

IHPB

ITALIAN HEALTH POLICY BRIEF

OPINIONI E CONFRONTI PER UNA SANITÀ SOSTENIBILE

FRAME: ADVOCACY POLICY MAKING MALATTIE RARE E PARTECIPAZIONE DEL PAZIENTE IN SEDE ISTITUZIONALE

INTRODUZIONE

Come indica molto correttamente lo European Centre for Disease Prevention and Control dell'UE, l'advocacy in sanità "è una strategia per aumentare i livelli di familiarità con un problema e promuovere la salute e l'accesso a servizi sanitari di qualità e servizi di salute pubblica a livello individuale e comunitario".

L'Agenzia europea prosegue in questa sua puntualizzazione: "Quando si cerca di ottenere l'impegno politico, il sostegno politico, l'accettazione sociale e il supporto dei sistemi per un determinato obiettivo o programma di salute pubblica, è possibile utilizzare una combinazione di azioni individuali e sociali per tentare di influenzare il cambiamento".

Quando la combinazione di queste azioni vede il protagonismo reale dei pazienti e delle loro associazioni, allora si può ben dire che "la centralità del paziente" (a cui tutti oggi giustamente si riferiscono) diviene cosa reale, specifica ed assume dimensioni e importanza nuova.

Recentemente una grande realtà accademica ha lanciato un suo master su questi temi ed uno dei suoi esperti più noti, Americo Cicchetti, ha sottolineato che "le associazioni rappresentano ormai uno stakeholder importante per garantire la centralità del paziente nelle scelte sanitarie. Per questo è necessario investire su di esse e valorizzarne il ruolo e l'esperienza".

Fin qui, più o meno, siamo tutti concordi. Ma ci siamo chie-

sti: ad oggi quale è la portata reale delle esperienze delle associazioni, laddove cercano di dialogare con le Istituzioni nel nostro Paese?

Dal punto di vista squisitamente storico, il primo momento in cui i pazienti hanno avuto un peso nell'ambito dei trial e della definizione di risposte di politiche sanitarie, è riconducibile al periodo 1988-1992, quando presso la FDA i gruppi di pazienti hanno iniziato ad essere coinvolti nelle azioni dell'Agenzia americana sull'HIV-AIDS (cfr. IHPB n°1/2019). Da allora molto è accaduto. Ma qui ci chiediamo: il vissuto dei pazienti e dei loro caregiver più immediati viene ricercato, ascoltato e recepito dai decisori? Riesce ad incidere sulle riformulazioni delle politiche sanitarie ed assistenziali, oppure la relazione tra associazioni e luoghi della programmazione rimane un'eterna incompiuta?

Su questi temi ALTIS ha voluto avviare il Progetto "**Malattie rare, advocacy, partecipazione: una nuova frontiera del rapporto tra Istituzioni e Pazienti**" che qui esprime il suo primo prodotto editoriale, grazie al contributo di alcuni esperti di visione e competenza indiscutibile. Ci auguriamo che la lettura di questo nostro Italian Health Policy Brief sia utile a tutti. Soprattutto a chi si pone la domanda su come passare da una "paziente-centricità" teorica a quella concreta, fatta di decisioni reali.

L'INTERGRUPPO PARLAMENTARE DELLE MALATTIE RARE: RESPONSABILITÀ & DONO

di Paola Binetti

Senatrice, Presidente dell'Interguppo Parlamentare Malattie Rare

Premessa

L'iniziativa lodevole di un progetto specifico sulle relazioni tra associazioni dei pazienti (e loro famiglie) con malattie rare e istituzioni ci offre la possibilità di una sintesi delle azioni che il nostro Paese ha avviato proprio per questi pazienti.

La **Rete Nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare** rappresenta il principale strumento di tutela dei pazienti affetti da malattia rara e venne istituita con DM, n. 279 del 18 maggio del 2001. In allegato al DM c'era il primo **Elenco nazionale di malattie rare e gruppi di malattie rare** per le quali i pazienti avevano diritto all'esenzione dalle spese sanitarie, la cosiddetta esenzione dal "ticket". Fino ad allora, con il Piano Sanitario Nazionale 1998-2000, le malattie rare rappresentavano soltanto un'area prioritaria di azione di sanità pubblica. Bisognerà però attendere oltre 15 anni e arrivare al 15 settembre del 2017 per sostituire quel primo allegato con i nuovi codici di esenzione per malattia rara ed ampliare il numero delle malattie rare con diritto all'esenzione del ticket.

La Rete Nazionale per le malattie rare, costituita da Presidi di riferimento e da Centri interregionali o regionali con

funzioni di coordinamento, coordinata dal Centro Nazionale Malattie Rare, istituito presso l'Istituto Superiore di Sanità, è integrata dal forte contributo di UNIAMO, FIMR (Federazione delle associazioni di pazienti affetti da malattie rare), in collaborazione con EURORDIS (European Organisation for Rare Disease).

La FIMR, nata a Roma nel 1999 per iniziativa di un gruppo iniziale di 20 associazioni, mette al centro della sua filosofia l'attenzione ai bisogni dei pazienti e delle loro famiglie, per migliorare la qualità di vita delle persone colpite da malattia rara, attraverso l'attivazione, la promozione e la tutela dei diritti dei malati rari nella ricerca, nella bioetica, nella salute, nelle politiche sanitarie e socio-sanitarie.

Della Rete, quindi, fanno parte a pieno titolo strutture sanitarie ed associazioni di pazienti, con una reciproca disponibilità all'ascolto e alla collaborazione, nell'esclusivo interesse dei pazienti e con l'unico scopo di dare risposte ai loro bisogni.

Interguppo parlamentare per le malattie rare

Dieci anni dopo, per iniziativa di un gruppo di parlamentari di Camera e Senato, rigorosamente trasversale, nasce l'**Interguppo parlamentare per le malattie rare**: è il 29 febbraio del 2012, in concomitanza con la Giornata Nazionale delle Malattie Rare. Obiettivo: creare un interesse coordinato e continuativo intorno alle malattie rare, tema tutt'altro che "raro".

L'Interguppo costituisce un passo

necessario per mantenere acceso in Parlamento un dialogo costruttivo in un campo così delicato come la salute umana, per evitare che la rarità si confonda con la solitudine o peggio ancora con l'isolamento; caratterizzato da forte visione d'insieme, include associazioni scientifiche e associazioni di malati. L'obiettivo è sollecitare il Governo a prendere nel minor tempo possibile decisioni efficaci e tempestive sulle malattie rare.

Primo risultato concreto ottenuto dall'Interguppo nel 2012 è stata l'approvazione trasversale di un Ordine del Giorno per la cura delle Malattie Rare in Senato, mentre la Camera dei Deputati ha approvato una mozione unitaria che impegna il Governo ad assumere iniziative concrete nel campo della ricerca e della cura delle malattie rare. A cominciare dall'approvazione di un disegno di legge sulle malattie rare, condiviso con le associazioni di pazienti che si battono per il riconoscimento dei diritti delle persone affette da malattie rare.

In entrambe le occasioni, il Ministro della Salute ha manifestato il desiderio di "dar vita ad un momento di coordinamento inserito nel Gabinetto del Ministero". Anche se ciò, a distanza di anni, non ha ancora avuto nessuna attuazione.

Dare concretezza ai buoni propositi è l'obiettivo dell'Interguppo. L'attenzione alle persone affette da malattie rare è un atto di giustizia coerente con la Costituzione italiana, che prevede un diritto universale alla salute: nessuno può essere lasciato solo. Porre al

centro dell'attenzione le malattie rare costituisce uno stimolo fortissimo per la ricerca scientifica avanzata. D'altra parte il gruppo interparlamentare per le malattie rare è occasione di solidarietà tra tutte le forze in campo.

È un obbligo per il mondo politico predisporre collegialmente strumenti legislativi che sappiano coniugare giustizia e solidarietà, ricerca e assistenza, politiche sociali e politiche sanitarie. Oggi, tra gli obiettivi dell'Intergruppo, c'è quello di garantire maggiore qualità di vita ai pazienti attraverso percorsi di cura e di presa in carico uniformi su tutto il territorio, attraverso maggiore facilità di accesso ai farmaci prescritti dai Piani Terapeutici, anche nei casi di utilizzo off-label.

L'Intergruppo sostiene: a) lo sviluppo della ricerca scientifica nel campo dei farmaci orfani; b) la creazione di centri di riferimento dai requisiti costantemente verificati; c) il diritto alle terapie domiciliari; d) l'approvazione di una Legge sui caregiver; e) uno dei nodi critici è la transizione dei malati rari dall'età pediatrica all'età adulta, con il cambiamento delle strutture di riferimento; f) il costante sostegno psicologico e g) lo sviluppo di strutture di sollievo e di accoglienza anche a carattere temporaneo.

Se il 2017 è stato un anno importante per le malattie rare, dal momento che ben 134 nuovi codici di esenzione sono stati approvati e rientrano nei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA), occorre anche ricordare che nel 2016 è scaduto il Piano triennale per le Malattie rare sostiene che ad oggi non è

ancora stato rinnovato, nonostante il tavolo di lavoro promosso presso il Ministero della Salute circa due anni fa.

