

NOTA AIFA 39: LIVELLI ESSENZIALI DI ASSISTENZA ED ESENZIONI DALLA PARTECIPAZIONE AL COSTO

Elvira Agazio, Flavia Pricci

Dipartimento di Malattie Cardiovascolari, Endocrino-Metaboliche e Invecchiamento, Istituto Superiore di Sanità, Roma

La Nota 39 dell' Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) (1) definisce le indicazioni terapeutiche per le quali le specialità medicinali a base di ormone della crescita (*Growth Hormone*, GH, *recombinant* GH, rGH o somatropina) sono rimborsabili a carico del Servizio Sanitario Nazionale (SSN).

Tra le condizioni per le quali è prevista l' indicazione al trattamento con il GH sono comprese malattie rare e condizioni croniche per le quali è particolarmente evidente la necessità di assicurare diagnosi e cura.

Questi sono i principi alla base del nostro SSN che è stato strutturato con l'obiettivo fondamentale di garantire a tutti i cittadini omogeneità e uguaglianza qualitativa dei servizi erogati (2). A tale scopo, nel 2001 l'SSN è stato affiancato dalla definizione dei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA) (3) che identificano i servizi che l'SSN è tenuto a fornire a tutti i cittadini, gratuitamente o dietro pagamento di una quota di partecipazione (ticket), come strumenti atti a garantire la prevenzione, la diagnosi e cura.

In questo contributo verranno descritti alcuni aspetti inerenti alla Nota AIFA 39 e la partecipazione al costo per le condizioni per le quali è prevista la prescrizione di GH a carico dell'SSN e alcune attuazioni regionali in merito al regime di esenzione.

Servizio Sanitario Nazionale

Nel dicembre 1978 viene approvata la Legge 833 istitutiva dell'SSN che segna la fine del sistema mutualistico (2) che aveva mostrato numerosi elementi di debolezza.

Obiettivo fondamentale dell'SSN è di garantire a tutti i cittadini omogeneità e uguaglianza qualitativa dei servizi erogati. Viene introdotto il principio di equità in sanità e senza distinzione per settore assistenziale come in epoca mutualistica. Si cerca un modo più equo per distribuire le risorse, razionalizzando la spesa sanitaria mediante lo strumento della programmazione nazionale e regionale, per evitare che i cittadini, anche se abitanti al di fuori dei grandi centri urbani così al Nord come al Sud del nostro Paese, siano discriminati.

La Legge 833 ha avuto il grande merito di creare un sistema sanitario omogeneo e universale; tuttavia, necessitava di ulteriori adempimenti da parte di tutti i livelli coinvolti (Stato, Regioni ed Enti locali).

Nel 1992 è stata emanata la Legge delega 421/1992 (4) che con il DL.vo 502/1992 (5) e, insieme alle modifiche introdotte l'anno successivo (DL.vo 517/1993) (6), può essere considerata la seconda riforma sanitaria italiana (7).

Con la terza riforma sanitaria (o riforma Bindi) (DL.vo 229/1999) (8), si riconferma anzitutto che il compito dell'SSN è quello di assicurare ai cittadini livelli essenziali e uniformi di assistenza in tutto il territorio nazionale, garantendo principi di equità nell'accesso ai servizi e livelli di qualità di cura e di accortezza nell'impiego delle risorse economiche.

In coerenza con l'evoluzione in senso federale dello Stato e in attuazione del principio di delega, la riforma Bindi si propone di completare il processo di regionalizzazione con un SSN caratterizzato come il complesso delle funzioni e delle attività dei servizi sanitari regionali, in quanto alle Regioni compete principalmente la responsabilità di assicurare il sistema delle garanzie di promozione della salute e di prevenzione, cura e riabilitazione delle malattie e delle disabilità, definito nei livelli essenziali di assistenza (9).

Livelli Essenziali di Assistenza

I LEA sono le prestazioni e i servizi che l'SSN è tenuto a fornire a tutti i cittadini, gratuitamente o dietro pagamento di una quota di partecipazione (ticket), attraverso le risorse pubbliche raccolte con la fiscalità generale (tasse).

Il DL.vo 502/1992 (5) introduce il concetto che "... i livelli uniformi di assistenza da assicurare in condizioni di uniformità sul territorio nazionale sono stabiliti con il Piano Sanitario Nazionale".

