



EURORDIS Organizzazione Europea a supporto delle persone affette da malattia rara

Simona Bellagambi

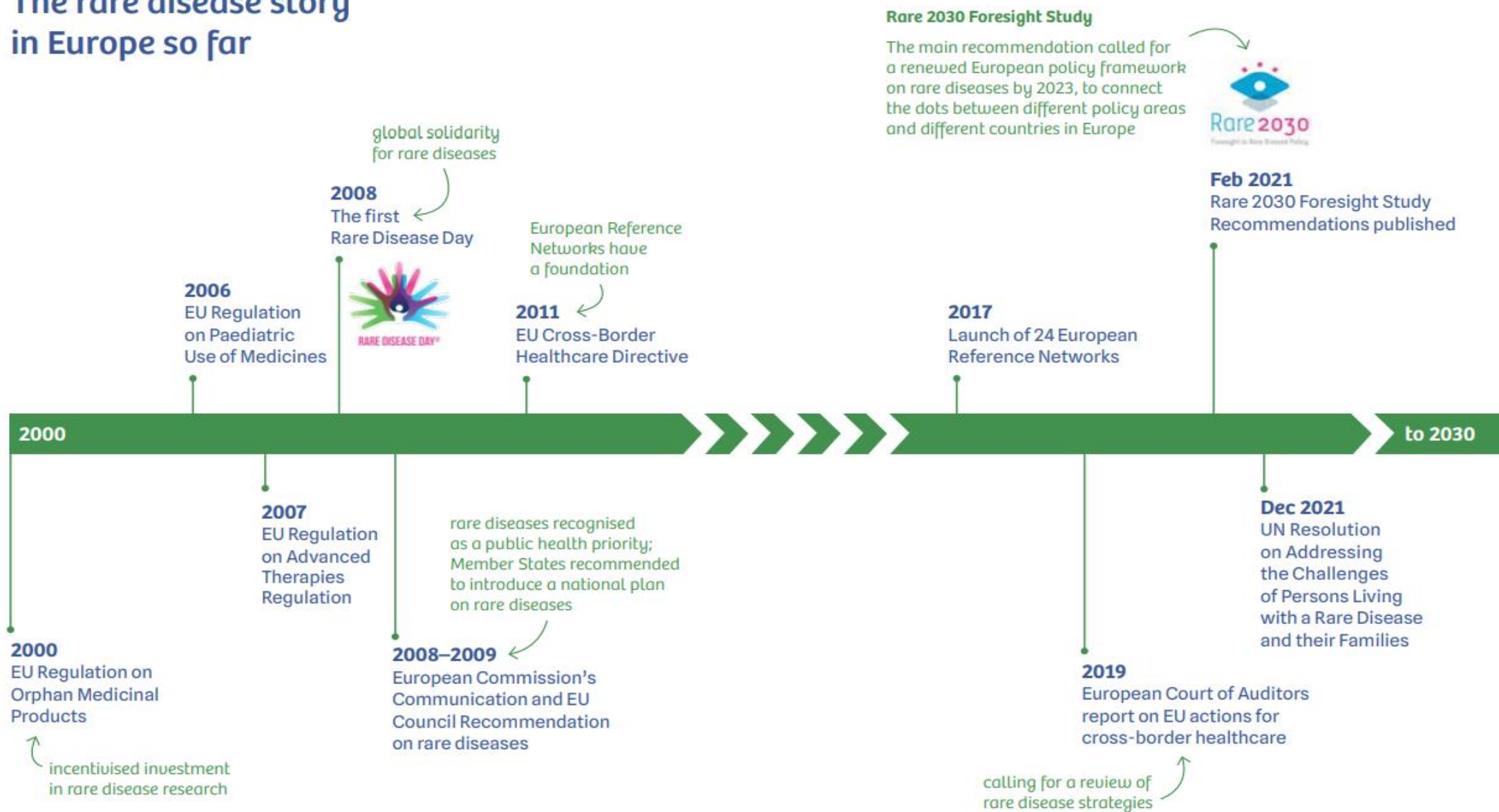
Vice Presidente EURORDIS-Rare Diseases Europe

L'assistenza sanitaria transfrontaliera: quali diritti per i pazienti e quale cooperazione tra gli stati membri dell'Unione Europea