In buona sostanza, l'attuale piano risale al 2013 ed è in attesa di rinnovo, senza che si riesca a capire perché sia ancora fermo o perché i suoi ritmi siano così rallentati da far sentire i malati rari sempre più soli.

L'Alleanza per le Malattie Rare

Nel luglio 2017 è nata l'Alleanza per le Malattie Rare, in collaborazione con l'Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR) e molte Associazioni di pazienti, per rendere più efficace la comunicazione e più concreta l'identificazione degli obiettivi su cui concentrarsi. L'OSSFOR, nato nel 2016 da iniziativa congiunta del centro di ricerca CREA Sanità (Consorzio per la Ricerca Economica applicata in Sanità) e della testata giornalistica Osservatorio Malattie Rare (OMAR) - è il primo centro studi e think-tank interamente dedicato allo sviluppo di policy innovative per la governance e la sostenibilità del settore delle cure per malattie rare.

Oggi l'Alleanza, composta da oltre 90 associazioni e organizzazioni di pazienti, tecnici e rappresentanti istituzionali che operano nelle malattie rare, rappresenta un luogo di fattiva collaborazione tra la società civile ed il mondo politico, allo scopo di migliorare l'organizzazione dell'intero settore delle malattie rare.

Il lavoro dell'Alleanza, coordinato da OSSFOR, si svolge attraverso Tavoli tematici che analizzano specifiche

problematiche, scelte dalle associazioni, e la conseguente elaborazione di strategie per favorire: sviluppo e piena implementazione di politiche di gestione e presa in carico delle persone affette da malattie rare; sostegno allo sviluppo dei farmaci orfani ispirandosi ai principi di uguaglianza, parità fra i generi, reciprocità e mutuo beneficio. In base alle problematiche, vengono invitati ai tavoli esperti che possono contribuire al raggiungimento dei risultati (AIFA, le Regioni, i Farmacisti Ospedalieri, ISS, clinici, etc.).

Il primo Tavolo Tematico, dedicato all'Assistenza Domiciliare Integrata (ADI), ha portato alla realizzazione del documento "Malattie rare: verso un nuovo modello di presa in carico dei pazienti", in cui si propone un nuovo percorso di cura per i pazienti affetti da malattia rara, molto più attento anche alle dinamiche familiari e alle esigenze dei caregiver, che nel 2019 è stato sottoposto all'attenzione del Ministero della Salute.

Non solo Livelli Essenziali di Assistenza (LEA) ma anche livelli di Assistenza socio-sanitaria

Tra l'Intergruppo delle Malattie Rare e l'Alleanza per le Malattie Rare è stato messo in moto un processo che vuole ricalibrare l'assistenza ai malati con malattia rara, per renderla più inclusiva verso i bisogni di natura sociale e non solo quelli di natura strettamente sanitaria.

Chiaramente i pazienti, la cui diagnosi non sia stata esplicitamente inserita tra i LEA, chiedono con urgenza una

sorta di Certificazione di malattia rara, che prevede il diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo per le prestazioni di assistenza sanitaria necessarie alla diagnosi, al trattamento, al monitoraggio ed alla prevenzione degli ulteriori aggravamenti della specifica malattia rara.

I pazienti affetti dalle malattie rare esenti incluse nell'apposito elenco ministeriale hanno diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo per i farmaci necessari alla cura della malattia. Possono essere forniti gratuitamente tutti i farmaci registrati sul territorio nazionale (sia di classe A che di classe C), i farmaci inseriti negli elenchi speciali predisposti dall'AIFA (legge 648/96 e relativi allegati) e i farmaci registrati all'estero (qualora previsti da protocolli clinici concordati dai Presidi della Rete col Centro di Coordinamento a seguito di linee guida internazionali, ove presenti).

La gestione di alcune malattie rare richiede un Progetto Riabilitativo Individuale, che va ben oltre le limitazioni previste sul numero dei trattamenti abituali e che diventa essenziale per garantire livelli di autonomia funzionale indispensabili per la loro qualità di vita. Uno dei passaggi obbligati per le persone affette da malattia rara che vogliono accedere a diritti di natura socio-sanitaria è ottenere il riconoscimento della loro disabilità, con la relativa misura. Solo allora i pazienti affetti da patologia rara possono richiedere il riconoscimento dell'invalidità civile, ovvero il riconoscimento di uno stato invalidante, in base al quale ottenere

benefici economici e/o socio-sanitari previsti dalla legge.

La Legge, com'è noto, considera diverse soglie di invalidità, in corrispondenza delle quali prevede benefici diversi: la soglia minima è quella di un terzo (34%). Con tale grado di invalidità si ha diritto alle prestazioni protesiche e ortopediche; la soglia del 46% è prevista per l'iscrizione nelle liste speciali per l'assunzione obbligatoria al lavoro; la soglia del 74% dà diritto all'assegno mensile in qualità di invalido parziale; la soglia del 100% dà diritto alla pensione di inabilità in qualità di invalido totale e, per i soggetti non deambulanti e non autosufficienti, all'indennità di accompagnamento. Per gli invalidi civili sono previsti, inoltre, l'assegno mensile di assistenza, cui hanno diritto i disabili con un'invalidità superiore al 74% di età compresa fra i 18 e i 65 anni, mentre la pensione di invalidità è attribuita quando l'invalidità è del 100%. L'indennità di accompagnamento è riconosciuta, indipendentemente dall'età, quando la persona con disabilità è invalida al 100% e non può camminare o non è autonomo nello svolgimento delle attività di vita quotidiana.

Alcune leggi chiave per i malati rari

I malati rari possono chiedere l'accertamento dell'handicap previsto dalla Legge Quadro 5 Febbraio 1992 n. 104. Se viene riconosciuta la condizione di handicap grave si può usufruire di: detrazioni fiscali (dichiarazione dei redditi), permessi lavorativi retribuiti, sostegno all'inserimento scolastico,

fornitura di mezzi che possano aiutare nello svolgimento delle attività quotidiane (computer, videocitofono, fax e altri strumenti tecnologici), contributi per l'abbattimento delle barriere architettoniche, contributi per l'acquisto o l'adattamento di autoveicoli privati e l'esenzione dal pagamento del bollo auto. Per le persone nell'età della scuola dell'obbligo, la Legge 104 contiene numerosi articoli dedicati alla scuola: l'art. n. 12 "Diritto all'Educazione e all'Istruzione" chiarifica gli obiettivi da perseguire dall'asilo nido all'Università per garantire il diritto all'Istruzione. L'art. n. 13 "Integrazione Scolastica" specifica come sia essenziale la programmazione coordinata dei servizi scolastici con quelli sanitari, socioassistenziali, culturali, ricreativi e sportivi; l'art. n. 14 "Modalità di attuazione dell'Integrazione" si occupa della formazione e dell'aggiornamento del personale docente incaricato a seguire gli studenti portatori di handicap. L'art. n. 15 "Gruppi di lavoro per l'integrazione scolastica" definisce la composizione dei gruppi di lavoro che collaborano alle iniziative educative e di integrazione; l'art. n. 16 "Valutazione del rendimento e prove d'esame" tratta come valutare gli alunni portatori di handicap dalla scuola dell'obbligo all'Università; l'art. n. 17 "Formazione Professionale" chiarifica nei suoi vari comma come deve avvenire l'inserimento nei centri di formazione professionale e nei rispettivi corsi, per le persone portatrici di handicap non in grado di frequentare i corsi normali. Per i soggetti con maggiore età la Leg-

ge Quadro del 5 Febbraio, 992 n. 104, contiene diversi articoli riservati al diritto al lavoro delle persone portatrici di handicap: l'art. n. 18 detta i principi per la "Integrazione lavorativa"; l'art. n. 19 "Soggetti aventi diritto al collocamento obbligatorio" include, all'interno del gruppo da considerare per il collocamento al lavoro, anche le persone con minorazioni psichiche; l'art. n. 20 "Prove d'esame nei concorsi pubblici e per l'abilitazione alle professioni" chiarifica le agevolazioni a cui ha diritto la persona con uno specifico handicap, come ad esempio la necessità di tempi aggiuntivi nel sostenere una prova d'esame; l'art. n. 21 tratta della "Precedenza nell'assegnazione di sede" per i portatori di handicap, nelle assunzioni presso gli enti pubblici; l'art. 22 "Accertamenti ai fini del lavoro pubblico e privato" stabilisce per i portatori di handicap la non necessità del certificato di sana e robusta costituzione per la domanda di assunzione.

La Legge n. 68 del 12 Marzo 1999, intitolata "Norme per il diritto al lavoro dei disabili", ha come finalità la promozione dell'inserimento e dell'integrazione lavorativa delle persone disabili nel mondo del lavoro, attraverso servizi di sostegno e di collocamento mirato.

