

DELIBERAZIONE DELLA GIUNTA REGIONALE 11 luglio 2022, n. 986

Preso d'atto della deliberazione del Direttore Generale A.Re.S.S. n. 36/2021, ad oggetto "Proposta Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale per le persone affette da Polineuropatia Infiammatoria Cronica Demyelinizzante (CIDP, secondo l'acronimo inglese, Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy)"

L'Assessore alla Sanità, Benessere Animale, Controlli interni, Controlli connessi alla gestione emergenza Covid -19, sulla base dell'istruttoria espletata dalla Responsabile della P.O. *"Sviluppo Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali (PDTA) e attività progettuali"*, e confermata dalla Dirigente del Servizio Strategie e Governo dell'Assistenza Territoriale e dal Dirigente della Sezione Strategie e Governo dell'Offerta, riferisce quanto segue:

Visti:

- La Legge n. 241/1990 recante "Nuove norme in materia di procedimento amministrativo e di diritto di accesso ai documenti amministrativi" e ss.mm.ii.;
- il D.Lgs. 502/1992 e s.m.i., all'art. 2, co. 1, attribuisce alle Regioni l'esercizio delle funzioni legislative ed amministrative in materia di assistenza sanitaria ed ospedaliera, nel rispetto dei principi stabiliti dalle leggi nazionali;
- la Delibera di Giunta Regionale 1518 del 31/7/2015, recante "Adozione del modello organizzativo denominato Modello ambidestro per l'innovazione della macchina amministrativa regionale – MAIA. Approvazione atto di alta amministrazione";
- la Deliberazione della Giunta Regionale n. 1974 del 7/12/20, recante "Approvazione Atto di Alta Organizzazione. Modello Organizzativo "MAIA 2.0";
- il Decreto Ministeriale 2 aprile 2015 n. 70 "Regolamento recante definizione degli standard qualitativi, strutturali, tecnologici e quantitativi relativi all'assistenza ospedaliera";
- la deliberazione di Giunta Regionale n. 1195/2019 recante "Approvazione provvedimento unico - Proposta di Regolamento regionale: "Riordino ospedaliero della Regione Puglia ai sensi del D.M. n. 70/2015 e delle Leggi di Stabilità 2016-2017";
- la deliberazione della Giunta Regionale n. 26 del 12/01/2018, recante "Recepimento Accordi Stato - Regioni su obiettivi di carattere prioritario e di rilievo nazionale e obiettivi del Piano Sanitario Nazionale";
- la deliberazione della Giunta Regionale n. 2485 del 15/12/2009 recante "Malattie rare – D.M. n. 279 del 18 maggio 2001 – Accordo Stato-Regioni del 10 maggio 2007 – Istituzione Centro di assistenza e ricerca sovraziendale – Costituzione Coordinamento Regionale Malattie Rare (Co.Re.Ma.R.)";
- la deliberazione della Giunta Regionale n. 226 del 23/02/2017, recante "Approvazione del percorso di definizione dei Piani Diagnostico Terapeutici (PDT) e dei Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali (PDTA) per Malattie Rare;
- la deliberazione della Giunta Regionale n. 225 del 23/02/2017, recante "Istituzione nelle Aziende Sanitarie Locali del Centro Territoriale per la facilitazione di accesso delle persone affette da malattie rare e delle famiglie "Il Filo di Arianna";
- la deliberazione della Giunta Regionale n. 1491 del 03/10/2017, recante "DPCM 12 gennaio 2017 "Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza di cui all'art. 1, comma 7, del d.lgs. n. 502/92" – Aggiornamento della Rete dei Presidi della Rete Nazionale (PRN) e Nodi della Rete Regionale Pugliese (RERP) accreditati per le Malattie Rare";
- la deliberazione della Giunta Regionale n. 658 del 24/04/2018, avente ad oggetto "Approvazione del documento tecnico di indirizzo per costruire la rete assistenziale pugliese attraverso i Percorsi Diagnostici Terapeutici Assistenziali – PDTA";
- visti i Regolamenti regionali n. 23/2019 ad oggetto "Riordino ospedaliero della Regione Puglia ai sensi del D.M. n° 70/2015 e delle Leggi di Stabilità 2016-2017" e n. 14/2020 ad oggetto "Potenziamento della rete ospedaliera, ai sensi dell'art. 2 del decreto-legge 19 maggio 2020, n. 34. Modifica e integrazione del Regolamento regionale n. 23/2019";

- Vista la Deliberazione di Giunta regionale n.134 del 15/02/2022 ad oggetto: *“Adozione del Piano di potenziamento e Riorganizzazione della Rete Assistenziale Territoriale (ai sensi dell’art.1 decreto-legge 19 maggio 2020 n.34, conversione legge n.77 del 17 luglio 2020) - Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza – (PNRR). Indicazioni per la Programmazione degli investimenti a valere sulla missione 6”* e la D.G.R. n. 688 dell’11/5/2022 ad oggetto *“Approvazione Rete Assistenziale Territoriale in attuazione del Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza – D.M. 20 gennaio 2022 e della Deliberazione di Giunta Regionale n.134 del 15/02/2022”*;
- Vista la D.G.R. 15 settembre 2021, n.1466 recante l’approvazione della Strategia regionale per la parità di genere, denominata *“Agenda di Genere”*;
- Vista la D.G.R. del 7/3/2022 n.302 recante Valutazione di impatto di Genere. Sistema di gestione e di monitoraggio.

Premesso che:

- il Decreto Ministeriale 2 aprile 2015 n. 70 *“Regolamento recante definizione degli standard qualitativi, strutturali, tecnologici e quantitativi relativi all’assistenza ospedaliera”* recepito con Intesa della Conferenza Stato-Regioni (Rep. Atti n. 198/CSR del 13 gennaio 2015), di cui ai Regolamenti Regionali n. 23/2019 e n. 14/2020, avvia il processo di riassetto strutturale e di qualificazione della rete assistenziale ospedaliera,
- lo stesso D.M. n. 70/2015 prevede altresì che per la definizione delle reti cliniche le Regioni adottino specifiche disposizioni tenendo conto delle linee guida organizzative e delle raccomandazioni già contenute negli appositi Accordi sanciti in sede di Conferenza Stato Regioni sulle rispettive materie;
- la Legge Regionale n. 29 del 24 luglio 2017 *“Istituzione dell’Agenzia Regionale per la salute e il sociale (A.Re.S.S.)”* prevede, all’art. 3 – Competenze, lett. c), lo sviluppo e monitoraggio del sistema delle reti cliniche, secondo il modello cosiddetto *“hub&spoke”*, attraverso l’elaborazione di linee guida e percorsi diagnostico-terapeutici assistenziali che assicurino integrazione dei servizi (ospedale, territorio e domicilio) e la reale presa in carico dei bisogni dei pazienti;
- il PDTA rappresenta lo strumento elettivo per la programmazione dei servizi, per il governo della sostenibilità di sistema, per il miglioramento della qualità delle cure e per l’equità di accesso;
- il PDTA è uno degli strumenti essenziali del governo clinico necessario per definire gli standard assistenziali e verificare l’appropriatezza delle prestazioni erogate attraverso precisi indicatori che misurino l’aderenza alle linee guida e, come tale, il PDTA è finalizzato sia al controllo dei processi clinici ed organizzativi interni ad una struttura ospedaliera, sia al loro miglioramento.

Tenuto conto che:

- la D.G.R. n. 658/2018 dava mandato ad A.Re.S.S. di predisporre nell’ambito della Rete Malattie Rare tra gli altri il PDTA per la CIDP (Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy);
- il Co.Re.Ma.R., sulla base delle indicazioni contenute nella DGR n. 226/2017 e n. 658/2018, ha costituito il gruppo di lavoro per la predisposizione del PDTA regionale per la CIDP. Il gruppo di lavoro risulta composto dal Responsabile Tecnico Scientifico PDTA CIDP, dott.ssa Giuseppina Annichiarico e da un gruppo di esperti della patologia oggetto del citato PDTA (medici dei Presidi della Rete Nazionale – PRN); è stata garantita la presenza dello Staff Co.Re.Ma.R., dei Referenti Malattie Rare delle sei ASL Pugliesi così come dei rappresentanti delle associazioni dei pazienti coadiuvate da un rappresentante della Rete A.Ma.Re. Puglia.