Successivamente con la riforma del Titolo V della Costituzione, con la Legge Costituzionale n. 3/2001 (10), è stata introdotta la nozione dei livelli essenziali con riferimento alla competenza legislativa esclusiva dello Stato nella Determinazione dei livelli essenziali delle prestazioni concernenti i diritti civili e sociali da garantirsi su tutto il territorio nazionale.

I LEA diventano operativi e definiti nel 2001 con un DPCM del 29 novembre 2001 (11) che elenca, negli Allegati, le attività e le prestazioni incluse nei Livelli, le prestazioni escluse, le prestazioni che possono essere fornite dal servizio sanitario nazionale solo a particolari condizioni.

Le prestazioni e i servizi inclusi nei LEA rappresentano il livello "essenziale" garantito a tutti i cittadini dal servizio sanitario nazionale ma le Regioni possono utilizzare risorse proprie per garantire servizi e prestazioni ulteriori rispetto a quelle incluse nei LEA.

Con l'accordo dell'8 agosto 2001 (12) le Regioni si sono impegnate a far fronte alle eventuali ulteriori esigenze finanziarie con mezzi propri, impegnandosi ad adottare tutte le iniziative possibili per la corretta ed efficiente gestione del servizio, al fine di contenere le spese nell'ambito delle risorse disponibili e per mantenere l'erogazione delle prestazioni ricomprese nei livelli essenziali di assistenza.

Il DPCM del 12 gennaio 2017 (13) ha sostituito integralmente il DPCM precedente e gli altri provvedimenti correlati e si propone come la fonte primaria per la definizione delle "attività, dei servizi e delle prestazioni" garantiti ai cittadini con le risorse pubbliche messe a disposizione dell'SSN.

Il DPCM di aggiornamento dei LEA è composto di 64 articoli, suddivisi in 6 Capi, e di 12 Allegati.

Regime di esenzione

I cittadini hanno diritto all'esenzione dal ticket per le prestazioni sanitarie in particolari situazioni di reddito o in presenza di determinate patologie o condizioni (Legge n. 537 del 24 dicembre 1993, e s.m.).

Per la maggior parte delle malattie sono individuate specifiche prestazioni fruibili in esenzione (pacchetto prestazionale), incluse nel nomenclatore della specialistica ambulatoriale tra cui il medico individua quali prescrivere. In alcuni casi le prestazioni non sono identificate

puntualmente in considerazione di complesse necessità assistenziali dei soggetti affetti, per cui il medico può valutare le necessità cliniche del singolo caso.

Se l'assistito deve eseguire una visita per un evento o una patologia indipendenti da quella malattia o dalle sue complicanze, dovrà pagare la quota di partecipazione secondo le disposizioni vigenti.

Le prestazioni previste nei pacchetti o prescrivibili dal medico devono essere comprese nei LEA.

Riguardo le patologie in età pediatrica, è utile evidenziare che sono esenti da ticket le prestazioni specialistiche ambulatoriali (visite, analisi laboratorio, diagnostica strumentale, ecc.) di cittadini di età inferiore a sei anni che appartengano a un nucleo familiare con un reddito complessivo non superiore a € 36.151,98 (codice E01).

Inoltre, sulla base della opportunità per le regioni di prevedere, con proprie delibere, l'esenzione al pagamento ticket anche ad altre categorie, la Regione Lombardia considera esenti dalla partecipazione al costo anche i soggetti minori di anni 14, indipendentemente dal reddito familiare (DGR VIII/4750 del 18 maggio 2007).

Nuovi LEA

Il DPCM del 12 gennaio 2017 (13) aggiorna i LEA definendo le attività, i servizi e le prestazioni garantite ai cittadini con le risorse pubbliche messe a disposizione dell'SSN; descrive con maggiore dettaglio e precisione prestazioni e attività oggi già incluse nei livelli essenziali di assistenza; ridefinisce e aggiorna gli elenchi delle malattie rare e delle malattie croniche e invalidanti che danno diritto all'esenzione dal ticket; innova i nomenclatori della specialistica ambulatoriale e dell'assistenza protesica, introducendo prestazioni tecnologicamente avanzate ed escludendo prestazioni obsolete.

L'entrata in vigore dei nuovi LEA è programmata in maniera graduale in quanto è prevista una verifica, da parte delle Regioni, della loro sostenibilità economica, e un aggiornamento annuale.

