



REGIONE CALABRIA
Il Presidente



Regione Calabria
Aoo REGCAL
Prot. N. 146938 del 20/02/2026

Al Signor Presidente del Consiglio Regionale
On. Salvatore Cirillo

E p.c.

Al Consigliere regionale
On. Ferdinando Laghi

Segretariato Generale
Settore Segreteria di Giunta e
Rapporti con il Consiglio regionale

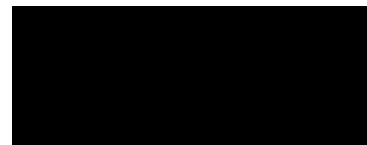
SEDE

OGGETTO: Trasmissione riscontro interrogazione a risposta scritta n. 27/13^ “ **In merito allo stato di attuazione dei PDTA per le *malattie rare e implementazione del Piano Regionale Malattie Rare 2024–2026***”.

Con riferimento all’interrogazione consiliare in oggetto si inoltra, per gli adempimenti di competenza, la risposta pervenuta dalla Direzione Generale del Dipartimento “Salute e Servizi Sanitari”.

Cordiali saluti

D’ordine del Presidente
Il Capo di Gabinetto
Luciano Vigna





REGIONE CALABRIA

Dipartimento Salute e Servizi Sanitari

Capo di Gabinetto
del Presidente della Giunta Regionale
capogabinetto.ac@regione.calabria.it

e p.c.
Segretariato Generale della Giunta Regionale
segretariato.ac@regione.calabria.it

Presidente Giunta Regionale
presidentegiunta.ac@regione.calabria.it

Oggetto: *“Interrogazione a risposta scritta n. 27/13[^] in merito allo stato di attuazione dei PDTA per le malattie rare e implementazione del Piano Regionale Malattie Rare 2024–2026”. Riscontro.*

Con l’interrogazione in oggetto il Consigliere regionale Laghi ha chiesto al Presidente della Giunta Regionale di *“sapere quali PDTA per le malattie rare risultino ad oggi adottati, in fase di adozione o programmati dalla Regione Calabria nell’ambito del Piano Regionale Malattie Rare 2024–2026 e, conseguentemente, quale sia lo stato di attuazione complessiva del Piano Regionale Malattie Rare 2024–2026, con particolare riferimento al funzionamento della rete regionale, al coordinamento tra strutture ospedaliere e territoriali, all’operatività del Registro regionale, all’accesso ai farmaci e alle prestazioni previste dai LEA, al coinvolgimento delle associazioni dei pazienti, alle attività di monitoraggio e formazione e alle risorse organizzative e finanziarie dedicate.”*

Al fine di fornire utili elementi in riferimento a quanto richiesto con l’interrogazione di cui all’oggetto, si rappresenta che la Regione Calabria, nel dare attuazione a quanto previsto nella Legge 10 novembre 2021, n. 175 *“Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani”* e nell’Accordo Stato Regioni Rep. Atti n. 121/CSR del 24 maggio 2023 sul *“Piano nazionale malattie rare 2023 – 2026”* e sul documento per il *“Riordino della rete nazionale delle malattie rare”* ha preliminarmente costituito, con il DDG n.11711 del 10/08/2023, il Centro di Coordinamento Regionale delle Malattie Rare, organismo a supporto delle politiche e della programmazione regionale sul tema delle malattie rare, che ha il compito di organizzare, monitorare e supportare il funzionamento della rete di assistenza per malati rari, funzionalmente collocato nel Settore Ospedaliero del Dipartimento Salute e Servizi Sanitari da componenti dei settori regionali competenti in materia ospedaliera e farmaceutica, da rappresentanti delle Associazioni dei pazienti (UNIAMO) e da rappresentanti delle tre Aziende Ospedaliere del SSR (Centri di Coordinamento aziendali Malattie Rare).

Con la presenza delle Associazioni dei pazienti nel Coordinamento Regionale, il ruolo fondamentale delle stesse nel rappresentare le esigenze dei pazienti nel sistema sanitario e nell'incoraggiare politiche mirate, ricerche ed interventi di assistenza sanitaria, agendo come collegamento tra pazienti, istituzioni e medici.

Il Centro di Coordinamento Regionale delle Malattie Rare ha elaborato il documento di riorganizzazione della Rete Regionale delle malattie rare e di Piano regionale delle Malattie Rare 2024-2026, che è stato approvato con il DCA n. 28 del 30 gennaio 2024 “*Approvazione “Piano Regionale delle Malattie Rare 2024-2026 e Riordino della rete regionale delle malattie rare” - Accordo Stato Regioni Rep. Atti n. 121/CSR del 24 maggio 2023*”.