Atteso che:

- con deliberazione del Direttore Generale n.36 del 19/02/2021, che costituisce parte integrante e sostanziale del presente provvedimento, l’A.Re.S.S. ha approvato il documento *“Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale PDTA per persone affette da Polineuropatia Infiammatoria Cronica Demyelinizzante (CIDP, secondo l’acronimo inglese, Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy)”*;

- Nello specifico, il documento elaborato è finalizzato alla:
 - ✓ ottimizzazione del percorso diagnostico, per ridurre il ritardo diagnostico e garantire accertamenti diagnostici basati su criteri uniformi e supportati dalle evidenze scientifiche di appropriatezza, efficacia e sicurezza;
 - ✓ ottimizzazione della presa in carico delle persone con polineuropatie demielinizzanti nell'ambito delle reti di assistenza secondo percorsi definiti ed esplicitati, con interventi attuati in continuità assistenziale;
 - ✓ integrazione multidisciplinare tra professionisti delle diverse strutture coinvolte, mediante l'utilizzo di strumenti e linguaggi condivisi al fine di garantire uniformità nel trattamento dei pazienti con CIDP;
 - ✓ precocità di attuazione del piano terapeutico-riabilitativo;
 - ✓ identificazione di indicatori per il monitoraggio dei livelli di qualità delle cure prestate;
- il predetto documento è stato oggetto di modifiche ed integrazioni da parte della Sezione Strategie e Governo dell'Offerta e della Sezione Farmaci, Dispositivi Medici e Assistenza Integrativa,

Tanto premesso e considerato, sulla base delle risultanze istruttorie come innanzi illustrate e motivate, ai sensi della L.R. 7/1997, art. 4, comma 4, lettera a, si propone alla Giunta Regionale:

1. di prendere atto della deliberazione del Direttore Generale dell' A.Re.S.S. n. 36 del 19/02/2021 avente ad oggetto *"Proposta Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale per le persone affette da Polineuropatia Infiammatoria Cronica Demielinizzante (CIDP, secondo l'acronimo inglese, Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy)";*
2. di approvare il documento recante *"Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale PDTA per persone affette da Polineuropatia Infiammatoria Cronica Demielinizzante (CIDP, secondo l'acronimo inglese, Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy)"* che costituisce parte integrante e sostanziale del presente schema di provvedimento, tenuto conto delle modifiche apportate dalla Sezione Strategie e Governo dell'Offerta e dalla Sezione Farmaci, Dispositivi Medici e Assistenza Integrativa;
3. di rimandare per quanto attiene le modalità di rimborso in regime di ricovero specialistica ambulatoriale e day service alle disposizioni di cui alla Deliberazione di Giunta n. 403 del 15/4/2021;
4. di stabilire che le prestazioni rese in regime di ricovero o di specialistica ambulatoriale erogate dalle strutture private accreditate, eventualmente ricomprese nella rete assistenziale, sono da intendersi ricomprese nei limiti del tetto di spesa assegnato;
5. di stabilire che il PDTA per persone affette da Polineuropatia Infiammatoria Cronica Demielinizzante (CIDP, secondo l'acronimo inglese, Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy) nonché la Rete dei Centri che possono somministrare la terapia e verificare l'andamento clinico della patologia potranno essere modificati con atto dirigenziale da parte della competente Sezione Strategie e Governo dell'Offerta;
6. di notificare il presente provvedimento al Direttore Generale dell'A.Re.S.S., alle Aziende Sanitarie Locali, alle Aziende Ospedaliere Universitarie, agli IRCCS pubblici e privati, agli Enti Ecclesiastici, e alla Sezione Farmaci, Dispositivi Medici e Assistenza Integrativa, a cura del Servizio proponente;
7. di disporre la pubblicazione del presente provvedimento sul Bollettino Ufficiale della Regione Puglia, ai sensi della L.R. 13/94.

**Verifica ai sensi del D. Lgs. n. 196/2003 e del Regolamento (UE) 2016/679
Garanzie di riservatezza**

La pubblicazione sul BURP, nonché la pubblicazione all'Albo o sul sito istituzionale, salve le garanzie previste dalla legge 241/1990 in tema di accesso ai documenti amministrativi, avviene nel rispetto della tutela della riservatezza dei cittadini secondo quanto disposto dal Regolamento UE n. 679/2016 in materia di protezione dei dati personali, nonché dal D.Lgs. 196/2003 ss.mm.ii., ed ai sensi del vigente Regolamento regionale 5/2006

per il trattamento dei dati sensibili e giudiziari. Ai fini della pubblicità legale, il presente provvedimento è stato redatto in modo da evitare la diffusione di dati personali identificativi non necessari ovvero il riferimento alle particolari categorie di dati previste dagli articoli 9 e 10 del succitato Regolamento UE, qualora tali dati fossero indispensabili per l'adozione dell'atto, essi sono trasferiti in documenti separati, esplicitamente richiamati. Non vi sono adempimenti di pubblicazione e notifica in ottemperanza alla normativa sulla privacy.

Valutazione di impatto di Genere

La presente deliberazione è stata sottoposta a Valutazione di Impatto di Genere ai sensi della D.G.R. n. 302 del 07/03/2022.

L'impatto di genere stimato è:

- diretto
- indiretto
- neutro

COPERTURA FINANZIARIA AI SENSI DEL D.LGS. N. 118/2011 E SS.MM.II.

La presente deliberazione non comporta implicazioni, dirette e/o indirette, di natura finanziaria sul Fondo Sanitario Regionale.

I sottoscritti attestano che il procedimento istruttorio loro affidato è stato espletato nel rispetto della vigente normativa regionale, nazionale e europea e che il presente schema di provvedimento, predisposto ai fini dell'adozione dell'atto finale da parte della Giunta Regionale, è conforme alle risultanze istruttorie.

La Responsabile della P.O.: **Angela CAPOZZI**

Il Dirigente di Servizio.: **Antonella CAROLI**

Il Dirigente della Sezione: **Mauro NICASTRO**

Il Direttore di Dipartimento ai sensi dell'art. 18, comma 1, Decreto del Presidente della Giunta regionale 31 luglio 2015, n. 443 e ss.mm.ii. non ravvisa la necessita di esprimere sulla proposta di delibera osservazioni ai sensi del combinato disposto degli artt. 18 e 20 del DPGR n.443/2015.

Il Direttore di Dipartimento Promozione della Salute, e del Benessere Animale: **Vito MONTANARO**

L'Assessore alla Sanità, Benessere Animale, Controlli interni, Controlli connessi alla gestione emergenza Covid -19: **Rocco PALESE**

LA GIUNTA

- Udita la relazione e la conseguente proposta dell'Assessore alla Sanità alla Sanità e al Benessere Animale;
- Viste le sottoscrizioni poste in calce al presente schema di provvedimento dalla Responsabile della P.O. "*Sviluppo Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali (PDTA) e attività progettuali*", dalla Dirigente del Servizio Strategie e Governo dell'Assistenza Territoriale e dal Dirigente della Sezione Strategie e Governo dell'Offerta;
- a voti unanimi espressi nei modi di legge

DELIBERA

1. di prendere atto della deliberazione del Direttore Generale dell' A.Re.S.S. n. 36 del 19/02/2021 avente ad oggetto *"Proposta Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale per le persone affette da Polineuropatia Infiammatoria Cronica Demyelinizzante (CIDP, secondo l'acronimo inglese, Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy)";*
2. di approvare il documento recante *"Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale PDTA per persone affette da Polineuropatia Infiammatoria Cronica Demyelinizzante (CIDP, secondo l'acronimo inglese, Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy)"* che costituisce parte integrante e sostanziale del presente schema di provvedimento, tenuto conto delle modifiche apportate dalla Sezione Strategie e Governo dell'Offerta e dalla Sezione Farmaci, Dispositivi Medici e Assistenza Integrativa;
3. di rimandare per quanto attiene le modalità di rimborso in regime di ricovero specialistica ambulatoriale e day service alle disposizioni di cui alla Deliberazione di Giunta n. 403 del 15/4/2021;
4. di stabilire che le prestazioni rese in regime di ricovero o di specialistica ambulatoriale erogate dalle strutture private accreditate, eventualmente ricomprese nella rete assistenziale, sono da intendersi ricomprese nei limiti del tetto di spesa assegnato;
5. di stabilire che il PDTA per persone affette da Polineuropatia Infiammatoria Cronica Demyelinizzante (CIDP, secondo l'acronimo inglese, Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy) nonché la Rete dei Centri che possono somministrare la terapia e verificare l'andamento clinico della patologia potranno essere modificati con atto dirigenziale da parte della competente Sezione Strategie e Governo dell'Offerta;
6. di notificare il presente provvedimento al Direttore Generale dell'A.Re.S.S., alle Aziende Sanitarie Locali, alle Aziende Ospedaliere Universitarie, agli IRCCS pubblici e privati, agli Enti Ecclesiastici, e alla Sezione Farmaci, Dispositivi Medici e Assistenza Integrativa, a cura del Servizio proponente;
7. di disporre la pubblicazione del presente provvedimento sul Bollettino Ufficiale della Regione Puglia, ai sensi della L.R. 13/94.