Inoltre, l'aggiornamento dei LEA non è ancora divenuto operativo in quanto non sono stati emanati i decreti che fissano le tariffe massime dell'assistenza specialistica ambulatoriale e protesica, rendendo così non fruibili le nuove prestazioni.

La Legge di bilancio 2018 (14) aveva posto il 28 febbraio 2018 come termine ultimo per l'emanazione dei decreti sulle tariffe massime. In seguito la Legge di bilancio 2021 per l'anno 2022 ha indirizzato uno stanziamento annuale pari a 200 milioni di euro per procedere con l'aggiornamento dei LEA (15).

L'art. 52 per le persone affette da malattie rare indicate nell'Allegato 7 e l'art. 53 per le persone affette da malattie croniche e invalidanti indicate nell'Allegato 8 prevedono il diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni sanitarie indicate dal medesimo.

Per quanto riguarda le malattie rare, il DPCM ha ampliato l'elenco delle malattie rare (Allegato 7), aggiungendo più di 110 nuove entità, tra singole malattie rare e gruppi di malattie, e prevedendo che le prestazioni concernenti le malattie rare sono erogate in regime di esenzione.

Il DPCM ha anche previsto che "le disposizioni in materia di malattie rare entrano in vigore dal centottantesimo giorno dalla data di entrata in vigore del presente Decreto; entro tale data le Regioni e le provincie adeguano le Reti regionali per le malattie rare con l'individuazione dei relativi Presidi e i Registri regionali". Dal 15 settembre 2017 sono effettivamente vigenti le nuove esenzioni per malattia rara ma le prestazioni erogabili sono quelle del vecchio nomenclatore.

Riguardo le malattie croniche (Allegato 8) sono previste nuove patologie esenti, tra cui le patologie renali croniche e il rene policistico autosomico dominante, e sono state aggiunte alcune patologie già esenti come malattie rare, quali la malattia celiaca o la sindrome di Down.

Per la maggior parte delle malattie incluse nell'elenco sono individuate una serie di prestazioni fruibili in esenzione. Per alcune particolari malattie le prestazioni in esenzione non sono individuate puntualmente in quanto le necessità assistenziali dei pazienti sono complesse e variabili. In tal caso, per garantire maggiore flessibilità assistenziale, il medico le individuerà di volta in volta.

È stato predisposto un elenco transitorio (Allegato 8-bis) che prevede che vengano erogate in esenzione numerose prestazioni specialistiche incluse nel nuovo nomenclatore ma le stesse non saranno immediatamente erogabili per cui è stato predisposto un l'elenco transitorio che individua, per le nuove patologie incluse nell'Allegato 8 del Decreto, solo le prestazioni specialistiche già presenti nel nomenclatore vigente delle prestazioni ambulatoriali. L'elenco provvisorio (Allegato 8-bis) cesserà di operare all'entrata in vigore del nuovo nomenclatore delle prestazioni specialistiche ambulatoriali.

Alcune patologie sono state spostate dall'elenco delle croniche a quello delle rare o viceversa, e qualcuna è stata esclusa dalla lista non rispondendo più ai suddetti criteri.

Il primo aggiornamento dei LEA avrebbe dovuto aver luogo entro il 28 febbraio 2017, mentre entro il 15 marzo 2017 avrebbe dovuto essere adottato il relativo provvedimento di aggiornamento.

Non essendo ancora stati emanati i decreti che fissano le tariffe massime (nomenclatori) dell'assistenza specialistica ambulatoriale e protesica, rendendo così non fruibili le nuove prestazioni, sono erogate le prestazioni e gli ausili elencati nel precedente nomenclatore del DM n. 332/1999 (16).

Malattie rare e malattie croniche

Il DL.vo del 124/1998 (17) all'art. 5 ha individuato le malattie rare che danno diritto all'esenzione in base ai seguenti criteri generali:

- rarità (riferita al limite di prevalenza < 5/10.000 abitanti stabilito a livello europeo);
- gravità clinica;
- grado di invalidità;
- onerosità della quota di partecipazione derivante dal costo del relativo trattamento.

Il DM n. 279/2001 (18) ha definito un primo elenco di malattie rare che hanno diritto all'esenzione del ticket. L'elenco è sottoposto a periodici aggiornamenti.

A questi si sono aggiunti due ulteriori criteri specifici: diagnosi difficoltà e/o ritardo diagnostico e difficoltà di individuare le prestazioni adeguate alle complesse necessità assistenziali.

