo decreto attuativo di questa legge

22 SETTEMBRE 2022 L'ATTO

24 GENNAIO 2023 INSEDIATO! durerà in carica per **3 anni**

- funzioni di indirizzo e di coordinamento per linee strategiche delle politiche nazionali e regionali in materia di malattie rare
- esprime parere in merito al Piano Nazionale Malattie Rare e al Riordino della Rete nazionale malattie rare
- esprime parere relativamente alle periodiche campagne nazionali di informazione e sensibilizzazione dell'opinione pubblica sulle malattie rare.
- supporta il Ministro della Salute per la presentazione alle Camere, entro il 31 dicembre di ogni anno, di una relazione sullo stato di attuazione della Legge per le Malattie Rare
- Rappresentanti dei Ministeri della salute, Università e Ricerca, lavoro e politiche sociali, Conferenza delle regioni e delle province autonome
- AIFA/ISS/AGENAS/INPS
- Ordini delle professioni sanitarie
- Enti di ricerca senza scopo di lucro riconosciuti
- Associazioni dei pazienti affetti da una malattia rara più rappresentative



Gli scenari futuri:

- Proseguire questa catena virtuosa per garantire una concreta attuazione della Legge
- Sodalizio Associazioni, Professionisti e Istituzioni
- Sviluppare Bandi per la ricerca con i crediti d'imposta previsti
- Fondo di solidarietà per le famiglie finanziato dalla Legge
- Facilitare il percorso di riconoscimento di invalidità civile
- Lavoro congiunto Ministero della Salute, Ministero Università e delle Ricerca e Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali

Le Leggi approvate richiedono tempo per una completa attuazione e si auspica che tutte le forze politiche si impegnino per portare a termine un lavoro che è stato svolto in maniera condivisa e approvato all'unanimità dalle forze parlamentari.

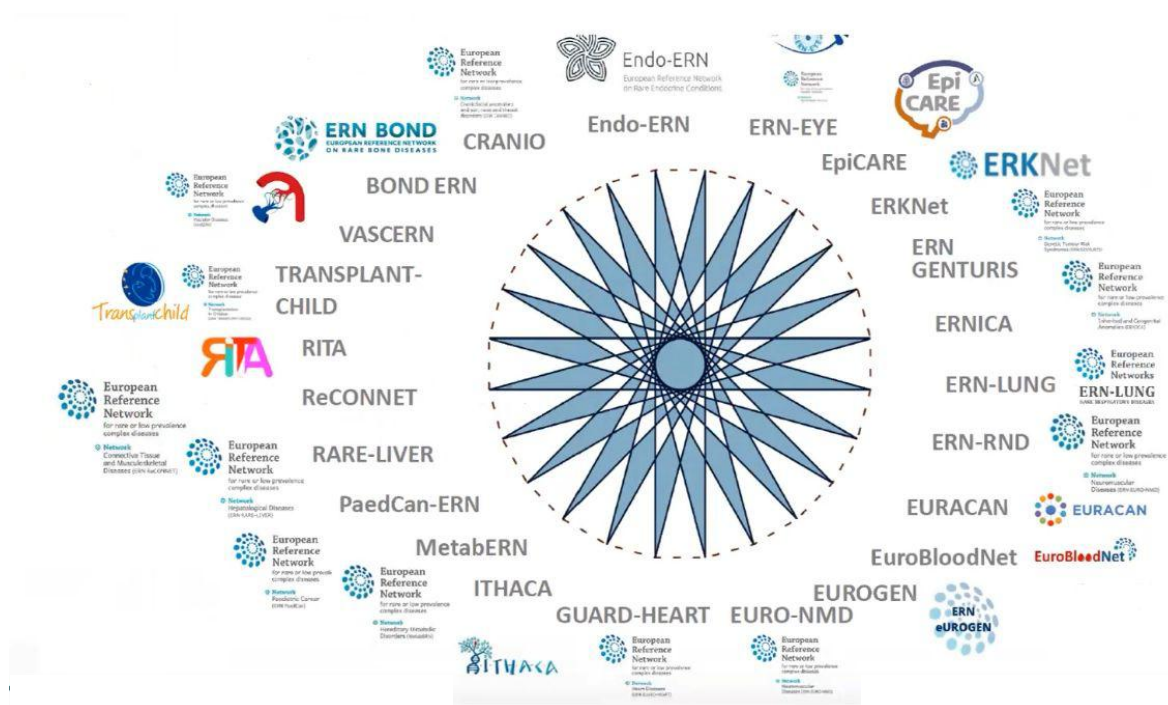


LE RETI DI RIFERIMENTO EUROPEE: L'ESPERIENZA DELL'ERN PER LE MALATTIE METABOLICHE EREDITARIE RARE METABERN

L'Italia è da sempre un paese leader nella ricerca e nella cura delle malattie rare. Questa esperienza ha portato l'Italia ad essere tra i paesi leader anche nel progetto degli European Reference Networks (ERN). Le European Reference Networks (ERN) sono reti europee di esperti medici specializzati nella diagnosi e nel trattamento di malattie rare o a complessità elevata.

Sono state istituite nell'ambito della cooperazione europea per migliorare la diagnosi, il trattamento e la cura delle malattie rare, che spesso richiedono una conoscenza specialistica molto specifica. Le ERN consentono di mettere in rete le conoscenze e le competenze di esperti medici di tutta Europa, facilitando la cooperazione tra di loro e rendendo disponibili i trattamenti più efficaci per i pazienti.

Le ERN sono costituite da una rete di centri di cura altamente specializzati, in cui lavorano esperti di diversi paesi europei. Ogni centro fa parte di una delle 24 reti tematiche ERN, che coprono tutte le principali categorie di malattie rare.





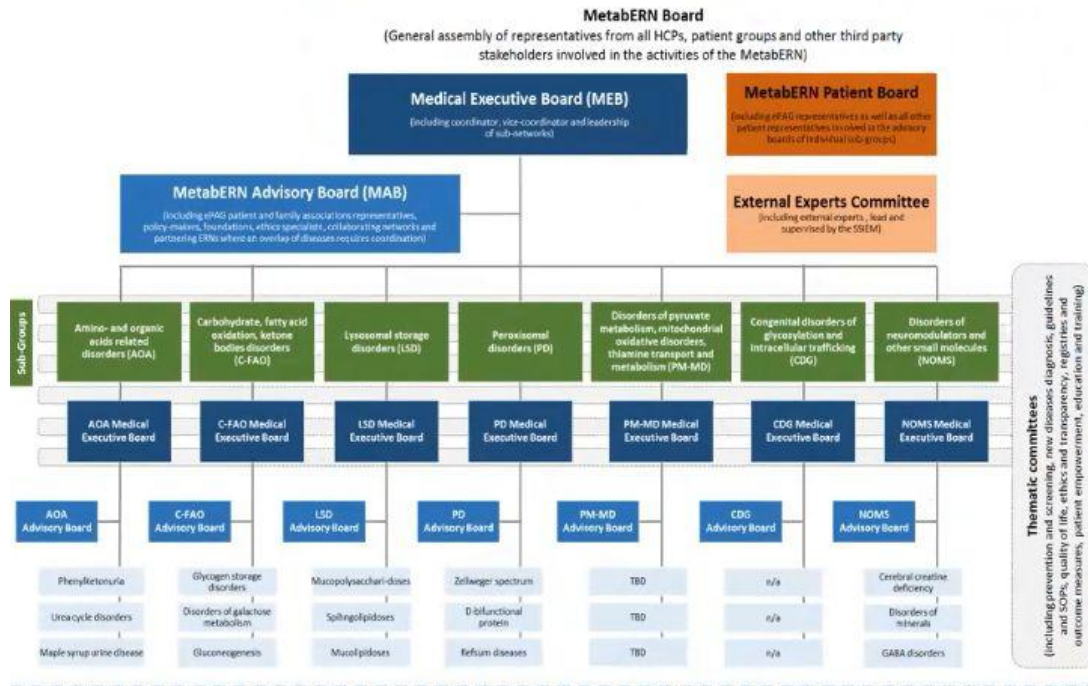
La rete è coordinata da un centro di coordinamento situato in uno dei centri ERN, che si occupa della gestione delle attività di coordinamento tra i centri membri e di sviluppare e promuovere l'innovazione e la ricerca nella cura delle malattie rare.

Il MetabERN (Metabolic European Reference Network) è quindi una delle 24 reti tematiche che compongono le European Reference Networks (ERN). In particolare, il MetabERN è la rete di esperti europei specializzati nelle malattie metaboliche rare. Questa rete, fondata nel 20\7, adesso conta 101 ospedali in 27 paesi.

Le malattie metaboliche rare sono un gruppo di malattie genetiche che influenzano il metabolismo del corpo. Queste malattie possono causare una vasta gamma di sintomi, inclusi problemi cognitivi, disabilità fisiche e malattie cardiovascolari. Spesso, queste malattie sono difficili da diagnosticare e curare a causa della loro rarità e della mancanza di conoscenze specializzate.

Il MetabERN ha l'obiettivo di migliorare la diagnosi, la cura e il trattamento delle malattie metaboliche rare, fornendo una rete di esperti medici altamente specializzati in tutta Europa. La rete si occupa anche di promuovere la ricerca e l'innovazione nella cura delle malattie metaboliche rare.

Il MetabERN è costituito da un gruppo di centri di cura altamente specializzati in Europa che lavorano insieme per sviluppare e diffondere le migliori pratiche e le conoscenze più recenti nella diagnosi e nella cura delle malattie metaboliche rare. La rete è coordinata da un centro di coordinamento situato in uno dei centri ERN.



Il lavoro del MetabERN si struttura lungo tutto il percorso della patologia partendo dalla prevenzione.

EUROPEAN REFERENCE NETWORKS

MetabERN:
How we share, how we care

- Enhance speedy **diagnosis** by promotion of diagnostic expert consultation (CPMS) and training sessions
- Improve access to the best diagnostics (biochemical/genetic) and to **genome-wide genetic investigations** through active collaboration with Orphanet and ERNDIM

- Participate in and provide input and insights from patients and HCPs in **Education of patients**
- Instruct **general practitioners** on how to follow patients
- Promote the MetabERN Education website (<https://metab.ern-net.eu/>) dedicated to **capacity-building, education & training**.

- Continue collaboration with **other ERNs** through the ERN-Coordinators Platform (on a strategic level) and through on-going consultations with overlapping networks (at a practical level)



- Increase **awareness** amongst general public and Health care professionals, health authorities and relevant stakeholders on inherited metabolic disease (IMDs)
- Dissemination of new and revision of existing health information, **scientific publications**

- Facilitate and harmonise the **newborn screening** in EU
- Use of the Unified-IMD registry to study the **natural history** of asymptomatic and symptomatic state of diseases

- Revise/develop of **Care pathways & Guidelines**
- Facilitate **Clinical Trials/Research** (defining research priorities and disseminating research-related information)
- Create big databases with patients data**
- Improve the Regulatory process for medicines
- Participate in the production of White papers and Recommendations

- Assess the effectiveness and efficiency of clinical processes
- Develop a common programme on **Transition from childhood to adulthood**

- Education and Training needs**
- Share the **'Quality of Life'** surveys and outcomes measurement
- Facilitate the provision of social care services

- Recent achievements to start the journey:**
- A dedicated group on **patient empowerment** has been established
- The **Patient Board governance structure** is up and running including the Patient Executive Committee (PEC). The PEC is the voice of all patient representatives involved in the subnetworks and Work Packages in order to improve their involvement and enable their feedback to be heard by HCPs.
- Patients have been involved in addressing their **specific needs, preferences and priorities** (Survey, feedback systems, etc.)

ALL WITH ONE GOAL IN MIND: OUR PATIENTS!



Dal lavoro svolto e dai numerosi progetti messi in campo dal MetabERN si può concludere che:

- Le ERN non sono più reti virtuali
- Le ERN sono una cassetta degli attrezzi per promuovere, progettare, sostenere progetti di qualsiasi tipo, dalla ricerca di base alle sperimentazioni cliniche di Fase I
- Le ERN devono essere considerate all'interno del SSN come partner
- Le ERN devono essere utilizzate dalle parti interessate
- Le ERN possono essere una delle principali fonti di dati da utilizzare per scopi diversi
- Le ERN possono essere considerate un attore importante per catalizzare i progressi nel campo delle malattie rare
- Le ERN devono interagire con tutte le parti interessate, senza pregiudizi, in modo trasparente.



PARTE II

STRUMENTI DI PROGRAMMAZIONE REGIONALE E MALATTIE RARE

Gli strumenti di programmazione regionale sono fondamentali per affrontare le malattie rare a livello locale. In particolare, una programmazione regionale ben strutturata può favorire l'accesso ai servizi sanitari, la diagnosi precoce e l'implementazione di terapie innovative per i pazienti affetti da malattie rare.

Tra gli strumenti di programmazione regionale utilizzati per affrontare le malattie rare, si possono citare:

- 1.** Piano sanitario regionale: il piano sanitario regionale prevede l'individuazione degli obiettivi, delle priorità e delle strategie per la gestione delle malattie rare nella regione.
- 2.** Registro regionale delle malattie rare: il registro regionale delle malattie rare è uno strumento fondamentale per la raccolta dei dati relativi alle malattie rare nella regione. Questo strumento consente di avere una visione completa delle patologie rare presenti sul territorio, di identificare i centri di eccellenza e di valutare l'efficacia delle politiche sanitarie adottate.
- 3.** Protocolli diagnostici e terapeutici: i protocolli diagnostici e terapeutici sono strumenti fondamentali per garantire un'assistenza sanitaria appropriata ai pazienti affetti da malattie rare. Questi protocolli definiscono le procedure diagnostiche e terapeutiche da adottare per ogni patologia rara, al fine di garantire un approccio uniforme e omogeneo su tutto il territorio regionale.
- 4.** Centri di riferimento: i centri di riferimento sono strutture sanitarie specializzate nella gestione delle malattie rare. Questi centri rappresentano un punto di riferimento per i pazienti affetti da patologie rare e per i medici che li assistono. La programmazione regionale può prevedere l'individuazione di centri di riferimento sul territorio regionale, al fine di garantire un'assistenza sanitaria di alta qualità ai pazienti affetti da malattie rare.



In generale, una programmazione regionale efficace per le malattie rare dovrebbe prevedere una visione integrata e multidisciplinare, che coinvolga le diverse figure professionali coinvolte nella gestione delle patologie rare (medici, infermieri, psicologi, assistenti sociali, ecc.)

Lo scenario dopo la legge 175/2021

Gli strumenti di programmazione regionali devono adattarsi alla nuova legge quadro sulle malattie rare.

Le regioni dovranno agire sui seguenti punti della legge:

- Comitato nazionale Malattie Rare
- Piano nazionale Malattie rare
- Riordino della rete nazionale malattie rare
- JA sul rapporto tra ERN e sistemi sanitari regionali



Quali saranno i compiti dei centri di coordinamento regionali

- 1.** Predisporre le istruttorie a supporto delle politiche e della programmazione regionale, quali ad esempio la definizione delle caratteristiche organizzative che deve avere un centro di riferimento e di eccellenza, la loro selezione e successiva valutazione, la predisposizione dei percorsi dei pazienti compreso i rapporti tra centri, altre strutture ospedaliere e territoriali.
- 2.** La valutazione dell'essenzialità dei trattamenti per gruppi di pazienti e sul singolo malato, l'identificazione di particolari attività, funzioni o strutture di specifico interesse, la pianificazione di programmi di screening, ecc.
- 3.** L'integrazione tra le reti coesistenti nello stesso territorio (es. Palliativa, urgenza, trapianti, riabilitazione, ADI, ecc.), e tra le reti malattie rare di regioni diverse.
- 4.** Monitorare il funzionamento della rete MR, implementare e gestire i registri curandone la loro integrazione e coerenza con il contesto normativo e regolamentario e con il restante patrimonio di informazioni, al fine di evitare duplicazioni di raccolte d'informazione già presente.
- 5.** Gestire adeguati sistemi di informazione (help line, siti, etc.), rapporti privilegiati con le associazioni d'utenza, predisporre percorsi di formazione.



Il ruolo dei centri di riferimento per le malattie rare

Sono unità funzionali dedicate a gruppi di malattie composte da più unità operative con funzione clinica di diagnosi, follow up e definizione del piano complessivo di trattamento e presa in carico del malato.

Devono:

- 1.** Attuare l'intero percorso di definizione della diagnosi di malattia rara, compreso, se indicato, il relativo genotipo, il profilo di danno strutturale e funzionale, attuale ed evolutivo. Predisporre la relativa certificazione ed effettuare gli aggiornamenti.
- 2.** Definire il piano terapeutico assistenziale e i suoi successivi aggiornamenti, permettere la continuità assistenziale attivando i percorsi di presa in carico anche territoriale.
- 3.** Partecipare alle attività del coordinamento regionale per la stesura di definizioni operative, protocolli di appropriatezza prescrittiva, percorsi assistenziali, etc.
- 4.** Alimentare i registri e i sistemi informativi attivi a livello regionale.
- 5.** Partecipare ai percorsi formativi pre e post laurea e ad attività di aggiornamento continuo.
- 6.** Collaborare con il coordinamento regionale nella diffusione di una informazione appropriata e una costante collaborazione con le associazioni d'utenza.



Con l'Istituzione delle ERN non si devono creare due sistemi separati rispetto ai centri di eccellenza regionali ma devono essere un sistema unico all'interno del SSR.

Infatti, una parte dei centri di riferimento regionali, selezionati in base alla maggior esperienza clinica, competenza specifica e maggior capacità di innovazione e ricerca, possono entrare a far parte delle ERN. Il percorso necessario è:

1. Bando europeo
2. Selezioni e certificazione regionale
3. Endorsement da parte del Ministero della Salute
4. Presenza dei criteri definiti a livello europeo per ciascuna ERN.

La natura giuridica dei centri parte delle ERN è la stessa dei centri di riferimento, come pure i compiti.

Essi hanno in più i compiti di:

- Mettere a disposizione dell'intera rete regionale di appartenenza le conoscenze acquisite dalla ERN.
- Facilitare l'accesso alla consulenza delle ERN per i casi più complessi.



Programmi speciali provinciali diretti ai Malati Rari

Il Veneto ha adottato diverse politiche e strumenti per affrontare le esigenze dei pazienti con malattie rare. Tra questi, si possono citare:

- Piano regionale per le malattie rare: il Veneto ha adottato un piano specifico per affrontare le esigenze dei pazienti con malattie rare. Il piano prevede la creazione di un registro regionale delle malattie rare, l'implementazione di percorsi diagnostici e terapeutici per le malattie rare e il sostegno ai pazienti e alle loro famiglie.
- Centri di riferimento provinciali per le malattie rare: il Veneto ha istituito una rete di centri di riferimento regionali per le malattie rare, che forniscono diagnosi, cura e supporto ai pazienti con malattie rare.
- Collaborazione con associazioni di pazienti: il Veneto ha stabilito una collaborazione con le associazioni di pazienti per assicurare che le esigenze dei pazienti con malattie rare siano adeguatamente considerate nella pianificazione delle politiche sanitarie regionali.
- Formazione del personale sanitario: il Veneto ha avviato programmi di formazione per il personale sanitario sulle malattie rare, al fine di garantire una diagnosi precoce e una gestione adeguata delle malattie rare.

In generale, gli strumenti di programmazione regionale adottati dal Veneto per affrontare le malattie rare mirano a garantire l'accesso alle cure, la diagnosi precoce e il supporto ai pazienti e alle loro famiglie.



Tutele speciali per i malati rari in PAT

Le persone affette da malattie rare hanno diritto a diverse tutele speciali in tutte le regioni italiane, compresa la PAT (Provincia Autonoma di Trento).

In particolare, la PAT ha adottato diverse politiche e misure per affrontare le esigenze dei pazienti con malattie rare, tra cui:

- Protocolli trattamenti extra-LEA (Fascia C, off-label, esteri) per MR metaboliche, neurologiche, dermatologiche, oculari, ematologiche e urologiche e alimenti a fini medici speciali
- Prestazioni aggiuntive riabilitative
- Prestazioni aggiuntive assistenziali
- Assistenza odontoiatrica
- Delibera protesi acustiche + dispositivi ottici correttivi
- Scheda bisogni speciali per rete urgenza-emergenza

Per alcune patologie rare sono stati creati anche specifici Percorsi Diagnostico-terapeutici-assistenziali (PDTA):

- PDTA Sclerosi laterale amiotrofica (SLA)
- PDTA Malattie emorragiche congenite (MEC)
- PDTA DAMA (Disabled advanced medical assistance)
- PDTA Malattie neuromuscolari età evolutiva
- PDTA Disfagia pediatrica



La rete assistenziale per i malati rari in PAR si snoda attraverso:

- 1 presidio ospedaliero (Trento) →
n. 15 UU.OO:
 - Percorso diagnostico
 - Certificazione
 - PTP e presa in carico
- Ambulatori dedicati/integrati
 - Dermatologia
 - Reumatologia/Dermatologia
 - Reumatologia/Ginecologia
 - Reumatologia/Nefrologia
 - Reumatologia/Pediatria
 - Neuropsichiatria infantile/Neurologia
- UU.OO Cure Primarie:
 - Esenzione
 - Erogazione farmaci
 - Presa in carico
- Serv. Politiche del farmaco
 - Gruppo tecnico concedibilità
 - Erogazione farmaci fascia A, C, parafarmaci, dispositivi medici e alimenti *tramite farmacie territoriali*
 - Distribuzione diretta (esteri, farmaci H, farmaci ad alto costo) *tramite farmacie ospedaliere e UU.OO. Cure primarie*



Il Centro di Coordinamento provinciale svolge i compiti istituzioni elencati nei paragrafi precedenti, in più svolge i compiti di:

- Presa in carico pediatrica
 - Impostazione iter dg
 - Follow up
 - Ambulatori dedicati/integrati
 - i. Ortopedia pediatrica (2019)
 - ii. Dermatologia/Pediatria (2014)
 - iii. Dermatologia/Pediatria/genetica medica (2022)
 - iv. Pediatria/Genetica medica (2022)

- Presa in carico adulti (2016)
 - U.O. reumatologia
 - Progetto DAMA (molto importante per favorire la transizione dall'età pediatrica a quella adulta)



Il progetto DAMA

Questo progetto nasce perché le persone con grave disabilità intellettiva (DI) o gravi deficit comunicativi possono trovare difficoltà nel vedere soddisfatto il proprio diritto alla salute nei percorsi ospedalieri e territoriali “ordinari” in caso di accesso per prestazioni di varia complessità.