La Legge Quadro 5 Febbraio, 1992 n. 104, all'art. n. 33, si occupa anche di "Permessi retribuiti a favore di lavoratori disabili in stato di gravità o familiari di persone handicappate cui prestano assistenza", nonché di aspettativa o prepensionamento per un

totale di due anni.

La Legge 30 Marzo 1971 n. 118 sancisce il diritto degli invalidi civili, e dei malati rari riconosciuti come invalidi civili, ad usufruire dei servizi primari, fra cui il diritto alla scuola (art. n. 28 "Provvedimenti per la frequenza scolastica"; art. n. 29 "Organizzazione scolastica nei centri degenza e di recupero"; art. n. 30 "Esenzione dalle tasse scolastiche e universitarie").

La Legge 4 Agosto 1977 n. 517 rappresenta il punto di riferimento più importante per il riconoscimento del diritto a frequentare le scuole pubbliche comuni a tutti, da parte dei portatori di handicap e disabili.

Nell'ambito delle sue attività, la scuola deve attuare forme di integrazione con la prestazione di insegnanti specializzati. Nello specifico, agli articoli n. 2 e n. 7 afferma: "Deve essere assicurata la necessaria integrazione specialistica, il servizio socio-psico-pedagogico e forme particolari di sostegno secondo le rispettive competenze dello Stato e degli Enti locali; l'art. n. 23 "Addestramento, qualificazione e riqualificazione professionale, lavoro protetto e provvedimenti per la vita di relazione" afferma che esiste una gestione speciale a cura del Ministero del Lavoro e della Previdenza Sociale che ammette gli invalidi civili alla fruizione dell'orientamento, addestramento, qualificazione e riqualificazione professionale; l'art. n. 24 "Indennità di frequenza ai corsi" prevede un assegno di frequenza giornaliero per gli invalidi civili che frequentano i corsi, anche se percepiscono già l'indennità

di disoccupazione; l'art. n. 25 "Sistemi di lavoro protetto" assicura che il Ministero del Lavoro e il Ministero della Sanità promuovano le iniziative ed i provvedimenti necessari per attuare dei sistemi di lavoro protetto per speciali categorie di invalidi; l'art. n. 26 "Congedo per cure" concede ai mutilati e agli invalidi civili con una riconosciuta riduzione della capacità lavorativa non inferiore ai due terzi, un congedo straordinario annuale, non superiore a trenta giorni e con l'autorizzazione del medico.

La famiglia del paziente affetto da malattia rara necessita spesso di una presa in carico integrata che interessa i servizi sociali ospedalieri e territoriali: la Legge Quadro n. 328 dell'8 novembre 2000, che si occupa della "Realizzazione del sistema integrato di interventi e servizi sociali", afferma all'art. n. 14 "Progetti individuali per le persone disabili" che, per realizzare la piena integrazione delle persone disabili nell'ambito della vita familiare e sociale nonché nei percorsi dell'istruzione scolastica o professionale e del lavoro, i comuni in intesa con le aziende di unità sanitarie locali, predispongono, su richiesta dell'interessato, un progetto individuale, secondo quanto stabilito al comma 2, sulla base delle risorse disponibili e secondo un percorso di valutazione a punteggio.

All'art. n. 16 "Valorizzazione e sostegno delle responsabilità familiari", la Legge dice che questo sistema integrato riconosce e sostiene il ruolo peculiare delle famiglie nella formazione e nella cura della persona, nella pro-

mozione del benessere ecc., e assicura un ruolo di partecipazione attiva con livelli essenziali di prestazioni sociali erogabili nel territorio nazionale.

Il Decreto-legge 1° luglio 2009, n. 78, recante provvedimenti anticrisi e successivamente convertito con modificazioni in Legge (L. 03 agosto 2009 n. 102), ha apportato delle novità nell'iter procedurale in materia di invalidità civile, spostando direttamente sull'INPS tutti gli accertamenti, che richiedono due fasi di inserimento dati per via telematica.

La prima fase è l'inserimento della certificazione della patologia invalidante da parte di un medico in possesso dell'abilitazione INPS. La fase successiva è relativa alla domanda di accertamento dell'invalidità (o delle altre minorazioni civili, dell'handicap o della disabilità) da presentare all'INPS per via telematica a cura del diretto interessato, entro 30 giorni dall'inoltro della certificazione; è richiesta l'identificazione del codice ICD (International Classification of Diseases), classificazione nella quale le malattie rare sono incluse.

Norme allo studio del Parlamento e contributo dell'Intergruppo

Alla Camera sembra arrivata finalmente in discussione generale, con la prospettiva di essere approvata entro la fine di febbraio 2020 la Legge quadro sulle Malattie Rare, frutto di un delicato lavoro di sintesi su molti ddl presentati in questa legislatura e già presenti nella precedente. L'ottica è di tipo preva-

lentemente sanitario.

Nella attuale legislatura, e in quella precedente, ho presentato un ddl per facilitare l'inserimento professionale dei soggetti con malattia rara, prevedendo una serie di norme a salvaguardia di un duplice diritto: il diritto alla salute e il diritto al lavoro. Speriamo che si possa fare qualche passo avanti in più.

L'ALTRA FACCIA DELLA MEDAGLIA: IL PUNTO DI VISTA DEL CITTADINO

di Teresa Petrangolini

Direttore Patient Advocacy Lab

ALTEMS, Università Cattolica del Sacro Cuore

Ogni anno nel mondo della sanità vengono presentati Rapporti informativi che rendono conto di quanto sta avvenendo nel complesso mondo dei servizi per la salute. Solitamente vengono prodotti da Università, Istituti di ricerca, Società scientifiche. Sempre più spesso però nascono e si sviluppano iniziative che provengono dalle associazioni di Patient Advocacy.

È ormai rilevante il patrimonio di informazioni sullo stato dei servizi sanitari, sulla qualità delle cure e sull'accesso alle terapie, sui livelli di assistenza effettivamente erogati, che viene fornito dalle organizzazioni dei cittadini che operano nel mondo della sanità. C'è chi è impegnato da anni su questo fronte e chi ha iniziato più di recente. Ogni lavoro ha però in comune la volontà di presentare l'altra faccia della medaglia, vale a dire il

punto di vista del cittadino nei confronti del sistema sanitario, indicando punti di forza e di debolezza e proponendo cambiamenti necessari a rendere i servizi più adeguati alle esigenze degli utenti. Molti di questi lavori non hanno volutamente una pretesa "scientifica" o statistica in senso propriamente detto, ma hanno comunque impostazioni metodologiche solide che li rendono assolutamente validi come preziose fonti di informazioni per le Istituzioni pubbliche, per la stampa, per i diversi stakeholder. Prova ne è il lavoro condotto da EPAC (Associazione dei Pazienti con Epatite C), che ha permesso in questi anni di tenere sotto controllo i numeri di pazienti curati e da curare con le nuove terapie per la eradicazione dell'Epatite C. I dati di EPAC sono serviti per capire l'entità del fenomeno, consentendo un corretto finanziamento della spesa per i trattamenti e per monitorare l'andamento delle prese in carico. La tabella n°1, ad esempio, permette di capire quanto sommerso esiste ancora nella diagnosi (e quindi nella cura) della patologia¹. Ci si domanda spesso quale sia il ruolo che questi strumenti, messi in campo dai cittadini, possono avere nella costruzione di una politica pubblica complessa come quella sanitaria. In realtà, ormai molti anni fa, lo studioso statunitense Aaron Wildavsky (1930 – 1993), scienziato della politica, uno dei fondatori della policy analysis, aveva teorizzato la funzione dei cittadini come "analisti", vale a dire come soggetto capace di dare un contributo fondamentale alla buona

¹ <https://www.epac.it/cn-files/2018/09/25/report-epac-2018-summary11-def.pdf>

riuscita di una politica pubblica, grazie alla capacità di raccogliere e rielaborare informazioni. Secondo Wildavsky² la tentazione degli analisti è di trattare i cittadini come oggetti, spogliando la gente di autonomia di pensiero, mentre essi sono necessari perché possono comprendere e far comprendere la posta in gioco di determinate scelte, di distinguere, di cumulare e trasmettere fatti ed esperienze. Dopo Wildavsky altri studi sono stati fatti su questa specifico ruolo del cittadino analista delle politiche pubbliche e sulla sua competenza nel produrre informazione civica³.

A volte si tratta di rielaborare dati già prodotti con il proprio punto di vista, a volte di produrre informazioni di prima mano. Di fatto, abbiamo assistito in questi anni a una notevole produzione di informazioni ed è ormai assai difficile parlare di accesso ai servizi sanitari senza citare dati provenienti dai Rapporti “civici” prodotti dalle associazioni dei pazienti e dei cittadini che operano in campo sanitario. Proprio al fine di capire l'importanza di tali informazioni, può essere importante prendere in esame alcuni dei documenti presentati nel corso dell'appena concluso 2019. Il Rapporto sulla condizione assistenziale dei malati oncologici di FAVO (Federazione associazioni volontariato oncologico), il Rapporto Pit Salute di Cittadinanzattiva, MonitoRare di Uniamo FIRM (Federazione nazionale malattie rare) e il Barometro sulla Sclerosi Multipla di AISM (Associazione italiana Sclerosi Multipla).

