



# Regione Lombardia

## LA GIUNTA

---

DELIBERAZIONE N° XI / 3711

Seduta del 26/10/2020

---

Presidente

**ATTILIO FONTANA**

Assessori regionali

FABRIZIO SALA *Vice Presidente*  
STEFANO BOLOGNINI  
MARTINA CAMBIAGHI  
DAVIDE CARLO CAPARINI  
RAFFAELE CATTANEO  
RICCARDO DE CORATO  
MELANIA DE NICHILÒ RIZZOLI  
PIETRO FORONI

GIULIO GALLERA  
STEFANO BRUNO GALLI  
LARA MAGONI  
ALESSANDRO MATTINZOLI  
SILVIA PIANI  
FABIO ROLFI  
MASSIMO SERTORI  
CLAUDIA MARIA TERZI

Con l'assistenza del Segretario Enrico Gasparini

Su proposta dell'Assessore Giulio Gallera

Oggetto

AGGIORNAMENTO DELLA RETE REGIONALE DELLE MALATTIE RARE

Si esprime parere di regolarità amministrativa ai sensi dell'art.4, comma 1, l.r. n.17/2014:

Il Direttore Generale Marco Trivelli

Il Dirigente Marco Salmoiraghi

L'atto si compone di 119 pagine

di cui 111 pagine di allegati

parte integrante



## Regione Lombardia

### LA GIUNTA

---

**VISTO** il D.M. 279/2001 *“Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie” ai sensi dell'articolo 5, comma 1, lettera b) del decreto legislativo 29 aprile 1998, n. 124*”, ed in particolare, l'art. 2, comma 2, che prevede che i presidi della Rete delle Malattie Rare siano individuati tra quelli in possesso di:

- ◆ documentata esperienza in attività diagnostica o terapeutica specifica per le malattie o per i gruppi di malattie rare;
- ◆ idonea dotazione di strutture di supporto e di servizi complementari;
- ◆ servizi per l'emergenza e per la diagnostica biochimica e geneticomolecolare, per le malattie che lo richiedono;

**RICHIAMATA** la DGR n. VII/7328 dell'11 dicembre 2001 *“Individuazione della rete regionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi, la terapia delle malattie rare, ai sensi del D.M. 279/2001”*, che tra l'altro:

- ◆ ha individuato, in via di prima applicazione, i Presidi sanitari che costituiscono la rete per la diagnosi ed il trattamento delle malattie rare;
- ◆ ha individuato il *“Centro di Ricerche Cliniche per le malattie rare Aldo e Cele Daccò”* dell'Istituto di Ricerche Farmacologiche *“Mario Negri”*, con sede a Ranica (Bergamo), quale Centro di riferimento interregionale (CIR) per le malattie rare, con funzioni di coordinamento strutturato tra i Presidi della Rete;

**RICHIAMATE** altresì tutte le successive delibere di aggiornamento della rete regionale delle malattie rare e le seguenti delibere che hanno adottato ulteriori criteri/indicatori per l'individuazione dei Presidi della Rete, oltre a quelli previsti dal citato D.M. 279/2001:

- ◆ la DGR n. VII/10125 del 6 agosto 2002 di *“Aggiornamento della rete regionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi, la terapia delle malattie rare, ai sensi del Decreto Ministeriale 18 maggio 2001, n. 279 ed ulteriori indicazioni”*;
- ◆ la DGR n. 1399 del 21.02.2014 *“Aggiornamento della rete regionale per le malattie rare e predisposizione di ulteriori indicatori per l'individuazione dei presidi della rete regionale per le malattie rare”*;

**VISTO** il DPCM 12.1.2017 *“Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all'articolo 1, comma 7, del decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502”* (pubblicato nella G.U. n. 65 del 18-3-2017 - Suppl. Ordinario n. 15) ed, in particolare, l'art. 52 e l'allegato 7, relativi alle malattie rare;



# Regione Lombardia

LA GIUNTA

---

## **RICHIAMATE:**

- ◆ la DGR n. 6800 del 30.06.2017, avente ad oggetto “Approvazione delle prime disposizioni attuative del D.P.C.M. 12.1.2017 “Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all'articolo 1, comma 7, del D. Lgs. 30.12.1992, n. 502” ed, in particolare, il relativo Allegato B “Malattie rare”;
- ◆ la DGR n. 7063 del 11.9.2017, avente ad oggetto “Individuazione, in fase di prima applicazione, dei presidi per le nuove malattie rare esenti individuate dal D.P.C.M. 12.1.2017 “Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all'articolo 1, comma 7, del D. Lgs. 30.12.1992, n. 502”;
- ◆ la DGR n. 160 del 29.05.2018 “Determinazioni relative all'aggiornamento della Rete regionale per le malattie rare”;