In trentino ci sono circa 1500 persone con DI e anche al di fuori del progetto DAMA vedono riconosciuto il proprio diritto alla salute come nei pronto soccorso (grazie al codice argento).

Ma se nella popolazione dell'età pediatrica c'è un'attenzione garantita dal Centro Coordinamento collaterale da un centro di riferimento provinciale per disturbi dello spettro autistico dalle unità operative che afferiscono all'area materna infantile ed alcuni servizi territoriali e quindi la risposta da presa in carico di questi pazienti è abbastanza strutturata questo non è così nei pazienti che invece arrivano all'età adulta.

Quali le percezioni di difficoltà per questi pazienti?

- Parcellizzazione delle prestazioni sanitarie
- Scarsa preparazione del personale sanitario ad accogliere persone con DI
- Mancanza di specifici ambienti
- Mancanza di referenti
- Mancanza di competenze



Esiste quindi una necessità di rispondere alle esigenze attraverso:

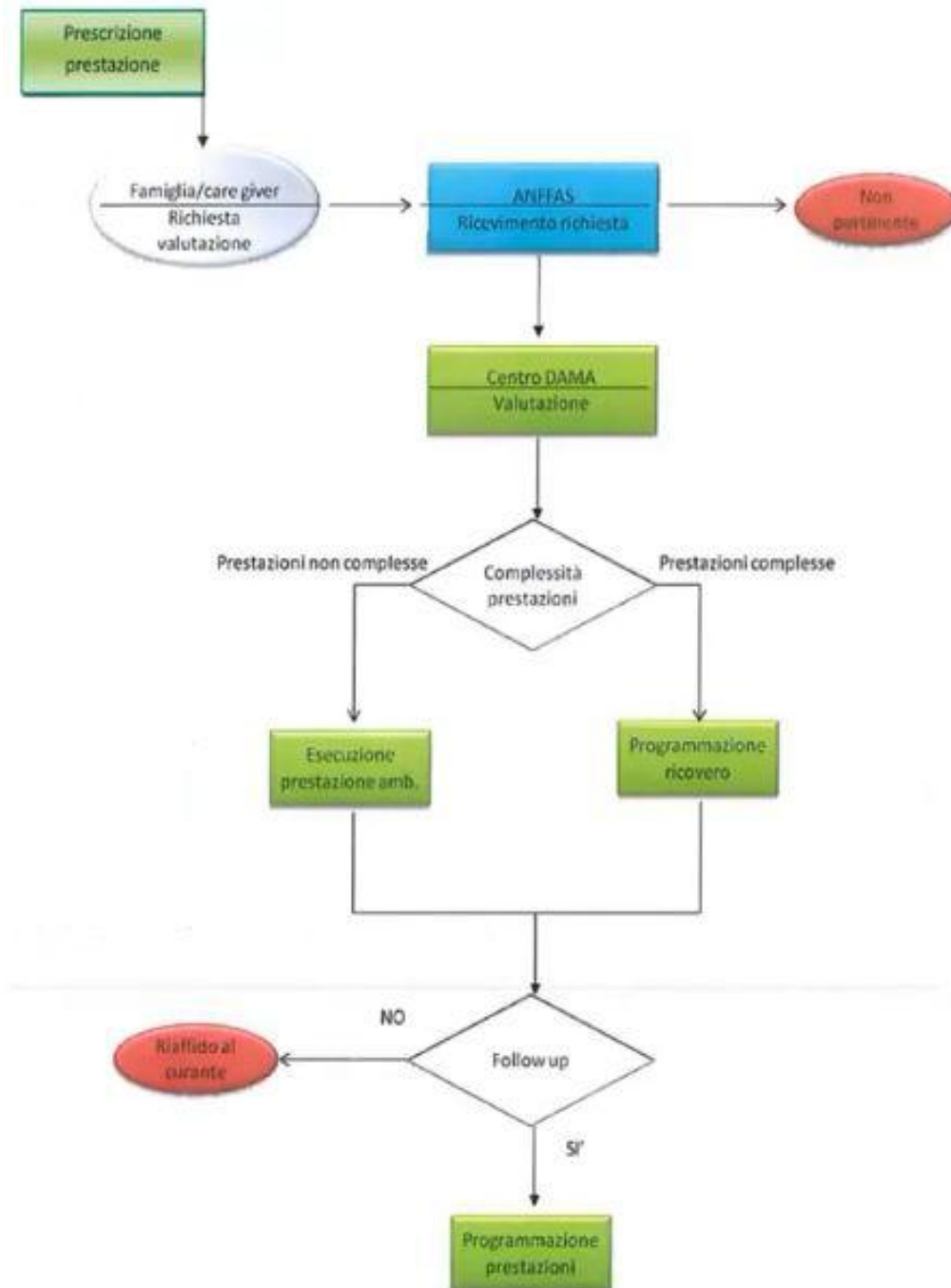
- Individuazione di equipe multidisciplinari dedicate che prendono in cura il paziente con disabilità
- Progettare i percorsi ospedalieri più idonei
- Adattare il percorso alla situazione medica gestionale e relazionale

Il progetto DAMA pone particolare attenzione alla transizione dall'età pediatrica a quella adulta attraverso:

- Transizione da NPI alla neurologia e psichiatria
- Collaborazione con ANFFAS Trentino Onlus
- Equipe multidisciplinare di riferimento per organizzazione e presa in carico persona adulta con DI e bisogni sanitari complessi a cui dare una risposta ambulatoriale o in regime di ricovero.



Il progetto DAMA dal 2019 dispone anche di un PDTA per pazienti con DI





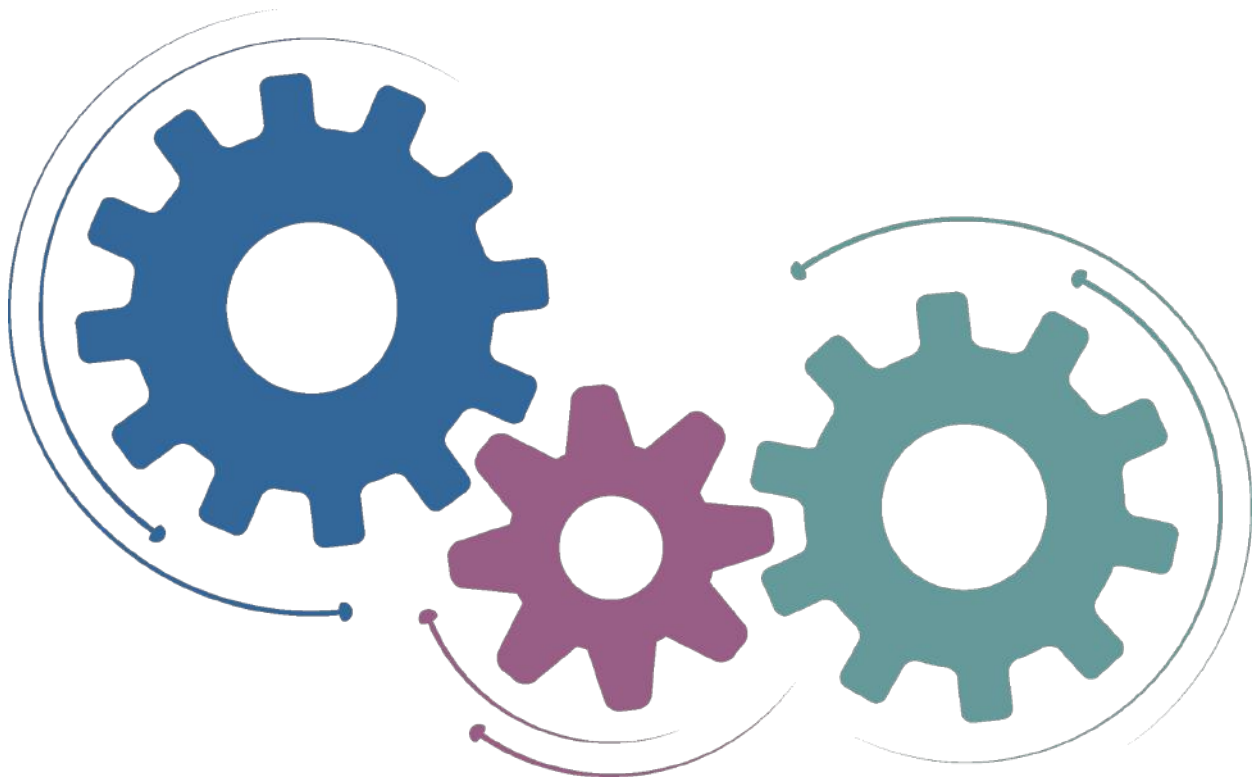
COME DARE RAPIDO MA SOSTENIBILE ACCESSO ALLE TERAPIE INNOVATIVE: PROPOSTE E BEST PRACTICE

Garantire un rapido ma sostenibile accesso alle terapie innovative è una sfida complessa e multidimensionale che coinvolge molti attori, tra cui i regolatori, le aziende farmaceutiche, i fornitori di assistenza sanitaria e i pazienti stessi. Tuttavia, ci sono alcune proposte e best practice che possono essere considerate per affrontare questa sfida:

- 1.** Accelerare l'iter di autorizzazione: i regolatori dovrebbero lavorare per semplificare e accelerare il processo di approvazione per le terapie innovative, senza compromettere la sicurezza e l'efficacia.
- 2.** Fornire finanziamenti per la ricerca e lo sviluppo: le autorità pubbliche e le aziende farmaceutiche dovrebbero investire in modo significativo nella ricerca e nello sviluppo di terapie innovative per garantire che siano disponibili per i pazienti il più presto possibile.
- 3.** Utilizzare programmi di accesso precoce: i regolatori possono utilizzare programmi di accesso precoce per garantire che i pazienti che non hanno altre opzioni terapeutiche abbiano accesso alle terapie innovative in fase di sviluppo.
- 4.** Implementare un pricing sostenibile: i prezzi delle terapie innovative dovrebbero essere sostenibili per i sistemi sanitari e non rappresentare un onere finanziario eccessivo per i pazienti.
- 5.** Promuovere la condivisione dei dati: i dati relativi alla sicurezza ed efficacia delle terapie innovative dovrebbero essere condivisi tra i regolatori, le aziende farmaceutiche, i fornitori di assistenza sanitaria e i pazienti per accelerare l'iter di autorizzazione e migliorare la qualità delle cure.
- 6.** Coinvolgere i pazienti: i pazienti dovrebbero essere coinvolti fin dal principio nella ricerca e nello sviluppo delle terapie innovative e dovrebbero avere un ruolo attivo nel processo decisionale relativo al loro trattamento.



In sintesi, per garantire un rapido ma sostenibile accesso alle terapie innovative, è necessario un approccio collaborativo e coordinato che coinvolga i regolatori, le aziende farmaceutiche, i fornitori di assistenza sanitaria e i pazienti stessi, con un'attenzione particolare alla sicurezza e all'efficacia delle terapie, alla sostenibilità finanziaria e alla partecipazione dei pazienti.

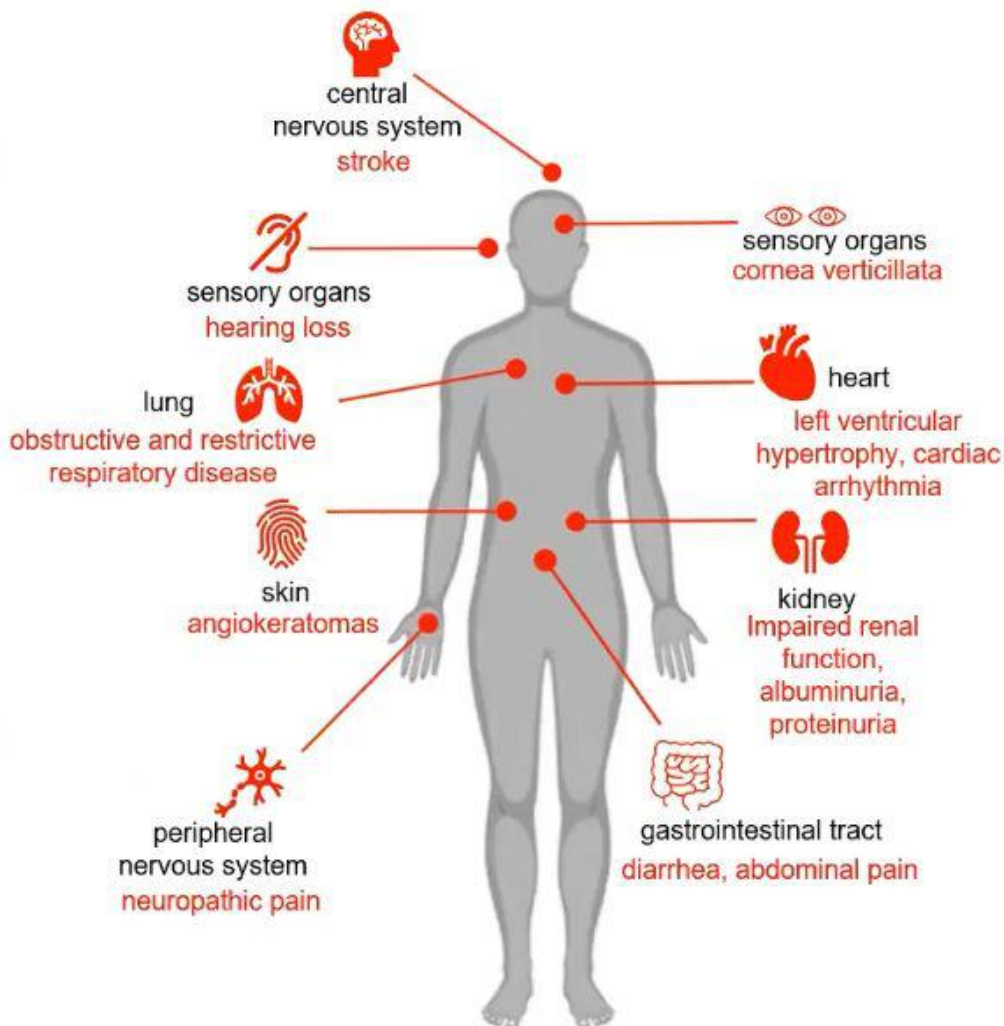




Malattia di Fabry: dall'innovazione alla cura del paziente

La malattia di Fabry è una malattia rara del metabolismo che colpisce circa 1 persona su 40.000. È causata dalla mancanza di un enzima che metabolizza una sostanza chiamata globotriaosilceramide (Gb3), che si accumula nei tessuti e negli organi del corpo.

Questa accumulazione può causare una serie di sintomi, tra cui dolore acuto, disturbi gastroenterici, problemi renali e cardiaci, e riduzione della capacità di sudorazione.





Negli ultimi anni sono stati fatti grandi progressi nella diagnosi e nel trattamento della malattia di Fabry. Alcune delle innovazioni che hanno reso possibile una migliore cura del paziente sono:

- Screening neonatale: molti paesi ora offrono lo screening neonatale per la malattia di Fabry, che consente una diagnosi precoce e un trattamento tempestivo.
- Terapie sostitutive enzimatiche (ERT): le terapie sostitutive enzimatiche sono diventate il trattamento di prima linea per la malattia di Fabry. Queste terapie consistono nell'iniezione dell'enzima mancante nell'organismo del paziente per ridurre l'accumulo di Gb3.
- Terapie chaperone farmacologiche: le terapie chaperone farmacologiche sono una nuova classe di farmaci che possono aiutare l'enzima mancante a piegarsi correttamente e svolgere la sua funzione. Queste terapie sono in grado di agire su una percentuale maggiore di pazienti con malattia di Fabry rispetto alle terapie sostitutive enzimatiche.
- Terapie genetiche: le terapie genetiche sono una nuova frontiera nella cura della malattia di Fabry. Queste terapie consistono nell'inserimento di un gene funzionante nell'organismo del paziente per produrre l'enzima mancante. Anche se ancora in fase di sviluppo, queste terapie potrebbero essere una cura definitiva per la malattia di Fabry.

In sintesi, la malattia di Fabry è diventata una malattia gestibile grazie alle recenti innovazioni nella diagnosi e nel trattamento. Tuttavia, c'è ancora molto lavoro da fare per garantire un accesso equo alle terapie e per sviluppare nuove soluzioni per i pazienti che non rispondono ai trattamenti attuali.



Le sfide future per la malattia di Fabry:

- Mancanza di consapevolezza dei sintomi correlati alla malattia.
- L'eterogeneità della malattia porta a diagnosi errate e diagnosi ritardate.
- Numero limitato di strutture/sistemi sanitari specializzati.
- Mancanza di educazione alla malattia.
- Il livello dei bisogni insoddisfatti rimane elevato.
- Gli studi clinici gold standard sono spesso irrealizzabili a causa del numero limitato di pazienti inclusi.



L'APPORTO DELLE ASSOCIAZIONI DEI PAZIENTI

Le associazioni dei pazienti con malattie rare svolgono un ruolo fondamentale nella lotta contro queste patologie. Esse rappresentano un punto di riferimento importante per i pazienti e le loro famiglie, offrendo sostegno emotivo e informazioni sulle malattie rare e sulle possibili cure.

Inoltre, le associazioni dei pazienti con malattie rare promuovono la ricerca scientifica e collaborano con i professionisti della salute e con i rappresentanti delle istituzioni per migliorare la qualità della vita dei pazienti. In particolare, le associazioni dei pazienti possono:

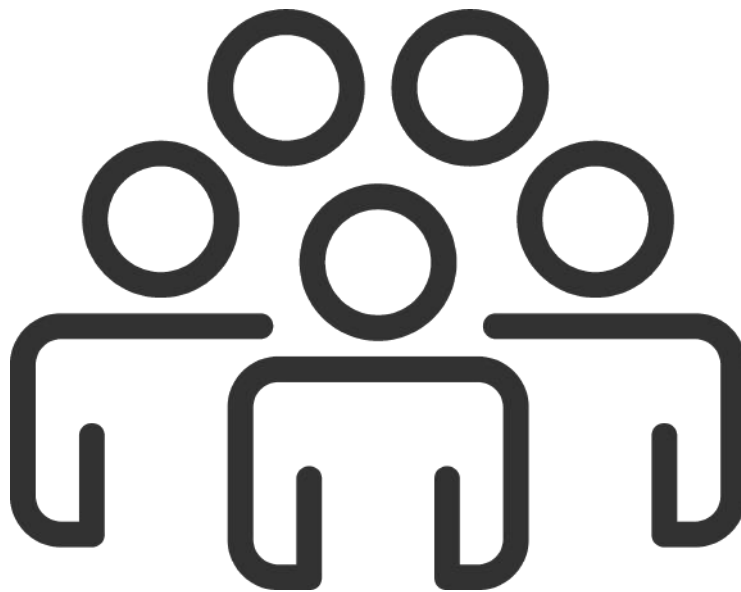
- Diffondere informazioni sulla malattia e sulle terapie disponibili: le associazioni dei pazienti forniscono informazioni sui sintomi, sulla diagnosi, sulle terapie e sulle cure in fase di sviluppo per le malattie rare.
- Creare reti di supporto e solidarietà: le associazioni dei pazienti offrono un'opportunità di confronto e di scambio tra persone che condividono la stessa patologia. Questo permette ai pazienti di sentirsi meno isolati e di ricevere supporto emotivo.
- Collaborare con i professionisti della salute e con le istituzioni: le associazioni dei pazienti rappresentano la voce dei pazienti e delle loro famiglie. Esse collaborano con i professionisti della salute e con le istituzioni per migliorare la qualità della vita dei pazienti, promuovere la ricerca scientifica e favorire l'accesso alle terapie.
- Raccogliere fondi per la ricerca scientifica: le associazioni dei pazienti organizzano eventi e raccolte di fondi per finanziare la ricerca scientifica sulle malattie rare.



Inoltre, le associazioni dei pazienti con malattie rare possono svolgere un ruolo importante nel garantire un accesso equo alle terapie. In molti casi, le terapie per le malattie rare sono costose e non sono coperte dai sistemi sanitari nazionali.

Le associazioni dei pazienti possono lavorare per sensibilizzare i rappresentanti delle istituzioni e per promuovere politiche che garantiscano l'accesso alle terapie per tutti i pazienti.

In sintesi, le associazioni dei pazienti con malattie rare sono un punto di riferimento importante per i pazienti e le loro famiglie. Esse svolgono un ruolo cruciale nella promozione della ricerca scientifica e nella lotta per l'accesso alle terapie, migliorando la qualità della vita dei pazienti con malattie rare.