Tale documento programmatico ha riordinato la Rete Regionale delle Malattie Rare (MALATTIE RARE), attraverso la revisione di quella già esistente, individuando i Presidi ospedalieri e universitari delle tre Aziende Ospedaliere di Cosenza, Catanzaro e Reggio Calabria, quali presidi ospedalieri in possesso di maturata esperienza nella diagnosi e nella cura di specifiche MALATTIE RARE o di gruppi di MALATTIE RARE, nonché di dotazione di strutture idonee di supporto e di servizi complementari.

In ciascuna Azienda Ospedaliera è stato previsto e istituito il Centro di Coordinamento Aziendale (CCA-MALATTIE RARE), che rappresenta lo sportello unico aziendale per le Malattie Rare, al servizio dei medici e dei cittadini e costituisce un punto di riferimento privilegiato per le Associazioni dei pazienti e dei loro familiari e ha il compito di coordinare e monitorare i Centri di riferimento delle Malattie Rare (CR-MALATTIE RARE), cioè le Unità Operative specialistiche, presenti all'interno della stessa Azienda, che, nel corso degli anni, si sono dedicati alla cura delle MALATTIE RARE e che quindi hanno acquisito competenze ed expertise, sia per l'età pediatrica che adulta (Allegato 1 del DCA 28/2024).

Il Centro di Coordinamento Aziendale (CCA-MALATTIE RARE) individua, quando necessario, il team di specialisti sulla specifica malattia che garantisce al paziente il corretto percorso multidisciplinare per la diagnosi, il follow up e gli approcci terapeutici, mantiene un collegamento funzionale con i Presidi spoke dell'Area territorialmente competente e coordina inoltre la formazione per gli operatori sanitari.

I Centri di riferimento delle Malattie Rare, che possono insistere all'interno di uno stesso ospedale oppure anche in ospedali diversi, assicurano la presa in carico, la diagnosi, l'accesso alle terapie specifiche e di supporto ed il follow-up dei pazienti con malattia rara, in conformità alle evidenze scientifiche, redigono il certificato di diagnosi di malattia rara, definiscono il piano terapeutico assistenziale personalizzato, alimentano il Registro regionale per le malattie rare e favoriscono il collegamento con il Medico di Medicina Generale o Pediatra di Libera Scelta e con l'ASP di residenza, per l'attivazione dei servizi territoriali, presenti vicino al luogo di vita del paziente, al fine di garantire la continuità assistenziale.

Il riordino messo in atto dal Coordinamento Regionale ha permesso una maggiore collaborazione tra i vari Ospedali, i vari Centri di riferimento e i professionisti coinvolti nel trattamento delle patologie rare, con l'obiettivo di garantire, attraverso la condivisione delle informazioni cliniche, diagnosi tempestive, accurate e trattamenti adeguati per i pazienti.

In tal senso, la programmazione regionale ha anche delineato il Percorso assistenziale delle malattie rare, con l'obiettivo di facilitare l'accesso, la presa in carico e l'accompagnamento proattivo del paziente nelle diverse

fasi, al fine di garantire la continuità assistenziale. Ciò prevede interventi in Rete, i nodi ospedalieri e le strutture ospedaliere e territoriali più prossime alla residenza/assistenza della persona con malattia rara.

In particolare, in una prima fase del percorso assistenziale intervengono il medico di medicina generale, il pediatra di libera e lo specialista ambulatoriale, che costituiscono il primo punto di contatto con il paziente, per cui la loro competenza è determinante nell'orientare correttamente e precocemente la persona con sospetto diagnostico verso il Centro di Riferimento malattie rare in grado di approfondire il percorso diagnostico.

Le Aziende Sanitarie Provinciali identificano, inoltre, presso le direzioni mediche di presidio degli ospedali spoke, un referente aziendale con il ruolo di "*Care Manager aziendale Malattie Rare*", che è il riferimento attivo sia per i cittadini che per le Unità Operative degli ospedali spoke coinvolte nella rete malattie rare, e funzionerà in collegamento operativo e funzionale con il Centro di Coordinamento Aziendale dell'Hub di riferimento.

Il ruolo svolto dal Care Manager Aziendale consiste in:

- collegamento con il Centro di Riferimento che ha in carico il paziente;
- collegamento con le Centrali Operative Territoriali (COT) per l'attivazione dei servizi territoriali, socio-sanitari e sociali di prossimità;
- collegamento con gli sportelli ASP che rilasciano l'esenzione per patologia malattia rara;
- collaborazione con il servizio protesi e farmaceutico relativi all'accesso ai presidi, ausili medici e farmaci;
- attività informativa ed educativa a livello aziendale verso i medici di medicina generale e i pediatri di libera scelta e i Servizi specialistici aziendali, il paziente e i suoi caregiver.