L'art. 5 prevede che l'esenzione dal ticket è garantita in considerazione dell'onerosità e della complessità dell'iter diagnostico per:

- le prestazioni finalizzate alla diagnosi, eseguite presso i Presidi della Rete nazionale sulla base di un sospetto diagnostico formulato da uno specialista dell'SSN;
- le indagini genetiche sui familiari dell'assistito eventualmente necessarie per diagnosticare, all'assistito, una malattia rara di origine genetica.

L'art. 6 ha aggiunto l'esenzione dal ticket anche per:

- tutte le prestazioni appropriate ed efficaci per il trattamento e il monitoraggio della malattia rara accertata e per la prevenzione degli ulteriori aggravamenti incluse nei livelli essenziali di assistenza;

- il costo delle prestazioni necessarie per l'inclusione nelle liste di trapianto.

Per ottenere l'esenzione deve essere presentata la richiesta all'Azienda sanitaria locale di residenza, presentando una certificazione con la diagnosi di una o più malattie rare incluse nell'elenco, rilasciata da uno dei Centri di diagnosi e cura, anche fuori della Regione di residenza.

La prescrizione delle prestazioni sanitarie erogabili in regime di esenzione deve recare l'indicazione della malattia rara e deve essere effettuata secondo criteri di efficacia e di appropriatezza rispetto alle condizioni cliniche individuali, con riferimento ai protocolli, ove esistenti, definiti dai Centri di riferimento e in collaborazione con i presidi della Rete.

L'elenco delle malattie rare esenti dalla partecipazione al costo è stato ampliato dal DPCM del 12 gennaio 2017 (Allegato 7) (13) con la definizione dei nuovi LEA e delle relative prestazioni alle quali si ha diritto. Le nuove esenzioni per malattia rara e/o gruppi sono entrate in vigore il 15 settembre 2017, per dare il tempo alle Regioni di individuare i Centri di riferimento esperti nel trattamento delle nuove malattie.

L'aggiornamento dell'elenco con l'inserimento di oltre 110 nuove entità, tra singole malattie rare e gruppi, che danno diritto all'esenzione, ha comportato una revisione sistematica dell'elenco. Le categorie piuttosto ampie, incluse nel nuovo elenco con ulteriori codici di gruppo, identificano tutte le malattie rare che ne fanno parte, purché rispondenti ai criteri di rarità, gravità e grado di invalidità associato, oltre che di onerosità del costo del trattamento.

L'elenco, completamente ristrutturato, prevede in particolare che i gruppi di malattie rare siano "aperti" in modo da consentire che tutte le patologie riconducibili a un gruppo, anche se non puntualmente elencate, abbiano diritto all'esenzione.

Sono stati mantenuti i codici di esenzione già adottati, nonostante alcune malattie siano state ricollocate in gruppi diversi rispetto al precedente elenco, al fine di evitare disagi ai pazienti e rendere meno difficoltose le procedure amministrative.

Riguardo le malattie croniche, per alcune di esse l'SSN prevede la possibilità di usufruire in esenzione dal ticket di alcune prestazioni di specialistica ambulatoriale, finalizzate al monitoraggio della malattia e alla prevenzione di complicanze e ulteriori aggravamenti (DM 329/99 e successive modifiche) (19).

Le malattie e le condizioni che danno diritto all'esenzione sono individuate in base ai criteri dettati dal DL.vo 124/98 (gravità clinica, grado di invalidità e onerosità della quota di partecipazione derivante dal costo del relativo trattamento) (17).

Il DPCM del 12 gennaio 2017 (13) ha ridefinito e aggiornato anche l'elenco delle malattie croniche (Allegato 8) e una serie di specifiche prestazioni fruibili in esenzione, incluse nel nomenclatore della specialistica ambulatoriale, che rispondono ai criteri di appropriatezza ai fini del monitoraggio dell'evoluzione della malattia e delle sue complicanze e di efficacia per la prevenzione degli ulteriori aggravamenti.

Nota AIFA 39 e regime di esenzione

La prima Nota AIFA 39 è stata introdotta nel 2004 (1) e successivamente è stata oggetto di diversi processi di revisione. Attualmente è in vigore la Nota 39 del 2021 (20, 21) che ha aggiunto la diagnosi di Sindrome di Noonan, dimostrata geneticamente, tra le patologie per cui è prevista la rimborsabilità della terapia con somatropina.