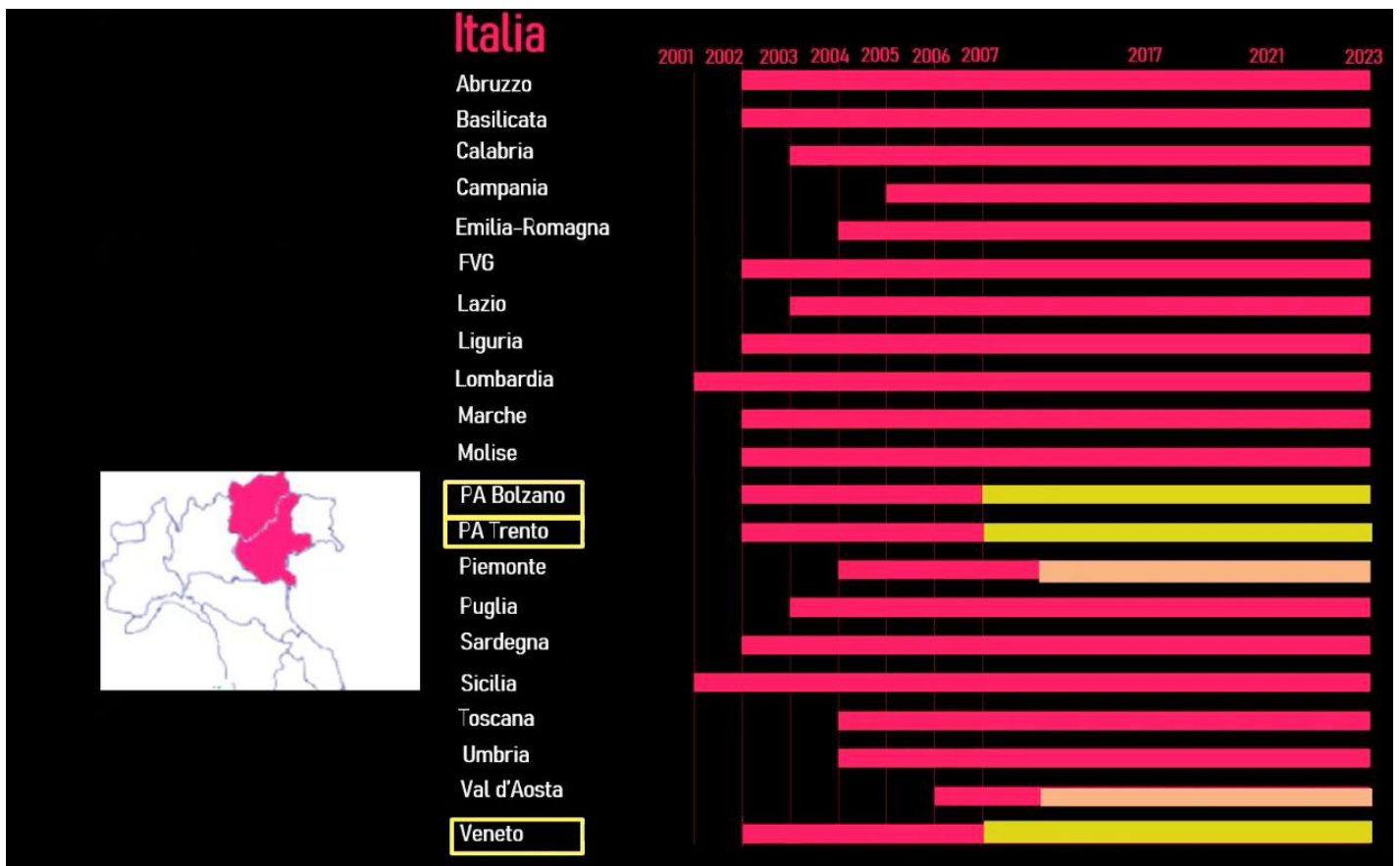




MODELLI IN RETE VENETO, EMILIA-ROMAGNA

Veneto

Quando la Regione Veneto si è trovata a dover applicare la prima norma italiana sulle Malattie Rare, il DM 279/2001, da un punto di vista programmatico si è ritenuto che la dimensione sulla quale ragionare, richiamata dalla norma stessa, non fosse provinciale né regionale ma interregionale. Su questo modello è stata costituita una rete che comprendesse: Veneto, PA Bolzano e PA Trento.





La Rete dalla sua costituzione in cui furono identificati i Centri per le malattie rare si è evoluta nel tempo identificando anche il come questi centri possono servire al meglio le persone con malattie rare.



Una domanda di programmazione che ci pose, ancora attuale, è quale fosse l'equilibrio tra il concentrare al massimo la specializzazione in Centri di cura ultraspecialistici e al contempo non creare un danno ai pazienti per via dei lunghi spostamenti per raggiungere i servizi di cura.

La risposta è stata trovata creando un modello di centro per le malattie rare che non si limiti a una singola patologia e che non si limiti ad una singola struttura ma che racchiuda diverse unità operative all'interno della stessa azienda o di aziende diverse. Questo per garantire un intero percorso diagnostico e il piano di assistenza.



Per riuscire a creare questi centri sono stati effettuati dal 2001 quattro processi di accreditamento basati su:

- Istruttoria basata su dati oggettivi, non autodichiarazione
- Selezione Centri per gruppo (MD;per+adu)
- Dimensione interaziendale
- Bacini interregionali PA Trento – PA Bolzano e collaborazioni con altre regioni/PPAA
- Monitoraggio della rete.

I quattro processi di accreditamento formale dei Centri MR si sono basati su Delibere Regionali di cui tre interregionali:

- Nel 2002 – Metodo oggettivo, basato su casistica e analisi fonti correnti, non autodichiarazione, sono Centri in Veneto.
- Nel 2007 – Stessa metodologia più dati del Registro; creazione rete interregionale
- Nel 2015 – Rete interregionale; Il Centro è un'unità funzionale; inclusione di altri soggetti come ad esempio la riabilitazione.
- Nel 2017 – DGR 1522 Revisione della rete alla luce del nuovo elenco DPCM 12.01.2017



L'assetto attuale della rete:

DGR 1522/2017

8 Aziende ULSS
3 IRCCS
2 Aziende Ospedaliere
UNIV (Padova e Verona)

**Unità Operative
(intra-aziendali e
interaziendali)**

Pneumologia
Fisiopatologia respiratoria
Reumatologia
Cardiologia
Chir toracica
Genetica
Anat patologica
Radiologia
.....

Il Centro non è l'UO
ma è un'unità funzionale
di più UO e servizi

Centro per le MR

Respiratorie
Immunitarie
Reumatologiche
Neurologiche
Malformazioni complesse
...



Una rete complessa richiede un alto grado di connessione tra tutti i suoi elementi. Per creare questa interconnessione è stato creato un sistema informativo basato sulle reti di assistenza.

Come funziona il sistema informativo:





Il sistema informativo permette inoltre che il piano terapeutico non sia redatto da un singolo professionista o una singola unità operativa ma da più centri e più unità operative.

Funzione Integrazione Piano terapeutico





La rete per le malattie rare però non può e non deve essere una rete di centri (regionale o interregionale) ma deve anche far parte di una rete di reti a livello nazionale ed europeo.

Rete malattie rare: una rete di reti

- 1) Rete regionale dei Centri
- 2) Rete interregionale dei Centri e dei Coordinamenti
- 3) Rete nazionale
- 4) Le reti europee

- a) I Centri di riferimento o di competenza per malattie rare
- b) Le reti costituite dall'insieme di questi Centri (per gruppo di malattie rare)
- c) Le reti tra ciascun Centro e le strutture operanti in prossimità alla residenza del malato, siano esse ospedaliere o territoriali fino al domicilio del malato stesso
- d) Le reti territoriali



È molto importante che la rete malattie rare si interfacci con il sistema screening perché le malattie che sono oggetto delle norme previste per lo screening in Italia sono tutte malattie rare. È quindi importante anche un'integrazione della rete malattie rare con la rete dei punti nascita

Rete nascita

Punti nascita n-32 + parti domicilio
Parte del **sistema screening**

DM 13.10.2016 + programmi regionali
Le malattie incluse sono malattie rare monitorate dai Registri MR

Accordi interregionali con FVG-PA Trento e Bolzano)

Archivio esiti ex Legge 167-in via di definizione
Dati da nuovo Cedap
Dati da altri monitoraggi (registri MR)



REGISTRO NASCITA



Emilia-Romagna

La rete Veneta e la Rete dell'Emilia-Romagna lavorano in modo coordinato per i contenuti del settore malattie rare.

La RMR ER ha come obiettivo quello di creare un sistema integrato di assistenza sanitaria per le malattie rare che comprenda centri di riferimento, strutture ospedaliere, medici di base, specialisti e associazioni di pazienti. Questo sistema integrato consente una diagnosi e una cura più rapida e accurata delle malattie rare.

La RMR ER lavora in stretta collaborazione con il Centro Nazionale Malattie Rare (CNMR) e con altre reti regionali per le malattie rare in Italia e in Europa. Il CNMR ha il compito di coordinare le attività delle reti regionali, fornendo supporto tecnico-scientifico e promuovendo la ricerca sulle malattie rare.

La RMR ER promuove anche la formazione dei professionisti sanitari, organizzando corsi di formazione e convegni sui temi delle malattie rare. Inoltre, collabora con le associazioni di pazienti per migliorare la qualità dell'assistenza e per garantire la partecipazione dei pazienti alle decisioni che riguardano la loro cura e la loro assistenza.





La RMR ER collabora anche con altre reti regionali grazie al sistema informativo MR.

- Il sistema informativo per le malattie rare è attivo dal 2007, con informatizzazione dei piani terapeutici dal 2010.
- Al sistema informativo sono collegati i centri di riferimento, i distretti e le farmacie ospedaliere per l'approvvigionamento dei farmaci.
- La creazione del consorzio Regioni che condivide lo stesso sistema permette di avere dati e procedure omogenei. Capofila è la Regione Veneto.
- Registro: funzione fondamentale nella programmazione sanitaria e nell'organizzazione della rete.

Il compito della programmazione regionale, attraverso il Centro di Coordinamento Regionale è di:

- Sviluppare protocolli o algoritmi diagnostico-terapeutici che definiscano i percorsi assistenziali del paziente tramite approccio interdisciplinare, integrazione con i servizi territoriali e MMG/PLS per l'assistenza in ambito domiciliare.
- Assicurare il collegamento funzionale con i singoli Presidi della rete.
- Raccogliere le richieste di medici e/o pazienti.
- Assicurare la presenza di un'autonoma struttura in grado di supportare l'attività di raccolta e smistamento di informazioni attraverso linee telefoniche dedicate.
- Assicurare la presenza di personale dedicato.
- Assicurare la disponibilità di reti di comunicazione e operative attraverso lo sviluppo di adeguati collegamenti funzionali tra i servizi sociosanitari e i Presidi della rete per garantire la presa in carico dei pazienti e delle famiglie, la continuità delle cure e l'educazione sanitaria.
- Costituire un punto di riferimento privilegiato per le associazioni dei pazienti e dei loro familiari.



Il valore aggiunto del sistema regionale e del confronto all'interno di un tavolo interregionale:

Ogni Regione, al di là dei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA), rappresenta una officina di idee e di progetti, che costituiscono uno stimolo per tutte le altre e nel tempo, anche grazie alla sollecitazione delle Associazioni dei pazienti, spronano l'intero sistema favorendo l'ampliamento dei LEA stessi.

Le politiche sanitarie delle Regioni non devono essere considerate una fonte di diseguità fra i cittadini residenti in diversi territori, ma laboratori di sperimentazione virtuosi, che possono essere estesi sul territorio nazionale una volta validati.



LA RIVOLUZIONE DELLA GENOMICA CLINICA: COME GOVERNARLA?

La genomica clinica è una disciplina che studia l'intero genoma di un individuo per comprendere le basi genetiche delle malattie. In particolare, la genomica clinica rappresenta una grande opportunità per la diagnosi e il trattamento delle malattie rare, che spesso sono causate da mutazioni genetiche rare e complesse.

Tuttavia, la genomica clinica presenta anche sfide importanti, tra cui l'interpretazione dei dati genetici e la loro integrazione con i dati clinici, nonché la gestione delle informazioni genetiche sensibili e la comunicazione dei risultati ai pazienti e alle loro famiglie.

Per governare la rivoluzione della genomica clinica nelle malattie rare, è necessario affrontare queste sfide e sviluppare un quadro normativo e di regolamentazione chiaro e completo per garantire che i dati genetici vengano raccolti, gestiti, analizzati e utilizzati in modo sicuro ed etico.

Ciò richiede la collaborazione tra esperti in medicina, genetica, informatica, diritto, etica e pazienti stessi, al fine di sviluppare linee guida e protocolli standardizzati per la genomica clinica. Inoltre, è essenziale garantire che i pazienti e le loro famiglie siano pienamente informati sui rischi e sui benefici dell'utilizzo della genomica clinica e che possano prendere decisioni informate sulla raccolta, l'uso e la divulgazione dei loro dati genetici.

Infine, è importante sottolineare che la genomica clinica non dovrebbe sostituire completamente le pratiche cliniche standard, ma piuttosto integrarsi con esse per migliorare la diagnosi e il trattamento delle malattie rare in modo più accurato e personalizzato.



Quale architettura, quali infrastrutture e quale governance, della rete SSN per la genomica

L'integrazione della genomica nei servizi sanitari nazionali richiede l'adozione di un'architettura, infrastrutture e governance specifiche per la gestione e l'analisi dei dati genomici.

Architettura: L'architettura della rete SSN per la genomica dovrebbe prevedere la raccolta e la gestione dei dati genomici dei pazienti, in modo sicuro e centralizzato, presso un centro di raccolta nazionale. Questo centro dovrebbe essere in grado di coordinare e standardizzare i protocolli di raccolta dei dati e di garantire la qualità dei dati.

Infrastrutture: Le infrastrutture per la genomica dovrebbero includere:

- Piattaforme di sequenziamento di nuova generazione, in grado di analizzare il DNA dei pazienti in modo rapido e preciso.
- Strumenti per l'analisi dei dati genomici, in grado di identificare le variazioni genetiche dei pazienti e di correlarle con le malattie.
- Sistemi di conservazione e archiviazione dei dati genomici, in grado di garantire la sicurezza e la privacy dei pazienti.

Governance: La governance della rete SSN per la genomica dovrebbe prevedere la collaborazione tra il governo, le autorità sanitarie, i ricercatori e i professionisti sanitari, con l'obiettivo di garantire la qualità dei dati e l'efficacia dei trattamenti. Inoltre, dovrebbe essere prevista una regolamentazione per la gestione dei dati genomici, in modo da garantire la protezione della privacy dei pazienti.

Inoltre, la formazione dei professionisti sanitari sulla genomica e l'accesso alle informazioni sui dati genomici dei pazienti dovrebbe essere gestito in modo responsabile e regolamentato.



TERAPIE INNOVATIVE PER UNA PRESA IN CARICO OTTIMALE DEL PAZIENTE CON MALATTIA RARA. TARGET THERAPY E TUMORI RARI

La presa in carico ottimale del paziente con malattia rara richiede un approccio multidisciplinare e personalizzato, basato su una conoscenza approfondita della malattia e delle sue caratteristiche. Nel caso dei tumori rari, la terapia target può rappresentare una strategia innovativa e efficace.

Un tumore raro (ne esistono oltre 200 tipologie) è definito come un tumore con un tasso di incidenza tra i 2.5 ed i 15 pazienti ogni 100mila. Collettivamente i tumori rari rappresenta un quarto di tutti i tumori diagnosticati e dei decessi.

La terapia target si basa sulla conoscenza delle alterazioni molecolari che caratterizzano la malattia e che possono rappresentare dei bersagli terapeutici specifici. In questo modo, si mira a colpire selettivamente le cellule tumorali senza danneggiare i tessuti sani circostanti, riducendo gli effetti collaterali delle terapie tradizionali come la chemioterapia.

Nel caso dei tumori rari, la terapia target può essere particolarmente efficace, in quanto spesso queste malattie sono caratterizzate da mutazioni genetiche specifiche che le distinguono dai tumori più comuni. In alcuni casi, è possibile utilizzare farmaci già approvati per altre patologie che agiscono sullo stesso bersaglio molecolare.

Tuttavia, la ricerca di nuovi farmaci specifici per le malattie rare è ancora molto attiva e richiede un impegno costante da parte della comunità scientifica e dell'industria farmaceutica. In questo contesto, la medicina personalizzata e la genomica sono strumenti fondamentali per individuare le mutazioni genetiche responsabili della malattia e per sviluppare terapie mirate.

La presa in carico del paziente con malattia rara richiede una stretta collaborazione tra medici, ricercatori, pazienti e famiglie, in modo da individuare le migliori strategie terapeutiche e supportare il paziente nella gestione della sua patologia. In questo senso, le associazioni di pazienti e le reti internazionali di ricerca sono fondamentali per condividere conoscenze ed esperienze e per promuovere lo sviluppo di terapie innovative e accessibili.



Inoltre, la gestione dei tumori rari può rappresentare un paradigma nella cura dei tumori anche comuni. I tumori rari sono caratterizzati da una bassa incidenza e una grande eterogeneità, il che rende difficile lo sviluppo di trattamenti specifici e la conduzione di studi clinici di ampio respiro.

Tuttavia, la ricerca sui tumori rari ha portato a importanti progressi nella comprensione delle alterazioni molecolari che caratterizzano queste malattie, aprendo la strada alla scoperta di nuovi bersagli terapeutici e di nuove strategie di trattamento.

Le terapie target, basate sulla conoscenza delle alterazioni molecolari specifiche del tumore, sono diventate una strategia sempre più utilizzata anche nella cura dei tumori comuni.

L'identificazione di marcatori molecolari che predicono la risposta alla terapia, come i recettori degli ormoni nei tumori mammari o le mutazioni del gene EGFR nei tumori polmonari, ha permesso di selezionare i pazienti che potrebbero beneficiare di terapie specifiche e di personalizzare la loro cura.

Inoltre, l'approccio multidisciplinare e personalizzato che caratterizza la gestione dei tumori rari può essere esteso anche ai tumori comuni, migliorando la qualità delle cure e la prognosi dei pazienti. La collaborazione tra medici di diverse specialità, ricercatori, pazienti e famiglie può favorire una migliore comprensione della malattia, una maggiore partecipazione dei pazienti alla gestione della loro patologia e una promozione della ricerca e dell'innovazione nel campo della oncologia.

In conclusione, la gestione dei tumori rari rappresenta un paradigma nella cura dei tumori anche comuni, che si basa sulla personalizzazione delle cure, la collaborazione multidisciplinare e la promozione dell'innovazione.

La ricerca e lo sviluppo di nuove terapie specifiche per i tumori rari possono contribuire in modo significativo alla cura dei tumori comuni, migliorando la qualità delle cure e la sopravvivenza dei pazienti.



HORIZON SCANNING: UNO STRUMENTO UTILE PER PROGRAMMARE E PREPARARE IL SISTEMA ALL'INNOVAZIONE

L'Horizon Scanning è uno strumento utile per programmare e preparare il sistema sanitario all'innovazione. Si tratta di un processo di monitoraggio continuo e sistematico delle nuove tecnologie, farmaci e procedure diagnostiche o terapeutiche in fase di sviluppo, al fine di identificare quelle che potrebbero avere un impatto significativo sulla salute pubblica.

L'Horizon Scanning consente di anticipare le esigenze future del sistema sanitario e di programmare adeguatamente l'acquisizione di competenze, tecnologie e risorse necessarie per garantire la disponibilità tempestiva di nuove terapie e procedure.

Inoltre, permette di valutare la sicurezza, l'efficacia e la convenienza economica delle nuove tecnologie, nonché di promuovere una maggiore partecipazione dei pazienti e dei cittadini alla definizione delle politiche sanitarie.

L'Horizon Scanning è stato adottato in molti paesi europei, come Regno Unito, Olanda e Francia, e viene utilizzato anche a livello internazionale. In Italia, l'Horizon Scanning è stato introdotto nel 2015 dal Ministero della Salute, attraverso il progetto "HTA Priority Setting and Horizon Scanning", al fine di fornire una valutazione oggettiva delle tecnologie sanitarie in arrivo sul mercato.

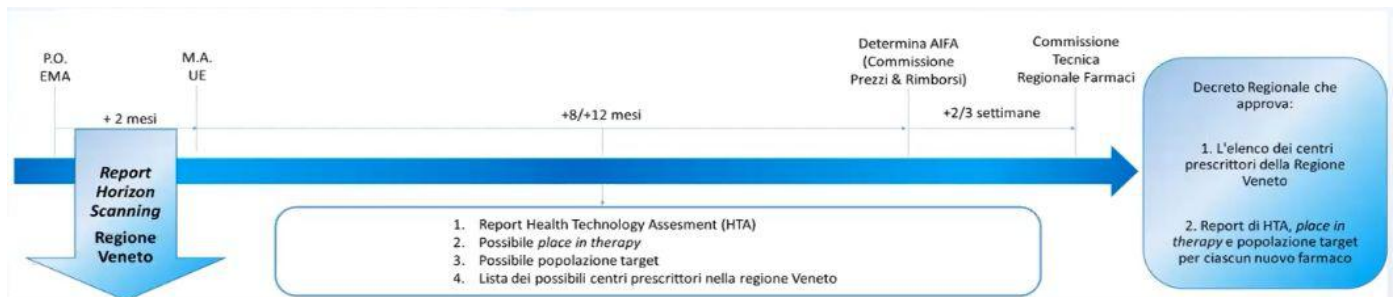
In conclusione, l'Horizon Scanning rappresenta uno strumento importante per promuovere l'innovazione nel settore sanitario, migliorare la qualità delle cure e garantire la sostenibilità economica del sistema sanitario.