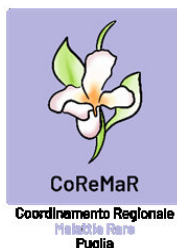
IL SEGRETARIO DELLA GIUNTA

ANNA LOBOSCO

IL PRESIDENTE DELLA GIUNTA

MICHELE EMILIANO

Codice Cifra: SGO / DEL / 2022/00059



**Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale
PDTA
per persone affette da Polineuropatia Infiammatoria
Cronica Demyelinizzante
(CIDP, secondo l'acronimo inglese,
Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy)**

Febbraio 2021

Sommario

| | |
|---|--|
| Scopo del PDTA | 2 |
| Gruppo di lavoro | 3 |
| Normativa | 5 |
| Epidemiologia | 6 |
| Aspetti clinici e classificazione | 7 |
| Criteri diagnostici | 7 |
| CRITERI DIAGNOSTICI DI INCLUSIONE PER CIDP | 8 |
| CRITERI CLINICI | 8 |
| DATI ELETTROFISIOLOGICI | 9 |
| CRITERI DI SUPPORTO PER LA DIAGNOSI DI CIDP | 9 |
| CRITERI DI ESCLUSIONE PER CIDP | 9 |
| CRITERI DIAGNOSTICI DI INCLUSIONE PER MMN | 10 |
| CRITERI CLINICI | 10 |
| CRITERI DI ESCLUSIONE PER MMN | 10 |
| DATI ELETTROFISIOLOGICI | 11 |
| CRITERI DI SUPPORTO | 11 |
| Terapia | Errore. Il segnalibro non è definito. |
| Bibliografia | 12 |
| Percorso Diagnostico | 13 |
| Gestione della terapia medica | 17 |
| FARMACI DI PRIMA LINEA | Errore. Il segnalibro non è definito. |
| FARMACI DI SECONDA LINEA | Errore. Il segnalibro non è definito. |
| Adempimenti burocratici per la gestione terapeutica | Errore. Il segnalibro non è definito. |
| Interventi riabilitativi | 19 |
| Follow up del paziente con CIDP/MMN | 20 |
| INDICATORI | 21 |
| ALLEGATI AL DOCUMENTO | 21 |

Scopo del PDTA

Il presente documento rappresenta un Percorso Diagnostico Terapeutico e Assistenziale (PDTA) per i soggetti affetti da polineuropatia infiammatoria cronica demielinizzante (CIDP, secondo l'acronimo inglese, Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy). La CIDP (RF0180) è una rara malattia del sistema nervoso periferico, a probabile genesi immunomediata, con una prevalenza di 0,7-10,3 casi per 100.000 abitanti, ad esordio in età infantile o, più frequentemente, nella 5°-6° decade.

Il PDTA include anche la sindrome di Lewis-Sumner o MADSAM (Multifocal Acquired Demyelinating Sensory and Motor Neuropathy), rara polineuropatia demielinizzante acquisita dell'adulto (RF0182), con prevalenza di 1-9 / 1 000 000, considerata una variante di CIDP.

Include inoltre la neuropatia motoria multifocale (MMN secondo l'acronimo inglese, Multifocal Motor Neuropathy) (RF0181) che ha una incidenza di circa 0,6 per 100.000 abitanti.

Dal PDTA sono invece escluse la polineuropatia anti-MAG (glicoproteina-mielina-associata) considerata una variante a localizzazione distale della CIDP e con analogo codice di esenzione, ma a patogenesi differente, e le altre neuropatie associate a paraproteinemie.

La Regione Puglia ritiene indispensabile la definizione di uno specifico e uniforme percorso di diagnosi e cura dei pazienti affetti da queste neuropatie in tutto il territorio pugliese, garantendo i migliori processi assistenziali in risposta ai reali e specifici bisogni di salute, basati su linee-guida nazionali ed internazionali adattate al contesto socio-economico della Regione. Il PDTA, inoltre, ha lo scopo di favorire l'integrazione tra gli operatori e di favorire un utilizzo congruo delle risorse anche attraverso la valutazione delle prestazioni erogate mediante indicatori oggettivi.

Nello specifico il documento elaborato è finalizzato alla:

- ottimizzazione del percorso diagnostico, per ridurre il ritardo diagnostico e garantire accertamenti diagnostici basati su criteri uniformi e supportati dalle evidenze scientifiche di appropriatezza, efficacia e sicurezza;
- ottimizzazione della presa in carico delle persone con polineuropatie demielinizzanti nell'ambito delle reti di assistenza secondo percorsi definiti ed esplicitati, con interventi attuati in continuità assistenziale;
- integrazione multidisciplinare tra professionisti delle diverse strutture coinvolte, mediante l'utilizzo di strumenti e linguaggi condivisi al fine di garantire uniformità nel trattamento dei pazienti con CIDP;
- precocità di attuazione del piano terapeutico-riabilitativo;
- identificazione di indicatori per il monitoraggio dei livelli di qualità delle cure prestate

Gruppo di lavoro

La gestione del PDTA è affidata all'A.Re.S.S. nella funzione di unità di project management mentre al CoReMaR, viene affidata quella di organismo di governance e di riferimento per tutti i portatori di interesse.

Il gruppo di lavoro nominato dall'A.Re.S.S.(DGR 658/2018 e 226/2017) è composto da un gruppo regionale di esperti della patologia oggetto del presente PDTA; è garantita la presenza del CoReMaR, dei Referenti Malattie Rare delle sei ASL Pugliesi così come dei rappresentanti delle associazioni dei pazienti coadiuvate da un rappresentante della Rete A.Ma.Re Puglia.

Ettore Attolini Direttore Area Innovazione Sociale, Sanitaria e di Sistema e Qualità - CRSS - ARESS Puglia,

Giuseppina Annicchiarico, Coordinatrice CoReMaR ARESS, Responsabile Tecnico Scientifico PDTA CIDP

Componenti esperti CoReMaR

Francesco Colasuonno Servizio Politiche del Farmaco, Sezione Risorse Strumentali e tecnologiche, Dipartimento promozione della Salute del Benessere e dello Sport per tutti

Giancarlo Logroscino, Dipartimento di Scienze Mediche di Base, Neuroscienze e Organi di Senso dell'Università degli Studi "Aldo Moro" di Bari, Centro per le Malattie Neurodegenerative e l'invecchiamento Cerebrale UNIBA/Pia Fondazione Panico.

Gruppo di lavoro CoReMaR

Teresa Fiorita, Economista, CoReMaR - ARESS Puglia

Claudia Laterza, Pediatra-Palliativista, CoReMaR - ARESS Puglia

Sonia Storelli, Pediatra-Neonatologa, CoReMaR - ARESS Puglia

Associazioni

Riccarda Scaringella Rete A.Ma.Re. Puglia

Massimo Marra, Presidente CIDP Italia ONLUS

Esperti dei centri

Giovanni Boero - SC Neurologia, Ospedale "SS. Annunziata" Taranto

Maria Pia Egidio - SC Qualità e Accreditamento, IRCCS "Casa Sollievo della Sofferenza", San Giovanni Rotondo (FG)

Cinzia Fedeli - SC Qualità e Accreditamento, IRCCS "Casa Sollievo della Sofferenza", San Giovanni Rotondo (FG)

Domenico Intiso - SC Medicina Fisica, Riabilitativa e Neuroriabilitazione, IRCCS "Casa Sollievo della Sofferenza", San Giovanni Rotondo (FG)

Salvatore La Spada - SC Neurologia, Ospedale "Di Summa - Perrino", Brindisi

Francesca Lapenna - UO Neurofisiopatologia, Azienda Ospedaliero-Universitaria Policlinico di Bari

Maurizio Leone - SC Neurologia, IRCCS "Casa Sollievo della Sofferenza", San Giovanni Rotondo (FG)

Filomena My - SC Neurologia, Ospedale "Vito Fazzi" Lecce

Antonella Petruzzellis- SC Neurologia, Ospedale "F. Miulli", Acquaviva delle Fonti (BA)

Michele Zarrelli - SC Neurologia, IRCCS "Casa Sollievo della Sofferenza", San Giovanni Rotondo (FG)

Saverio Nenna, Referente Malattie Rare ASL BT

Patrizia Suppressa – Centro Sovraziendale Malattie Rare – Azienda Ospedaliero-Universitaria
Policlinico di Bari

Esperti di società scientifiche

Pietro Fiore, Presidente Società Italiana Medicina Fisioterapia e Riabilitazione - Riabilitazione e
Patologia del movimento Università di Foggia

Redazione questionario percezione della qualità dell'assistenza

Stefania Pinnelli - Dipartimento di Storia, Società e Studi sull'uomo - Unisalento