Nella Tabella 1 sono riportati esempi di prestazione ambulatoriali per accertamento e monitoraggio, in base a linee guida, raccomandazioni e consensus, utilizzate per le diagnosi previste dalla Nota AIFA 39, di cui molte sono ripetute durante il follow-up. Per le condizioni dell'età evolutiva, va aggiunta la Determinazione dell'età ossea necessaria soprattutto per determinare la fine del trattamento con somatropina.

Tabella 1. Esempi di prestazioni utilizzate per le diagnosi previste dalla Nota AIFA 39

Fasce d'età	Diagnosi secondo NOTA AIFA 39	Esempi di prestazioni
Primi due anni di vita periodo neonatale (entro il primo mese di vita)		visite cliniche, esami di laboratorio, RMN
		visite cliniche, esami di laboratorio, RMN
Età Evolutiva	Bassa statura da deficit di GH definita da parametri clinici, auxologici e strumentali	visite cliniche, esami di laboratorio, test farmacologici, test genetici, RMN
	Soggetti affetti dalla sindrome di Turner	test genetici, visita cliniche, esami di laboratorio, altri esami diagnostici
	Deficit staturale nell'insufficienza renale cronica	visite cliniche, esami di laboratorio
	Soggetti affetti dalla sindrome di Prader-Willi	test genetici, visite cliniche, esami di laboratorio, altri esami diagnostici,
	Deficit staturale in soggetti con alterata funzione del gene SHOX, dimostrata geneticamente	test genetici, visite cliniche, esami di laboratorio
	Bambini nati piccoli per l'età gestazionale (SGA)	visite cliniche, esami di laboratorio,
	Soggetti affetti dalla sindrome di Noonan, dimostrata geneticamente, con statura -2,5 DS	visite cliniche, esami di laboratorio, test genetici
Età Transizione	Deficit di GH causato da mutazione genetica documentata	visite cliniche, esami di laboratorio, test farmacologici, test genetici, esami strumentali
	Panipopituitarismo o ipopituitarismo comprendente 3 o più deficit ipofisari congeniti o acquisiti	
	Deficit di GH confermato da test farmacologici	
	Sindrome di Prader-Willi con panipopituitarismo congenito o acquisito organico	
Età Adulta	Ipopituitarismo post ipofisectomia totale o parziale (chirurgica, da radiazioni)	visite cliniche, esami di laboratorio, test farmacologici, test genetici, RMN
	Ipopituitarismo idiopatico, post ipofisite autoimmune, post trauma cranio-encefalico, da terapie chirurgiche o radianti per neoplasie sellari e parasellari, da sella vuota primitiva, da Sindrome di Sheehan	
	Deficit congenito di GH da causa genetica dimostrata	

Le diagnosi individuate nella Nota 39 che danno diritto alla rimborsabilità della terapia con somatropina comprendono condizioni per le quali la diagnosi strumentale, di laboratorio, follow-up ecc. può essere sia a carico del cittadino che in esenzione dalla partecipazione al costo.

Diverse diagnosi previste dalla Nota sono, infatti, riconducibili a malattie croniche o a malattie rare incluse negli elenchi del DPCM.

Per le malattie croniche, il nanismo ipofisario è incluso nell'elenco con il codice di esenzione 039, che attualmente prevede l'esenzione dal ticket, secondo l'Allegato 8-bis, per il pacchetto prestazionale riportato in Tabella 2.

Tabella 2. Prestazioni in esenzione per nanismo ipofisario (cod. 039 (.253.3) previste nell'Allegato 8 bis del DPCM 2017

Codice	Prestazioni	Frequenza
89.01	Anamnesi e valutazione, definite brevi - Storia e valutazione abbreviata, Visita successiva alla prima	
90.11.4	Calcio totale [s/u/du]	
90.35.1	Ormone Somatotropo (gh) [p/u]	
91.49.2	Prelievo di sangue venoso	
87.03.1	Tomografia Computerizzata (TC) del capo, senza e con contrasto; TC del cranio [sella turcica, orbite]; TC dell'encefalo	non più di una volta l'anno
88.33.1	Studio dell'età ossea (1 proiezione) polso-mano o ginocchia	

L'Allegato 8 del nuovo DPCM ha, invece, allargato il pacchetto come riportato in Tabella 3.