La sua implementazione richiede una stretta collaborazione tra tutte le parti interessate, tra cui le autorità sanitarie, le organizzazioni dei pazienti, le associazioni professionali e l'industria farmaceutica.



Il sistema di Horizon Scanning in Regione Veneto

Peculiarità dell'Horizon Scanning in Regione Veneto è che i report regionali vengono prodotti nel tempo che intercorre tra la *positive opinion* espressa dall'EMA e la marketing authorization vera e propria (un arco di tempo di due mesi).



I report (molto essenziali) si basano su dati principalmente disponibili all'FDA che temporalmente agisce prima degli altri enti.

Product & Mechanism of action	Authorized indications Licensing status	Essential therapeutic features	NHS impact
Substance:	Authorized Indication: EMA:	Summary of clinical EFFICACY:	Cost of therapy: (if it is available in USA or UK)
Brand Name:	Route of administration:	Summary of clinical SAFETY:	Epidemiology:
Originator/licensee:	Licensing status	Ongoing studies:	POSSIBLE PLACE IN THERAPY (Guidelines, recommendations...)
Classification:	EU CHMP P.O. date: gg/mm/aaaa	• For the same indication:	OTHER INDICATIONS IN DEVELOPMENT
ATC code:	FDA M.A. date: gg/mm/aaaa	• For other indications:	SAME INDICATION IN EARLIER LINE(S) OF TREATMENT:
Orphan Status:	EU Speed Approval Pathway: Y/N	[Fase III, but if it is an O/OE drug, also Fase II]	OTHER DRUGS IN DEVELOPMENT for the SAME INDICATION
Eu: Y/N	FDA Speed Approval Pathway: Y/N	Discontinued studies (for the same indication):	*Service reorganization Y/N
Us: Y/N	ABBREVIATIONS:		*Possible off label use Y/N
Mechanism of action:			References:

**UOC HTA
Azienda Zero**



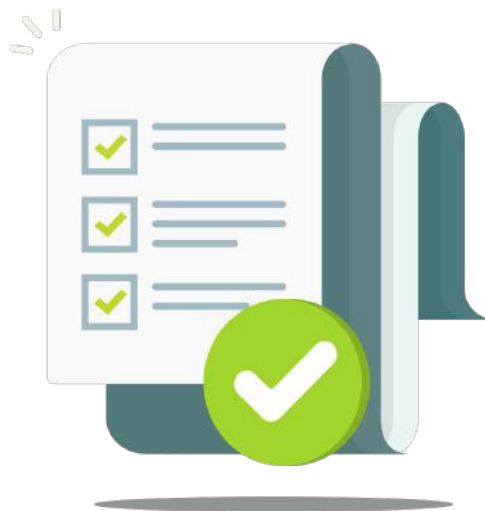
CONCLUSIONI

- Le malattie rare rappresentano una sfida importante per il sistema sanitario italiano e richiedono un approccio integrato che comprenda la prevenzione, la diagnosi, la terapia, la presa in carico e la ricerca. Di seguito, sono elencate alcune possibili azioni che potrebbero migliorare l'approccio alle malattie rare nel sistema sanitario italiano:
- Migliorare la conoscenza e la sensibilizzazione sulle malattie rare: È importante sensibilizzare la popolazione, i medici di base e gli specialisti sui sintomi, le diagnosi e le terapie delle malattie rare, in modo da facilitare la diagnosi precoce e migliorare la presa in carico dei pazienti.
- Creare un registro nazionale delle malattie rare: un registro centralizzato delle malattie rare potrebbe aiutare a migliorare la diagnosi, la raccolta di dati epidemiologici e la valutazione dell'efficacia delle terapie.
- Migliorare la formazione dei professionisti sanitari: È importante fornire ai medici di base e agli specialisti le competenze necessarie per diagnosticare e trattare le malattie rare. Inoltre, è importante coinvolgere i pazienti e le loro famiglie nella gestione della loro patologia.
- Sviluppare centri di riferimento per le malattie rare: Centri di riferimento specializzati possono offrire diagnosi e terapie altamente specializzate e condividere le conoscenze tra i professionisti sanitari.
- Favorire la ricerca: È importante investire nella ricerca per trovare nuove terapie e cure per le malattie rare. La creazione di consorzi di ricerca nazionali e internazionali potrebbe facilitare lo sviluppo di nuove terapie.
- Promuovere la partecipazione dei pazienti: La partecipazione dei pazienti e delle loro famiglie è fondamentale per migliorare la conoscenza e il trattamento delle malattie rare. I pazienti possono contribuire alla ricerca e alla valutazione delle terapie e rappresentare un punto di riferimento per gli altri pazienti.



- Migliorare l'accesso ai farmaci orfani: I farmaci per le malattie rare possono essere costosi e spesso non sono coperti dal servizio sanitario nazionale. È importante favorire l'accesso ai farmaci orfani per tutti i pazienti che ne hanno bisogno.

In sintesi, migliorare l'approccio alle malattie rare richiede una strategia integrata che comprenda la prevenzione, la diagnosi, la terapia, la presa in carico e la ricerca. L'implementazione di queste azioni potrebbe aiutare a migliorare la vita dei pazienti affetti da malattie rare e a ridurre la disparità nell'accesso alle cure e ai trattamenti.



**SONO INTERVENUTI (I NOMI RIPORTATI SONO IN ORDINE ALFABETICO):**

Fabiola Bologna, Dirigente Medico, già Segretario Commissione Affari sociali e Sanità, Camera dei Deputati

Vincenzo Bronte, Direttore Scientifico IOV Veneto

Silvio Brusaferrò, Presidente ISS

Mauro Cancian, Direttore UOSD Allergologia

Gianni Carraro, Dirigente medico U.O.C. Nefrologia 2, AOU Padova

Giorgio Dal Maso, Rappresentante delle Associazioni di Malati Rari

Angelo Paolo Dei Tos, Professore Ordinario Anatomia Patologica Università Degli Studi di Padova e Direttore UOC Anatomia Patologica AOU Padova

Paola Facchin, Responsabile del Coordinamento Malattie Rare Regione del Veneto

Luciano Flor, Già Direttore Generale Sanità Regione del Veneto

Marcello Gemmato, Sottosegretario Ministero della Salute

Roberta Joppi, Direzione Farmaceutico, Protesica e Dispositivi Medici della Regione Veneto

Manuela Lanzarin, Assessore alla Sanità e al Sociale, Regione del Veneto

Alberta Leon, Direttore scientifico R&I Genetics

Lorenzo Leveghi, Responsabile Malattie Rare dell'Adulto Trento

Walter Locatelli, Presidente Io Raro

Roberta Maestro, Direttore Dipartimento di Ricerca Cro Aviano

Anna Martini, Direzione Farmaceutico, Protesica e Dispositivi Medici della Regione Veneto

Monica Mazzucato, Coordinamento Regionale per la malattie rare Veneto

Paolo Navalesi, Delegato alla Ricerca Clinica Università degli Studi di Padova



Annalisa Pedrolli, Responsabile Centro Coordinamento Malattie Rare della Provincia di Trento

Giorgio Perilongo, Professore Ordinario di Pediatria, Dipartimento Salute della Donna e del Bambino e coordinatore Dipartimento Funzionale Malattie Rare, AOU Padova

Stefano Piccolo, Professore Ordinario di Biologia Molecolare Dipartimento di Medicina Molecolare dell'Università di Padova

Chiara Roni, Dirigente Farmacista SC Farmacia Ospedaliera e Territoriale Area Giuliano Isontina

Elisa Rozzi, Centro Coordinamento Malattie Rare Emilia-Romagna

Leonardo Salviati, Dir. UO Genetica Clinica e Epidemiologica, Azienda Università Ospedale di Padova

Maurizio Scarpa, Direttore Centro Coordinamento Regionale Malattie Rare Friuli AOU Udine e coordinatore METABERN - European Reference Network For Rare Hereditary Metabolic Diseases

Domenica Taruscio, Past Director Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità

Alessandro Tortolano, Regional Patient Access Head SOBI

Ezio Zanon, Coordinatore del Centro Emofilia - Medicina Generale AOU Padova



II GIORNATA

MALATTIE RARE & L'UNIONE EUROPEA DELLA SALUTE



Con un budget di 5.3 Miliardi di euro, l'“EU4 Health Program 2021-2027” rappresenta un intervento in ambito sanitario che non ha alcun precedente nella storia dell'Unione Europea (UE). Lanciando questo programma, quanto mai ambizioso, la Commissione Europea ha chiaramente indicato che il tema della salute rappresenta una delle principali priorità dell'UE.

La salute, infatti, al di là dell'ambito strettamente sanitario, è un elemento chiave per la pace sociale, il benessere collettivo e lo sviluppo. L'“EU4 Health Program 2021-2027” è stato concepito come uno dei principali motori per dar vita all'Unione Europea della Salute.



Gli ambiti principali di tale programma sono: i problemi di salute pubblica che la pandemia da Sars-CoV2 ha drammaticamente evidenziato, i tumori, la ricerca e l'innovazione nel campo della farmaceutica, la digitalizzazione della medicina, l'antibiotico resistenza, i vaccini, le malattie rare (con riferimento quanto mai esplicito agli "European Reference Networks") e, in generale, la collaborazione internazionale per affrontare quei fattori che stanno minacciando a livello globale la salute dell'uomo.

Il cammino per arrivare ad una matura Unione Europea della Salute è ancora molto lungo e complesso; il pensiero e la conseguente strategia politica europea così come le normative nazionali e internazionali necessitano di progressive elaborazioni; la sostenibilità dei futuri sistemi sanitari, alla luce dei progressivi costi delle innovazioni biotecnologiche e dei nuovi farmaci, è un tema che deve ancora essere adeguatamente elaborato così come il processo di rivisitazione degli attuali modelli di finanziamento della sanità; la sensibilità dei cittadini europei e dei principali "stakeholders" (quali le Autorità sanitarie nazionali e regionali) in tema di Unione Europea della Salute deve ulteriormente crescere; infine i moderni strumenti tecnologici devono ancora essere più diffusamente implementati per concepire realtà future, quale appunto l'Unione Europea della Salute.

In questa prospettiva diventa prioritario elaborare "Proof of concepts" al fine di confermare e consolidare il cammino verso la costruzione di questa nuova collaborazione europea anche in ambito sanitario.

È da queste considerazioni che si è partiti per promuovere, proprio in occasione della Giornata Mondiale sulle Malattie Rare 2023, un seminario che serva a far crescere, specie nella classe medica coinvolta nell'attività degli European References Network sulle Malattie Rare ma certamente non solo, una consapevolezza diffusa di essere protagonisti del prestigioso e ambizioso tentativo di dar vita all'Unione Europea della Salute del valore, e dell'importanza di perseguire questo obiettivo per il bene individuale e pubblico e idealmente di contribuire a far crescere la voglia di realizzarlo.



SESSIONE I

I PRINCIPI ISPIRATORI DELL'UNIONE EUROPEA E IL SUO AVVENIRE

L'Unione Europea della Salute è un'idea che si basa sulla necessità di proteggere la salute dei cittadini europei, di migliorare l'accesso alle cure mediche e di garantire la sicurezza sanitaria in caso di emergenze sanitarie come quella rappresentata dalla pandemia di COVID-19.

I principi fondanti dell'Unione Europea della Salute sono:

- **Solidarietà:** la salute è un diritto fondamentale di tutti i cittadini europei e l'UE si impegna a garantire che tutti abbiano accesso alle cure mediche di cui hanno bisogno;
- **Prevenzione:** l'UE si impegna a prevenire le malattie e a promuovere la salute pubblica, investendo in programmi di prevenzione e sensibilizzazione;
- **Collaborazione:** l'UE promuove la collaborazione tra i paesi membri per migliorare la ricerca, lo sviluppo e la distribuzione di farmaci, vaccini e dispositivi medici;
- **Innovazione:** l'UE sostiene l'innovazione e la ricerca scientifica per migliorare la prevenzione, la diagnosi e la cura delle malattie;
- **Sostenibilità:** l'UE promuove una politica di sviluppo sostenibile che tenga conto dell'impatto della salute sulle persone e sull'ambiente.



Per concepire e realizzare l'Unione Europea della Salute, l'UE ha adottato una serie di iniziative e programmi, tra cui:

- Il Piano d'azione europeo sulla salute pubblica 2014-2020, che ha identificato le principali sfide sanitarie e ha stabilito le priorità per affrontarle;
- Il Programma per la salute dell'UE 2021-2027, che prevede un bilancio di 5,1 miliardi di euro per sostenere la promozione della salute, la prevenzione delle malattie e l'accesso alle cure mediche per tutti i cittadini europei;
- La creazione dell'Agenzia europea per la sicurezza alimentare (EFSA) e dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA), che garantiscono la sicurezza dei prodotti alimentari e farmaceutici distribuiti nell'UE;
- L'adozione di misure di coordinamento e di collaborazione tra i paesi membri per affrontare la pandemia di COVID-19, come la distribuzione equa dei vaccini e il sostegno economico ai paesi più colpiti dalla crisi sanitaria.

In sintesi, l'Unione Europea della Salute è un progetto ambizioso che si basa sulla solidarietà, la collaborazione e la prevenzione per garantire l'accesso alle cure mediche e la tutela della salute dei cittadini europei.

L'Italia in questo contesto è parte integrante di questa pionieristica idea di un'Europa della Salute mettendo a disposizione le sue esperienze, le sue conoscenze e le sue reti di eccellenza per creare un modello di rete europea.

Inoltre, l'Italia ha svolto un ruolo fondamentale nella gestione della pandemia di COVID-19, in quanto è stato uno dei paesi più colpiti dall'epidemia e ha dovuto affrontare grandi sfide nella gestione della crisi sanitaria.

Tuttavia, l'Italia ha anche dimostrato grande solidarietà nei confronti degli altri paesi membri dell'UE, fornendo aiuti e supporto a paesi come la Francia e la Spagna durante i momenti di picco dell'epidemia.



Inoltre, l'Italia è stata uno dei promotori dell'idea di un'Unione Europea della Salute fin dal 2020, sostenendo la necessità di una maggiore cooperazione tra i paesi membri per affrontare le sfide sanitarie comuni.

L'Italia ha anche un ruolo importante nella promozione della ricerca scientifica e dell'innovazione nel settore sanitario, sia a livello nazionale che europeo. L'Italia è uno dei principali paesi europei in termini di produzione di farmaci e dispositivi medici, ed è impegnata nella promozione della ricerca e dell'innovazione per affrontare le sfide sanitarie del futuro.

In sintesi, l'Italia svolge un ruolo importante nell'Unione Europea della Salute come paese membro impegnato nella promozione della cooperazione, della solidarietà e della ricerca scientifica nel settore sanitario.





La salute come bene collettivo

La pandemia, attraverso i vari movimenti no-mask e no-vax, ha messo in luce come nella popolazione esista ancora l'idea della salute come bene individuale. Però non è affatto così poiché la salute deve essere considerata un bene collettivo in quanto il suo valore e la sua importanza vanno oltre il benessere individuale e riguardano la società nel suo insieme.

La salute non è solo la condizione fisica e mentale di un individuo, ma anche il risultato dell'interazione di fattori sociali, economici e ambientali.

La salute come bene collettivo si basa sul principio che ogni persona ha il diritto di accedere alle cure sanitarie di cui ha bisogno, indipendentemente dal suo reddito, dal suo status sociale o dalla sua nazionalità.

La salute è un bene che deve essere tutelato e promosso a livello globale, in quanto la malattia e la disabilità non conoscono confini geografici e possono avere un impatto significativo sulla società nel suo insieme.

Inoltre, la salute come bene collettivo richiede una responsabilità condivisa da parte di tutti i membri della società per promuovere stili di vita sani, prevenire le malattie e garantire l'accesso alle cure sanitarie di alta qualità. Questo significa che i governi, le organizzazioni internazionali, le comunità locali e i singoli individui hanno tutti un ruolo da svolgere per garantire la salute come bene collettivo.

L'Unione Europea della Salute si basa su questo principio, promuovendo la cooperazione tra i paesi membri per garantire l'accesso universale alle cure sanitarie di alta qualità, migliorare la prevenzione delle malattie e promuovere stili di vita sani.



L'unione della salute: Un nuovo tassello per una Unione Sociale Europea

L'Unione Europea della Salute, per quanto fondamentale sia, non deve essere il punto di arrivo finale del lavoro collettivo ma deve rappresentare il primo passo per costruire qualcosa di più ampio: l'Unione Eco-Sociale Europea.

Il punto di partenza per la costruzione di questo nuovo modello di Europa è il riuscire a far coesistere il modello di protezione sociale ed il modello di integrazione europea.

Storicamente far convivere questi due modelli è sempre stato difficile, come in tutte le federazioni storiche (USA e Svizzera) a causa dell'endemica resistenza dei singoli stati alla "federalizzazione" o centralizzazione del welfare. Anche in EU non è facile questa integrazione a causa dell'esistenza di 27 sistemi di protezione sociale nazionali.

C'è stata poi quella che si chiama la policrisi, una sequenza di crisi durante l'ultimo quindicennio che hanno avuto importantissimi e gravissimi risvolti economici e sociali, hanno reso evidente l'esigenza di rafforzare la dimensione sociale della Ue.

- La crisi dell'euro e la Grande recessione hanno reso evidente la necessità di rafforzare la dimensione sociale della UE.
- La pandemia ha promosso un salto di qualità in termini di ambizioni e di risorse (NGEU).
- Ciò ha creato le condizioni per lanciare l'Unione europea della Salute.



Le competenze giuridiche dell'Unione Europea, in questo settore, sono però piuttosto limitate.

La sanità pubblica nella UE:

- Trattato di Lisbona:
 - Articolo 168(1): “Nella definizione e nell’attuazione di tutte le politiche ed attività dell’unione è garantito un livello elevato di protezione della salute umana”.
 - Ma l’articolo 168(7) stabilisce che “L’azione dell’unione rispetta le responsabilità degli Stati membri per la definizione della loro politica sanitaria e per l’organizzazione e la fornitura di servizi sanitari e di assistenza medica”.
 - Articolo 168(5) l’Unione può “adottare misure di incentivazione per proteggere e migliorare la salute umana, in particolare per lottare contro grandi flagelli che si propagano oltre frontiera”. Tuttavia, viene esclusa “qualsiasi armonizzazione delle disposizioni legislative e regolamentare degli Stati Membri”



Già prima della pandemia, sfruttando la legislazione esistente, l'UE aveva lanciato una serie di iniziative e creato una serie di istituzioni:

- Interventi indiretti attraverso la regolazione del mercato interno e libera circolazione (direttive, regolamenti e sentenze corte)
 - Agenzia europea del Farmaco (EMA), 1995
- Affiancamento degli stati membri nel gestire le minacce sanitarie transfrontaliere (SARS 2003).
 - Istituzione del Centro per la Prevenzione e il controllo delle malattie infettive (ECDC), 2004
 - Istituzione del comitato per la sicurezza sanitaria (HSC), 2013

Nel 2020 poi scoppia la pandemia e l'Unione Europea si ritrova del tutto impreparata nell'affrontarla.

- Lo ECDC sottovaluta il rischio e non formula raccomandazioni fino a marzo.
- I vari governi procedono in ordine sparso:
 - Austria, Polonia, Lettonia e Slovacchia re-introducono i controlli frontalieri entro l'area Schengen senza il previsto coordinamento ex ante.
 - Francia e Germania impongono restrizioni all'export di prodotti sanitari.

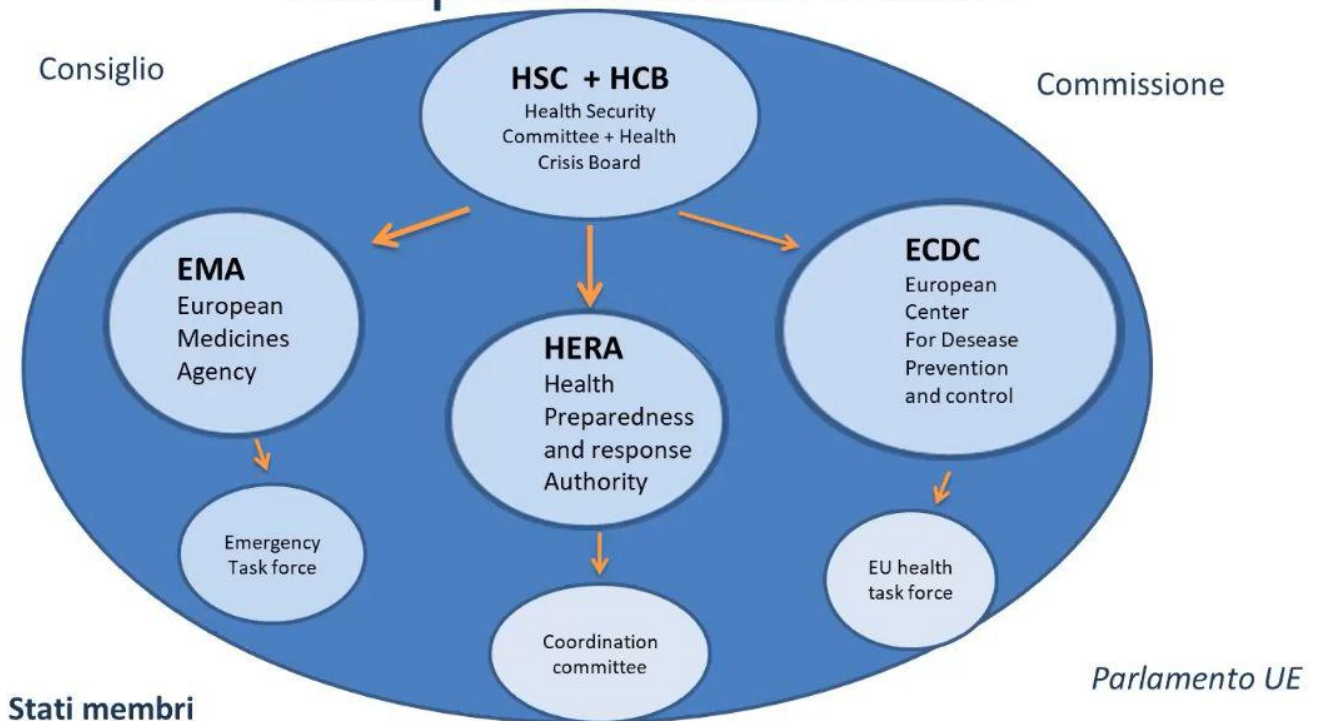


Dopo questa prima fase di impasse la commissione europea reagisce con la presidente Ursula Von der Leyen che annuncia il 26 marzo al parlamento europeo: “Quando l'Europa aveva davvero bisogno di uno spirito tutto per uno, troppi inizialmente hanno dato una risposta solo per me.