In tale direzione, con il Decreto Dirigenziale del Dipartimento Salute n. 13413 del 23/09/2025 è stato costituito il gruppo dei Referenti per le malattie rare delle Aziende Sanitarie Provinciali, rappresentato dai referenti degli ospedali spoke e dai referenti dei distretti.

Tali figure professionali, oltre ad essere il punto di riferimento attivo sul territorio per i pazienti, dovranno garantire l'attivazione dei servizi di prossimità territoriale inseriti nel percorso assistenziale del paziente.

In particolare, i referenti delle ASP hanno il compito di attivare e facilitare l'accesso ai servizi territoriali sanitari e sociosanitari di prossimità, istituendo connessioni strutturate con i referenti dei servizi aziendali di cure domiciliari, di nutrizione artificiale, della terapia del dolore e delle cure palliative, di riabilitazione, di assistenza farmaceutica, al fine di consentire una unitarietà ad un complesso integrato di prestazioni specialistiche, infermieristiche, riabilitative, psicologiche, di assistenza farmaceutica, prestazioni sociali e sostegno psicologico che ricoprono l'intera sfera sanitaria e sociale del paziente e del suo nucleo familiare.

Gli operatori del territorio dovranno quindi garantire l'integrazione tra ospedale-ospedale e ospedale-territorio, ricollocando i pazienti e i loro bisogni al centro del modello di cura e rafforzando il legame e il confronto multidisciplinare tra operatori, indispensabili per garantire un percorso terapeutico efficace.

L'obiettivo rimane quello di creare un sistema integrato che possa rispondere alle esigenze dei pazienti, migliorando dunque la qualità dell'assistenza.



In ambito farmaceutico, la Regione Calabria, per semplificare le procedure di inserimento dei farmaci nel Prontuario Terapeutico Regionale, aveva aggiornato, con il DCA n. 70 del 08/07/2022, le Linee Guida e le modalità operative della “Commissione Regionale del Farmaco e dei Dispositivi Medici” e della “Commissione Aziendale del Farmaco e dei Dispositivi Medici”.

Le nuove Linee Guida prevedono per alcuni farmaci il requisito di “accesso diretto”, che ne determina l’inserimento immediato in Prontuario Terapeutico Regionale e la conseguente prescrizione da parte dei Centri Prescrittori individuati dalla Regione, garantendo equità delle cure su tutto il territorio regionale. Tra questi sono inclusi anche i farmaci per malattia rara.

I farmaci destinati alla cura di patologie rare sono prescrivibili dai Centri di Riferimento per le Malattie Rare (CR-MALATTIE RARE), formalmente identificati dalla Regione Calabria.

Il Centro di Riferimento per le Malattie Rare (CR-MALATTIE RARE) ha il compito di predisporre, per i farmaci che ne prevedono l'obbligatorietà, il Piano Terapeutico (PT), che costituisce il documento sanitario con cui il Centro di Riferimento per le Malattie Rare (CR-MALATTIE RARE) formalizza tutte le indicazioni e prescrizioni che, secondo principi basati sull'evidenza scientifica, appropriatezza, indispensabilità, non sostituibilità ed economicità, consentono l'ottimale presa in carico del paziente.

La redazione del Piano Terapeutico (PT) personalizzato dovrà comprendere in regime di gratuità tutte le prestazioni incluse nei LEA nazionali, farmaci, dietetici, presidi, ausili, protesi, trattamenti riabilitativi, interventi chirurgici programmati e quant'altro possa essere utile per favorire l'ottimale decorso clinico della patologia da cui è affetto il paziente.

Le azioni previste dal PT devono essere garantite preferibilmente dagli ospedali e dai servizi farmaceutici territoriali prossimi al luogo di vita della persona con malattia rara. Per tale motivo è essenziale il collegamento tra il Centro Prescrittore della Rete Regionale Malattie Rare ed i servizi sanitari ospedalieri e territoriali dell'ASP di residenza del paziente, prevedendo il passaggio e la condivisione della documentazione clinica essenziale per mettere in atto correttamente gli interventi predisposti e per monitorarne il risultato.

Il PT deve essere periodicamente aggiornato, anche in base all'evoluzione clinica della malattia e alla risposta ai trattamenti in corso.