Tabella 3. Prestazioni in esenzione per nanismo ipofisario (cod. 039 (.253.3) previste nell'Allegato 8 del DPCM 2017

Codice	Prestazioni	Frequenza
-	Visita di controllo necessaria al monitoraggio della malattia, delle complicanze più frequenti e alla prevenzione degli ulteriori aggravamenti (* Nota)	
90.11.4	Calcio totale [s/u/du]	
90.35.1	Ormone Somatotropo (gh) [p/u]	
90.40.7	Insulin Growth Factor [IGF-1 o Somatomedina C]	
91.49.2	Prelievo di sangue venoso	
87.03.1	TC cranio-encefalo senza e con mdc-non associabile a TC Sella Turcica con e senza MDC (cod. 87.03.B) e TC Orbite con e senza MDC (cod. 87.03.D)	non più di una volta l'anno
88.33.1	Studio dell'età ossea (1 proiezione) polso-mano o ginocchia	

* Nota: il prescrittore identifica la tipologia di visita richiesta e il relativo codice tra quelli presenti nel nomenclatore della specialistica ambulatoriale

L'Allegato 8, non ancora in vigore, aggiunge la prestazione "IGF-1" e la "visita di controllo necessaria al monitoraggio della malattia, delle complicanze più frequenti e alla prevenzione degli ulteriori aggravamenti" con una nota specifica per il prescrittore. Tra gli esami erogabili in esenzione è prevista la Tomografia Computerizzata (TC), esame necessario per approfondimenti diagnostici, che l'Allegato 8 definisce in maniera più dettagliata.

Rimane esclusa, tra le prestazioni previste in esenzione in entrambi gli Allegati, la Risonanza Magnetica Nucleare (RMN), pertanto, a totale carico dell'assistito. Da mettere in evidenza che la Nota 39 preveda l'utilizzo di indagini strumentali per l'accertamento delle condizioni per la rimborsabilità della terapia con somatropina.

Nell'elenco delle malattie croniche è inclusa anche l'insufficienza renale cronica che in età pediatrica, comporta quasi sempre gravi disturbi dell'accrescimento ed è, perciò, prevista nella Nota AIFA 39. Le prestazioni esentabili sono riferite al codice di esenzione 023.585 e includono un pacchetto prestazionale ampio con visite di controllo necessarie al monitoraggio della malattia, delle complicanze più frequenti e alla prevenzione degli ulteriori aggravamenti, esami di laboratorio per la valutazione della funzione renale e dello stato infettivo, ed esami strumentali.

Per quanto riguarda le malattie rare, la Nota 39 include diverse patologie diagnosticabili con test genetici, individuati nelle prestazioni per le malattie rare ed erogabili in esenzione nell'Allegato 7 del DPCM 2017, per le quali le disposizioni sono vigenti ma le prestazioni erogabili sono quelle del vecchio nomenclatore.

Condizioni per le quali la Nota 39 prevede la diagnosi citogenetica, come la Sindrome di Turner, la sindrome di Prader-Willi e la sindrome di Noonan, sono esenti dalla partecipazione al costo per le prestazioni necessarie alla diagnosi (art. 5, comma 1 del DM 279/2001) in quanto malattie rare.

La bassa statura da alterazione del gene SHOX (*Short Stature Homeobox-containing gene*) è un'altra condizione per cui la Nota 39 prevede la rimborsabilità del trattamento con somatropina previa diagnosi genetica. È una malattia classificata tra le rare (cod. OMIM:300582) che, attualmente, non risulta citata nell'elenco dell'Allegato 7.

Inoltre, tra le malattie rare sono incluse sindromi malformative congenite con bassa statura come segno principale che non sono descritte nella Nota 39 (Tabella 4).

Tabella 4. Sindromi malformative congenite con bassa statura come segno principale

Capitolo	Codice esenzione	Malattia e/o gruppo	Sindromi (con i rispettivi codici)
Malformazioni congenite, cromosomopatie e sindrome genetiche	RNG092	Sindromi malformative congenite gravi e invalidanti con bassa statura come segno principale	Sindrome di AARKOG (cod.RN0790) Sindrome di DUBOWITZ (cod.RNO870) Sindrome di ROBINOW (cod.RN1070) Sindrome di RUSSELL-SILVER (cod. RN1080) Sindrome di SECKEL (cod.RN1100) Short Sindrome (cod. RNO730) Nanismo Osteodisplastico Microcefalico Primitivo (MOPD)

Per le altre condizioni previste dalla Nota 39 resta difficile l'inquadramento in patologie per le quali è prevista l'esenzione dal ticket e, quindi, anche il pacchetto prestazionale collegato.