Le spese del malato oncologico

Il XI Rapporto sulla condizione assistenziale dei malati oncologici, ad opera dell'Osservatorio analogo, presenta al suo interno un'indagine sui costi sociali ed economici del cancro nel 2018⁴ realizzata da Datamining, con la collaborazione di 34 punti informa-

tivi AIMAC collocati presso Policlinici, IRCCS ed ospedali (tabella n°2). Alcuni elementi su cui vale la pena porre l'attenzione sono i seguenti:

1. Ammonta a quasi 5 miliardi di euro l'anno la spesa out of pocket sostenuta direttamente dai malati di cancro al di fuori del SSN.

STIMA PAZIENTI CON DIAGNOSI NON NOTA AL 1° GENNAIO 2019

Gruppo di popolazione	Stima dimensione gruppo	Stima % infezioni HCV non note	Fonte	Stima Min.	Stima Max.	Limiti
Tossicodipendenti	41.000 - 55.000	Max 70%	Ref. 1-4 Bibliografia	29.000	46.000	Possibile sovrastima per assenza d'informazioni affidabili
Detenuti	4.000 - 17.000	Max 50%	Ref. 5-8 Bibliografia	4.800	8.500	Possibile sovrastima per assenza d'informazioni affidabili
Popolazione senza fattori di rischio < 65 anni	37.150.185 (ISTAT)	0.013% (fino a 0.05%)	Rapporti ISS ISTISAN 2009 - 15 sulle donazioni di sangue	4.800	18.500	% Derivante da screening su popolazione selezionata eseguita dai centri donazione sangue - possibile sottostima
Popolazione ≥ 65 anni	13.528.550 (ISTAT)	20% del totale affetti da HCV in tale fascia di età	Andriulli et al. -2018	35.400	57.500	Percentuali e proiezioni basate su studi che hanno identificato un gruppo di pazienti HCV con prevalenza più elevata (età anagrafica)
Coinfetti HIV / HCV	Compresi nelle categorie precedenti					
Extracomunitari senza permesso di soggiorno	Non quantificabili					
TOTALE	Stime ricavate sommando i valori minimi e massimi di ciascuna popolazione					71.200 - 130.500

Tabella n°1

Prendendo come riferimento temporale l'ultimo anno, quanto ha pesato sul bilancio familiare il complesso delle spese che sostiene?

INDAGINE F.A.V.O. - CENSIS 2012	V.A. in MLN di €	INDAGINE F.A.V.O. - AIMAC 2018	V.A. in MLN di €
Spese mediche	2695	Spese mediche	2635
Visite specialistiche (comprese visite diagnostiche)	561	Visite specialistiche (comprese visite diagnostiche)	1182
Esami radiologici, medicina nucleare, altri esami	171	Esami radiologici, medicina nucleare, altri esami	65
Prestazioni fisioterapiche / di riabilitazione	34	Prestazioni fisioterapiche / di riabilitazione	42
Interventi di chirurgia ricostruttiva	25	Interventi di chirurgia ricostruttiva	425
Presidi sanitari (parrucca, protesi, ecc.)	143	Presidi sanitari (parrucca, protesi, ecc.)	38
Farmaci	1474	Farmaci	808
Infermiere privato	287	Infermiere privato	75
Spese non mediche	2122	Spese non mediche	2243
Colf / assistente domiciliare / badante	622	Colf / assistente domiciliare / badante	246
Trasporti	1232	Trasporti	947
Spese alberghiere, per vitto/alloggio in caso di spostamento	109	Spese alberghiere, per vitto/alloggio in caso di spostamento	621
Diete speciali	159	Diete speciali	214
		Supporto psicologico	23
		Trattamenti complementari / integrativi	113
		Altre spese	79

Fonte: Indagine F.A.V.O. - Censis 2012 e indagine F.A.V.O. - Aimac 2018

Tabella n°2

² Wildavsky, Aaron (1964). Leadership in a Small Town. Totowa (NJ), Bedminster Press.(1987). Speaking Truth to Power: The Art and Craft of Policy Analysis, 2nd ed. New Brunswick (NJ), Transaction Publishers. - ³ Moro, Giovanni (2005). Azione civica, Carocci editore, Roma FOREST, PG (2013) "Citizens As Analysts" Redux: Revisiting Aaron Wildavsky on Public Participation," Journal of Public Deliberation: Vol. 9 : Iss. 1 , Article 7. Available at: <https://www.publicdeliberation.net/jpd/vol9/iss1/art7>
⁴ <https://www.favo.it/osservatorio/undicesimo-rapporto/11-rapporto-cartella-stampa/file/494-costi-sociali-del-cancro-2018.html>

2. Tra le spese maggiori direttamente a carico del malato, quella per le visite mediche (1,1 miliardi), i trasporti e i soggiorni sul luogo di cura (1,5 miliardi), i farmaci (808 milioni) e gli interventi di chirurgia ricostruttiva (425 milioni).

3. Ma la malattia colpisce anche il lavoro e il reddito, soprattutto per le donne, che hanno perso giornate di lavoro o studio nel doppio dei casi degli uomini, e per i lavoratori in età tra 55 e 64 anni, che nel 45,8% dei casi hanno perso da 6 mesi ad un anno di lavoro nel corso dell'ultimo anno, e per i lavoratori autonomi.

Lo studio pone in evidenza poi tutte le misure necessarie per fare fronte ad una situazione abbastanza problematica, dimostrando come un osservatorio con informazioni provenienti dai pazienti sia uno strumento essenziale per monitorare lo stato delle cure e dei costi sostenuti.

Un termometro della sanità italiana

Proprio a dicembre 2019 è stato presentato il XXII Rapporto Pit-Salute di Cittadinanzattiva⁵, che costituisce da un ventennio un termometro prezioso dello stato dei servizi sanitari, grazie all'analisi di una media di 20.000 segnalazioni dei cittadini l'anno (tabella n°3).

Il Rapporto nasce da una metodologia rigorosa di analisi delle informazioni fornite dai cittadini che si rivolgono ai centri di ascolto e di assistenza e dell'associazioni e alle sedi di Tribunale per i diritti del malato.

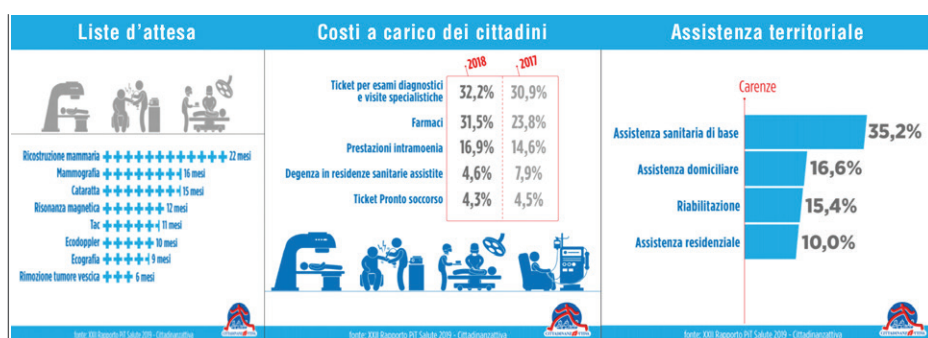


Tabella n°3

Quest'anno il titolo è stato "Il SSN tra attese e promesse disattese". I temi più presenti sono l'accesso alle cure, l'assistenza territoriale, la presunta malpractice e la sicurezza nelle cure, l'informazione, invalidità e handicap, i farmaci, l'assistenza ospedaliera e l'umanizzazione dei percorsi. Vale la pena sottolineare il monitoraggio che il Rapporto costantemente fa sulle liste d'attesa, vera pietra d'inciampo del servizio sanitario nazionale ed una degli ambiti di maggiore impegno di Cittadinanzattiva, assieme ai temi dei costi della sanità per il cittadino e dei buchi assistenziali della sanità territoriale. È significativo il fatto che, sia in occasione della presentazione del Rapporto FAVO, sia in quest'ultimo di Cittadinanzattiva, sia al lancio di quello sulle malattie rare e sulla sclerosi multipla, fossero le più importanti autorità sanitarie del Paese e che tali studi abbiano il patrocinio, tra gli altri, di soggetti significativi come la Federazione degli ordini dei medici (FNOMCeO), dei farmacisti (FOFI) e degli infermieri (FNOPI), il Centro Nazionale delle Ricerche (CNR), Fondazione degli oncologi (AIOM), la Società Italiana di Ematologia (SIE), Istituto Nazionale dei Tumori di Milano (INT),

la Federazione italiana medici di medicina generale (FIMMG), la Società italiana di Medicina Generale (SIMG), la Società Italiana di Chirurgia Oncologica (SICO), Federsanità ANCI, il Coordinamento Generale Medico-Legale dell'INPS, la Federazione italiana delle Aziende Sanitarie e Ospedaliere (FIASO) e la Direzione generale del Sistema informativo del Ministero della Salute. Ciò sta a significare in quale considerazione siano ormai tenuti i dati e le informazioni raccolte dalle associazioni civiche.