Quando l'Europa aveva davvero bisogno di dimostrare che questa non è solo un'unione equa, troppi si sono rifiutati di condividere il loro ombrello”. Nel settembre 2020 la presidente annuncia di voler istituire una versa e propria “European Health Union”, progetto poi presentato nel novembre dello stesso anno presso la commissione europea.

Così è nato il primo progetto di costituzione dell'Unione europea della salute.

Unione europea della salute European Health Union





Questa architettura è in realtà troppo complessa; complessità nata anche a causa del tiro alla fune svoltosi tra paesi membri e parlamento che ha portato a moltissimi compromessi. Questa architettura poggia su tre architetture distinte:

- L'EMA, che già esisteva ma è stato potenziato.
- HERA, creato per fungere da HUB di tutta la nuova architettura e per svolgere nuove funzioni all'interno dell'EU quali:
 - la ricerca e lo sviluppo di nuovi farmaci
 - Il monitoraggio di tutte le questioni biomediche emergenti
 - La facilitazione dell'accesso ai farmaci e alle contromisure mediche in caso di emergenza, attraverso anche il coordinamento della produzione e dell'approvvigionamento delle forniture
- ECDC, rafforzato nei suoi poteri di sorveglianza e di capacità di allerta.

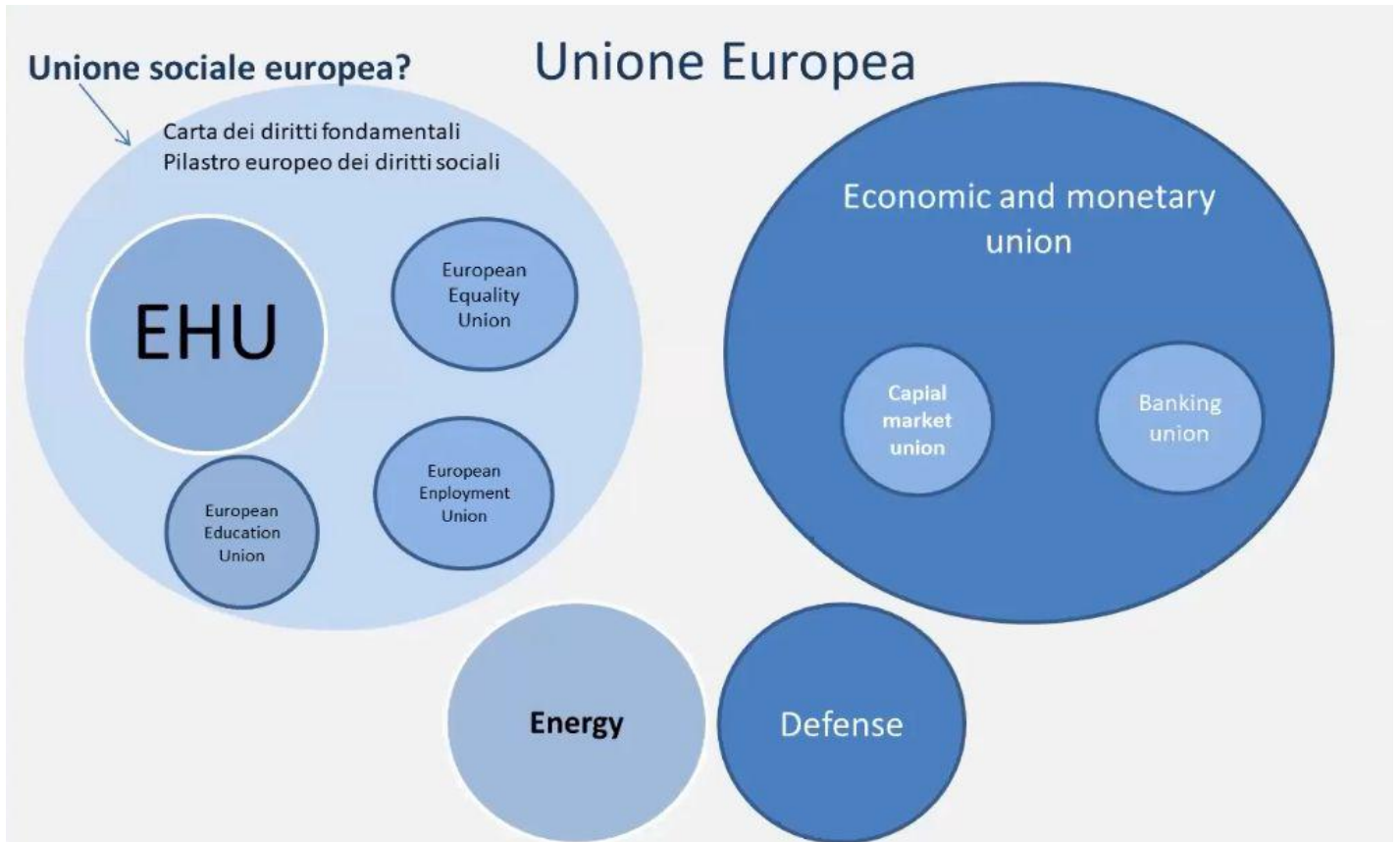
L'Europa si è quindi mossa verso un modello di sanità federale, ma se si confronta il modello europeo con i modelli delle federazioni storiche (USA, Svizzera) è possibile notare una differenza molto importante: queste istituzioni sono gestite a livello federale quindi stati (USA) e cantoni (svizzera) non partecipano in maniera diretta alle decisioni di questi enti né in quelle delle cabine di regia. In Europa invece è un modello federale dove i membri collaborano al centro invece di essere separato da loro.

Quindi, se molto è stato fatto moltissimo nella creazione di una architettura europea per le politiche monetarie e fiscali centralizzate (UEM) e i primi passi sono stati mossi verso un'unione della salute ancora poco o nulla è stato fatto per la creazione di una Unione Sociale Europea.

Questo squilibrio però genera tensioni e problemi (esternalità negative reciproche), è quindi necessario creare una Unione sociale europea come "dirimpettaia" alla Unione economica e monetaria.



Come potrebbe delinearasi in futuro l'EU:





I passi per il futuro:

- La dimensione sociale è un ingrediente imprescindibile per la sostenibilità politica del processo di integrazione.
- Non è possibile “federalizzare il welfare”.
- Unione sociale europea (unione degli stati sociali europei”
- Agire per passi, tramite unioni funzionali più ristrette come l’Unione europea della Salute.

L'unione europea della salute e il futuro della politica sanitaria dell'UE

I Principi fondanti della (salute nell') UE

- Dignità umana - Libertà
- Democrazia - equità
- Stato di diritto - Diritti umani
- Benessere - Solidarietà

(Articoli 2 e 3 Treaty on EU; Carta dei diritti fondamentali)

Questi principi sono stati tradotti attraverso questi articoli:

- Nella definizione e nell'attuazione di tutte le politiche e attività dell'Unione è garantito un livello elevato di protezione della salute umana. L'azione dell'Unione, che integrerà le politiche nazionali, sarà diretta al miglioramento della sanità pubblica.
- L'Unione incoraggia la cooperazione tra gli Stati membri nei settori di cui al presente articolo e, se necessario, sostiene la loro azione.



- La sezione dell'Unione rispetta le responsabilità dello Stato membro per la definizione della propria politica sanitaria e per l'organizzazione e la fornitura di servizi sanitari e cure mediche. Le responsabilità degli Stati membri comprendono la gestione dei servizi sanitari e delle cure mediche e l'allocazione delle risorse loro assegnate.

(Articolo 168 Treaty on the functioning of the EU)

Per molti anni l'Unione Europea, attraverso la propria legislazione, ha provato a tenere i cancelli chiusi alla possibilità di creare un sistema europeo per la salute; l'UE però non ha mai tenuto conto che la salute non consiste soltanto nella sanità ma in moltissimi aspetti (agricoltura, libero scambio, competizione, etc.).

Gli aspetti legislativi degli ultimi anni, in materia di salute, sono stati costruiti sia provando ad aprire i cancelli chiusi ma anche lavorando attorno a questi cancelli, cioè sugli altri aspetti di salute non legislati dalla UE.

Nella letteratura legislativa si possono identificare quattro differenti volti nelle politiche di salute della UE:

1. Politiche (esplicite) per la salute.

- Articolo 168 TFUE sanità pubblica.
 - Poteri forti (farmaci, sangue, tessuti, cellule).
 - Azione di supporto (approvvigionamento congiunto di vaccini)
 - Attività del programma (EU4Health, stato di salute).
 - Ambiente, salute e sicurezza, tutela del consumatore.



2. Politiche di mercato che riguardano la salute.

- Articolo 114 TFUE mercato interno
 - Articoli sanitari (prodotti farmaceutici, dispositivi medici)
 - Persone sanitarie (mobilità professionale e dei pazienti)
 - Servizi sanitari e capitale (assicurazioni, aiuti di stato ecc.)

3 Politiche di governance fiscale che incidono sulla salute

- Articolo 121 TFUE politica economica, et al.
 - Spesa sanitaria e riforme.
 - Accesso alle cure e qualità delle cure.

4. Politica sanitaria globale

- Articolo 168 TFUE sanità pubblica, et al.
 - Sviluppo, commercio, ricerca, vicinato.
 - Ruolo dell'UE nelle organizzazioni sanitarie internazionali
 - Strategia globale UE per la salute 2022



Integrazione guidata da spillover e crisi

In assenza di una legislazione propria la sanità europea si è quindi sviluppata attraverso diversi meccanismi per poter affrontare le diverse crisi degli ultimi anni.

- Attorno al cancello: integrazione in assenza di volontà politica
- Neofunzionalismo
 - Spillover funzionale - salute e sicurezza sul lavoro (Geyer 2000)
 - Ricaduta politica - acquisto congiunto di vaccini COVID-19 (Brooks et al. 2022)
 - Coltivazione di spillover - Ampliamento del mandato dell'ECDC; court of Justice e mobilità dei pazienti (Deruelle & engeli 2022; Brooks 2021)
- Aprire il cancello: crisi ed estensione dei poteri sanitari dell'Ue
 - Variante creutzfeldt-jakob (vCJD, "mucca pazza") e sicurezza alimentare/sangue
 - Talidomide e autorizzazione dei farmaci

L'esempio dell'integrazione Europea sulle malattie rare.

L'integrazione europea ha avuto un impatto significativo nella gestione delle malattie rare, che colpiscono un numero limitato di individui ma richiedono spesso cure costose e altamente specializzate. Grazie all'Unione Europea, le persone affette da malattie rare hanno accesso a migliori cure, diagnosi e trattamenti.

Un esempio di questo è la creazione del Regolamento Europeo sulle Malattie Rare, adottato nel 2000, che ha introdotto misure volte a migliorare la prevenzione, la diagnosi e il trattamento delle malattie rare nell'Unione Europea.



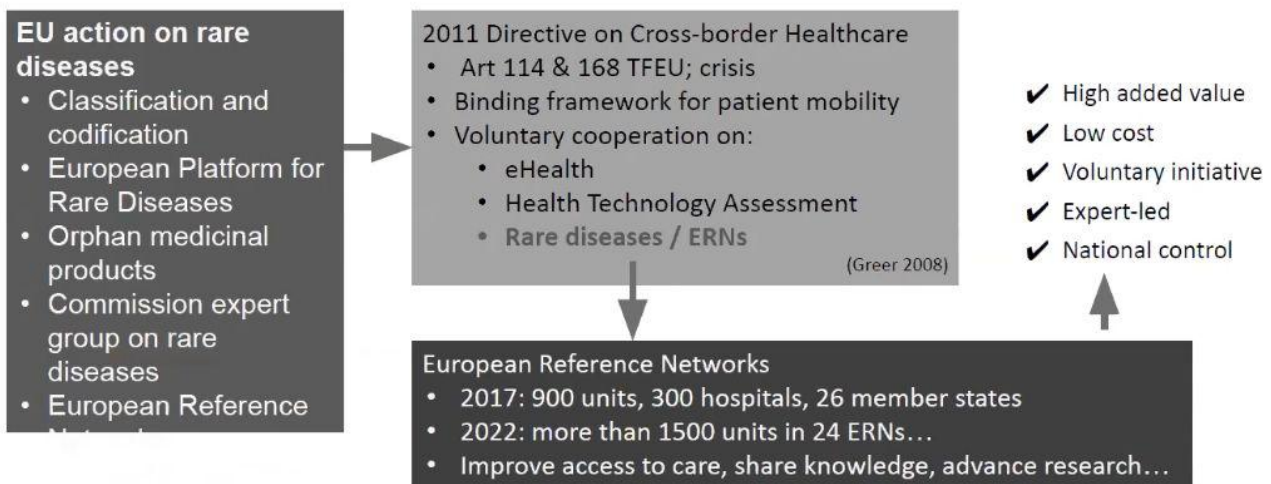
Il regolamento ha inoltre istituito un'azione comune dell'UE per le malattie rare, che ha permesso di coordinare gli sforzi dei paesi membri per identificare, raccogliere e condividere informazioni sulla ricerca e sulle cure delle malattie rare.

Inoltre, l'UE ha creato la Rete Europea delle Malattie Rare (ERN), una collaborazione tra esperti in 24 diverse aree di competenza che lavorano insieme per migliorare la diagnosi e la cura delle malattie rare.

L'ERN ha lo scopo di fornire un supporto specialistico ai pazienti affetti da malattie rare in tutta Europa, attraverso la condivisione di conoscenze e competenze, la standardizzazione delle procedure diagnostiche e terapeutiche, e la promozione della ricerca su queste patologie.

In generale, l'UE ha dimostrato di essere un leader globale nella lotta alle malattie rare, attraverso l'adozione di politiche coordinate, la promozione della ricerca e la collaborazione tra esperti a livello europeo.

Questo esempio di integrazione europea nella gestione delle malattie rare è un segnale positivo per l'intera comunità medica e per i pazienti che soffrono di queste patologie.





Come mostrato dalla slide precedente il modello europeo per le malattie rare non è stato semplicemente creato da un giorno all'altro ma è frutto di anni di lavoro e evoluzione che ancora non sono terminati.

La risposta Europea al Covid-19

Dopo anni in cui l'EU La politica sanitaria dell'Unione europea è stata tradizionalmente limitata al sostegno dei sistemi sanitari nazionali degli Stati membri, piuttosto che alla gestione diretta dell'assistenza sanitaria. Tuttavia, la pandemia di COVID-19 ha evidenziato la necessità di politiche sanitarie più integrate e coordinate a livello dell'UE.

Un modo in cui questa integrazione è stata guidata dagli effetti di ricaduta della crisi è attraverso l'approvvigionamento congiunto di vaccini da parte dell'UE.

Riunendo le risorse e negoziando in blocco, l'UE è stata in grado di garantire accordi più favorevoli con i produttori di vaccini rispetto a quelli che i singoli Stati membri sarebbero stati in grado di raggiungere da soli.

Ciò ha contribuito a garantire un'equa distribuzione dei vaccini in tutta l'UE e ha impedito una corsa al "nazionalismo vaccinale" tra gli Stati membri.

Un altro effetto di ricaduta della crisi è stato il riconoscimento dell'importanza della cooperazione transfrontaliera nell'affrontare le sfide della salute pubblica.

L'UE ha istituito un'"Unione sanitaria" per rafforzare la preparazione e la risposta dell'UE alle crisi sanitarie, anche attraverso l'acquisizione congiunta di attrezzature e forniture mediche, la condivisione di dati e informazioni e misure coordinate di sanità pubblica.

Nel complesso, la crisi COVID-19 ha dimostrato la necessità di una maggiore integrazione nelle politiche sanitarie dell'UE e ha fornito slancio per un'ulteriore cooperazione e coordinamento tra gli Stati membri nell'affrontare le sfide della salute pubblica.



Le azioni EU in risposta al Covid:

EU4Health Programme

- €5.3 billion (versus €449 million for third health programme)
- Cross-border threats, medicines, health systems, prevention...

Agency strengthening/creation

- ECDC & EMA mandate and resource expansion
- HERA (pandemic preparedness) creation

Civil protection

- RescEU expansion, stockpiling, finances

Recovery & Resilience Funds

- Unprecedented funds for health system strengthening and resilience



Il futuro delle politiche EU sulla salute

- La politica sanitaria dell'UE nel 2023 non è:
 - Fondata su una base giuridica più forte o con un mandato più forte per l'azione dell'UE.
 - Più strettamente legato ai principi di solidarietà, condivisione del rischio, redistribuzione.
 - Permanente.

- La politica sanitaria dell'UE nel 2023 è:
 - Più politico e meno certo di prima.
 - Basato su una forte dichiarazione e risorse per il ruolo dell'UE nella protezione della salute.
 - Ancora basato su un modello tradizionale di integrazione attraverso crisi e ricadute.

- L'Unione europea della sanità è:
 - Una "Unione" - significativa.
 - Principalmente simbolico e politico.
 - Potenzialmente legittimante.
 - Uno spazio in cui le "prove di concetto" possano essere influenti.



Il ruolo del Parlamento europeo

Il Parlamento Europeo svolge un ruolo chiave nel definire il futuro della salute nell'Unione Europea. La pandemia di COVID-19 ha evidenziato la necessità di rafforzare la cooperazione tra i paesi dell'UE in materia di sanità pubblica e di affrontare le sfide che i sistemi sanitari dell'UE devono affrontare, in particolare per quanto riguarda l'accesso alle cure e l'equità sanitaria.

Il Parlamento Europeo ha già svolto un ruolo importante nella promozione della salute pubblica e nella difesa dei diritti dei pazienti.

Ha adottato numerose iniziative legislative volte a proteggere i cittadini dell'UE dalle malattie e dalle minacce alla salute, come la direttiva sui tabacchi, la direttiva sulla salute pubblica e la direttiva sui farmaci falsificati.

Inoltre, il Parlamento Europeo ha recentemente adottato una serie di risoluzioni sulla salute pubblica, tra cui la risoluzione sull'iniziativa dei cittadini europei per una maggiore equità nella salute e la risoluzione sulla necessità di migliorare l'accesso ai farmaci orfani e alle terapie avanzate.

Il Parlamento Europeo ha anche un ruolo importante nella definizione delle politiche dell'UE in materia di salute pubblica. I suoi membri lavorano a stretto contatto con la Commissione Europea e il Consiglio dell'Unione Europea per definire le priorità politiche dell'UE in materia di salute pubblica e garantire che queste siano implementate in modo efficace.

In futuro, il Parlamento Europeo potrebbe avere un ruolo ancora più importante nel definire le politiche dell'UE in materia di salute pubblica. La Commissione Europea ha proposto di creare un'Unione Europea della Salute, che avrebbe come obiettivo quello di garantire un'assistenza sanitaria di alta qualità per tutti i cittadini dell'UE.

In questo contesto, il Parlamento Europeo potrebbe svolgere un ruolo chiave nel garantire che l'Unione Europea della Salute sia implementata in modo efficace e che sia adeguatamente finanziata. Potrebbe inoltre promuovere la cooperazione tra gli Stati membri dell'UE in materia di ricerca medica e sviluppo di nuove terapie e farmaci.



In sintesi, il Parlamento Europeo svolge un ruolo importante nella definizione delle politiche dell'UE in materia di salute pubblica e ha il potenziale per svolgere un ruolo ancora più importante nel futuro dell'Unione Europea della Salute.

Garantire l'accesso equo alle cure, promuovere la ricerca medica e garantire un'assistenza sanitaria di alta qualità per tutti i cittadini dell'UE sono obiettivi fondamentali per il futuro della salute dell'Unione Europea, e il Parlamento Europeo ha un ruolo chiave da svolgere nel garantirne il raggiungimento.