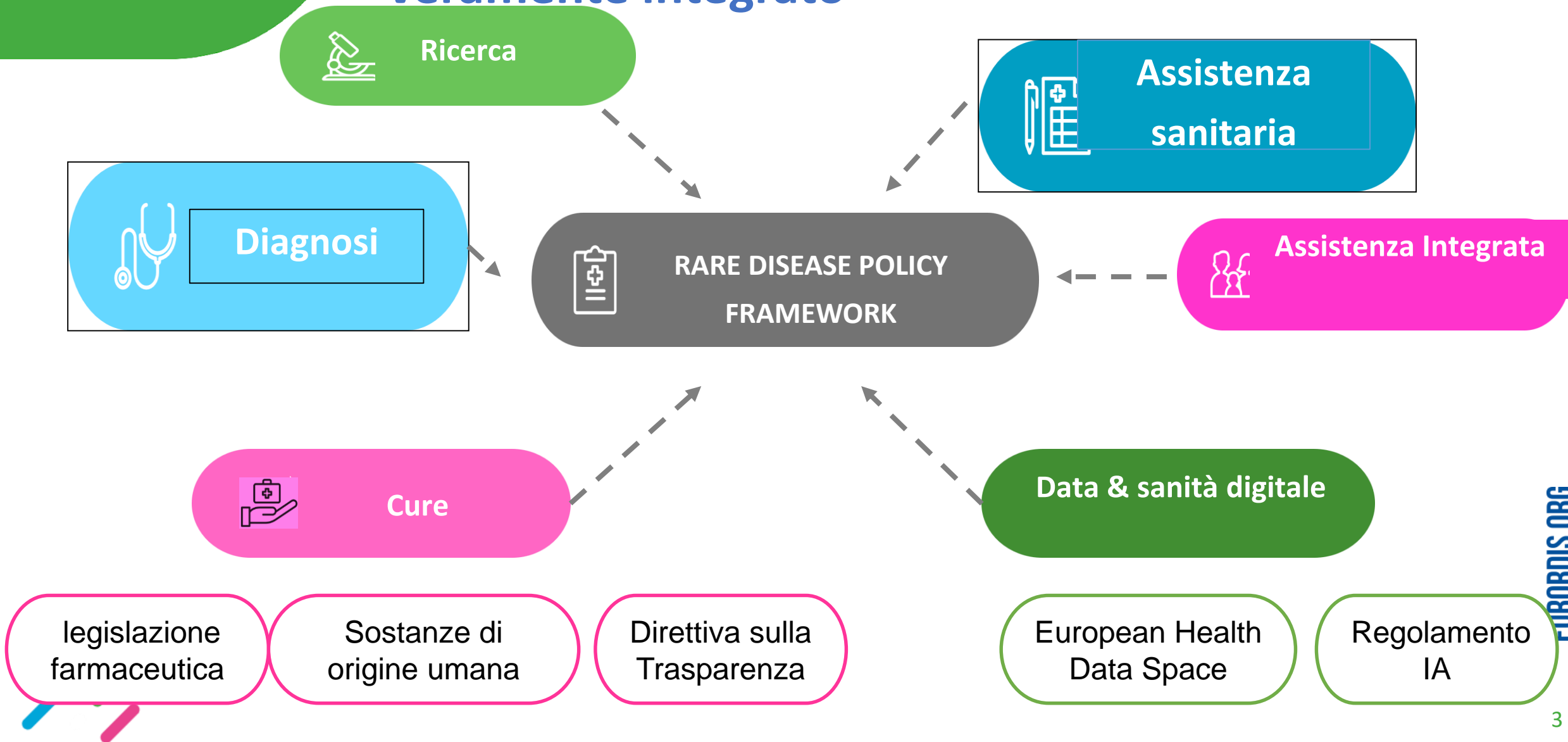
Sala Auditorium Biagio D'Alba,

Roma, 11 Aprile 2024

The rare disease story in Europe so far



La nostra sfida in Europa: realizzare un ecosistema veramente integrato



RARE 2030

OBIETTIVO 3

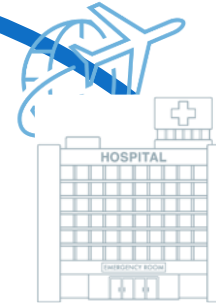
“Tutti i cittadini possono esercitare il diritto di accesso a una diagnosi tempestiva, a un’assistenza sanitaria essenziale di alta qualità e a farmaci e cure sicure, efficaci e a prezzi accessibili, il più vicino possibile a casa, oppure avere un facile accesso all’assistenza sanitaria transfrontaliera fisica o remota, senza inutili ritardo, nell’ambito di un approccio “di sistema intero” dell’UE per le malattie rare”



Un approccio “di sistema complessivo” dovrebbe orchestrare diversi assetti organizzativi in un unico sistema completamente integrato, con infrastrutture connesse per garantire l’accesso tempestivo a servizi sanitari specializzati e altamente specializzati

1. SISTEMI DI ASSISTENZA NAZIONALE

Nella maggior parte dei paesi dell’UE, i Centri Esperti possono fornire assistenza sanitaria adeguata alla popolazione di pazienti affetti dalle malattie rare più diffuse, sia a livello regionale che nazionale (<390 malattie rare, che colpiscono il 98% della popolazione RD).