Regioni e l'attuazione dei nuovi LEA

Come già riportato, il DPCM 2017 dei LEA non è ancora in vigore nella sua totalità in attesa del nuovo tariffario e del conseguente nuovo nomenclatore.

Nel frattempo le Regioni, con proprie disposizioni regionali, hanno dato attuazione al DPCM del 12 gennaio 2017 fornendo indicazioni operative in merito e nello specifico confermando:

- per le malattie rare: le disposizioni relative all'assistenza delle persone affette da malattie rare descritte nell'Allegato 7, dovranno decorrere dal 15 settembre 2021. Le malattie rare sono contenute nell'Allegato 7.

- per le malattie croniche: le disposizioni contenute nell'Allegato 8, in materia specialistica ambulatoriale sono rinviate all'entrata in vigore del nuovo tariffario. Fino a tale data, l'elenco delle malattie croniche e invalidate che hanno diritto all'esenzione e ai relativi pacchetti prestazionali sono contenute nell'Allegato 8 *bis*.

Conclusioni

La gestione clinica dei soggetti in trattamento con somatropina è alquanto complessa in relazione alla notevole eterogeneità delle patologie, dell'età dei soggetti e della cronicità della terapia, il che rende particolarmente difficile l'applicazione dei provvedimenti relativi all'esenzione dal pagamento del ticket.

Alla complessità della situazione clinica si aggiunge la mancata o parziale attuazione del nuovo DPCM sui LEA che consentirebbe l'applicazione pacchetti prestazionali più adeguati e aggiornati alle evidenze scientifiche. In questo senso le regioni giocano un ruolo importante in virtù della possibilità di adottare misure temporanee che consentano di superare le problematiche più evidenti.

In definitiva, è auspicabile una maggiore connessione tra i provvedimenti politici, attuativi e trasversali tra istituzioni nazionali e locali nella gestione delle problematiche che riguardano la salute dei cittadini, con particolare riguardo ai soggetti fragili.

Bibliografia

1. Agenzia Italiana del Farmaco. Determinazione del 29 ottobre 2004. Note AIFA 2004 (Revisione delle note CUF). *Supplemento ordinario alla Gazzetta Ufficiale - Serie Generale* n. 259 del 4 novembre 2004.
2. Italia. Legge 23 dicembre 1978, n. 833. Istituzione del Servizio Sanitario Nazionale. *Gazzetta Ufficiale Supplemento Ordinario*. n. 360 del 28 dicembre 1978.
3. Italia. Decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri 29 novembre 2001. Definizione dei livelli essenziali di assistenza. *Gazzetta Ufficiale – Serie Generale* n.33 del 8 febbraio 2002, Supplemento Ordinario n. 26).
4. Italia. Legge 23 ottobre 1992, n. 421. Delega al Governo per la razionalizzazione e la revisione delle discipline in materia di sanità, di pubblico impiego, di previdenza e di finanza territoriale. *Gazzetta Ufficiale, Supplemento Ordinario* n. 257 del 31 ottobre 1992.
5. Italia. Decreto Legislativo 30 dicembre 1992, n. 502. Riordino della disciplina in materia sanitaria, a norma dell'articolo 1 della Legge 23 ottobre 1992, n. 421. *Gazzetta Ufficiale – Supplemento Ordinario* n. 305 del 30 dicembre 1992.
6. Italia. Decreto Legislativo 7 dicembre 1993, n. 517. Modificazioni al Decreto Legislativo 30 dicembre 1992, n. 502, recante riordino della disciplina in materia sanitaria, a norma dell'art. 1 della Legge 23 ottobre 1992, n. 421". *Gazzetta Ufficiale – Serie Generale* n. 293 del 15 dicembre 1993 - *Supplemento Ordinario* n. 113.
7. Agazio E, Salerno P, Taruscio D. La riforma sanitaria: il Servizio Sanitario Nazionale. Principi fondamentali della Legge 833/1978. In Agazio E, Salerno P, Taruscio D (Ed.). *Servizi socio-sanitari: dalla Legge 833/1978 alla devolution*. Roma: Istituto Superiore di Sanità; 2004. (Rapporti ISTISAN 04/18). pag. 5-9.
8. Italia. Decreto Legislativo 19 giugno 1999, n. 229. Norme per la razionalizzazione del Servizio Sanitario Nazionale, a norma dell'articolo 1 della Legge 30 novembre 1998, n. 419. *Gazzetta Ufficiale – Supplemento Ordinario* n. 165 del 16 luglio 1999.