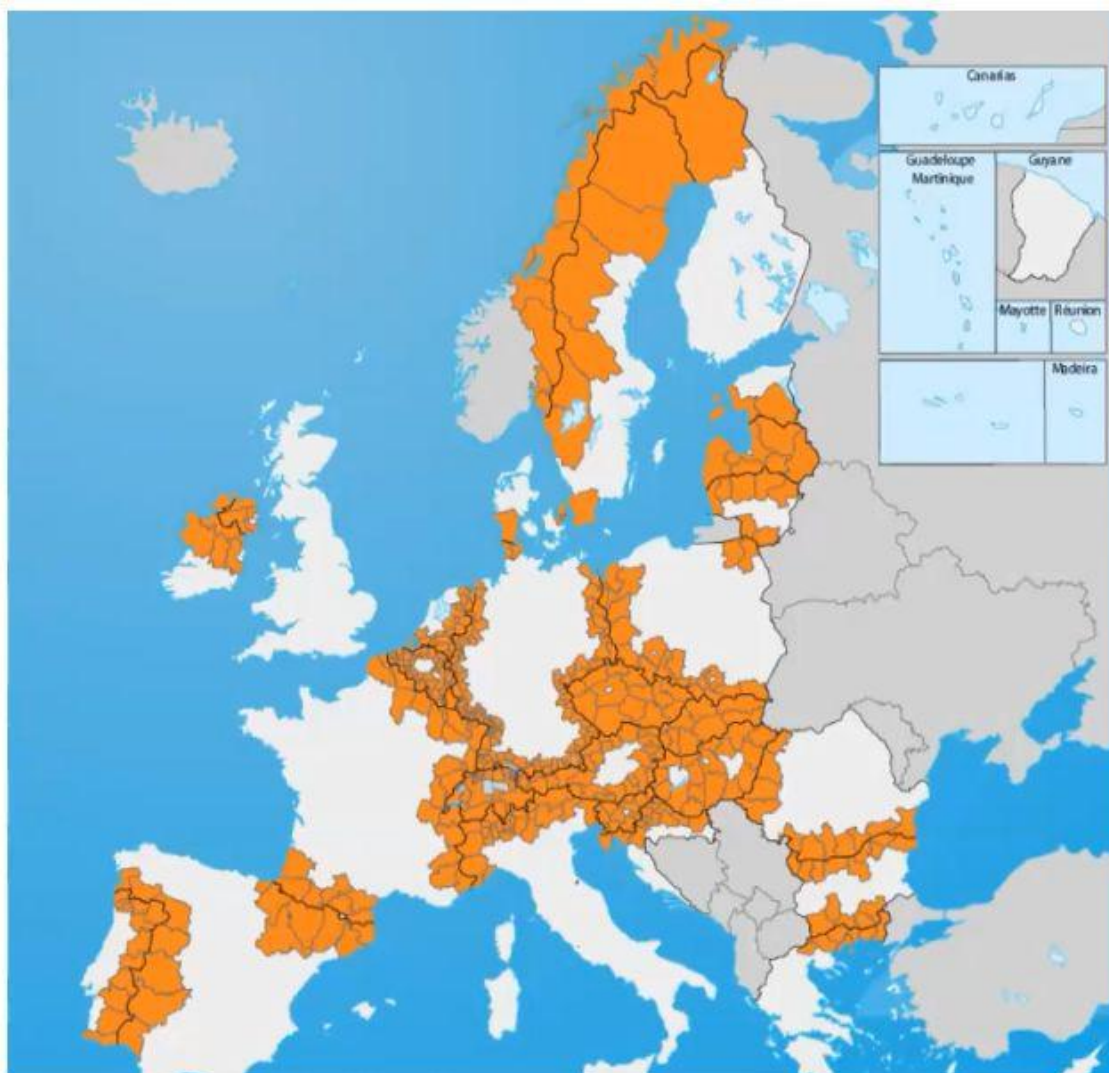


SESSIONE II

ATTUALI PROGETTI PER LA COSTRUZIONE DELL'UNIONE EUROPEA DELLA SALUTE

Cooperation in boarder Regions: Interreg 2012-2027

Interreg è un'iniziativa europea nata in concomitanza con la creazione delle frontiere uniche europee ed è nata per salvaguardare l'economia delle aziende che agendo tra le frontiere correvano il rischio di scomparire con la scomparsa stessa delle frontiere.





L'importanza delle aree di confine europee:

- Rappresentano il 40% del territorio EU; il 37% della popolazione vive in queste aree; in queste aree viene prodotto il 30% del PIL europeo.
- Ma gli effetti di confine e gli ostacoli persistono (minore accessibilità, maggiore complessità).
- Potenziale inutilizzato: +2% PIL nelle regioni frontaliere/stima 1 milione di nuovi posti di lavoro

La missione di Interreg

- Facilitare la vita dei cittadini che vivono nelle aree di confine.
- Costruire la fiducia dei cittadini verso le istituzioni europee

Quali sono le esigenze di queste aree:

Nel 2021 la Commissione ha pubblicato un nuovo rapporto "EU Border Regions Living labs of EU integration" COM(2021)393 per delineare le priorità principali per le attività future

I quattro cluster:

- Una migliore governance e una più profonda cooperazione istituzionale.
- Maggiori e migliori servizi pubblici transfrontalieri (ambiente, trasporti, sanità, istruzione, cultura basati sull'idea di aree funzionali).
- Vivaci mercati del lavoro transfrontalieri (posti di lavoro, qualifiche).
- Regioni di confine per il green deal europeo



Programmazione 2014-2020

Interreg ha finanziato centinaia di progetti (nel periodo 14-20, circa 465 p. relativi a "Servizi sanitari e sociali") per cure di emergenza, condivisione delle conoscenze, migliori cure e diagnosi, formazione del personale, R&I/telemedicina, ma anche invecchiamento, benessere essere e prevenzione.

Esempi di buone pratiche:

- Ospedale mobile tra Francia e Spagna:

È stata implementata un'unità mobile e operativa (in 45 minuti) per fornire assistenza alle vittime di disastri o in situazioni di emergenza. L'iniziativa ha coinvolto l'ospedale universitario di Tolosa, Navarrabiomed, i servizi medici di emergenza della Catalogna e il centro ospedaliero di Bayonne.

Al momento della pandemia, i partner hanno adattato il loro ospedale come unità mobile per aiutare nella lotta contro il COVID-19 anche nelle aree remote.

- Healthacross (AT-CZ-SK-HU)

Si tratta di una strategia ombrello per lo sviluppo di progetti sanitari tra la Bassa Austria, la Boemia meridionale e l'area di confine tra Slovacchia e Ungheria). Il sostegno copre la cooperazione tra ospedali e personale medico per i servizi di emergenza e i servizi e il personale di assistenza (ad esempio per la gravidanza, la neonatologia o la radioterapia).

- Salute-Zdravsto



Al confine tra Italia e Slovenia il GECT-GO ha sviluppato una strategia per sviluppare una serie di servizi transfrontalieri per la salute con l'obiettivo di integrare i sistemi e le strutture di assistenza esistenti nell'area.

Il progetto ha riguardato una guida comune per la diagnosi e il supporto alla salute mentale, servizi per una gravidanza fisiologica di migliore qualità, un progetto pilota per lo sviluppo di un sistema di prenotazione comune e un protocollo comune per l'inclusione sociale dei gruppi svantaggiati.

- Interreg ZOAST (Belgio-Francia)

Le ZOAST (Zone organizzate di accesso alle cure transfrontaliere) sono territori sanitari transfrontalieri il cui obiettivo principale è migliorare le condizioni di accesso alle cure per le popolazioni transfrontaliere. Per fare ciò, sono state semplificate le procedure amministrative e finanziarie per la cura dei pazienti in ospedale da una parte e dall'altra del confine.

Tali aree sono delimitate geograficamente da convenzioni (basate sull'accordo quadro del 2005) che definiscono anche le strutture sanitarie interessate e le modalità di cura. Tali accordi sono monitorati da comitati composti dagli attori interessati.



Programmazione 2021-2027

Per gli anni 2021-2027 l'Interreg prevede nella sua programmazione diversi tipi di cooperazione attraverso 85 diversi programmi per un totale di 10 miliardi di euro di investimenti.



Principali considerazioni sulla cooperazione transfrontaliera sanitaria:

- La necessità c'è ed è probabile che aumenti poiché i cittadini desiderano una migliore qualità della vita, in quanto aumenta l'attrattiva delle regioni e promuove l'innovazione.
- Numerosi progetti sanitari sono storie di successo e lo spettacolo è possibile.
- Le regioni di confine meritano il soprannome di "laboratori viventi dell'integrazione europea"

Il progresso è possibile

- Una migliore governance ottimizza l'uso dei finanziamenti e aumenta la capacità di risposta in caso di crisi.
- Più accordi bilaterali.



Reti di riferimento Europee per i pazienti affetti da malattie rare

Le malattie rare sono un ambito di lavoro con una chiara missione europea. Ci sono circa 30 milioni di pazienti in Europa affetti da malattie rare complesse o a bassa prevalenza.

Sono principalmente malattie croniche, altamente complesse, progressive e gravemente invalidanti che spesso incidono sull'aspettativa di vita e sulla qualità della vita dei pazienti e generano esigenze di assistenza specifica.

Inoltre, si stima che i tempi di attesa per una diagnosi media in Europa richiede sei anni; molto spesso non esistono trattamenti per queste patologie. Per questo motivo le malattie rare sono parte dell'Unione Europea della Salute.

Azioni della Commissione europea sulle malattie rare

- Revisione della legislazione sui medicinali per le malattie rare: per promuovere lo sviluppo di medicinale che rispondano alle esigenze mediche non soddisfatte, un accesso più tempestivo e a prezzi accessibili per tutti, affrontare le carenze di medicinali.
- Avvio del partenariato europeo per le attività di ricerca sulle malattie rare nel 2024: sono stati stanziati oltre 2.4miliardi di euro per sostenere i programmi di ricerca e innovazione nazionali, locali ed europei.
- Migliore disponibilità e accesso ai medicinali per i pazienti dell'UE affetti da malattie rare: sono stati autorizzati oltre 200 medicinali organi e circa 2800 medicinali organi sono stati designati.
- Migliorare il riconoscimento, la visibilità e la codifica: Sostegno alla piattaforma europea per la registrazione delle malattie rare.
- Sostegno a Orphanet, il portale europeo sulle malattie rare e i medicinali orfani, anche sviluppando e mantenendo il sistema di codifica delle malattie rare (Orphacodes).



- Sostenere le politiche nazionali negli Stati membri dell'UE: Diverse azioni comuni per sviluppare sistemi nazionali di informazione e dati, piani nazionali per le malattie rare e portare avanti i lavori sui tumori rari.
- Partecipare alla classificazione internazionale delle malattie, guidata dall'Organizzazione Mondiale della Sanità.

Reti di riferimento europee per le malattie rare: Informazioni di base.

- 24 reti di riferimento europee (ERN), istituite nel 2017: contavano più di 10 fornitori di assistenza sanitaria in 8 stati membri; ERN: reti virtuali che riuniscono gli operatori sanitari in tutta Europa per affrontare patologie complesse o rare che richiedono un trattamento altamente specializzato e la concentrazione di conoscenze e risorse.
- 1669 centri specializzati e quasi 400 ospedali in 28 stati.
- Attività più importanti: coordinamento, gestione delle attività operative degli ERN, consultazioni tra specialisti, sviluppo di orientamenti clinici, registri di pazienti.
- Generazione di conoscenze, comunicazione e diffusione a un pubblico più ampio delle conoscenze generate sulle malattie rare o a bassa prevalenza.



I centri ERN italiani parte della rete:



L'Italia inoltre contribuisce con 380 centri clinici.

Le attività più importanti degli ERN sono:

- Coordinamento, organizzazione e rimborso delle consultazioni virtuali sui casi clinici attraverso lo strumento informatico di telemedicina “Sistema di gestione dei pazienti clinici”. Serve per riesaminare la diagnosi e il trattamento di un paziente attraverso gruppi di consultazione di varie discipline.
- La manutenzione, il rafforzamento e un maggiore utilizzo dei registri delle ERN in linea con le normative nazionali e dell’UE



- .Coordinamento, organizzazione e promozione delle attività di formazione; elaborazione, coordinamento dello sviluppo, valutazione e aggiornamento degli orientamenti in materia di pratica clinica e di altri strumenti di supporto alle decisioni cliniche.
- Ruolo dei paesi membri della Commissione europea nel governo degli ERN.

Attuali progetti per la costruzione dell'Unione Europea della Salute

Dopo i processi di creazione e messa in opera degli ERN un passo fondamentale che l'Unione Europea della Salute è quello di integrare in maniera strutturata la rete europea degli ERN all'interno dei singoli servizi sanitari nazionali degli stati membri.

Dichiarazione del BoMS 2019 sull'integrazione delle ERN:

"Per garantire un funzionamento corretto e sostenibile delle ERN e raccogliere tutti i benefici per i pazienti affetti da malattie complesse rare e a bassa prevalenza in tutta l'UE, le ERN devono essere collegate in modo chiaro e stabile ai sistemi sanitari degli Stati membri".

Valutazione della direttiva sull'assistenza sanitaria transfrontaliera - risultati preliminari della consultazione pubblica aperta:

Una migliore integrazione delle ERN nei sistemi sanitari nazionali è una delle sfide per il sistema ERN.

Gruppo di lavoro ERN sull'integrazione: "Una potenziale via da seguire in questo settore potrebbe essere attraverso un'azione comune (JA) sostenuta dalla Commissione europea".



HS-g-22-16.02 Sovvenzioni dirette alle autorità degli Stati membri: sostenere l'integrazione delle ERN nei sistemi sanitari nazionali degli Stati membri

Questa azione sostiene l'integrazione delle ERN nei sistemi sanitari nazionali che garantirà la sostenibilità a lungo termine del sistema ERN, consentirà agli Stati membri di rafforzare la resilienza del loro sistema sanitario nazionale e migliorare l'accessibilità del sistema ERN ai pazienti affetti da malattie rare e i loro operatori sanitari a livello nazionale, regionale e locale con l'obiettivo di consentire l'accesso a diagnosi tempestive e cure adeguate. Bilancio: 11,2 milioni EURO.

Le attività dovrebbero includere:

- a.** Sviluppo di proposte per modelli e pratiche di governance nazionali per i centri e i percorsi assistenziali per le malattie rare e complesse che siano pienamente interoperabili con le ERN e raccomandazioni per garantire l'interoperabilità tra le strutture di dati nazionali e locali e le strutture di dati delle ERN (compresi i registri ERN e CPMS), tenendo pienamente conto tenere conto dei lavori in corso sullo spazio europeo dei dati sanitari e dell'azione congiunta "Verso lo spazio europeo dei dati sanitari" (TEHDAS).
- b.** Sviluppo di una proposta per modelli nazionali di garanzia della qualità per le malattie rare e complesse e raccomandazioni per l'organizzazione di percorsi assistenziali nazionali per le malattie rare e complesse che si interfacciano con le ERN, compreso il processo per riconoscere a livello nazionale le risorse basate sull'evidenza come la pratica clinica delle ERN Linee guida.
- c.** Sostegno allo sviluppo delle capacità negli Stati membri, ai piani nazionali per le malattie rare e alla creazione delle reti nazionali sulle malattie rare e alla loro integrazione con le ERN.



Risultati attesi e impatto:

- Scambio di buone pratiche.
- Proposte concrete, linee guida, modelli e raccomandazioni per una migliore integrazione delle ERN nei sistemi sanitari nazionali, compresi i percorsi dei pazienti definiti da wee e le procedure di riferimento.
- Sviluppo di reti nazionali sulle malattie rare.
- Linee guida per lo sviluppo di strumenti nazionali di teleconsulto interoperabili con il CPMS delle ERN.
- Per ciascuno dei suddetti strumenti sviluppati dall'azione comune, l'azione comune dovrebbe anche sviluppare un meccanismo per monitorare i progressi e l'attuazione di tali proposte, orientamenti, modelli e raccomandazioni.



SESSIONE III

LA DIGITALIZZAZIONE E LE NUOVE TECNOLOGIE A SERVIZIO DEL CAMMINO VERSO L'UNIONE EUROPEA DELLA SALUTE E LE GRANDI PROSPETTIVE FUTURE DI SALUTE INDIVIDUALE E PUBBLICA CHE ESSE LASCIANO PREVEDERE

La digitalizzazione e le nuove tecnologie stanno avendo un impatto significativo sulla salute individuale e pubblica dei cittadini europei. La digitalizzazione offre molte opportunità per migliorare la prevenzione, la diagnosi e il trattamento delle malattie, nonché per promuovere uno stile di vita sano e prevenire la diffusione di malattie infettive.

L'Unione Europea sta lavorando per promuovere l'adozione della digitalizzazione nel settore sanitario attraverso l'Unione Europea della Salute. Questa iniziativa mira a creare un quadro comune per la salute in tutta l'UE, promuovendo la prevenzione delle malattie, la promozione della salute e l'accesso ai servizi sanitari di alta qualità.

La digitalizzazione può svolgere un ruolo fondamentale in questo processo, favorendo la raccolta, l'analisi e la condivisione dei dati sanitari, la telemedicina e la salute mobile.

Inoltre, la digitalizzazione può essere uno strumento importante per il concetto di "one health", che sottolinea l'importanza di una visione olistica della salute che coinvolge la salute degli esseri umani, degli animali e dell'ambiente.

La digitalizzazione può aiutare a raccogliere e analizzare dati sanitari da diverse fonti, compresi gli animali e l'ambiente, per prevenire la diffusione di malattie infettive e promuovere la salute pubblica.

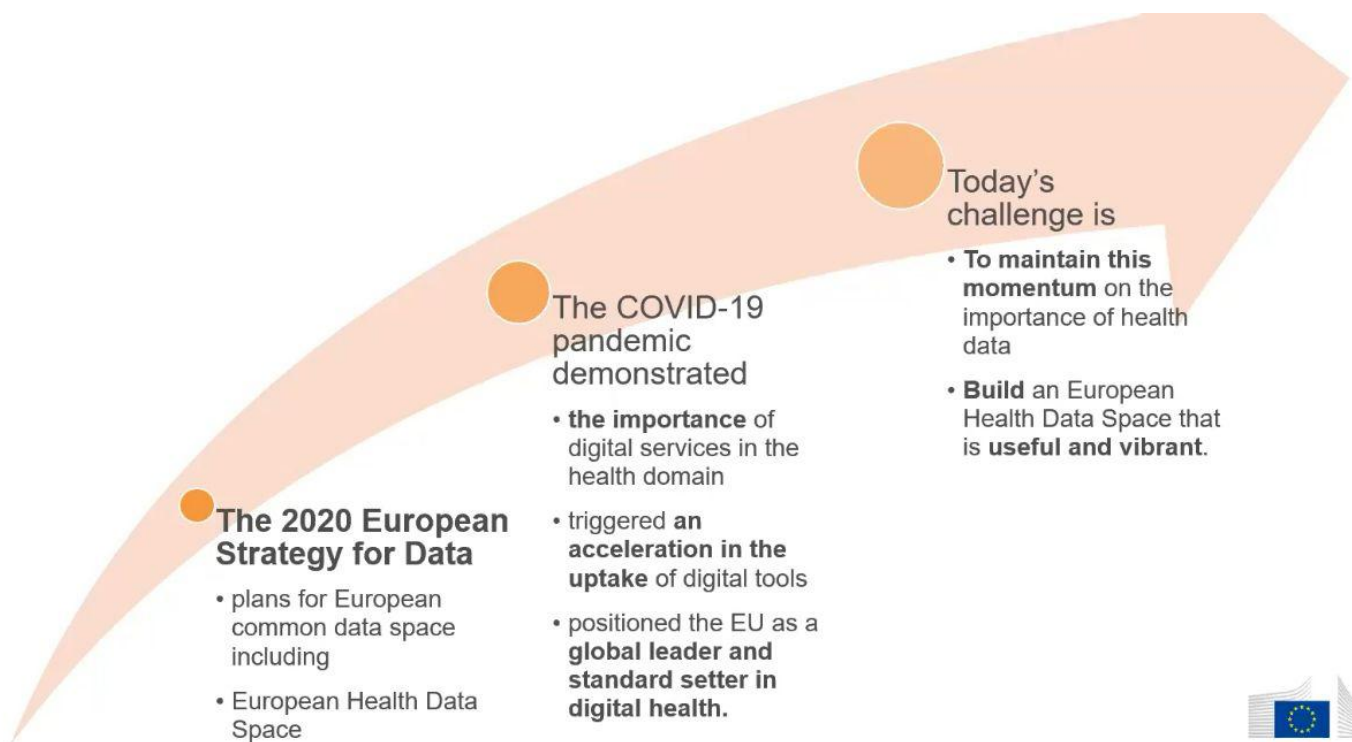
Le grandi prospettive future per la salute individuale e pubblica derivanti dalla digitalizzazione e dalle nuove tecnologie includono la personalizzazione dei trattamenti, l'accesso ai servizi sanitari da remoto, l'uso di sensori e dispositivi indossabili per il monitoraggio della salute e la prevenzione delle malattie, e la telemedicina per migliorare l'accesso ai servizi sanitari in aree remote o scarsamente popolate.



In sintesi, la digitalizzazione e le nuove tecnologie stanno trasformando il settore sanitario e offrono grandi prospettive future per la salute individuale e pubblica. L'Unione Europea sta lavorando per promuovere l'adozione della digitalizzazione nel settore sanitario attraverso l'Unione Europea della Salute, sottolineando l'importanza di un approccio olistico alla salute e alla prevenzione delle malattie.