3. Assistenza sanitaria transfrontaliera di persona per cure pianificate ove necessario

Quando un paziente ha bisogno di viaggiare in un altro paese.

2. EUROPEAN REFERENCE NETWORKS

Offrire consulenza virtuale di esperti per malattie meno frequenti e a bassa prevalenza e condivisione di conoscenze, formazione per aumentare le capacità dello SM nel diagnosticare e curare TUTTE le persone con una condizione rara o complessa.



La Direttiva risponde alle esigenze delle PCMR?

- **86% delle persone con malattia rara è assolutamente disposta a viaggiare in un altro paese per ricevere cure mediche incondizionatamente, o a seconda del trattamento medico o del paese. RBV survey per Rare2030**
- Non c'è stato il temuto “turismo sanitario” da quando è stata adottata la legislazione, ma la Direttiva e la sua attuazione hanno dei limiti, la **Direttiva non funziona al suo meglio**
- Di fatto, le persone affette da malattie rare **non** viaggiano in base alla **Direttiva** ma continuano a utilizzare il **Regolamento “Previdenza Sociale” 883/2004**. Come riconosciuto dal rapporto di valutazione della commissione

Criticità da risolvere per arrivare ad una attuazione reale dei diritti dei malati rari nelle cure transfrontaliere

- **Mancanza di consapevolezza e informazioni** su come accedere alle cure in un altro paese
- **Ruolo essenziale dei HCPs delle ERNs e dei CoE nazionali** nel processo decisionale per supportare i PCN e/o le autorità nazionali/regionali competenti sull'opinione della necessità di rinvio del paziente ad un altro Centro straniero , sia ai sensi della Direttiva che dei Regolamenti. Auspicabile **Consulenza obbligatoria e vincolante**
- **Up front payment** da parte dei pazienti
- **Autorizzazione preventiva con tempi troppo lunghi:** ATMP esempio STRIMVELIS necessario un approccio coerente in tutto il sistema sanitario transfrontaliero dell'UE con **limiti di tempo precisi** e **utilizzo dello stesso modulo** - linee guida comuni su percorso burocratico



RARE 2030

L'ambizione è quella di far sì che i sistemi sanitari nazionali, le ERN e l'assistenza sanitaria transfrontaliera fisica operino insieme come elementi di UN sistema europeo integrato nell'ambito di percorsi assistenziali europei, che colleghino perfettamente servizi e infrastrutture sanitari regionali, nazionali e transfrontalieri.

Se tutti gli elementi dell'ecosistema non sono ben collegati, le persone affette da patologie rare e complesse non potranno mai trarne pieno beneficio.

Dove siamo oggi con questa ambizione?

- **Con le ERN e la loro integrazione nei sistemi sanitari nazionali (JA JARDIN) stiamo aprendo la strada per ridurre i tempi per una diagnosi precoce, migliore e più accurata per tutte le persone che vivono con patologie rare e complesse in Europa, per garantire un'assistenza sanitaria di alta qualità.**
- **Tuttavia abbiamo bisogno di un impegno costante e di un aggiornamento del sistema per avere un impatto reale sulla vita delle persone affette da patologie rare e complesse**
- **Progressivamente dovremo coprire tutte le malattie rare, in tutti i paesi europei, misurando infine l'impatto del sistema in termini di risultati sanitari e sociali.**

E abbiamo bisogno anche di un “approccio globale” di sistema per misurare l’impatto

1. Tutti i pazienti in Italia che avevano bisogno di accedere all’assistenza sanitaria in un’altra regione sono stati indirizzati senza ritardi?
2. Tutti i pazienti in Italia che avevano bisogno di accedere all’assistenza sanitaria transfrontaliera sono stati indirizzati senza ritardi?
3. Qual è stato l’ impatto di queste segnalazioni in termini di risultati sanitari?

Per rispondere a queste domande è necessario disporre

- **dei tempi massimi** per i rinvii a livello nazionale e comunitario,
- : ➤ un **sistema di rinvio chiaro e ben conosciuto** dalle persone che **devono partecipare al processo**
- un sistema di **monitoraggio e valutazione** che misuri i risultati sanitari.