Andrea Fiorucci - Dipartimento di Storia, Società e Studi sull'uomo - Unisalento

Normativa

- Legge 94/1998 "Conversione in legge, con modificazioni, del decreto-legge 17 febbraio 1998, n. 23, recante disposizioni urgenti in materia di sperimentazioni cliniche in campo oncologico e altre misure in materia sanitaria";
- DM n. 279 del 18 maggio 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 D.Lgs. 29 aprile 1998, n. 124".
- Circolare Ministero della Salute n. 13 del 13 dicembre 2001 Ministero della Salute "Indicazioni per l'applicazione dei regolamenti relativi all'esenzione per malattie croniche e rare;
- DGR n. 2238 del 23 dicembre 2003 " Rete Regionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi, la terapia delle malattie rare, ai sensi del D.M. 18 maggio 2001, n.279";
- DGR n. 2485 /2009, "Malattie Rare - D.M. n. 279 del 18 maggio 2001 - Accordo Stato-Regioni del 10 maggio 2007 - Istituzione Centro di assistenza e ricerca sovraziendale-Costituzione Coordinamento Regionale";
- RR n. 16 del 4 novembre 2010, art 3, "Regolamento Regionale dell'Assistenza domiciliare per trattamenti riabilitativi ex art. 26 della L. n. 833/78. Pazienti affetti da malattie degenerative progressive del sistema nervoso centrale e periferico, neuromuscolari in fase di avanzata evoluzione che non possono essere trattati in ambulatorio";
- RR n 20 del 4/08/2011, "Regolamento regionale di modifiche al Regolamento regionale 4 novembre 2010, n. 16 (Regolamento regionale dell'Assistenza domiciliare per trattamenti riabilitativi ex art. 26 della Legge. n. 833/78)";
- RR n. 12 del 16 Aprile 2015, "Presidi territoriali di recupero e riabilitazione funzionale dei soggetti portatori di disabilità fisiche, psichiche, sensoriali o miste: fabbisogno, autorizzazione alla realizzazione, autorizzazione all'esercizio, accreditamento, requisiti strutturali, organizzativi e tecnologici";
- Nota del Servizio Politiche del Farmaco e dell'Emergenza/Urgenza della Regione Puglia (Prot. N. AO5/152/8772 del 25-7-16), "Trattamento patologia CIDP. Integrazione Ricognizione centri prescrittori";
- DPCM 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"; Piano Nazionale per le Malattie Rare – PNMR 2013-2016 del 16 ottobre 2014;
- DGR n. 225 del 23 febbraio 2017, "Istituzione nelle Aziende Sanitarie Locali del Centro Territoriale per la facilitazione di accesso ai servizi delle persone affette da malattie rare e delle famiglie "I Filo di Arianna".
- DGR del 23 febbraio 2017, n. 226, "Approvazione del percorso di definizione dei Piani Diagnostico Terapeutici (PDT) e dei Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali (PDTA) per le malattie rare-Istituzione Tavolo farmaco/PDTA per le malattie rare"

- DGR n. 658 del 24 aprile 2018, “Approvazione del documento tecnico di indirizzo per costruire la rete assistenziale pugliese attraverso i Percorsi Diagnostici Terapeutici Assistenziali (PDTA)”;
- RR n.7 del 21 gennaio 2019, “Regolamento Regionale sul modello organizzativo e di funzionamento dei Presidi Territoriali di Assistenza”;
- RR n° 22 del 18/11/2019, “Regolamento Regionale sulle prestazioni ambulatoriali erogate dai Presidi territoriali di recupero e riabilitazione funzionale dei soggetti portatori di disabilità fisiche, psichiche, sensoriali o miste - Modifica al regolamento regionale 16 aprile 2015, n. 12”;
- R. R. n. 23/2019 ad oggetto “Riordino ospedaliero della Regione Puglia ai sensi del D.M. n° 70/2015 e delle Leggi di Stabilità 2016-2017” e n. 14/2020 ad oggetto “Potenziamento della rete ospedaliera, ai sensi dell’art. 2 del decreto-legge 19 maggio 2020, n. 34. Modifica e integrazione del Regolamento regionale n. 23/2019”;
- D.G.R. n.134 del 15/02/2022 ad oggetto: “Adozione del Piano di Potenziamento e Riorganizzazione della Rete Assistenziale Territoriale (ai sensi dell’art.1 decreto-legge 19 maggio 2020 n.34, conversione legge n.77 del 17 luglio 2020) - Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza – (PNRR). Indicazioni per la Programmazione degli investimenti a valere sulla missione 6” e la D.G.R. n. 688 dell’11/5/2022 ad oggetto “Approvazione Rete Assistenziale Territoriale in attuazione del Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza – D.M. 20 gennaio 2022 e della Deliberazione di Giunta Regionale n.134 del 15/02/2022”;
- DDG AReSS n. 183 del 3 agosto 2020, “Proposta di aggiornamento della Rete Malattie Rare – Re.Ma.R. – Regione Puglia”;
- DDG AReSS n. 184 del 03 Agosto 2020, “Proposta di implementazione di un modello innovativo di integrazione Ospedale-Territorio per la presa in carico dei pazienti affetti da Malattia Rara ad alta complessità assistenziale e delle loro famiglie. Attivazione di Nuclei di Assistenza Territoriale (NAT) in staff alle Strutture Semplici a Valenza Dipartimentale (SSVD) denominate Centro Territoriale Malattie Rare (CTMR) di ciascuna ASL per la facilitazione della gestione delle Cure Domiciliari Integrate (CDI): ‘Il Filo di Arianna’”;
- DGR n. 1561 del 17 Settembre 2020, “Potenziamento dell’Assistenza ospedaliera e territoriale nei confronti dei pazienti affetti da Malattia Rara ad alta complessità assistenziale e delle loro famiglie”.

Epidemiologia

La CIDP è una malattia rara, anche se la sua frequenza è probabilmente sottostimata.

In tabella 1 sono riportati i dati dei pazienti con cod. esenzione RF0180, RF0181 e RF0182 residenti in Puglia. I dati SIMARRP sono riferiti al 30/10/2020 (esclusi i deceduti).

Tabella 1

| | ASL BR | ASL TA | ASL BAT | ASL BA | ASL FG | ASL LE |
|---|--------|--------|---------|--------|--------|--------|
| RF0180 POLINEUROPATIA CRONICA INFIAMMATORIA DEMIELINIZZANTE | 26 | 38 | 19 | 66 | 18 | 41 |
| RF0181 NEUROPATIA MOTORIA MULTIFOCALE | | 0 | 0 | 2 | 0 | 0 |
| RF0182 SINDROME DI LEWIS SUMNER | | 0 | 0 | 1 | 0 | 0 |

Aspetti clinici e classificazione

Sulla base della distribuzione dei sintomi e segni, la CIDP è classificata in due varianti fenotipiche: la CIDP tipica, che rappresenta circa il 50% dei casi alla diagnosi, e la CIDP atipica, che comprende altre entità cliniche molto eterogenee.

Il decorso è ricorrente nel 30% dei casi, cronico e progressivo nel 60% e monofasico con remissione totale e in genere permanente nel 10% dei pazienti; in casi rari la CIDP si presenta acutamente con un rapido peggioramento, seguito da un decorso cronico e progressivo. La variante, definita "CIDP ad esordio acuto", è difficilmente distinguibile dalla sindrome di Guillain-Barré nelle prime fasi di malattia.

La CIDP può presentarsi associata ad altre patologie, prevalentemente a genesi autoimmune; in tali casi le evidenze scientifiche sono insufficienti a considerare la CIDP associata a tali malattie come differente dalla CIDP idiopatica.

La forma tipica di CIDP è caratterizzata da un punto di vista clinico, dalla presenza di ipostenia da almeno due mesi, che coinvolge simmetricamente la muscolatura prossimale e distale accompagnata da disturbi sensitivi e diminuzione o assenza dei riflessi osteotendinei. I nervi cranici sono risparmiati così come le funzioni respiratorie ed autonome.

La CIDP atipica, a differenza della CIDP tipica, si può presentare con riflessi osteotendinei normali a livello degli arti non colpiti e comprende varie entità nosologiche.

La MMN è una neuropatia a decorso cronico, caratterizzata da una progressiva ipostenia a distribuzione asimmetrica, multifocale con maggiore interessamento delle estremità degli arti superiori in assenza di evidenti disturbi della sensibilità. Possono essere presenti crampi e fascicolazioni e, nei casi più avanzati, ipotrofia muscolare senza segni di coinvolgimento del I motoneurone. La malattia è caratterizzata dall'elevata presenza di titoli anticorpali antigangliosidi e in particolare IgM anti-GM1 in una percentuale di pazienti dal 30% al 85%.

Criteri diagnostici

I criteri diagnostici attualmente più utilizzati per la CIDP e la MMN sono quelli della European Federation of Neurological Societies/Peripheral Nerve Society, aggiornati nel 2010 e caratterizzati da elevata sensibilità (81%) e specificità (96%). I criteri diagnostici per la Sindrome di Lewis-Sumner sono gli stessi utilizzati per la CIDP.