La forza delle persone con malattie rare

Se i due studi presentati hanno ormai una lunga esperienza di analisi civica "in practice", sono invece pochi anni, precisamente 5, che viene presentato MonitoRare⁶, Rapporto sulla condizione della persona con malattia rara in Italia, promosso da UNIAMO FIRM. L'area delle malattie rare appare oggi il settore sanitario dove sembrano essere stati fatti più passi in avanti nell'ambito della Patient Advocacy e dell'attivismo civico con un dinamismo notevole di iniziative. MonitoRare ha un grande pregio: mettere insieme tutte le informazioni riguardanti que-

⁵ <https://www.cittadinanzattiva.it/files/primopiano/salute/XXII-Rapporto-PiT-Salute-2019-abstract.pdf>
⁶ <http://www.uniamo.org/cosa-facciamo/monitorare/monitorare-2019/>

ste aree patologiche, con un occhio particolarmente attento all'aggiornamento normativo in continua evoluzione e al contesto europeo ed internazionale, che rappresenta lo scenario di riferimento essenziale a partire dalla raccomandazione del Consiglio del 2009 su un'azione europea nel campo delle malattie rare adottata dalla Commissione europea, dal Parlamento europeo, dal Comitato europeo delle regioni, dal Comitato economico e sociale europeo, dall'Unione europea e dai 28 Stati membri, con i piani nazionali. Il Rapporto spazia nei vari campi in cui si articola la vita di una malattia rara, e cioè il ruolo delle Associazioni e dell'empowerment, la ricerca, l'assistenza, i servizi socio-sanitari, sociali, scolastici e del lavoro. La metodologia incrocia il sistema di indicatori previsto dal monitoraggio del Piano nazionale malattie rare e dalle normative vigenti, con altri che sono stati ricavati dall'esperienza maturata da UNIAMO FIMR. Data l'ampiezza del Rapporto può essere utile soffermarsi proprio sulla prima parte, cioè sul ruolo e le attività delle associazioni dei pazienti. Complessivamente le associazioni italiane di persone con malattia rara registrate sul sito www.orpha.net sono 328, al 31.12.2018. Il fanalino di coda è rappresentato dal Mezzogiorno. Da qui è nato il progetto "VOCIFERARE – La voce del paziente raro" per rafforzare la rappresentanza delle associazioni delle persone con malattia rara nelle regioni del Sud. Grazie a questa iniziativa, UNIAMO ha potuto aggiornare la mappatura delle

Numero di associazioni di persone con malattia rara (PcMR) registrate sul sito di Orphanet: il dato europeo e il dato italiano

Anno	Numero di associazioni di PcMR registrate al 31.12	...di cui italiane
2014	2.562	323
2015	2.716	332
2016	2.537	318
2017	2.594	325
2018	2.634	328

Fonte	Periodo di riferimento
Orphanet	2014 - 2018

Tipologia di informazione	Area del PNMR di riferimento
Output	5

Tabella n°4

associazioni di persone con malattia rara presenti sul territorio italiano, incrociando diversi dati (Orphanet innanzitutto, ma anche il sito del Centro Nazionale Malattie Rare – Istituto Superiore di Sanita, le Associazioni Amiche di Telethon, dati regionali). La mappatura ha permesso di registrare un numero maggiore aggiornato al 2019 di associazioni pari a 561, segno di una grande vitalità del settore (tabella n°5). Ha inoltre permesso di individuare la presenza delle associazioni nei tavoli partecipativi attivati al livello regionale, per costruire un lavoro comune tra i Centri Regionali di coordinamento delle malattie rare e le associazioni dei pazienti (tabella n°6). D'altra parte, tutta l'attività delle organizzazioni civiche delle persone con malattie rare ha da sempre una impronta partecipativa, intesa come confronto e collaborazione continua con le istituzioni e i diversi stakeholder. Come nel caso dell'European Patient Advocacy Group (ePAG), promosso da EURORDIS a livello europeo, che garantisce la rappresentanza dei malati rari nella definizione delle diverse reti

Distribuzione delle associazioni di persone con malattia rara per Regione numero e tasso per 100.000 abitanti - Fonte UNIAMO F.I.M.R.

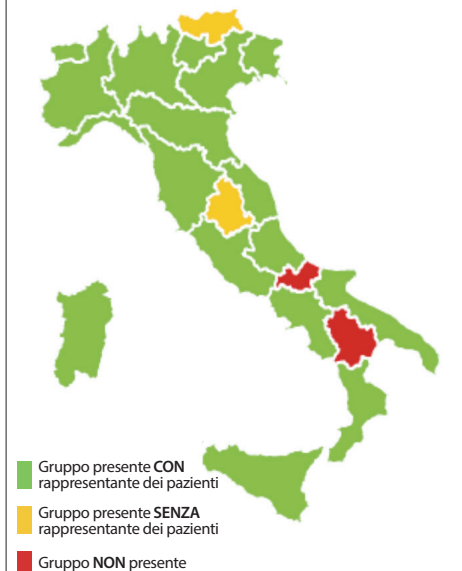
Regione	Anno 2018		
	N	%	Tasso x 100.000
Abruzzo	5	0,9%	0,38
Basilicata	3	0,5%	0,53
Calabria	6	1,1%	0,31
Campania	28	5,0%	0,48
Emilia Romagna	42	7,5%	0,94
Friuli Venezia G.	7	1,2%	0,58
Lazio	105	18,7%	1,78
Liguria	16	2,9%	1,03
Lombardia	113	20,1%	1,13
Marche	4	0,7%	0,26
Molise	2	0,4%	0,65
Trentino Alto Adige	7	1,2%	0,66
Piemonte	27	4,8%	0,62
Puglia	36	6,4%	0,89
Sardegna	17	3,0%	1,03
Sicilia	48	8,6%	0,96
Toscana	51	9,1%	1,36
Umbria	4	0,7%	0,45
Valle d'Aosta	0	0,0%	0,00
Veneto	40	7,1%	0,82
TOTALE	561	100%	0,93

Fonte	Periodo di riferimento
Rilevazione UNIAMO	2018

Tipologia di informazione	Area del PNMR di riferimento
Output	5

Tabella n°5

Presenza dei rappresentanti delle associazioni delle persone con malattia rara nei gruppi di indirizzo regionale sulle malattie rare



Fonte	Periodo di riferimento
Orphanet	2018

Tipologia di informazione	Area del PNMR di riferimento
Output	1,5

Tabella n°6

di riferimento ERN, con una presenza italiana molto forte (1/5 dei rappresentanti); oppure l'Alleanza malattie rare tra l'Intergruppo parlamentare sulle malattie rare e ben 85 associazioni, grazie allo spirito di iniziativa di OSSFOR (Osservatorio farmaci orfani), di CREA Sanità (Consorzio per la Ricerca Economica applicata in Sanità) e di OMAR (Osservatorio Malattie Rare). Da sottolineare, inoltre, la rete di supporto garantita dai siti web e dagli helpdesk: primo fra tutti, il sito di Orphanet, con 18 milioni di accessi nel 2018 e una percentuale di nuovi visitatori altissima (tabella n° 7). Altre iniziative internazionali sono riportate nello studio, sempre ad opera della rete associativa. Accanto al Numero Verde del **Centro di coordinamento nazionale delle malattie rare** dell'Istituto superiore di Sanità, che coordina anche i vari helpdesk istituzionali diffusi sul territorio, le associazioni svolgono una attività di assistenza alle persone, mostrando quale ruolo sussidiario questa rete sta garantendo a supporto dei cittadini.

Per un mondo libero dalla Sclerosi Multipla

In ultimo, ma non in ordine di importanza, è necessario citare il Barometro sulla sclerosi multipla 2019⁸, realizzato da AISM e nato dalla Carta dei Diritti e dall'Agenda della SM 2015-2020, che è cresciuto come strumento per misurare la realizzazione e per coinvolgere tutti gli stakeholder nel percorso verso un mondo libero dalla sclerosi multipla. Sono tantissime le

Le Helpline delle associazioni

Il 72% delle associazioni offre un servizio di help line telefonica dedicato. Il restante 28%, pur in assenza di un servizio strutturato allo scopo, è contattabile in altro modo per chiedere informazioni, orientamento, e/o supporto. La copertura territoriale del servizio di help line risulta per il 79% a livello nazionale e addirittura per il 15% a livello internazionale. Il 43% delle associazioni offre il servizio di help line 24h/24. Le aree di intervento con maggior copertura tra le help line associative sono: l'orientamento rispetto alla rete dei servizi sanitari, come centri di competenza, laboratori di screening e biobanche (81% delle help line); il supporto emotivo (72%); l'orientamento rispetto i diritti esigibili, come esenzioni, pensione di invalidità o indennità di accompagnamento (66%) e l'orientamento rispetto al mondo associativo (64%).