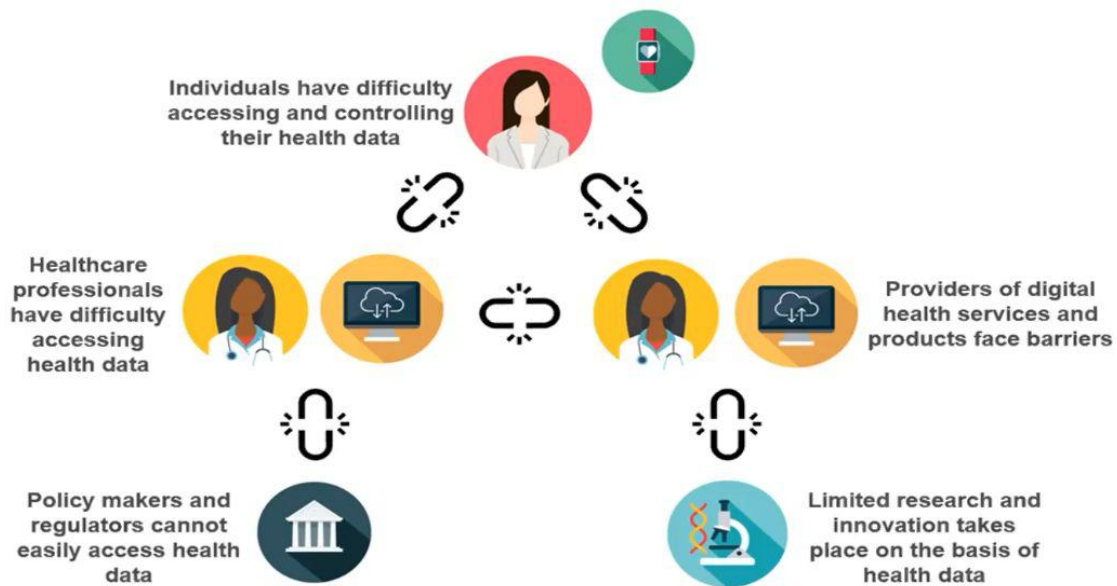
Perché agire ora?

La pandemia da Covid-19 ha portato una forte accelerazione in maniera di digitalizzazione in Italia ed in moltissimi altri stati membri. È quindi fondamentale sfruttare questo slancio per creare una struttura digitale europea.





Il processo di digitalizzazione e di raccolta dei dati rappresenta una sfida per l'Europa e per i singoli servizi sanitari. Esistono inoltre delle sfide di particolare importanza da superare per riuscire a sfruttare a pieno il potenziale dei dati sanitari.



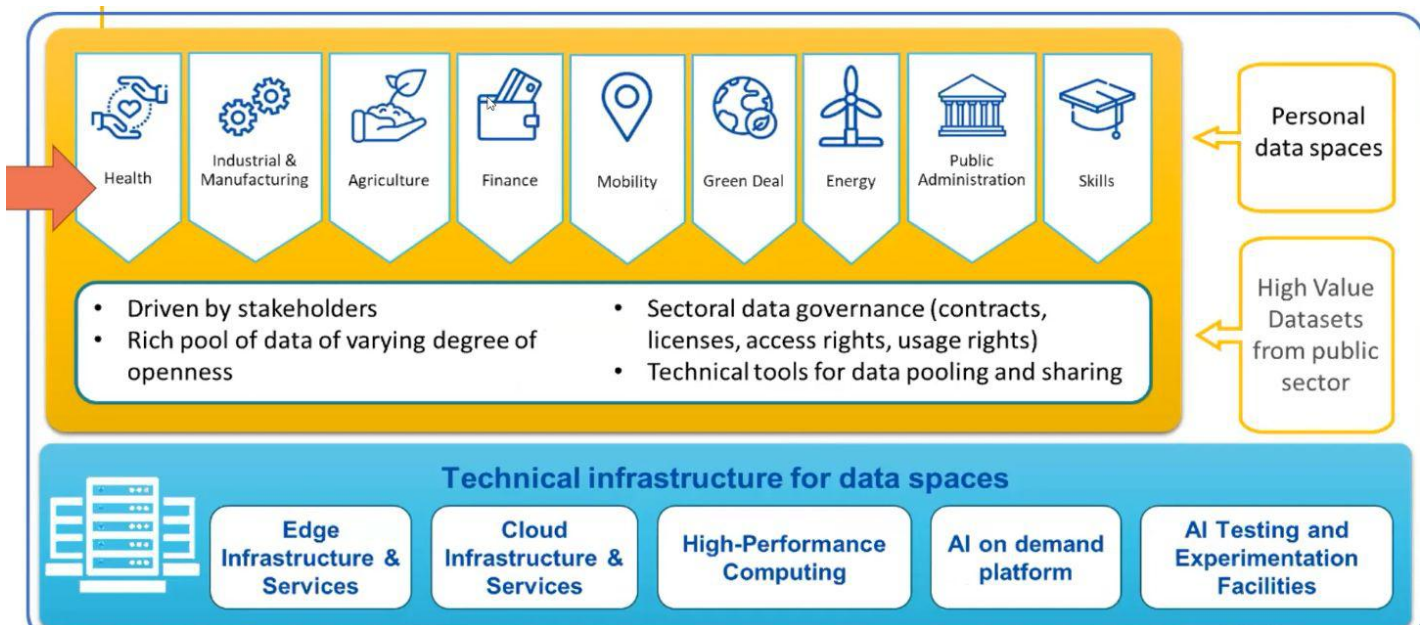


EHDS, acronimo di European Health Data Space, è il primo data space europeo dedicato alla salute. Si tratta di una iniziativa promossa dall'Unione Europea che mira a creare uno spazio condiviso di dati sanitari sicuri, accessibili e interoperabili, al fine di promuovere la ricerca medica e migliorare la salute dei cittadini europei.

Il EHDS è stato presentato nel luglio 2021 dalla Commissione Europea e rappresenta una pietra miliare per la salute digitale in Europa.

La piattaforma permette l'accesso e la condivisione sicura dei dati sanitari tra gli Stati membri dell'UE e i loro partner, come i fornitori di servizi sanitari, i ricercatori e le aziende del settore.

Questo contribuirà a migliorare la conoscenza sulle malattie e a sviluppare nuovi approcci terapeutici e preventivi, nonché a migliorare la gestione delle epidemie e delle malattie infettive.





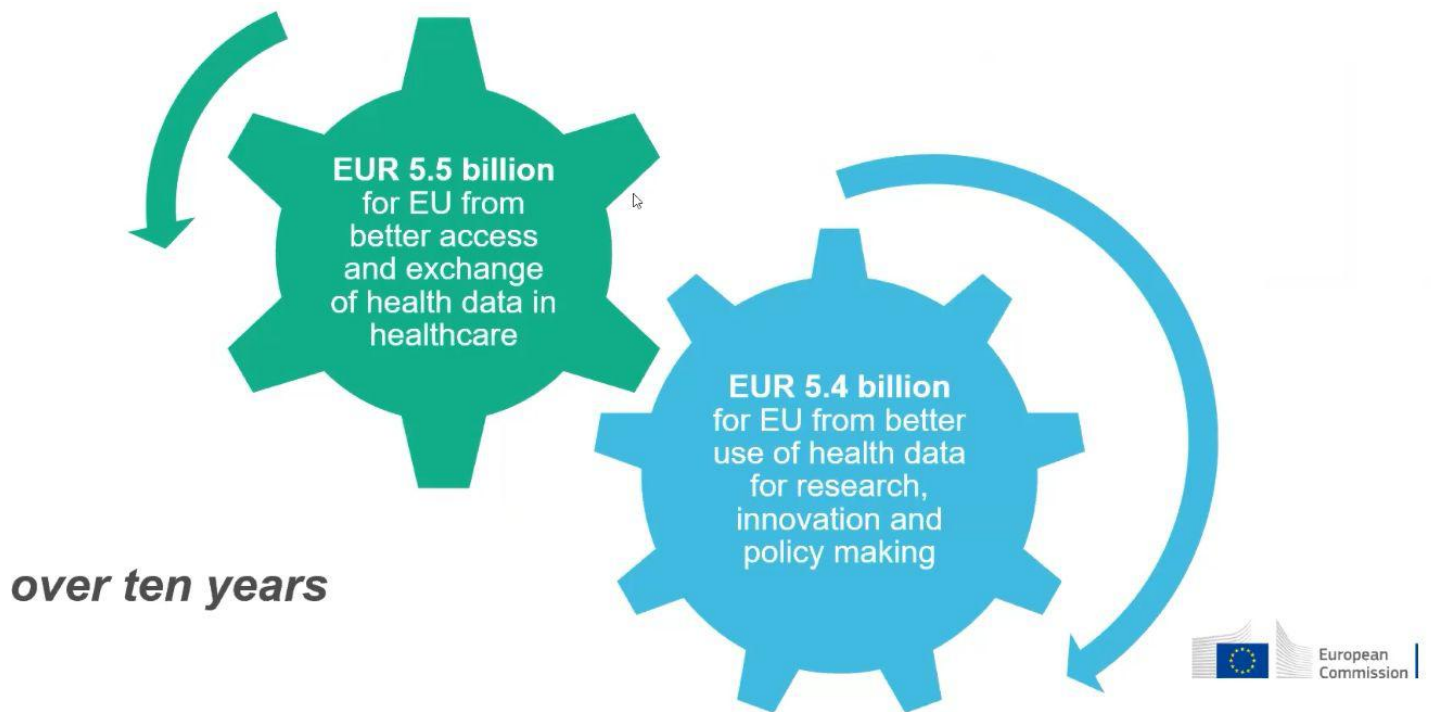
L'EHDS si basa su quattro pilastri principali:

- 1.** La promozione di standard comuni e di interoperabilità tra i sistemi sanitari degli Stati membri dell'UE, al fine di garantire che i dati sanitari siano accessibili e condivisibili in modo sicuro e affidabile.
- 2.** La protezione dei dati sanitari dei pazienti e dei cittadini europei, garantendo la conformità alle normative sulla protezione dei dati, come il GDPR (General Data Protection Regulation).
- 3.** La promozione della ricerca e dell'innovazione nel settore della salute, attraverso l'accesso ai dati sanitari condivisi e la creazione di un ecosistema di innovazione in Europa.
- 4.** La promozione della partecipazione dei pazienti alla gestione dei propri dati sanitari, attraverso l'accesso a informazioni accurate e la possibilità di controllare il proprio consenso all'uso dei dati.



L'EHDS rappresenta un passo importante nella creazione di uno spazio europeo unico dei dati sanitari, con il potenziale per migliorare significativamente la salute dei cittadini europei e la ricerca medica.

Inoltre, il dato sanitario, rappresenta una incredibile possibilità di crescita economica:





L'utilizzo dei dati sanitari ha diversi scopi, i principali sono a scopo sanitario:

- Develops **additional rights** of individuals to complement the rights provided under the GDPR in relation to their electronic health data (Art. 3)
- Sets out the provision for the **access by health professionals** to personal electronic health data (Art. 4)
- **Identifies** some type of electronic health data **as a priority** to be integrated in the EHDS in a staged process (Art.5) with deferred application (art 72)
- Introduces **European electronic health record exchange format** (Art. 6)
- Requirements for the **registration** of personal electronic health data and **identification management** (Art. 7 and Art. 9), non discrimination for provision of **telemedicine** (Art. 8)
- Set up a **digital health authority** and its tasks (Art.10) and right to lodge a complaint with the authority (Art 11)
- **Mandatory** participation in common infrastructure **MyHealth@EU** (Art. 12)
- **Supplementary services** to MyHealth@EU, including **interoperability with third countries and international organisations** (Art 13)



- Implementing a **mandatory self-certification scheme** for EHR systems, relation with medical devices and high risk AI systems (Art. 14 – 16)
- **The obligations** of each economic operator of EHR systems (Art. 17 – 22)
- The **requirements** related to the **conformity** of such EHR systems (Art 23 - 27)
- **Market surveillance authorities** for EHR systems (Art.28 – 30)
- Provisions on the **voluntary labelling** of wellness applications (Art. 31)
- **EU database** for certified EHR systems and labelled wellness applications (Art. 32)





Esistono anche scopi secondari nella raccolta e nell'utilizzo dei dati sanitari:

Per l'elaborazione delle politiche, le attività di regolamentazione, la ricerca, l'innovazione e l'assistenza personalizzata.

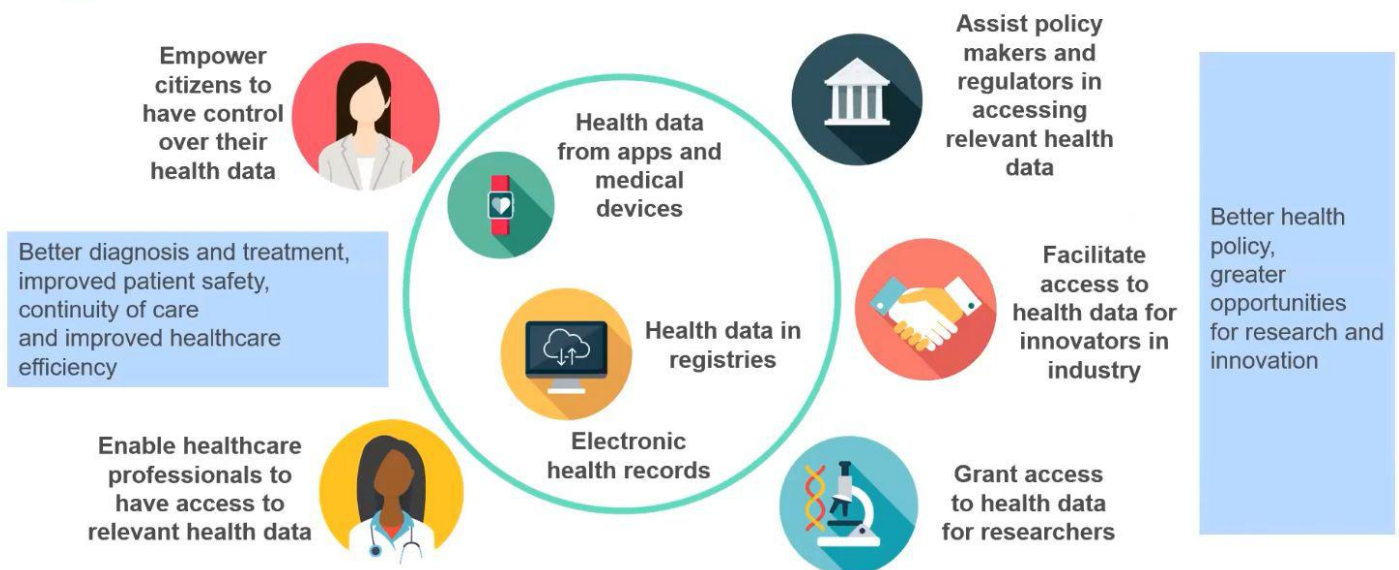
Questi usi secondari sono regolari dalla legislazione europea:

- Definire una serie di categorie minime di dati elettronici per uso secondario che possono essere utilizzati per scopi definiti (supporto all'elaborazione di politiche, attività di regolamentazione, ricerca, innovazione e sviluppo di prodotti sanitari, formazione di algoritmi di intelligenza artificiale, ad esempio per dispositivi medici). Definisce scopi vietati (ad es. uso di dati contro persone, pubblicità commerciale, aumento delle assicurazioni, sviluppo di prodotti pericolosi) (art. 33, 34, 35).
- Istituire uno o più organismi di accesso ai dati sanitari per l'uso secondario dei dati sanitari elettronici (articolo 36)
- I compiti e gli obblighi dell'organismo di accesso ai dati sanitari, dei titolari e degli utenti dei dati (artt. 37, 38, 39).
- Stabilisce i doveri per i titolari di fatture (art. 41)
- Disposizioni generali sulla trasparenza e la struttura del calcolo dei mangimi (articolo 42), sulla base della legge sulla governance dei dati
- Sanzioni degli organi di accesso ai dati sanitari (art. 43).
- Le condizioni e i requisiti per l'autorizzazione dei dati per il secondario dei dati sanitari elettronici (riduzione al minimo dei dati, accesso ai dati, incluso l'accesso ai dati per le istituzioni pubbliche e dell'UE, accesso ai dati da un unico titolare di dati, autorizzazione ai dati, richiesta di dati, ambiente di elaborazione sicuro) (artt. 44-art. 51).
- Sviluppo della nuova infrastruttura transfrontaliera decentrata dell'UE per uso secondario (articolo 52).



- Disposizioni per l'istituzione e la promozione dell'accesso transfrontaliero ai dati sanitari elettronici e del reciproco riconoscimento (artt. 53, 54)
- Disposizioni relative alla descrizione dei set di dati e alla loro qualità, istituzione del catalogo dei set di dati dell'UE (articoli 55, 56, 57)

Quali le aspettative del cittadino:





Prossimi passi: Regolamento EHDS e implementazione

- Regolamento
 - Negoziato con il Consiglio del Parlamento europeo.
- Implementazione dell'EHDS
 - Contributi per:
 - i. Punti di contatto nazionali per l'uso primario dei dati sanitari
 - ii. Punti di contatto nazionali per l'uso secondario dei dati sanitari
 - iii. Capacity building (usi primari e secondari)
 - iv. Prossime azioni congiunte (usi primari e secondari)

La digitalizzazione e le nuove tecnologie a servizio verso l'UE della salute e le grandi prospettive future di salute individuale pubblica che lasciano prevedere

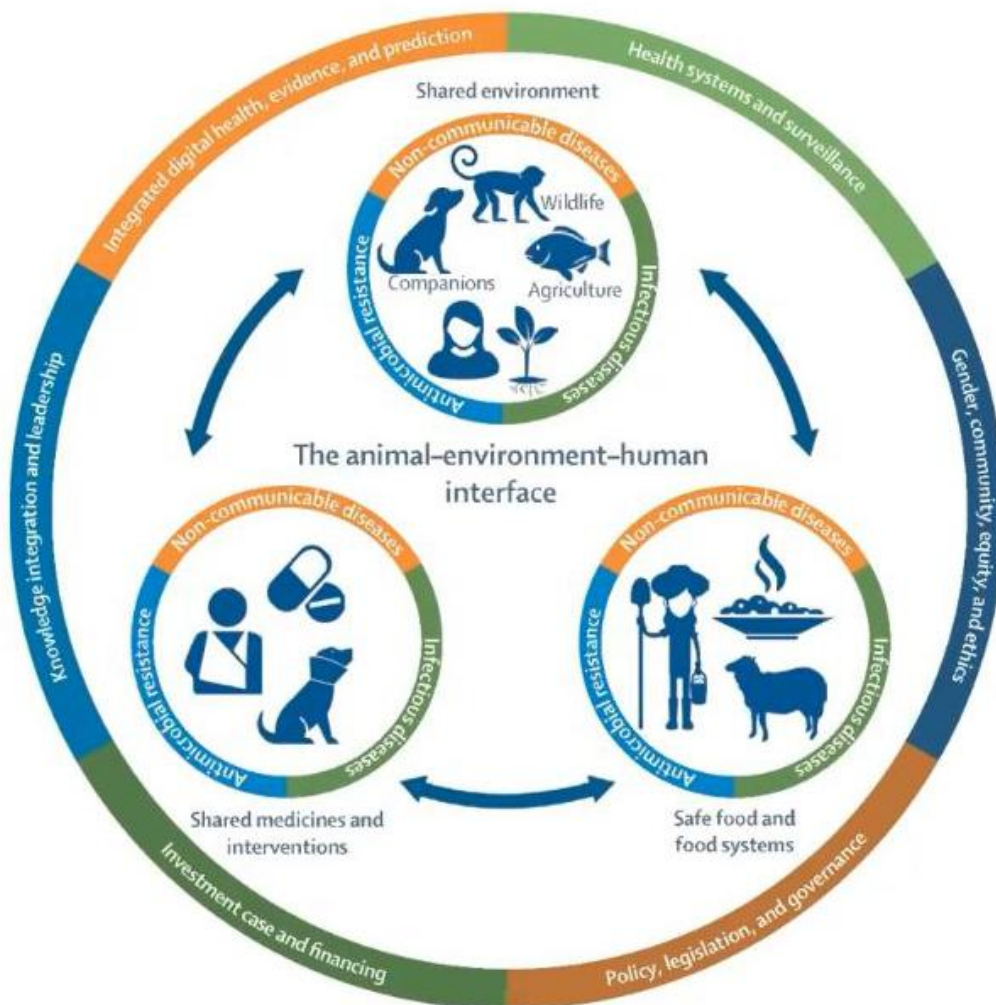
Il concetto di salute sta cambiando. Non è più possibile analizzare una patologia solo in sé stessa o solo rispetto al loro agente causale, ma va approcciata e osservata nell'ecosistema complessivo.

La recente pandemia da Covid-19 ha dimostrato di come la modalità con cui la popolazione si comporta, singolarmente e collettivamente, ha cambiato il corso della diffusione della patologia e la sua epidemiologia.

Questo nuovo concetto di salute viene definito Planetary health (salute planetaria) e si estende alla salute della civiltà umana e allo stato dei sistemi naturali da cui dipende.



Un secondo concetto innovativo di salute è il concetto “One Health” che sottintende i benefici sinergici di una più stretta cooperazione tra scienze della salute umana, animale e ambientali; gli obiettivi per lo sviluppo sostenibile in sé possono essere considerati come un supporto alla strategia one health mirata a una vita in salute su un pianeta perpetuamente abitabile.





La digitalizzazione e le nuove tecnologie possono svolgere un ruolo importante nel concetto di "One Health", che si riferisce all'idea che la salute umana, animale e ambientale sono interconnesse e interdipendenti.

Ad esempio, le tecnologie digitali possono essere utilizzate per migliorare la sorveglianza e la prevenzione delle malattie trasmissibili tra animali e persone. Ad esempio, i dati raccolti dai sensori di monitoraggio ambientale possono aiutare a identificare potenziali rischi per la salute umana e animale, come l'inquinamento dell'aria o dell'acqua.

Inoltre, le tecnologie di tracciamento degli animali possono aiutare a monitorare e prevenire la diffusione di malattie tra le popolazioni animali, che possono poi essere trasmesse alle persone.

Le tecnologie digitali possono anche migliorare la diagnosi e il trattamento delle malattie. Ad esempio, la telemedicina può consentire ai professionisti della salute di fornire diagnosi e cure a distanza, riducendo la necessità di viaggi e migliorando l'accessibilità ai servizi sanitari.