9. Agazio E, Salerno P, Taruscio D. Principali cambiamenti legislativi introdotti dalla riforma Bindi (DL.vo 229/1999). In Agazio E, Salerno P, Taruscio D (Ed.). *Servizi socio-sanitari: dalla Legge 833/1978 alla devolution*. Roma: Istituto Superiore di Sanità; 2004. (Rapporti ISTISAN 04/18). pag. 10-14.
10. Italia. Legge costituzionale 18 ottobre 2001, n. 3. Modifiche al titolo V della parte seconda della Costituzione. *Gazzetta Ufficiale* n. 248 del 24 ottobre 2001.
11. Italia. Decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri 29 novembre 2001. Definizione dei livelli essenziali di assistenza. *Gazzetta Ufficiale – Serie Generale* n.33 del 8 febbraio 2002 - *Supplemento Ordinario* n. 26.
12. Italia. Accordo della Conferenza Permanente per i rapporti tra lo Stato le Regioni e le Province Autonome Di Trento e Bolzano. *Gazzetta Ufficiale – Serie Generale* n 207 del 6 settembre 2001.
13. Italia. Decreto Del Presidente del Consiglio dei Ministri del 12 gennaio 2017. Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all'articolo 1, comma 7, del Decreto Legislativo 30 dicembre 1992, n. 502. (17A02015) del 12 gennaio 2017. *Gazzetta Ufficiale - Serie Generale* n. 65 del 18 marzo 2017 - *Supplemento Ordinario* n. 15.
14. Italia. Legge del 30 dicembre 2018 n. 145. Bilancio di previsione dello Stato per l'anno finanziario 2019 e bilancio pluriennale per il triennio 2019-2021. (18G00172). *Gazzetta Ufficiale- Serie Generale* n.302 del 31 dicembre 2018 - *Supplemento Ordinario* n. 62.
15. Italia. Legge del 30 dicembre 2021, n. 234. Bilancio di previsione dello Stato per l'anno finanziario 2022 e bilancio pluriennale per il triennio 2022-2024. (21G00256). *Gazzetta Ufficiale- Serie Generale* n. 310 del 31 dicembre 2021 - *Supplemento Ordinario* n. 49.
16. Italia. Decreto Ministeriale del 27 agosto 1999 n. 332. Regolamento recante norme per le prestazioni di assistenza protesica erogabili nell'ambito del Servizio Sanitario Nazionale: modalità di erogazione e tariffe. *Gazzetta Ufficiale* n. 227 del 27 settembre 1999 - *Supplemento Ordinario* n. 176.
17. Italia. Decreto Legislativo 29 aprile 1998 n. 124. Ridefinizione del sistema di partecipazione al costo delle prestazioni sanitarie e del regime delle esenzioni, a norma dell'articolo 59, comma 50, della Legge 27 dicembre 1997, n. 449. *Gazzetta Ufficiale* n. 99 del 30 aprile 1998.
18. Italia. Decreto Ministeriale 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. *Gazzetta Ufficiale* n. 160 del 12 luglio 2001-*Supplemto Ordinario* n. 180.
19. Italia. Decreto Ministeriale del 28 maggio 1999, n. 329. Regolamento recante norme di individuazione delle malattie croniche e invalidanti ai sensi dell'articolo 5, comma 1, lettera a), del Decreto Legislativo 29 aprile 1998, n. 124. *Gazzetta Ufficiale - Serie Generale* n.226 del 25-settembre 1999 - *Supplemento Ordinario* n. 174.
20. Agenzia Italiana del Farmaco. Determina del 6 aprile 2021. Modifica della Nota AIFA 39 di cui alla Determina AIFA n. 458/2020. (Determina n. DG 390/2021). (21A02189). *Gazzetta Ufficiale - Serie Generale* 87 del 12 aprile 2021.
21. Agenzia Italiana del Farmaco. Determina del 16 aprile 2021. Rettifica dell'Allegato alla Determina n. 390/2021 del 6 aprile 2021, concernente la modifica della Nota AIFA 39 di cui alla Determina AIFA n. 458/2020. (Determina n. DG/430/2021). (21A02402). *Gazzetta Ufficiale - Serie Generale* 100 del 27 aprile 2021.