**RICHIAMATA**, in particolare, la DGR n. 1538 del 15.04.2019 “Aggiornamento della rete regionale delle malattie rare e del documento “Malattie rare: definizione di un percorso condiviso per la prescrizione e la fornitura dei trattamenti farmacologici e non farmacologici” che per l'anno 2019 prevede che:

- le candidature a nuovo Presidio o per nuove patologie (per i Presidi già della Rete) dovranno essere trasmesse dagli interessati nel mese di Settembre 2019, utilizzando l'apposito modulo (allegato alla DGR 3994 del 4.8.2015 e scaricabile sul Portale di Regione Lombardia - [www.regione.lombardia.it](http://www.regione.lombardia.it) - e dal sito internet del Centro di coordinamento regionale per le malattie rare);
- eventuali candidature giunte oltre tale termine potranno essere valutate dai competenti uffici esclusivamente se pervenute in tempo utile per consentirne la relativa istruttoria, in considerazione del termine di conclusione del procedimento di seguito indicato;
- eventuali revoche potranno essere comunicate in ogni momento;
- nel caso di urgenza le candidature per patologie che non hanno alcun Presidio in Regione Lombardia possono essere proposte in ogni momento;
- l'aggiornamento della rete regionale delle malattie rare avverrà entro il 31 marzo 2020;

**DATO ATTO** che, a causa dell'emergenza sanitaria Covid-19, non è stato possibile rispettare la tempistica innanzi indicata;

**VALUTATE**, in collaborazione con il Centro di Ricerche Cliniche per le malattie rare



## Regione Lombardia

### LA GIUNTA

---

Aldo e Cele Daccò dell'Istituto di Ricerche Farmacologiche "Mario Negri", con sede a Ranica (Bergamo), le candidature trasmesse dagli interessati entro il 30.09.2019 o comunque in tempo utile per la relativa istruttoria;

**RITNUTO**, a seguito dell'istruttoria effettuata, di valutare le candidature pervenute come indicato nell'Allegato 1, parte integrante del presente atto, precisando che le candidature sono state accolte o non accolte sulla base della sussistenza o meno dei criteri indicati dal D.M. 279/2001 (come esplicitati dalle successive delibere regionali);

**PRESO ATTO** delle seguenti revoche spontanee pervenute al Centro di Coordinamento regionale delle malattie rare:

- Ospedale Niguarda di Milano per la patologia RB0060 (Linfoangiomiomatosi);
- Ospedale di Montichiari (BS) per la patologia RCG080 (Difetti da accumulo di lipidi);
- ASST Spedali Civili di Brescia per la patologia RN0330 (Sindrome di Ehlers-Danlos);

**RITENUTO** di aggiornare, conseguentemente a quanto innanzi esposto, la rete regionale per le malattie rare, secondo quanto riportato nell'Allegato 2, parte integrante del presente provvedimento;

**EVIDENZIATO** che, a seguito dell'istruttoria effettuata, sono stati individuati i seguenti nuovi Presidi della rete regionale per le malattie rare, limitatamente alle patologie indicate di seguito:

- Ospedale di Desio (MB) per le seguenti patologie:
  - ✓ RF0081 - Atrofia Multisistemica
  - ✓ RF0100 - Sclerosi Laterale Amiotrofica
  - ✓ RF0110 - Sclerosi laterale primaria
  - ✓ RF0170 - Paralisi Sopranucleare Progressiva
  - ✓ RFG101 - Sindromi miasteniche congenite e disimmuni;
- Ospedale Bolognini di Seriate (BG) per la seguente patologia:



# Regione Lombardia

## LA GIUNTA

---

- ✓ RI0010 - Acalasia isolata e acalasia associata a sindromi;

**EVIDENZIATO** che, a seguito dell'istruttoria effettuata, le nuove attribuzioni dei Presidi che fanno già parte della Rete regionale delle malattie rare, sono indicate nell'Allegato 2, parte integrante del presente atto;