Il numero totale di chiamate ricevute dalle help line associative mappate nel 2018 è stato superiore a 7.000 (n=7.229). A completare il quadro nazionale, il Servizio di Ascolto Informazione e Orientamento sulle malattie rare (SAIO) che UNIAMO gestisce dal 2017 grazie al contributo dell'Otto per Mille della Chiesa Valdese. Lo scorso 4 ottobre UNIAMO ha presentato una Guida operativa sulle helpline associative⁷, sui passi da fare per attivare o trasformare il servizio di ascolto e informazione in un servizio sempre più efficace e strutturato.



fonti che il Rapporto utilizza, da quelle istituzionali a quelle cliniche, da quelle della ricerca sociale a quelle economiche. Tra i dati più significativi di questa malattia:

- Colpisce oltre 122.000 persone in Italia con una diffusione doppia nelle donne rispetto agli uomini; si stimano più di 3.400 nuovi casi l'anno, con un'incidenza tra 5.5 e 6 su 100.000 in Italia (12 su 100.000 per la Sardegna);
- In Italia il costo totale per la sclerosi multipla è di oltre 5 miliardi di euro all'anno e il costo medio per persona con SM è di 45.000 euro;
- Complessivamente per la sclerosi multipla viene stimato che la spesa previdenziale e assistenziale sia di circa 148 milioni di euro annui;

Percentuale di nuovi visitatori del sito www.orpha.net e dal sito www.orphanet-italia.it

Anno	Percentuale di nuovi visitatori (totale) www.orpha.net	Percentuale di nuovi visitatori www.orphanet-italia.it
2014	63,18%	82,35%
2015	37,13%	84,54%
2016	68,70%	82,80%
2017	66,04%	89,60%
2018	83,00%	90,40%

Tabella n°7

- Il costo dei farmaci è di 681,8 milioni di euro (+ 19 milioni di euro rispetto all'anno precedente), per un totale di oltre 685 milioni di euro.
- Sono 13 i PDTA regionali dedicati alla SM, ai quali si aggiungono altri 2 in via di finalizzazione: 3 Centri su 4 dichiarano l'esistenza al proprio interno di un PDTA aziendale per la SM, ma il problema è la loro applicazione;
- In campo socioassistenziale e socio-

⁷ <https://bit.ly/2QRXQEi>

⁸ https://www.aism.it/sites/default/files/Barometro_della_SM_2019estratto.pdf

sanitario, tra i bisogni più citati, vi è quello dell'assistenza personale nella gestione delle attività familiari (cura personale, aiuto domestico). Emerge in particolare come il bisogno riabilitativo sia quello maggiormente insoddisfatto, con ricorso alle strutture e servizi forniti dal privato;

- Oltre il 95% dei caregiver ha dedicato, negli ultimi 3 mesi, tempo libero per assistere la persona con SM. Nel 17% i familiari hanno compromesso la propria attività professionale con il 5% dei familiari costretto all'abbandono dell'attività lavorativa per prendersi cura della persona con SM;

- Diffusa la necessità (circa 1/3 dei pazienti) di lasciare il lavoro a causa della SM e ancora di più sono coloro che hanno difficoltà economiche, dato in crescita rispetto al 2013.

Un notevole contributo è stato fornito da AISM, tramite la sua Fondazione FISM, con la istituzione, assieme ad altri soggetti scientifici ed istituzionali, del Registro Italiano Sclerosi multipla, che garantisce un grande lavoro di raccolta dati e informazioni, di monitoraggio e di analisi della situazione dopo malattia (si veda *pox a lato*). È significativo il fatto che uno strumento, essenziale per un approccio sistematico alla patologia sia nato per iniziativa di una associazione di pazienti, a riprova del ruolo che esse vanno assumendo nelle policy sanitarie. Al termine di questa breve carrellata, ciò che emerge maggiormente è la funzione non secondaria che questo mondo sta svolgendo per la tenuta del servizio sanitario, grazie alle informazioni e alle analisi che fornisce, al contributo

REGISTRO ITALIANO SCLEROSI MULTIPLA

Nel 2015, FISM e l'Università di Bari, con il coinvolgimento della Società Italiana di Neurologia (SIN), Centri clinici italiani per la SM e il contributo organizzativo dell'Istituto Mario Negri, hanno lanciato il Progetto di ricerca Registro italiano sclerosi multipla. L'obiettivo è di creare una struttura multicentrica e raccogliere i dati di tutti i pazienti con SM seguiti nei diversi Centri, con finalità di ricerca. L'intenzione è far confluire tutte le iniziative oggi esistenti sul territorio italiano perché si sviluppi un registro italiano di malattia sulla sclerosi multipla permanente con finalità di ricerca, che consenta l'avanzamento delle conoscenze sulla storia naturale della malattia e la sua evoluzione nel tempo, la raccolta di dati epidemiologici, sociali e assistenziali. I dati del Registro saranno inoltre utili per promuovere l'equità di accesso alle cure nonché per valutare le politiche assistenziali di carattere nazionale e locale, opportunamente integrati con i flussi derivanti dai sistemi informativi nazionali e regionali. Dal 2016, una rete di assistenti di ricerca dedicati implementa il progetto per assicurare la completezza e la qualità dei dati raccolti, coprendo 10 regioni: Lazio, Lombardia, Liguria, Toscana, Piemonte, Abruzzo, Campania, Puglia, Sardegna e Sicilia

concreto di interlocuzione con gli organi istituzionali, ai servizi che garantisce in modo autonomo ma anche in collaborazione con i pubblici poteri. Il caro vecchio Wildanski potrebbe esserne soddisfatto del profilo che si stanno costruendo tali organizzazioni in Italia: egli sosteneva che la partecipazione non è esercizio diretto di autorità politica, ma consente lo sviluppo di policy migliori e di istituzioni più sostenibili. I cittadini non hanno necessità di partecipare in ogni singola decisione, ma devono sentire che tutto il processo è stato disegnato tenendo conto dei loro interessi.

PROMUOVERE LA PARTECIPAZIONE DELL'ASSOCIAZIONISMO: UNA SVOLTA NELLA GOVERNANCE DEL SISTEMA SANITARIO REGIONALE

di Alessio D'Amato

Assessore alla Sanità e l'Integrazione Sociosanitaria della Regione Lazio

Vogliamo migliorare e implementare

il coinvolgimento dell'associazionismo e del volontariato con l'obiettivo di monitorare e migliorare le politiche regionali in materia sanitaria. Con l'approvazione del 'Participation Act' stiamo attuando una vera e propria svolta nella governance del sistema sanitario regionale. Abbiamo recentemente pubblicato sul portale regionale (www.regione.lazio.it), nel canale 'Sanità', tutte le informazioni utili e la modulistica a disposizione delle Associazioni e delle organizzazioni a tutela della salute dei pazienti e dei loro familiari. Si apre con questo Atto di indirizzo un percorso innovativo che vede insieme Regione, operatori e associazioni, nell'elaborazione, monitoraggio e valutazione dei percorsi di salute. Tale Atto rappresenta allo stesso tempo una sfida unica nel panorama italiano: il protagonismo delle organizzazioni civiche, delle associazioni di malati cronici e rari come modello di sviluppo per una sanità partecipata. Con la delibera 736/2019, infatti, la

Regione Lazio ha deciso di promuovere la partecipazione dell'associazionismo nella programmazione e valutazione dei servizi sanitari regionali. Viene istituita, presso l'Assessorato regionale, una vera e propria Cabina di regia che rappresenta la sede istituzionale per il confronto tra la Regione e le organizzazioni sulle politiche e le iniziative regionali messe in campo.

E inoltre, una volta l'anno si riunirà l'Assemblea delle organizzazioni di tutela dei pazienti, che rappresenta lo strumento di confronto pubblico.

La Cabina di regia, che si riunirà con una frequenza trimestrale, ha la funzione di ascolto e di interlocuzione, e definisce inoltre i criteri di priorità per esaminare le proposte avanzate dalle organizzazioni. La Cabina di regia attiverà inoltre la consultazione delle organizzazioni, in relazione a iniziative regionali ritenute prioritarie, e potrà attivare tavoli tematici e per patologie specifiche con la partecipazione dei rappresentanti dei professionisti.

Sono stati individuati dei Gruppi di partecipazione attiva a cui aderiscono liberamente le organizzazioni in rappresentanza dei pazienti delle seguenti patologie: autoimmuni e reumatologiche, rare, diabete e metaboliche, cardiocircolatorie, respiratorie, oncologiche, neurologiche e neurodegenerative, renali croniche, psichiatriche, neuropsichiatriche infantili e dipendenze patologiche. Le organizzazioni che intendano partecipare ai gruppi dovranno dichiarare di essere registrate in Italia o in Europa e operative nel territorio regionale, essere iscritte al Registro unico

nazionale del terzo settore (RUNTS), che pazienti e loro caregiver rappresentino la maggioranza degli iscritti, che gli organi direttivi siano democraticamente eletti dagli iscritti e che rendano pubblici i finanziamenti ricevuti.