La diagnosi si basa su elementi clinici, elettrofisiologici e “di supporto” che variamente combinati tra loro permettono di suddividere la CIDP o la MMN in tre categorie: “definita”, “probabile” e “possibile”.

CRITERI DIAGNOSTICI DI INCLUSIONE PER CIDP

La tabella 2 riassume la combinazione di elementi clinici, elettrofisiologici e di supporto che consentono di fare diagnosi di CIDP “definita”, “probabile” e “possibile”.

Tabella 2

| | | | | | |
|----------------|---|---|---|---|---|
| CIDP Definita | ✓ | | | | |
| CIDP Definita | | ✓ | | ✓ | |
| CIDP Definita | | | ✓ | | ✓ |
| CIDP Probabile | | ✓ | | | |
| CIDP Probabile | | | ✓ | ✓ | |
| CIDP Possibile | | | ✓ | | |

In tutte le categorie devono essere rispettati tutti i criteri di esclusione (cfr. testo) e presenti i criteri clinici di CIDP tipica o atipica (A o B)

CRITERI CLINICI

A) CIDP tipica

Presenza, da almeno due mesi, di:

- ipostenia simmetrica, prossimale e distale, lentamente progressiva, a “gradini” oppure ad andamento ricorrente;
- disturbi sensitivi alle estremità degli arti;
- assenza o diminuzione dei riflessi osteotendinei.

B) CIDP atipica (a differenza della forma tipica, i riflessi osteotendinei possono essere normali negli arti non affetti) comprende la:

- forma con interessamento prevalentemente distale (Distal Acquired Demyelinating Symmetric, DADS);
- forma asimmetrica (MADSAM o Lewis–Sumner syndrome);
- forma focale (per es. interessamento del plesso brachiale o lombosacrale oppure interessamento di uno o più nervi periferici);

- forma puramente motoria;
- forma puramente sensitiva.

DATI ELETTROFISIOLOGICI

Essenziale per la diagnosi è l'esame elettroencefalografico che evidenzia un danno demielinizante a carico dei nervi. Nelle forme più avanzate è frequente il riscontro della perdita assonale.

I parametri elettrofisiologici per la diagnosi di CIDP sono classificati come "definiti", "probabili" o "possibili" (**Allegato 1**).

CRITERI DI SUPPORTO PER LA DIAGNOSI DI CIDP

- 1) Esame del liquor: iperproteinorachia con conta cellulare <10/mm³.
- 2) Risonanza magnetica nucleare con presa di contrasto dopo gadolinio e/o ingrossamento della cauda equina, delle radici spinali lombosacrali o cervicali e dei plessi brachiale e lombosacrale.
- 3) Elettroencefalografia sensitiva: alterazioni in almeno un nervo;
 - a) normale ampiezza del potenziale sensitivo del nervo surale con riduzione di ampiezza del potenziale sensitivo del nervo mediano o radiale; o
 - b) riduzione della velocità di conduzione sensitiva dell'80% del limite inferiore dei valori normali; o
 - c) disturbo della conduzione nervosa periferica ai potenziali evocati somatosensoriali.
- 4) Risposta clinica a precedenti trattamenti immunomodulanti.
- 5) Biopsia del nervo indicativa di neuropatia demielinizante.

CRITERI DI ESCLUSIONE PER CIDP

- Infezione da *Borrelia Burgdorferi* (malattia di Lyme)
- Difterite
- Esposizione a farmaci o tossine quali possibili cause di neuropatia
- Neuropatie ereditarie demielinizanti
- Presenza di disturbi sfinterici
- Diagnosi di neuropatia motoria multifocale
- Gammopatia monoclonale IgM con anticorpi anti-MAG
- Altre cause di neuropatia demielinizante (sindrome di POEMS, mieloma osteosclerotico, neuropatia diabetica e non del plesso lombosacrale)

CRITERI DIAGNOSTICI DI INCLUSIONE PER MMN

Al pari della CIDP, sulla base dei vari elementi diagnostici (clinici, elettrofisiologici e di supporto) è possibile suddividere la MMN nelle tre categorie: "definita", "probabile" e "possibile", come riportato in tabella 3. Per la diagnosi di MMN definita/probabile è necessaria la presenza di entrambi i criteri e di tutti i criteri di esclusione.

Tabella 3

| | | | | |
|---------------|----------------------|----------------------------|-------------------------------|---|
| MMN Definita | A-B | 1-3 | | 1 |
| MMN Probabile | A-B | 2-3 | | 2 |
| MMN Probabile | A-B | 2-3 | almeno 2 | 1 |
| MMN Possibile | A-B | Normale velocità sensitiva | Beneficio clinico con Ig e.v. | 1 |
| MMN Possibile | A (solo 1 nervo) - B | 1 | | |
| MMN Possibile | A (solo 1 nervo) - B | 2-3 | | |

In tutte le categorie devono essere rispettati i criteri di esclusione ed essere presenti criteri clinici* (A e B)

CRITERI CLINICI

- A)** Debolezza degli arti asimmetrica e focale ad andamento lentamente progressivo oppure a "gradini", (per es.: deficit motorio nel territorio d'innervazione di almeno due nervi da più di 1 mese).
Se i sintomi e i segni sono presenti in un solo nervo può essere formulata solo la diagnosi di MMN possibile.
- B)** Assenza di deficit sensitivi oggettivi ad esclusione di una lieve riduzione della sensibilità vibratoria agli arti inferiori.

CRITERI DI ESCLUSIONE PER MMN

- Segni di interessamento del I motoneurone
- Grave interessamento bulbare
- Infezione da *Borrelia Burgdorferi* (malattia di Lyme)
- Evidente disturbo sensitivo agli arti inferiori maggiore rispetto alla riduzione della sensibilità vibratoria agli arti inferiori
- Ipostenia diffusa e simmetrica già durante le prime settimane di malattia

DATI ELETTROFISIOLOGICI

Dal punto di vista elettrofisiologico, il reperto peculiare della MMN è la presenza dei blocchi di conduzione motoria.

I criteri elettroencefalografici dell'EFNS/PNS definiscono il blocco di conduzione come definito o probabile (Allegato 1). L'esame elettrofisiologico può rilevare, oltre al blocco di conduzione, altre anomalie quali l'aumento delle latenze distali motorie e delle risposte F con dispersione temporale del potenziale motorio.

CRITERI DI SUPPORTO

- Incremento degli anticorpi IgM anti-gangliosidi GM1
- Aumento delle proteine nel liquor (<1 g/l)
- Alla RMN presenza di iperintensità del segnale associata a ipertrofia diffusa del plesso brachiale
- Beneficio clinico al trattamento con Ig e.v.

Bibliografia

- Van Schaik IN, Winer JB, de Haan R. Intravenous immunoglobulin for chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy. Cochrane Database of Systematic Reviews 2002, Issue 2. Art. No.: CD001797
- Mehendiratta MM and Hughes RAC. Corticosteroids for chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy. Cochrane Database of Systematic Reviews 2002, Issue 1. Art. No.: CD002062.
- Mehendiratta MM, Hughes RAC, Agarwal P. Plasma exchange for chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy. Cochrane Database of Systematic Reviews 2004, Issue 3. Art. No.: CD003906.
- White CM, Pritchard J, Turner – Stokes L. Exercise for people with peripheral neuropathy (Cochrane Review). Cochrane Database of Systematic Reviews 2005, Issue 3. Art. No.: CD003904.
- Joint Task Force of the EFNS and the PNS. European Federation of Neurological Societies/Peripheral Nerve Society Guideline on management of paraproteinemic demyelinating neuropathies. Report of a Joint Task Force of the European Federation of Neurological Societies and the Peripheral Nerve Society—first revision. [J Peripher Nerv Syst 2010; 15:185-95](#) .
- EFNS/PNS MMN GUIDELINE European Federation of Neurological Societies/Peripheral Nerve Society Guideline on management of multifocal motor neuropathy. Report of a Joint Task Force of the European Federation of Neurological Societies and the Peripheral Nerve Society-first revision. [Journal of the Peripheral Nervous System. 2010;15:295-301](#).
- Martinez JM, Snyder MR, Ettore M, et al: Composite ganglioside autoantibodies and immune treatment response in MMN and MADSAM. *Muscle Nerve* 2018;57:1000-1005 doi: 10.1002/mus.26051 2.
- Elovaara I, Apostolski S, van Doorn P, Gilhus NE, Hietaharju A, Honkaniemi J, van Schaik IN, Scolding N, SoelbergSørensen P, Udd B; EFNS. EFNS guidelines for the use of intravenous immunoglobulin in treatment of neurological diseases: EFNS task force on the use of intravenous immunoglobulin in treatment of neurological diseases. [Eur J Neurol. 2008; 15:893-908. Erratum in: Eur J Neurol. 2009; 16:547](#).
- Broers MC, Bunschoten C, Nieboer D, et al. Incidence and Prevalence of Chronic Inflammatory Demyelinating Polyradiculoneuropathy: A Systematic Review and Meta-Analysis. *Neuroepidemiology* 2019; 52:161.
- Bunschoten C, Jacobs BC, Van den Bergh PYK, et al. Progress in diagnosis and treatment of chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy. *Lancet Neurol* 2019; 18:784.
- Doneddu et al Italian CIDP Database study group. Atypical CIDP: diagnostic criteria, progression and treatment response. Data from the Italian CIDP Database. *J Neurol Neurosurg Psychiatry*. 2019 Feb;90(2):125-132. doi: 10.1136/jnnp-2018-318714.
- Percorso Diagnostico, Terapeutico e Assistenziale (PDTA) relativo a Polineuropatia Cronica Infiammatoria Demyelinizzante. A cura degli specialisti della Rete Regionale per le Malattie Rare - Lombardia Contenuti aggiornati a marzo 2018.
- Raccomandazioni per le Polineuropatie Disimmuni Croniche. Rete Interregionale del Piemonte e della Valle d'Aosta per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi, la terapia delle malattie rare, 1-3-2018.
- Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale Lazio (a cura dei Centri AO S. Camillo–Forlanini, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Policlinico Umberto I, Ospedale S. Filippo Neri, Policlinico A. Gemelli). Marzo 2016