**RITENUTO** inoltre che, per l'anno 2020:

- ◆ le candidature a nuovo Presidio o per nuove patologie (per i Presidi già della Rete) dovranno essere trasmesse dagli interessati dal 28 ottobre al 18 dicembre 2020 (eventuali candidature già presentate verranno comunque considerate), utilizzando l'apposito modulo (allegato alla DGR 3994 del 4.8.2015 e scaricabile sul Portale di Regione Lombardia - [www.regione.lombardia.it](http://www.regione.lombardia.it) - e dal sito internet del Centro di coordinamento regionale per le malattie rare);
- ◆ eventuali candidature giunte oltre tale termine potranno essere valutate dai competenti uffici esclusivamente se pervenute in tempo utile per consentirne la relativa istruttoria, in considerazione del termine di conclusione del procedimento di seguito indicato;
- ◆ eventuali revoche potranno essere comunicate in ogni momento;
- ◆ nel caso di urgenza le candidature per patologie che non hanno alcun Presidio in Regione Lombardia possono essere proposte in ogni momento;
- ◆ l'aggiornamento della rete regionale delle malattie rare avverrà entro il 16 aprile 2021;

**RICHIAMATA** la DGR n. 1046 del 17.12.2018 “*Determinazioni in ordine alla gestione del Servizio sociosanitario per l'esercizio 2019 - (di concerto con gli Assessori Caparini, Piani e Bolognini)*” ed, in particolare, il punto “5.2.16.2. Implementazione e aggiornamento dei Percorsi Diagnostici Terapeutici Assistenziali (PDTA)” del relativo allegato che prevede:

*“Anche alla luce delle novità introdotte dal D.P.C.M. del 12/01/2017 per l'ambito malattie rare, nel 2019 saranno definiti i PDTA per le patologie che attualmente ne sono sprovviste, a partire dalle condizioni oggetto di Screening Neonatale Esteso (SNE). Inoltre, saranno aggiornati i PDTA esistenti, anche con riferimento all'utilizzo di farmaci off label, dispositivi, integratori, prodotti destinati ad un'alimentazione particolare e prodotti da banco. Tale attività di implementazione ed aggiornamento dei PDTA, sarà gestita dal Centro di Coordinamento delle Malattie Rare, in stretto raccordo con la Direzione Generale Welfare. Sarà richiesta*



# Regione Lombardia

## LA GIUNTA

---

*la partecipazione attiva degli specialisti dei Presidi di riferimento, la quale costituirà una condizione necessaria per il mantenimento della qualifica di Presidio della Rete regionale delle malattie rare. I suddetti tavoli di lavoro vedranno, inoltre, il coinvolgimento di rappresentanti delle ATS e delle Associazioni di pazienti”;*

**RITENUTO** che i PDTA che vengono periodicamente definiti o aggiornati con le modalità sopra esposte siano diffusi tra gli specialisti dei Presidi a cura del Centro di Coordinamento regionale delle Malattie Rare e pubblicati sul sito [www.malattierare.marionegri.it](http://www.malattierare.marionegri.it), a seguito di:

- ◆ chiusura dei lavori per la definizione e/o l'aggiornamento di ogni singolo PDTA;
- ◆ comunicazione ai competenti uffici della DG Welfare dell'avvenuta chiusura dei lavori con contestuale trasmissione del PDTA definito o aggiornato;

**RICHIAMATA** la DGR n. XI/1694 del 3.6.2019, avente ad oggetto: “*Reti Sociosanitarie: ulteriore evoluzione del modello per l'attivazione e implementazione delle nuove reti clinico-assistenziali e organizzative*”, che delinea l'evoluzione del concetto di Rete da “Rete di patologia”, connotata dalla costruzione della comunità dei clinici e del sapere scientifico, alla “Rete clinico assistenziale”, con una più spiccata vocazione organizzativa;

**CONSIDERATO** che anche i Centri per la diagnosi e il trattamento delle malattie rare sono operativi presso Strutture ospedaliere con diversi livelli organizzativi e che esprimono competenze cliniche, strumentali e volumi di attività differenti;

**VALUTATO** di prevedere, a seconda dell'attività svolta dal singolo Centro di riferimento per le malattie rare e dell'Ospedale nel quale il Centro è operativo, un'attività su più livelli. Tale organizzazione dovrà essere declinata anche nei diversi PDTA che saranno periodicamente aggiornati, prevedendo che alcune specifiche attività, a garanzia di un più alto livello di appropriatezza e sicurezza per il paziente, possano essere autorizzate dalla D.G. Welfare solo e unicamente in alcuni Centri della rete che esprimono specifiche caratteristiche organizzative, competenze e volumi di attività;

**RITENUTO** di disporre la pubblicazione del presente atto e del relativo Allegato 2 sul B.U.R.L. e sul Portale di Regione Lombardia ([www.regione.lombardia.it](http://www.regione.lombardia.it));