L'intesa regionale qui illustrata è stata condivisa con le associazioni dei malati cronici e rari del Lazio: FederDiabete Lazio, AISC, AISM, APNOICI Parent Project e dal Coordinamento Regionale delle Associazioni dei malati cronici e Rari del Lazio (CRAMC Lazio) promosso da Cittadinanzattiva Lazio a cui aderiscono l'Associazione italiana pazienti BPCO Onlus, AIC Lazio (Associazione Italia Celiaci), Azione Parkinson, AIL Lazio (Associazione Italiana contro la leucemia-linfomi e i mielomi), Associazione malati di reni, ASBI (Associazione Italiana Spina Bifida), FAIS (Federazione Associazioni Incontinenti e Stomizzati), Bianco Airone pazienti Onlus, AISC Lazio (Associazione Italiana Scompenzati Cardiaci), ASMARA (Sclerodermia e altre malattie rare "Elisabetta Giuffrè"), ALMAR Lazio (Associazione Lazio Malati reumatici), A.L.I.Ce. (Associazione per la lotta all'ictus Cerebrale) onlus - Regione Lazio, A.P.E. Onlus - Associazione Progetto Endometriosi Onlus, SIMBA, Libellula Libera.

SCREENING NEONATALE PER LA SMA: UNA STORIA DI SUCCESSO

di Daniela Lauro

Presidente nazionale Famiglie SMA

Lo screening neonatale, partito dal 5 settembre nel Lazio e previsto nei

prossimi mesi anche in Toscana, può cambiare il destino di un neonato affetto da Atrofia Muscolare Spinale.

La SMA è una malattia rara – che colpisce in Italia 1 bambino su 6 mila – che, in assenza di una corretta presa in carico e oggi dell'avviamento ad una terapia, è stata a lungo la prima causa di morte genetica infantile, limitando o impedendo attività come gattonare, sedersi e stare in piedi, controllare il collo e la testa e, nei casi più gravi, deglutire e respirare. Per Famiglie SMA, l'associazione che da oltre 18 anni rappresenta i pazienti e le loro famiglie, lo screening determina una rivoluzione: la diagnosi non è più una condanna ma un salvavita. Il test – volontario e gratuito - permette di avere con certezza la diagnosi quando ancora la malattia non ha fatto il suo esordio e quindi prima che produca danni gravi ed irreversibili. In caso positivo, il bambino potrà essere immediatamente trattato ed ottenere uno sviluppo normale simile a quello dei coetanei sani. Da circa due anni è infatti in commercio anche nel nostro Paese la prima terapia al mondo in grado di rallentare – e in alcuni casi arrestare – l'avanzare della patologia. In fase presintomatica i risultati sono molto più efficaci, e si assiste a un cambiamento della storia naturale della patologia, come dimostra lo studio Nurture pubblicato lo scorso 6 novembre. Tutti i pazienti inclusi nel trial sono sopravvissuti a un'età media di 34,8 mesi e hanno acquisito la capacità di sedersi autonomamente (capacità non prevista nelle forme più gravi di SMA). L'88% di

loro riesce perfino a camminare senza aver bisogno di assistenza. Il progetto pilota di screening con finalità epidemiologiche - coordinato dall'Università Cattolica del Sacro Cuore di Roma - è stato realizzato grazie all'impegno di Famiglie SMA in collaborazione con i centri dello screening neonatale regionali, i centri nascita di Lazio e Toscana, le Istituzioni regionali, e al supporto non condizionato dell'azienda farmaceutica Biogen. In due anni (questa la durata prevista del progetto) si stima di raggiungere nelle due Regioni 140 mila neonati, e di individuare circa 20/28 bambini con SMA. Ad oggi nel Lazio sono partiti il 94% dei centri nascita e hanno aderito il 90% delle famiglie, sono stati sottoposti allo screening circa 8mila neonati. Una storia di successo realizzata con l'impegno e la costanza di tutti i soggetti coinvolti, che ha richiesto una preparazione di circa due anni e il superamento di diversi ostacoli. Il percorso è infatti iniziato nell'autunno del 2017, quando Famiglie SMA ha attivato gli incontri per informare e sensibilizzare i punti nascita sulla patologia. I primi approcci non sono stati facili: c'è stata un'iniziale diffidenza dovuta alla scarsa conoscenza dell'argomento, si prospettavano difficoltà organizzative legate al coinvolgimento di tutti i centri nascita e il numero degli attori da tenere insieme. Non da meno era la paura per i costi economici da sostenere. Problemi superati grazie a diversi fattori, sempre sostenuti da pazienza e determinazione. Prima di tutto la capacità di dialogo: il tavolo con tutti

i soggetti coinvolti nel processo ha consentito una costante condivisione di intenti e strategie; fondamentale anche la trasparenza con cui si sono trattati i temi sui costi e gli ostacoli da superare, grazie alla quale c'è stata una reale consapevolezza delle tappe da percorrere. Importantissimo anche il coinvolgimento del Presidente della Regione Lazio, grazie al quale è stata garantita la volontà politica per realizzare il progetto. Lo screening neonatale può davvero cambiare la storia della malattia e per l'associazione è una delle vittorie più importanti degli ultimi anni. Le esperienze nel Lazio e in Toscana dovrebbero ora servire da apripista per l'estensione in tutta Italia. L'impianto normativo c'è: a dicembre 2018 è stato approvato nella Legge di Bilancio 2019 l'emendamento che modifica la Legge 167/16 e allarga la platea dello screening neonatale prima riservato solo alle malattie metaboliche ereditarie. Ora servono i decreti attuativi per garantire le stesse opportunità a tutti i pazienti e alle loro famiglie.

**“PRENDERSI CURA”,
L'ESPERIENZA DEL CLINICO
Di Alessandra Borchiellini
C.R.R. Malattie Trombotiche ed
Emorragiche dell'Adulto, A.O.U. Città della Salute e della Scienza, Ospedale Molinette, Torino**

Nell'ambito del percorso di formazione in Medicina e Chirurgia ci viene insegnata l'attenzione non solo alla malattia ma alla persona nel suo insieme, e durante la specializzazione, quando

le basi delle conoscenze e della “sensibilità umana” sono state ormai fondate, comprendiamo sempre più durante l'attività clinica come sia importante non curare, ma prendersi cura del paziente, conducendolo attraverso il percorso che è fatto di aspetti diversi e sfaccettati. Dobbiamo scegliere il trattamento più adatto al paziente, attuando quella personalizzazione della terapia che permette di raggiungere la maggior efficacia della terapia stessa, ma dobbiamo anche persuadere il paziente ad aderire alla terapia, aiutarlo nel momento in cui viene a mancare il care-giver o per la prima volta questa figura diventa fondamentale, necessità che spesso coincidono con la nostra presa d'atto della realtà di solitudine più o meno recente del paziente o con il suo invecchiamento. Si deve infine intercettare l'ansia e la depressione che ne possono derivare. Compiti tutti impegnativi, che a volte si sovrappongono nelle poche decine di minuti che abbiamo a disposizione nei nostri ambulatori. Impariamo pertanto, strada facendo, nel percorso di formazione di medici e medici specialisti, come affrontare, capire e farci capire dal malato, attraverso frustrazioni e soddisfazioni, sconfitte e vittorie. Nell'ambito delle malattie rare, e in particolare dell'emofilia di cui mi occupo, il rapporto è ancora più stretto ed evolve nel tempo, prendendo in carico il paziente al termine dell'età pediatrica e accompagnandolo nell'età adulta, condividendo con i pazienti le ansie per le figlie portatrici e future mamme, la frustrazione per le difficoltà

tà e gli sforzi per essere presenti e utili per i figli e coniugi, pur con i limiti fisici imposti dalla malattia, e poi aiutandoli a mantenere l'autonomia in età avanzata, quando altre patologie complicano la non già facile quotidianità. Se quindi il percorso di umanità è già insito nel progetto di coloro che desiderano essere medici e cresce mano mano durante le giornate di ambulatorio e di corsia, non altrettanto tracciata è la strada che ci guida nella capacità di interlocuzione con le istituzioni.

Eppure sempre più, soprattutto nell'ambito delle malattie rare e, per quanto mi riguarda in particolare modo in emofilia, proprio perché patologie non note a tutti gli operatori in sanità, ci viene chiesto di essere portavoce e punto di incontro fra le due realtà: consapevoli delle difficoltà quotidiane dei pazienti, dal ritiro del farmaco al supporto infermieristico, dal faticoso esercizio dell'attività lavorativa al desiderio di normalità, condizioni queste ultime che necessitano di una copertura emostatica adeguata e costante, cerchiamo di rendere condivise e condivisibili le nostre scelte terapeutiche di medici esperti in emofilia con le istituzioni e di essere i primi interlocutori anche per l'associazione pazienti. Si vede perciò che ancora una volta l'interazione fra competenze professionali e potenziale umano di ognuno di noi è cruciale, perché le indicazioni mediche siano parte di un obiettivo comune di benessere e ottimizzazione delle risorse, realizzando quella alleanza medico - paziente che credo sia la migliore scelta verso

una buona economia sanitaria. D'altra parte dobbiamo restare aperti verso le richieste di contribuire con le nostre scelte alla razionalizzazione delle risorse e alla sostenibilità della spesa farmaceutica, dobbiamo mediare e far dialogare due aspetti della nostra attività lavorativa, esaltando le competenze umane e scientifiche e coltivando qualche inclinazione manageriale: questo è il compito e la sfida più impegnativa, faticoso impegno quotidiano in cui mi sento ora più che mai coinvolta e a volte un po' a disagio.