Per quanto concerne le modalità di erogazione dei farmaci per pazienti affetti da malattia rara, questi variano in base al regime di fornitura e alla classificazione:

- le terapie farmacologiche, anche innovative, di fascia A o H e i medicinali da erogare ai sensi dell’art. 1, comma 4, del Decreto legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito in Legge 23 dicembre 1996, n. 648, possono essere erogati direttamente dalle Farmacie Territoriali e/o Ospedaliere, con le quali il Centro Prescrittore dovrà coordinarsi anticipatamente al fine di garantire l’erogazione del farmaco per il paziente;
- i Dispositivi Medici e Presidi Sanitari, presenti nei Piani Diagnostici Terapeutici Assistenziali Personalizzati di cui all’art. 4, legge 10 novembre 2021, n. 175 sono erogati dalle Farmacie Territoriali;
- gli Ausili e protesi anche non presenti nel nomenclatore tariffario sono gestiti ed erogati direttamente tramite gli uffici di Ausili e Protesi aziendali;

• l'erogazione a carico del Sistema Sanitario Nazionale (SSN) dei farmaci (da parte delle Farmacie Territoriali di residenza dei pazienti affetti da malattia rara, prescritti da parte dei Centri Regionali ed extra-Regionali per le malattie rare, trattandosi di prestazioni extra-Lea, non possono essere garantite dalle regioni soggette a Piano di Rientro come la Regione Calabria. Per la gestione di casi del tutto eccezionali, resta però la possibilità che il paziente affetto da malattia rara rivolga specifica istanza all'Azienda Sanitaria Provinciale competente per il territorio per l'emanazione di un provvedimento ad hoc che disponga dell'erogazione dei prodotti in questione, a seguito di valutazione clinica che ne attesti la indispensabilità e insostituibilità, in assenza del quale il paziente è a rischio di aggravamento della malattia o di pericolo di vita.

Al fine di facilitare l'accesso ai trattamenti terapeutici per i pazienti affetti da malattie rare nel percorso di prescrizione-erogazione dei farmaci tra ospedale e territorio, sono stati individuati, con il Decreto Dirigenziale del Dipartimento Salute e Welfare n. 244 del 13/01/2025, i referenti aziendali per MALATTIE RARE dell'area farmaceutica, che avranno il compito di garantire e ottimizzare la gestione nell'accesso ai trattamenti terapeutici prescritti sia dai Centri regionali che extra-regione, attraverso il coordinamento tra i diversi operatori sanitari coinvolti nell'ambito dell'assistenza farmaceutica.

Un altro obiettivo della programmazione regionale è stato quello della riorganizzazione e aggiornamento del Registro Regionale della Malattie Rare, strumento di analisi fondamentale per monitorare la prevalenza delle malattie rare, analizzare i dati epidemiologici e pianificare interventi, anche di tipo programmatico, il cui flusso di dati, nel rispetto della privacy, alimenta il Registro Nazionale presso l'Istituto Superiore di Sanità.

Uno dei principali problemi riscontrati ha riguardato l'incompletezza ed il mancato aggiornamento periodico del Registro regionale delle malattie rare.

Pur essendo attivo dal 2009, nel corso degli anni, i Centri di riferimento precedentemente autorizzati non hanno inserito puntualmente le informazioni richieste, e quindi non hanno alimentato in maniera sistematica il Registro Regionale, con conseguente sottostima del fenomeno a livello regionale.

Pertanto, il Coordinamento Regionale delle malattie rare ha avviato un percorso di aggiornamento, con il coinvolgimento diretto degli attuali Centri di Riferimento malattie rare che stanno provvedendo all'inserimento e all'integrazione dei dati pregressi, con l'intento di recuperare un grosso patrimonio di informazioni, utili non solo a definire le dimensioni del fenomeno, ma anche ad implementare un sistema di sorveglianza regionale, che, attraverso un approccio data driven e data oriented, permetterà di effettuare una adeguata programmazione sanitaria e di valutare le più efficaci azioni future relativamente ad un tema di così alta complessità.

Tale processo, che prevede non solo il recupero dei dati degli anni passati, ma anche la possibilità di rendere più efficace ed efficiente il sistema informativo regionale a fini epidemiologici, richiederà un grande sforzo e impegno da parte di tutti gli attori coinvolti.

Sulla base dell'analisi e della valutazione dei dati di attività dei Centri di riferimento regionali si provvederà ad una prima rimodulazione complessiva dell'intera rete regionale.

In merito ai PDTA di patologia si rappresenta che sono stati approvati, con il DCA n. 206 del 25/07/2023 il PDTA del paziente talassemico o con emoglobinopatie, previa costituzione del gruppo tecnico regionale per



la rete della talassemia e delle emoglobinopatie (con DDG n. 11604 /2022 e
19/12/2025 il PDTA per la gestione dell'artrite reumatoide, elaborato dal gruppo tecnico regionale della Rete
Reumatologica.

Gli ulteriori PDTA di patologia sono in fase di revisione alla luce delle nuove evidenze scientifiche.

Relativamente alle risorse finanziarie destinate all'attuazione del Piano Nazionale, si prevede di destinarli
allo sviluppo di modelli assistenziali regionali per migliorare la presa in carico, la diagnosi e la qualità
dell'assistenza dei pazienti nel proprio territorio.

Distinti saluti

Il funzionario

Avv. Anna Liconti

Il Dirigente Generale

dott. Ernesto Esposito