**VAGLIATE** e fatte proprie le suddette motivazioni;



**Regione Lombardia**  
LA GIUNTA

---

**All'unanimità dei voti** espressi ai sensi di legge;



# Regione Lombardia

## LA GIUNTA

---

### DELIBERA

1. di prendere atto dell'istruttoria effettuata dai competenti uffici della D.G. Welfare, in collaborazione con il Centro di Ricerche Cliniche per le malattie rare Aldo e Cele Daccò dell'Istituto di Ricerche Farmacologiche "Mario Negri", e di approvare conseguentemente l'Allegato 1, parte integrante del presente atto, precisando che le candidature sono state accolte o non accolte sulla base della sussistenza o meno dei criteri indicati dal D.M. 279/2001 (come esplicitati dalle successive delibere regionali);
2. di aggiornare conseguentemente la rete regionale per le malattie rare, secondo quanto riportato nell'Allegato 2, parte integrante del presente provvedimento, che indica le nuove attribuzioni dei Presidi che fanno già parte della Rete regionale delle malattie rare e individua i seguenti nuovi Presidi, limitatamente alle patologie indicate:
  - Ospedale di Desio (MB) per le seguenti patologie:
    - ✓ RF0081 - Atrofia Multisistemica
    - ✓ RF0100 - Sclerosi Laterale Amiotrofica
    - ✓ RF0110 - Sclerosi laterale primaria
    - ✓ RF0170 - Paralisi Sopranucleare Progressiva
    - ✓ RFG101 - Sindromi miasteniche congenite e disimmuni;
  - Ospedale Bolognini di Seriate (BG) per la seguente patologia:
    - ✓ RI0010 - Acalasia isolata e acalasia associata a sindromi;
3. di stabilire che, per l'anno 2020:
  - ◆ le candidature a nuovo Presidio o per nuove patologie (per i Presidi già della Rete) dovranno essere trasmesse dagli interessati dal 28 ottobre al 18 dicembre 2020 (eventuali candidature già presentate verranno comunque considerate), utilizzando l'apposito modulo (allegato alla DGR 3994 del 4.8.2015 e scaricabile sul Portale di Regione Lombardia - [www.regione.lombardia.it](http://www.regione.lombardia.it) - e dal sito internet del Centro di coordinamento regionale per le malattie rare);
  - ◆ eventuali candidature giunte oltre tale termine potranno essere valutate dai competenti uffici esclusivamente se pervenute in tempo utile per consentirne la relativa istruttoria, in considerazione del



# Regione Lombardia

## LA GIUNTA

---

- termini di conclusione del procedimento di seguito indicato;
  - ◆ eventuali revoche potranno essere comunicate in ogni momento;
  - ◆ nel caso di urgenza le candidature per patologie che non hanno alcun Presidio in Regione Lombardia possono essere proposte in ogni momento;
  - ◆ l'aggiornamento della rete regionale delle malattie rare avverrà entro il 16 aprile 2021;
4. di stabilire che i PDTA che vengono periodicamente definiti o aggiornati con le modalità previste dalla DGR n. 1046/2018 (richiamate in premessa) siano diffusi tra gli specialisti dei Presidi a cura del Centro di Coordinamento regionale delle Malattie Rare e pubblicati sul sito [www.malattierare.marionegri.it](http://www.malattierare.marionegri.it), a seguito di:
- chiusura dei lavori per la definizione e/o l'aggiornamento di ogni singolo PDTA;
  - comunicazione ai competenti uffici della DG Welfare dell'avvenuta chiusura dei lavori con contestuale trasmissione del PDTA definito o aggiornato;
5. di prevedere, a seconda dell'attività svolta dal singolo Centro di riferimento per le malattie rare e dell'Ospedale nel quale il Centro è operativo, un'attività su più livelli. Tale organizzazione dovrà essere declinata anche nei diversi PDTA che saranno periodicamente aggiornati, prevedendo che alcune specifiche attività, a garanzia di un più alto livello di appropriatezza e sicurezza per il paziente, possano essere autorizzate dalla D.G. Welfare solo e unicamente in alcuni Centri della rete che esprimono specifiche caratteristiche organizzative, competenze e volumi di attività;
6. di disporre la pubblicazione del presente atto e del relativo Allegato 2 sul B.U.R.L. e sul Portale di Regione Lombardia ([www.regione.lombardia.it](http://www.regione.lombardia.it)).

IL SEGRETARIO

ENRICO GASPARINI

Atto firmato digitalmente ai sensi delle vigenti disposizioni di legge