PRIORITA'

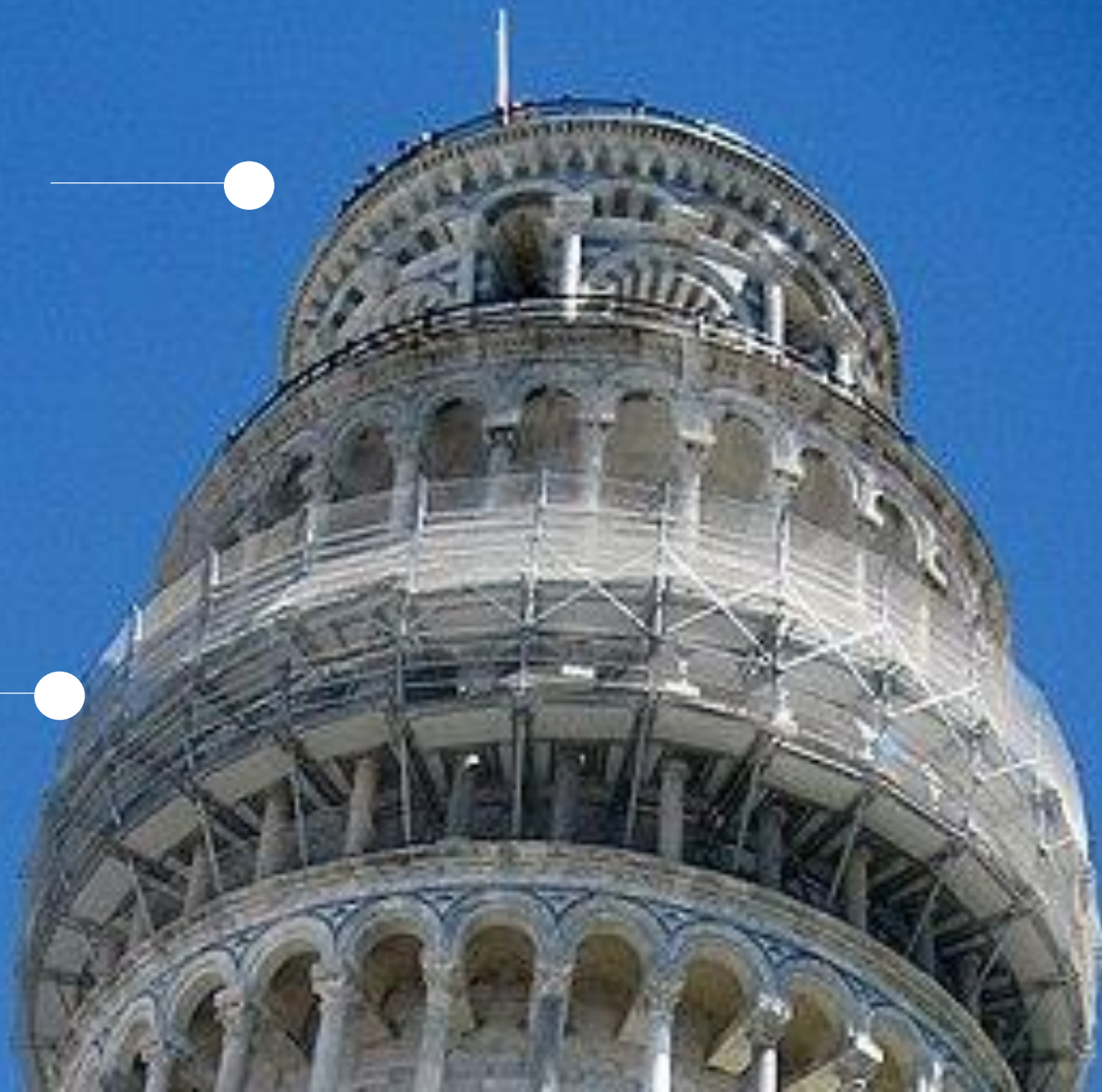
REFERRAL PATHWAYS



ITALIAN HCPs in ERNs



Riconoscimento del valore dell'
attività aggiunta





ITALIAN NATIONAL REFERENCE NETWORK

COINVOLGIMENTO E FORMAZIONE

ITALIAN CONTACT
POINT FOR CBHC



COSTI SOCIALI



Take home message

- L'assistenza sanitaria transfrontaliera e le ERN sono solo **parti di un ecosistema più ampio. Un ecosistema che oggi è ancora frammentato**, non funziona in modo efficace e non riesce a soddisfare i bisogni della nostra comunità.
- Abbiamo **bisogno di un cambiamento sistemico**, non di singoli esempi di persone che hanno beneficiato della consulenza delle ERN o dell'assistenza sanitaria transfrontaliera



**GRAZIE PER LA
VOSTRA
ATTENZIONE !**