Percorso Diagnostico

Non esiste un test diagnostico specifico per queste patologie e quindi la diagnosi si fonda sulla evidenza di una commistione di sintomi e segni, criteri elettroencefalografici e altri elementi di supporto. Ovviamente andranno anche escluse altre patologie con sintomi neurologici simili.

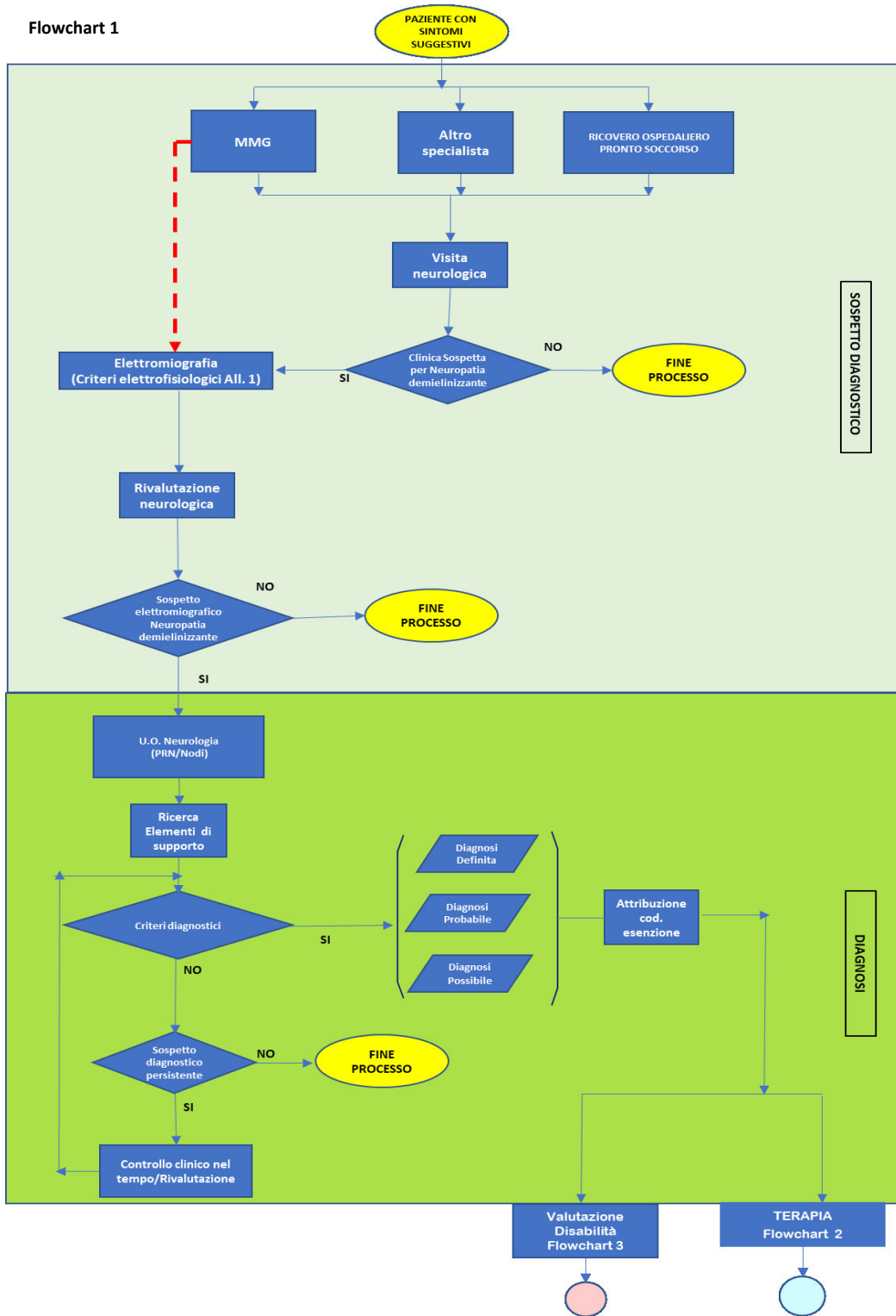
Il sospetto diagnostico può nascere da quadri clinici di neuropatia periferica e il medico di medicina generale (MMG) invierà il paziente con sospetta neuropatia demielinizzante al neurologo per la valutazione specialistica; non è escluso, sebbene non raccomandato, che il MMG stesso richieda direttamente una valutazione neurofisiologica.

Se anche l'esame elettroencefalografico è suggestivo il paziente viene inviato ai centri regionali per la diagnosi e cura di queste patologie (vd tabella 4 e tabella 5) dove sarà posta la diagnosi definitiva di CIDP o MMN secondo i criteri citati precedentemente, oppure esclusa. Qualora necessario, si può ricorrere ad ulteriori esami di laboratorio (anticorpi antigangliosidi) o indagini strumentali che costituiscano elementi di ulteriore approfondimento (risonanza magnetica e biopsia) presso centri che dispongano di tecniche diagnostiche più avanzate.

Qualora, in presenza di sintomatologia suggestiva, non fosse possibile porre diagnosi di CIDP/MMN, il paziente verrà inviato ad un successivo controllo neurologico ambulatoriale per rivalutazione.

Il Percorso diagnostico è schematizzato nella Flowchart 1.

Flowchart 1



Adempimenti in fase diagnostica

Nel sospetto di CIDP, la richiesta per l'esame elettromiografico prevede l'esecuzione di almeno 16 test prescritti su 2 ricette mediche con 8 test /ricetta.

A titolo esemplificativo:

- a) prima ricetta recante codice 93081 per elettromiografia x 4 e il codice 93091 per velocità di conduzione nervosa motoria x 4;
- b) seconda ricetta recante i codici 93092 per velocità di conduzione nervosa sensitiva x4 e 93085 (risposte riflesse h, f) x 4. Per l'utilizzo dei codici di Priorità "U", "B", "D", "P" si rimanda al DGR n.479/2014 della Regione Puglia.

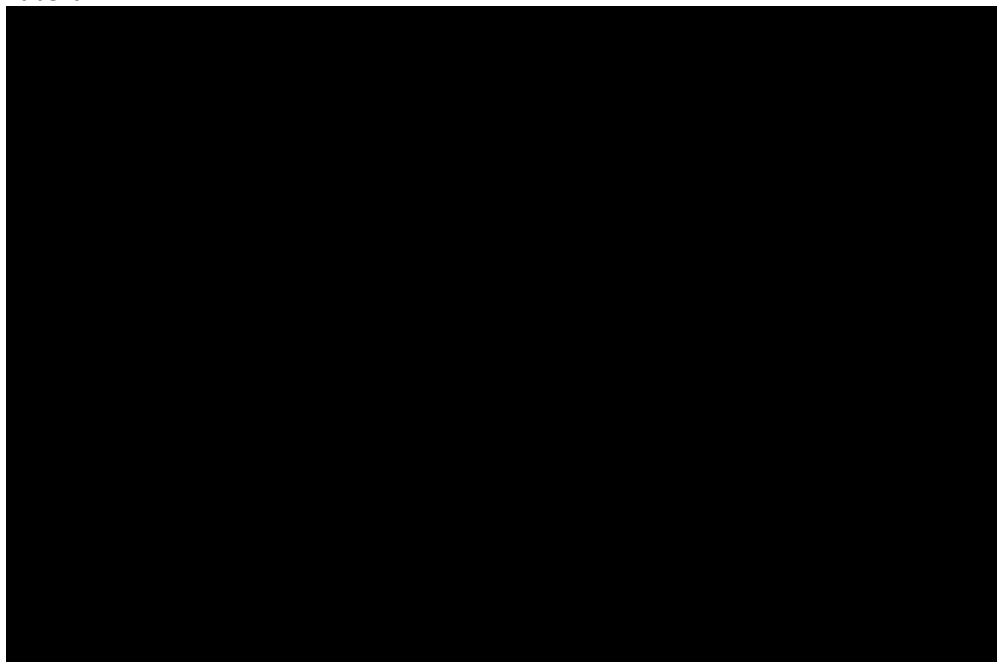
L'assistito riceverà gratuitamente le prestazioni finalizzate alla diagnosi con codice esenzione **R99** da utilizzare durante l'iter diagnostico.