L'ASSOCIAZIONE COAGULOPATICI EMOFILICI PIEMONTESI: ESPERIENZA E RUOLO DI UN'ASSOCIAZIONE SUL TERRITORIO

di Elena Gaiani

Presidente ACEP-ODV

L'Associazione Coagulopatici Emofilici Piemontesi "Massimo Chesta" ODV (ACEP ODV) nasce nel 1997 su iniziativa di pazienti e genitori di piccoli pazienti, tutti accomunati dal medesimo bisogno di condividere le esperienze e le difficoltà legate alla patologia dell'emofilia, e di dover diventare, nei confronti delle strutture sanitarie e delle istituzioni pubbliche in generale, dei protagonisti e interlocutori necessari, da coinvolgere nel processo di adozione delle scelte inerenti la cura e l'assistenza dei pazienti affetti da coagulopatie.

Grazie al sostegno economico di soggetti privati e ai contributi e alle donazioni provenienti dalle famiglie dei

pazienti emofilici, la nostra Associazione è riuscita, nel corso degli anni, a realizzare lo scopo che si è da sempre prefissa, riuscendo innanzitutto a far riconoscere, dalla Regione Piemonte, la necessità improrogabile di creare un centro di riferimento per la cura delle coagulopatie all'interno dell'ospedale Molinette di Torino e Ospedale Infantile Regina Margherita, con personale sanitario e medico in possesso delle competenze specifiche nel trattare tali patologie. Questa è stata un'oggettiva "vittoria" dell'Associazione.

Grazie al continuo confronto e all'iniziativa dei medici, che ormai da anni seguono i nostri associati e i pazienti affetti da coagulopatie, gli emofilici piemontesi hanno potuto accedere a percorsi diagnostici terapeutici e assistenziali sempre aggiornati - tra cui la somministrazione del fattore mancante "on demand" (su richiesta) all'uso della profilassi - con miglioramento delle condizioni di salute e della qualità di vita degli stessi pazienti. Fin dalla sua nascita, l'ACEP ODV ha sempre cercato di rapportarsi in maniera schietta con le istituzioni, presentando le problematiche degli emofilici e provocando la risoluzione delle stesse, il che ha consentito di raggiungere l'importante risultato che la Regione Piemonte, prima rispetto a tutte le altre Regioni, ha recepito l'accordo Stato Regioni sulla definizione dei percorsi regionali o interregionali di assistenza per le persone affette da Malattie Emorragiche Congenite (cfr. DCA n. U00034 del 29.1.2015), ed ha predisposto un piano di organizza-

zione dell'assistenza dei pazienti affetti da MEC, attraverso la definizione di una rete di presidi sanitari in grado di garantire cure adeguate all'interno dei PDTA (Percorsi Diagnostici Terapeutici Assistenziali, ad oggi tuttavia non ancora adottati).

Il ruolo dell'Associazione, all'interno della strada tracciata con l'approvazione e l'adozione dell'Accordo Stato Regioni sulle MEC, è quello di continuare a rappresentare i pazienti nei tavoli istituzionali e vigilare affinché gli interventi delineati nell'Accordo medesimo siano attuati in concreto, nel rispetto dei principi sanciti dalla "Carta dei diritti della persona con emofilia". L'azione di ACEP ODV è indubbiamente rivolta anche ai propri associati e alle persone che si riconoscono nello scopo sociale della tutela del paziente e del miglioramento continuo della qualità di vita dei pazienti emofilici e coagulopatici, attraverso sia la programmazione e realizzazione di progetti tesi ad offrire servizi sanitari nelle situazioni di carenza delle strutture sanitarie pubbliche, sia attraverso il vero e proprio associazionismo e la sensibilizzazione verso la malattia, varie iniziative come il progetto "Ridisegniamo l'emofilia" che ha visto la partecipazione di nostri "atleti" all'edizione 2019 della Color Run organizzata dalla Città di Torino, e il progetto "Be side", uno spettacolo teatrale che, con originalità, tratta la patologia dell'emofilia, rendendola comprensibile a tutti. La nostra associazione ha avviato molti altri progetti, tra i quali si evidenziano: "Alziamo il sipario: i prota-

gonisti siete voi", che prevede la presenza e l'assistenza di psicologi per i pazienti; il progetto "Ben essere", a cui partecipano grandi e piccini e che consente loro di rapportarsi alla robotica e realizzare, alla conclusione del percorso, un robot.

Molte sono le sfide che la nostra associazione deve affrontare, a partire da ciò che attualmente costituisce una vera e propria criticità: per noi è infatti da rigettare l'ottica di mero contenimento della spesa farmaceutica regionale a discapito della personalizzazione della terapia che, in riferimento alla specifica tipologia dei pazienti da trattare, ha finora caratterizzato la cura degli emofilici.

La sfida quotidiana che la nostra associazione deve affrontare è quindi correlata all'esigenza di dover essere un valido connettore tra medici e pazienti, e tra i pazienti e le istituzioni, ma ciò potrà avvenire solo quando anche le istituzioni stesse faranno lo sforzo di riconoscere il ruolo fondamentale delle associazioni coinvolgendole nei processi di decisione, ciò che purtroppo non sempre avviene. Il nostro auspicio è che si possa fin da ora rendere continuo e consolidato il dialogo e un confronto aperto con le nostre Istituzioni e con tutti gli attori impegnati nella cura a trecentosessanta gradi del paziente emofilico e coagulopatico, e che si possa di concerto trovare gli strumenti più idonei che possano anche condurre ad una efficace ed equa pianificazione dei costi di gestione dei pazienti emofilici, oltre che di razionalizzazione ed ottimizzazione della spesa farmaceutica.

CONCLUSIONI

di **Walter Gatti**

Direttore Editoriale IHPB

I contributi qui raccolti e presentati fanno parte (come già detto nell'Introduzione) di un Progetto ampio e strutturato che ALTIS sta sviluppando con il contributo di esperti, associazioni, istituzioni.

Si tratta di una ricognizione strategica (per tornare sulle parole utilizzate dallo European Centre for Disease Prevention and Control dell'UE) che ha tutte le caratteristiche dalla novità, perché probabilmente l'analisi della capacità del mondo associativo di incidere sulla cultura e sulle scelte della politica nel nostro Paese è stata fino ad oggi assente dallo scenario e dal dibattito.

Una ricognizione che in questo numero della nostra testata ha accolto in primis l'intervento della Regione Lazio con la sua nuova legge che è già modello virtuoso di riferimento per chi opera nel settore.

Il dialogo che oggi avviamo proseguirà con una serie di eventi e di pubblicazioni editoriali che coinvolgeranno tutti gli attori del sistema e tutte le realtà operanti nel settore, dando ampio spazio alle esperienze realizzate con caregiver, clinici, strutture e organizzazioni sanitarie coinvolte.

Con un primo obiettivo comunque già raggiunto: bucare la cortina di silenzio che ancora avvolge il rapporto essenziale tra realtà associative che raccolgono sia pazienti che loro famigliari e mondo delle istituzioni.

Italian Health Policy Brief

Anno X - N° 1 - 2020

Direttore Responsabile

Stefano Del Missier

Direttore Editoriale

Walter Gatti

Direttore Editoriale Altis

Marcello Portesi

Editore



ALTIS Omnia Pharma Service S.r.l.

Segreteria di Redazione

Ilaria Molteni

Tel. +39 02 49538303

info@altis-ops.it

www.altis-ops.it

Comitato esperti

Achille Caputi
Claudio Cricelli
Roberto Labianca
Antonio Nicolucci
Francesco Ripa Di Meana
Carlo Signorelli
Ketty Vaccaro
Antonello Zangrandi

Tutti i diritti sono riservati, compresi quelli di traduzione in altre lingue. **Nota dell'Editore:** nonostante l'impegno messo nel compilare e controllare il contenuto di questa pubblicazione, l'Editore non sarà ritenuto responsabile di ogni eventuale utilizzo di questa pubblicazione nonché di eventuali errori, omissioni o inesattezze nella stessa. Ogni prodotto citato deve essere utilizzato in accordo con il Riassunto delle Caratteristiche di Prodotto (RPC) fornito dalle Case produttrici. L'eventuale uso dei nomi commerciali ha solamente l'obiettivo di identificare i prodotti e non implica suggerimento all'utilizzo.