Inoltre, la modellizzazione computazionale può aiutare a prevedere la diffusione di malattie e a sviluppare strategie di prevenzione e controllo.

Infine, le tecnologie digitali possono aiutare a migliorare la sicurezza alimentare, garantendo che gli alimenti siano tracciati e monitorati lungo l'intera catena di approvvigionamento. Ciò può contribuire a prevenire la diffusione di malattie alimentari e a garantire la qualità degli alimenti consumati da persone e animali.

In sintesi, la digitalizzazione e le nuove tecnologie possono svolgere un ruolo importante nel concetto di One Health, contribuendo a prevenire e gestire le malattie trasmissibili tra animali e persone, migliorando la diagnosi e il trattamento delle malattie e garantendo la sicurezza alimentare.



Le azioni in corso da parte dell'ISS per la Planetary Health ed il One Health

Azioni	2021	2022
Azione di Riforma (PNNR) Nuovo assetto istituzionale per la prevenzione in ambito sanitario, ambientale e climatico	Normativa nazionale di primo e secondo livello	-
Investimento 1.1 Rafforzamento complessivo delle strutture e dei servizi di SNPS-SNPA (infrastrutture, strumenti)	100% finanziamenti (51,5 M€) erogati: SNPA in 20 Regioni/PPAA + ISPRA. 236 richieste	Richieste di 18 Regioni/PPAA per 225 M€ In corso valutazione eleggibilità per 7.560 interventi per erogazione ca. 125 M€
Investimento 1.2 Specifici programmi operativi pilota per la definizione di modelli di intervento integrato salute-ambiente-clima in 2 siti contaminati		Attività funzionali all'identificazione dei siti contaminati e definizione del piano di interventi integrati
Investimento 1.3 Programma nazionale di formazione continua in salute-ambiente-clima	Istruttoria su strutture formative regionali, stato della formazione di SNPS-SNPA	Proposta di criteri, metodi e piani formativi in salute ambiente biodiversità e clima: Survey nazionale e identificazione di referenti per la formazione
Investimento 1.4 Ricerca applicata con approcci multidisciplinari in aree di intervento salute-ambiente-clima		Bando per finanziare ≥ 14 progetti di aree. Assegnati 13 progetti + 1 in corso 21 M€
Investimento 1.5 Piattaforma di rete digitale nazionale SNPA-SNPS	Avvio azioni di coordinamento dell'investimento nell'ambito della digitalizzazione del SSN	Avvio progetto nazionale "Portale salute ambiente territoriale per la valutazione del rischio integrato" – coordinamento ISS, 6 Regioni: indirizzi sull'integrazione dati ambientali e sanitari. Valutazione di applicazioni in aree pilota
www.iss.it/presidenza		

L'interoperabilità delle piattaforme come chiave del successo

L'interoperabilità delle piattaforme sanitarie europee e nazionali è un fattore critico per il successo dei sistemi sanitari in Europa. Poiché l'assistenza sanitaria è un settore altamente regolamentato, l'interoperabilità delle piattaforme sanitarie a livello europeo e nazionale è essenziale per garantire che i dati sanitari dei pazienti siano scambiati in modo affidabile, sicuro e conforme alle normative vigenti.

In Europa, l'interoperabilità delle piattaforme sanitarie è stata definita come una priorità dalle autorità europee per garantire la libera circolazione dei dati sanitari tra i paesi membri dell'UE. Ciò è stato raggiunto attraverso l'implementazione di standard comuni per l'interoperabilità dei dati sanitari e la creazione di infrastrutture comuni per lo scambio di dati sanitari.



A livello nazionale, l'interoperabilità delle piattaforme sanitarie è importante per garantire che i dati sanitari dei pazienti siano accessibili a tutti i fornitori di assistenza sanitaria che ne hanno bisogno.

Ad esempio, un medico che prescrive farmaci deve essere in grado di accedere alle informazioni sui farmaci prescritti dai pazienti da altri medici o strutture sanitarie.

Inoltre, l'interoperabilità delle piattaforme sanitarie nazionali può contribuire a migliorare la qualità dell'assistenza sanitaria e a ridurre i costi sanitari, consentendo una migliore gestione dei dati dei pazienti e una migliore collaborazione tra i fornitori di assistenza sanitaria.

Raggiungere l'interoperabilità dei sistemi è però un'opera estremamente complessa che richiede un'opera di armonizzazione a diversi livelli: dei sistemi tecnologici in uso, del livello operativo, del sistema legislativo e del sistema metodologico.

A multidisciplinary task that includes harmonising:

- The implementation of the GDPR
 - Consent
 - Access processes
 - Data management protocols
- EHRs
 - Data elements
 - Coding systems
 - Data catalogues
 - Data quality assurance protocols
- Software/platforms/security



Achieving interoperability



SESSIONE IV

ELEMENTI DI FATTIBILITÀ DEL CAMMINO VERSO L'UNIONE EUROPEA DELLA SALUTE

L'Unione Europea della Salute è un obiettivo ambizioso che mira a migliorare la salute e il benessere dei cittadini europei attraverso una maggiore cooperazione tra i paesi membri dell'UE nel campo della salute pubblica. Tuttavia, per realizzare questo obiettivo, ci sono alcuni elementi di fattibilità che devono essere presi in considerazione, tra cui:

1. **Finanziamento:** il finanziamento è un elemento critico per la realizzazione dell'Unione Europea della Salute. Sarà necessario un sostegno finanziario adeguato a garantire la sostenibilità delle politiche sanitarie a livello europeo e nazionale.

Tuttavia, la questione del finanziamento può anche rappresentare un ostacolo, poiché la spesa per la salute varia notevolmente tra i paesi membri dell'UE e potrebbe essere difficile trovare un accordo su come distribuire le risorse in modo equo.

2. **Regolamentazione:** l'armonizzazione delle norme e dei regolamenti sanitari tra i paesi membri dell'UE è un elemento critico per l'Unione Europea della Salute.

Tuttavia, la regolamentazione può anche rappresentare un ostacolo, poiché i paesi membri hanno tradizioni e sistemi sanitari diversi che potrebbero richiedere un lungo periodo di negoziazione per raggiungere un accordo su come regolare le politiche sanitarie a livello europeo.

3. **Tecnologia:** la tecnologia può rappresentare un motore per l'Unione Europea della Salute, poiché può essere utilizzata per migliorare l'accesso alle cure sanitarie, ridurre i costi e migliorare la qualità dell'assistenza sanitaria.

Tuttavia, l'adozione di nuove tecnologie può anche essere un ostacolo, poiché richiede investimenti significativi e una formazione adeguata del personale sanitario per garantirne un uso appropriato.



4. **Politica:** la politica può influenzare l'Unione Europea della Salute in modo significativo. La cooperazione tra i paesi membri dell'UE richiederà un forte sostegno politico a livello europeo e nazionale.

Tuttavia, le differenze politiche e le priorità nazionali potrebbero rappresentare un ostacolo alla realizzazione di un sistema sanitario comune a livello europeo.

In sintesi, per realizzare l'Unione Europea della Salute, sarà necessario affrontare questi elementi di fattibilità, riconoscendo i potenziali motori e gli ostacoli associati a ciascuno di essi.

Sarà importante trovare un equilibrio tra questi fattori per garantire la sostenibilità e il successo dell'Unione Europea della Salute.



SESSIONE V

COME PROMUOVERE UN PROCESSO “BOTTOM UP” PER LA REALIZZAZIONE DELL’UNIONE EUROPEA DELLA SALUTE CHE INCONTRI QUELLO “TOP DOWN ONE” PIANIFICATO DALLA COMMISSIONE EUROPEA

La realizzazione dell'Unione Europea della Salute (EU4H) richiederà uno sforzo coordinato da parte di tutti gli attori coinvolti, sia a livello europeo che nazionale.

Per garantire che il processo di realizzazione dell'EU4H sia efficace e inclusivo, è necessario promuovere un approccio "bottom-up" che si basi sull'ascolto attivo e sulla partecipazione attiva di tutti gli stakeholder coinvolti, inclusi i cittadini, i professionisti sanitari e le organizzazioni della società civile.

Di seguito sono riportate alcune azioni che potrebbero essere intraprese per promuovere un processo "bottom-up" per la realizzazione dell'EU4H:

- 1.** Coinvolgere i cittadini: L'EU4H dovrebbe essere sviluppata tenendo conto delle esigenze e dei bisogni dei cittadini europei. Si potrebbe promuovere un processo bottom-up attraverso la partecipazione dei cittadini a tavoli di discussione, workshop e focus group, dove possono fornire il loro contributo sui temi di maggiore interesse e su come migliorare l'accesso e la qualità dell'assistenza sanitaria.
- 2.** Ascoltare le organizzazioni della società civile: Le organizzazioni della società civile rappresentano una fonte importante di conoscenza e di esperienza per la realizzazione dell'EU4H.

Coinvolgerle nel processo di consultazione potrebbe aiutare a identificare le priorità, i punti di forza e le sfide nell'implementazione dell'EU4H.

- 3.** Collaborare con i professionisti sanitari: I professionisti sanitari sono al centro dell'assistenza sanitaria e delle cure; pertanto, è importante coinvolgerli in un processo di consultazione per assicurarsi che l'EU4H sia sostenibile e realistica dal punto di vista operativo.



Si potrebbe promuovere un dialogo costante con le organizzazioni di categoria per identificare le esigenze dei professionisti sanitari e le sfide che incontrano nella loro pratica quotidiana.

4. **Costruire una rete di collaborazione:** Per promuovere un processo bottom-up, è necessario creare una rete di collaborazione tra tutti gli stakeholder coinvolti. Questo potrebbe essere fatto attraverso la creazione di una piattaforma online dedicata all'EU4H, dove i cittadini, le organizzazioni della società civile, i professionisti sanitari e le autorità sanitarie nazionali ed europee possono partecipare e collaborare attivamente.
5. **Valutare i risultati:** È importante valutare l'efficacia del processo bottom-up per la realizzazione dell'EU4H. Questo potrebbe essere fatto attraverso la raccolta di feedback e la valutazione dei risultati ottenuti. Questi risultati potrebbero poi essere utilizzati per migliorare il processo di consultazione e per assicurare che l'EU4H sia veramente inclusiva e rappresentativa di tutti gli stakeholder coinvolti.

In conclusione, la promozione di un processo bottom-up per la realizzazione dell'Unione Europea della Salute richiederà un approccio olistico e collaborativo che coinvolga tutti gli stakeholder coinvolti.



CONCLUSIONI

La pandemia di COVID-19 ha messo in luce la necessità e l'importanza di un sistema europeo di salute, che possa garantire una risposta coordinata e integrata a livello europeo.

Un sistema di salute europeo potrebbe essere fondamentale per:

- **Garantire la sicurezza sanitaria:** una crisi sanitaria come quella causata dal COVID-19 ha dimostrato che la salute non conosce frontiere e che un'azione coordinata è essenziale per contenere la diffusione della malattia.

Un sistema di salute europeo potrebbe garantire una risposta coordinata e integrata, evitando la frammentazione delle risposte nazionali e promuovendo un'efficace distribuzione delle risorse.

- **Migliorare l'accesso alle cure sanitarie:** un sistema di salute europeo potrebbe garantire l'accesso alle cure sanitarie per tutti i cittadini europei, indipendentemente dal paese di residenza o dallo stato economico.

Ciò potrebbe ridurre le disuguaglianze nella salute e migliorare la salute della popolazione europea.

- **Promuovere la prevenzione e la gestione delle malattie croniche:** un sistema di salute europeo potrebbe promuovere la prevenzione e la gestione delle malattie croniche, che rappresentano una delle principali sfide per la salute pubblica in Europa.

Ciò potrebbe migliorare la salute della popolazione e ridurre i costi a lungo termine per i sistemi sanitari.

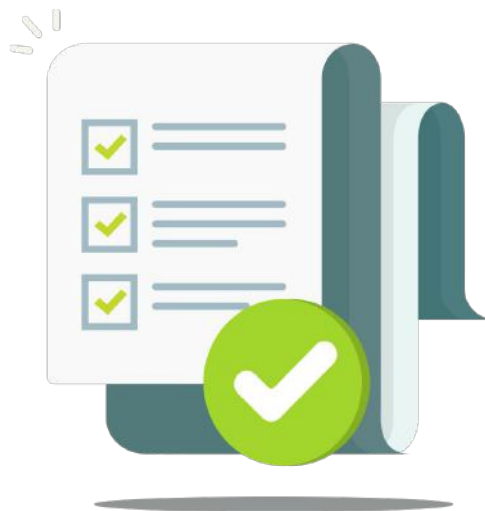
- **Favorire l'innovazione e la ricerca:** un sistema di salute europeo potrebbe favorire l'innovazione e la ricerca nel settore sanitario, promuovendo la collaborazione tra paesi e il condividere di informazioni e conoscenze.

Ciò potrebbe accelerare lo sviluppo di nuovi trattamenti e terapie per le malattie e migliorare la salute della popolazione europea.



- Garantire la sostenibilità dei sistemi sanitari: un sistema di salute europeo potrebbe garantire la sostenibilità dei sistemi sanitari, che oggi sono sempre più sotto pressione a causa dell'invecchiamento della popolazione, dell'aumento delle malattie croniche e dei costi sempre più elevati dei trattamenti medici. Ciò potrebbe promuovere un'allocazione più efficace delle risorse e garantire l'accesso alle cure sanitarie per tutti i cittadini europei.

Tuttavia, la creazione di un sistema di salute europeo è un compito molto complesso e richiede un forte impegno politico e finanziario da parte degli Stati membri dell'Unione Europea. Ci sono diverse sfide che devono essere affrontate per garantire l'efficacia e la sostenibilità di un sistema di salute europeo.



**SONO INTERVENUTI (I NOMI RIPORTATI SONO IN ORDINE ALFABETICO):**

Simona Bellagambi, Rappresentante UNIAMO in EURORDIS

Fabiola Bologna, Dirigente Medico, già Segretario Commissione Affari sociali e Sanità, Camera dei Deputati

Anita Bressan, PhD - MetabERN's Digital Health Manager

Eleanor Brooks, Docente di Politiche di Salute, UKRI Future Leaders Fellow 2020-2024 Global Health Unit School of Social and Political Science, University of Edinburgh

Silvio Brusaferrò, Presidente, Istituto Superiore di Sanità

Antonio Calabrò, Presidente della Fondazione Assolombarda e Museimpresa e Direttore della Fondazione Pirelli

Marco Cavaleri, Head of Health Threats and Vaccines Strategy, European Medicines Agency

Barbara Di Camillo, Professore Ordinario Informatica, Dipartimento di Ingegneria dell'Informazione, Università degli Studi di Padova

Meenakshi Maria Fernandes, Analista Politico, Servizio di ricerche del Parlamento Europeo

Maurizio Ferrera, Professore di Scienza Politiche, Dipartimento di Scienze Politiche e Sociali, Università di Milano, "Principal Investigator, European Research Council, Proget SOLID President Network for the Advancement of Social and Political Science (NASP), Editorialista del Corriere della Sera

Pietro Fiocchi, Europarlamentare Committee on the Environment, Public Health and Food Safety

Jean-Pierre Halkin, Head of Unit D.2 'Interreg, Cross-Border Cooperation, Internal Borders', European Commission, DG REGIO

Licínio Kustra-Mano, Strategic Advisor for European Health Data Space at the European Commission



Sebastiano Lustig, Policy Coordinator from the Health Emergency Preparedness and Response Authority (HERA)

Piergaetano Marchetti, Professore Emerito di Diritto Commerciale, Dipartimento di legge, Università Bocconi, Milano - Past President: Fondazione Corriere della Sera

Donata Meroni, European Commission, DG SANTE Head of Unit B3' Health monitoring and cooperation, Health networks'

Sabina Nuti, Rettore della Scuola Superiore Sant'Anna di Pisa

Elena Pariotti, Professore Ordinario di Filosofia del diritto, Dipartimento di Scienze Politiche, Giuridiche e Studi Internazionali, Università degli Studi di Padova

Giorgio Perilongo, Professore Ordinario Dipartimento Salute della Donna e del Bambino e coordinatore Dipartimento Funzionale Malattie Rare, Università degli Studi di Padova

Paolo Petralia, Vice Presidente FIASO

Mariassunta Piccinni, Professoressa Associata di "Diritto privato" e di "Biodiritto" Università di Padova

Laura Polverari, Professoressa Associata di Scienze Politiche, Giuridiche e Studi Internazionali, Università di Padova

Walter Ricciardi, Chair of the Mission Board for Cancer

Rosario Rizzuto, Professore Ordinario di Patologia Generale, già Magnifico Rettore Università di Padova

Lorenzo Rocco, Dipartimento di Scienze Economiche "Marco Fanno", Università di Padova

Luca Sangiorgi, Incaricato del Ministero per la Joint Action sull'integrazione degli ERN nel Sistema Sanitario Nazionale

Maurizio Scarpa, Direttore Centro Coordinamento Regionale Malattie Rare Friuli AOU Udine e coordinatore METABERN - European Reference Network For Rare Hereditary Metabolic Diseases

Michele Tessarin, Direttore Sanitario AOU Padova



Federico Toth, Professore Ordinario, Dipartimento di Scienze Politiche e Sociali,
Alma Mater Studiorum Università di Bologna

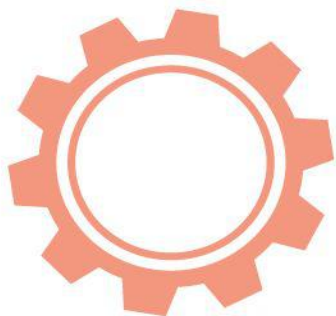
Roberto Vettor, Professore Ordinario in Medicina Interna, Direttore Dipartimento di
Medicina Università di Padova

Claudio Zanon, Direttore Scientifico Motore Sanità



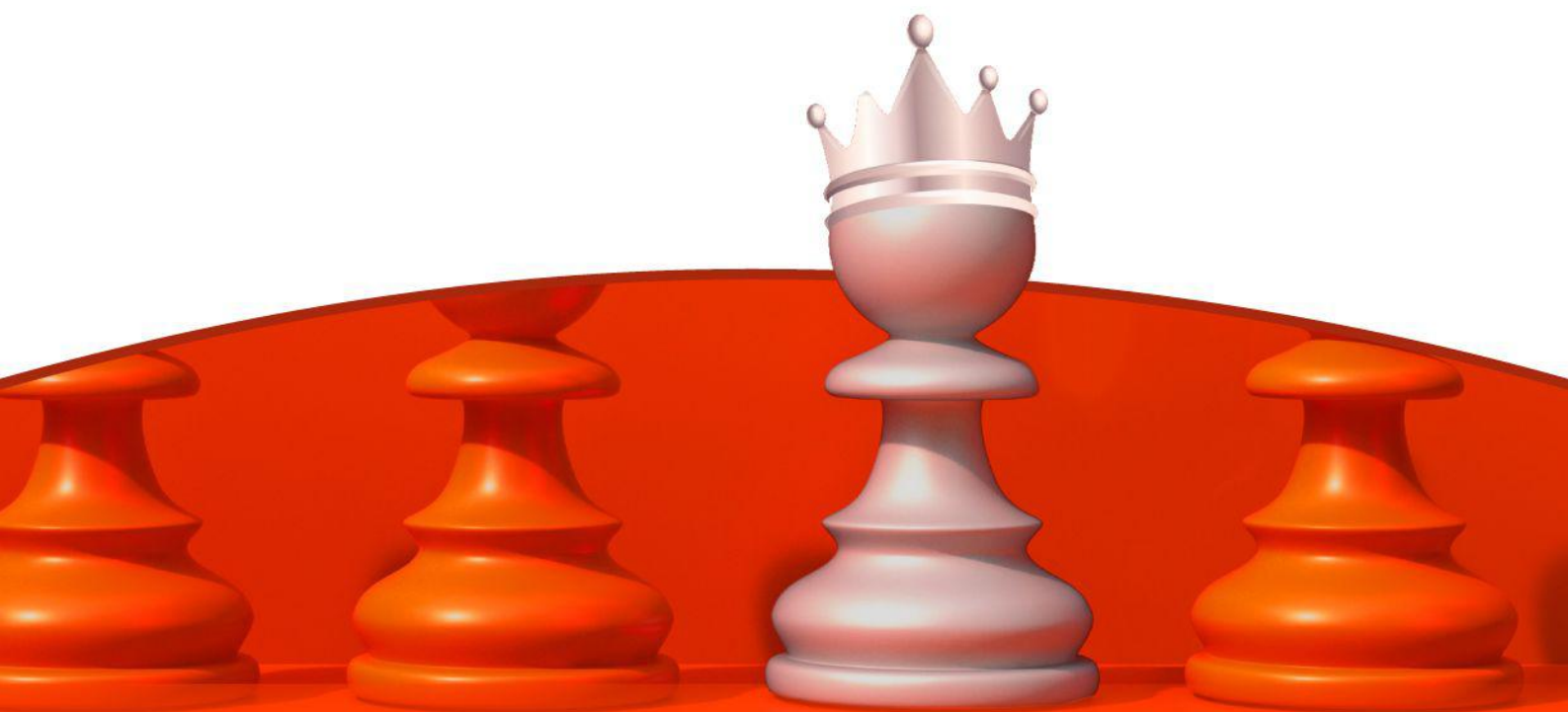
Con il contributo incondizionato di





MOTORE
SANITÀ

Panacea



f

ORGANIZZAZIONE

Barbara Pogliano

t

b.pogliano@panaceascs.com

@

SEGRETERIA

meeting@panaceascs.com

▣

in

328 8443678

www.motoresanita.it