L'iter diagnostico deve avvenire in uno dei Presidi della rete Nazionale (PRN) o dei Nodi regionali ad essi collegati come identificati dalla DGR n. 1591/2012 e successive modifiche e DDG ARESS n.183/2020 (vedi Tabelle 4 e 5). Tali Centri sono preposti alla diagnosi, alla stesura del piano terapeutico personalizzato (PTP) e alla somministrazione delle terapie.

La DGR 329 del 13 marzo 2018 e successive disegnano l'attuale assetto della Rete Malattie Rare della Regione Puglia individuando per il codice di esenzione RF0180 due Presidi della Rete Nazionale come indicato in tabella 4:

- A.O.U. Policlinico di Bari - Ospedale Pediatrico "Giovanni XXIII" a cui afferiscono altri quattro centri;
- IRCCS "Casa Sollievo della Sofferenza" - San Giovanni Rotondo a cui afferisce un altro centro.

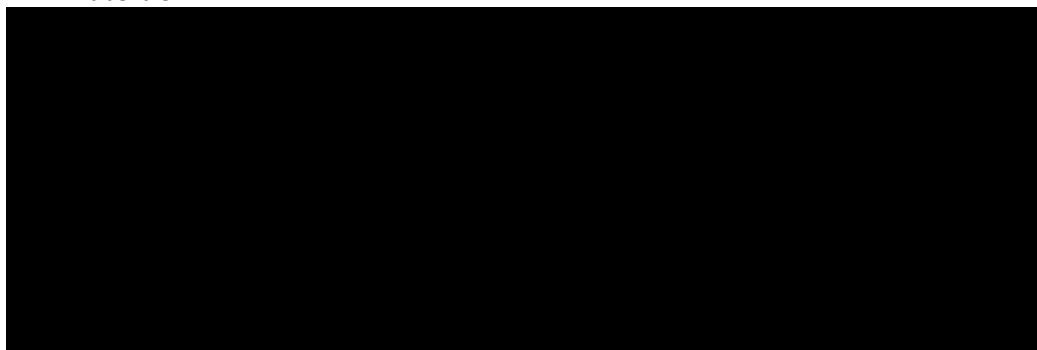
Tabella 4



Per i codici di esenzione RF0181 e RF0182 sono indicati due Presidi della Rete Nazionale come indicato in tabella 5:

- A.O.U. Policlinico di Bari - Ospedale Pediatrico "Giovanni XXIII" a cui afferiscono altri due centri;
- IRCCS "Casa Sollievo della Sofferenza" - San Giovanni Rotondo

Tabella 5



Se la diagnosi è confermata, lo specialista dei Centri individuati, inserisce i dati relativi al paziente nel Sistema Informativo Malattie Rare Regione Puglia (SIMaRRP) e rilascerà un certificato di diagnosi di malattia rara. Tale certificato ha durata illimitata e validità su tutto il territorio nazionale e, ai fini dell'esenzione, deve riportare, oltre alla definizione, anche il codice identificativo della malattia (RF0180 per la CIDP, RF0181 per la MMN e RF0182 per la sindrome di Lewis Sumner) a cui la stessa afferisce (Circolare ministeriale 13 dicembre 2011, n.13).

Successivamente, una volta ricevuto il certificato di diagnosi per malattia rara, il paziente ha diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni sanitarie come malato raro da ottenersi presso il Distretto Sociosanitario di appartenenza. Per ciò che concerne il rilascio della esenzione ticket per patologia:

- se il PRN/Nodo appartiene all'Area Vasta il medico certificatore rispetterà la procedura di inserimento della diagnosi nel 1° Modulo del SIMaRRP e il Distretto Socio-Sanitario (DSS) estrapolerà il certificato per ricondurlo nel sistema Edotto;
- se la diagnosi è rilasciata da un PRN/Nodo fuori Area Vasta, in modalità cartacea, il certificato sarà inserito sul sistema Edotto e sul SIMaRRP a cura del Medico Task force Distrettuale ai fini dell'aggiornamento del Registro nazionale delle malattie rare.

Acquisita la certificazione di malattia rara con l'esenzione ticket per patologia, il MMG avvia, su richiesta del paziente, istanza del riconoscimento della invalidità civile e richiesta delle agevolazioni previste in base al grado di disabilità.

In base alle note dell'allora Servizio Politiche del Farmaco e dell'Emergenza/Urgenza, oggi Sezione Farmaci, Dispositivi Medici e Assistenza Integrativa della Regione Puglia (Prot. N. AO5/152/8005 del 7 luglio 2016 e Prot. N. AO5/152/8772 del 25-7-16) sono identificati i Centri che possono, condividendo i pazienti con il Centro PRN/Nodo, somministrare la terapia e verificare l'andamento clinico della patologia. (vedi tabella 6) Gli specialisti neurologi di tali centri provvederanno ad aggiornare i dati sul SIMARRP e ad adempiere agli obblighi di Legge previsti da AIFA per la somministrazione dei farmaci.

Tabella 6

| CITTÀ | Presidio Ospedaliero | Unità Operativa |
|----------|--|-----------------|
| Altamura | P.O F. Perinei Altamura | Neurologia |
| Bari | P.O. Di Venere | Neurologia |
| Casarano | P.O. Casarano | Neurologia |
| Tricase | E.E. Pia Fondazione Cardinal Panico | Neurologia |

Tutte le terapie farmacologiche utilizzate per il trattamento della CIDP, sono prescritte ed erogate in ossequio alle disposizioni emesse da AIFA ed in applicazione alla normativa nazionale e regionale in vigore.

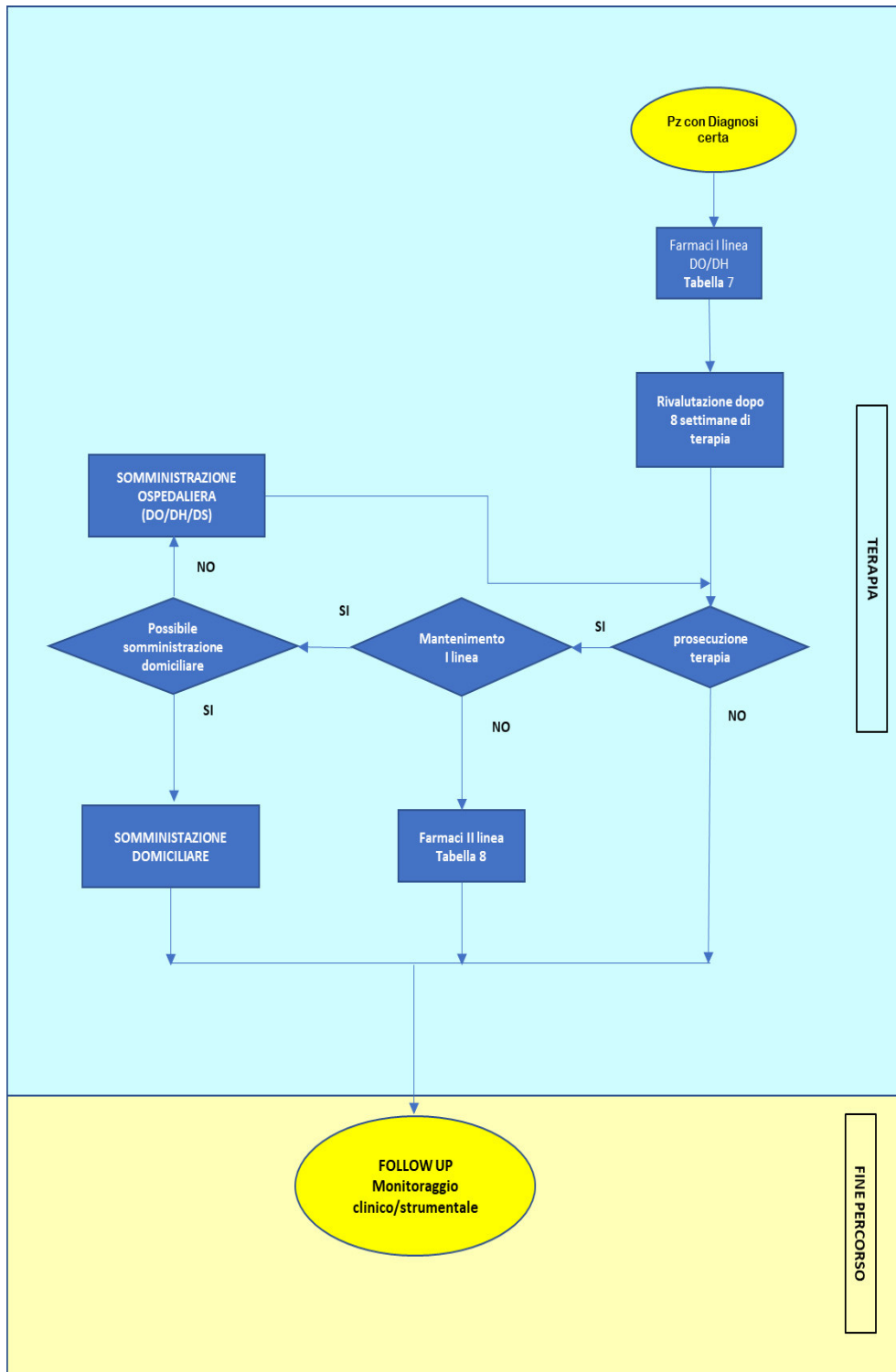
Gestione della terapia medica

I Centri preposti alla prescrizione terapeutica per i pazienti con polineuropatia demielinizzante oggetto del presente PDTA sono gli stessi abilitati alla diagnosi (vedi tabelle 4 e 5).

Il paziente con diagnosi certa inizia la terapia medica con i farmaci di prima linea; la prima somministrazione avviene in regime di ricovero; successivamente è demandata al PRN/NODO la scelta del setting di somministrazione.

Dopo attenta valutazione della risposta alla terapia prescritta, qualora ritenuto necessario il neurologo del PNR/NODO può utilizzare farmaci di II linea, valutando per ciascun caso il setting di somministrazione (vedi Flowchart 2).

Flowchart 2



Interventi riabilitativi

La buona risposta alla terapia in una percentuale elevata di pazienti e la possibilità di porre diagnosi di CIDP/MMN in tempi relativamente brevi, consentono di prevenire disabilità gravi e di ottenere un buon recupero delle disabilità presenti. Purtroppo, nonostante il trattamento alcuni pazienti possono presentare sintomi sensitivi e deficit di forza residui oppure (circa il 20%) non rispondere alle terapie convenzionali.

È consigliato, sia nella visita di presa in carico che in quelle di follow-up neurologico, il monitoraggio della forza muscolare mediante la scala MRC (Medical Research Council) e la valutazione della disabilità del paziente attraverso la scala ONLS (Overall Neuropathy Limitation Scale) (Allegato 2), per identificare i pazienti da indirizzare alle strutture di Medicina fisica e Riabilitativa.

Il medico specialista in Medicina fisica e Riabilitazione della struttura identificata predispone il progetto riabilitativo individuale (PRI) e definisce gli obiettivi, il setting, le modalità e i tempi di completamento del trattamento, attivando la presa in carico dei servizi territoriali domiciliari, residenziali e semiresidenziali per le esigenze riabilitative successive alla dimissione. (Art 44 DPCM 12 gennaio 2017, RR 12/2015, RR 22/2019)

Lo specialista in Medicina Fisica e Riabilitativa terrà conto anche dell'età del paziente e di eventuali comorbidità (Scala Barthel modificata, Modified Cumulative Illness Rating Scale vers.10/2013...) per la stesura del progetto riabilitativo personalizzato, nel setting riabilitativo più idoneo

Qualora necessario, in fase post-acuta e in base alla severità e complessità della disabilità è indicata la riabilitazione intensiva (identificata dal cod. 56 a - b) o estensiva ospedaliera (codice 56 c), che si caratterizza per interventi di recupero di disabilità importanti ma modificabili, che richiedono una sorveglianza medico-infermieristica h24.

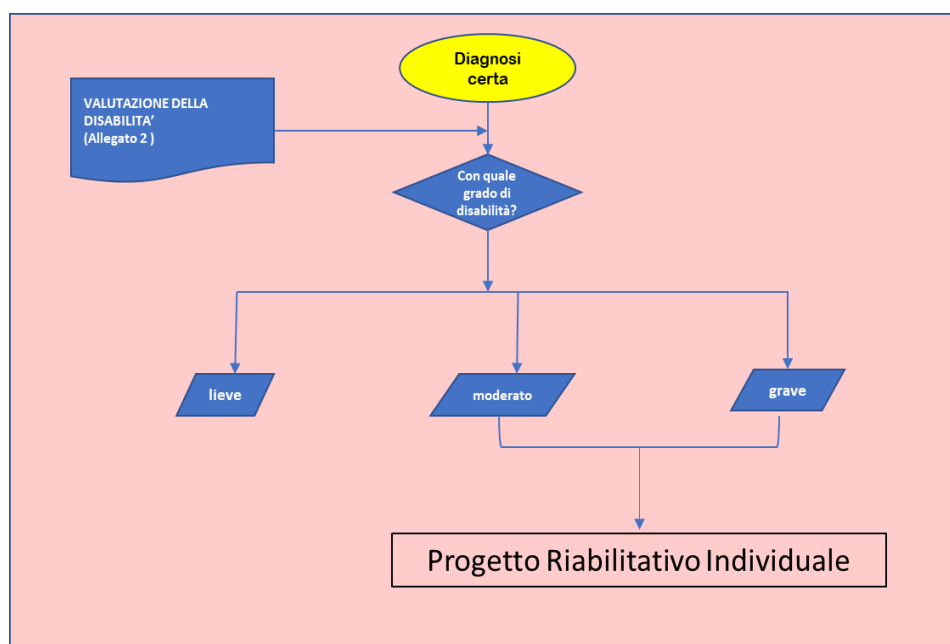
I casi clinicamente **stabilizzati**, più o meno complessi, possono usufruire, su indicazione dello specialista in Medicina Fisica e Riabilitativa di prestazioni riabilitative in forma residenziale, semiresidenziale, o ambulatoriale secondo quanto previsto da RR 12/2015 e RR 22/2019.

L'intervento domiciliare è destinato ai pazienti che non possono usufruire di un trattamento ambulatoriale perché il trasporto renderebbe inefficace l'intervento stesso o sarebbe rischioso dal punto di vista sanitario (Art 3 RR 20 del 4/08/2011). La riabilitazione domiciliare è prescritta dall'unità operativa ospedaliera; e il MMG/PLS invia la richiesta di intervento riabilitativo al distretto socio-sanitario di residenza del paziente con l'indicazione della diagnosi per l'attivazione dell'Unità di Valutazione Multidimensionale (U.V.M). Segue la presa d'atto del programma riabilitativo redatto dall' équipe medica ospedaliera o la stesura del piano riabilitativo domiciliare da parte dell'UVM. La valutazione dei bisogni riabilitativi e assistenziali è effettuata dalla UVM territoriale utilizzando tutte le informazioni già disponibili (ad esempio: lettera di dimissione, cartella clinica, relazione del MMG, progetto riabilitativo di un medico specialista in riabilitazione, relazioni di altri specialisti, notizie socio-assistenziali, SVAMA ecc.) e attraverso l'uso dello strumento di valutazione multidimensionale adottato dalla Regione.

La prosecuzione del trattamento, se ritenuta necessaria, potrà essere autorizzata dai competenti servizi dell'Azienda Sanitaria Locale di residenza del paziente che effettuano la rivalutazione del bisogno assistenziale, sulla base del Progetto Riabilitativo Individuale. (Flowchart 3)

All'interno del PRI è prevista anche la prescrizione adeguata di ausili e dispositivi che soddisfino le necessità della persona; la fornitura di ausili e dispositivi è garantita dall'ufficio protesi del DSS.

Flowchart 3



Follow up del paziente con CIDP/MMN

Il follow-up del paziente è principalmente mirato a valutare l'efficacia delle terapie e a determinare le particolari esigenze del paziente.

- Visita neurologica, ogni 30 giorni per i primi tre mesi, per i pazienti che iniziano il trattamento sia con farmaci di prima che di seconda linea presso i PRN/Nodi.
- Successive valutazioni neurologiche per documentare l'efficacia o inefficacia della terapia in atto che verranno effettuate periodicamente nei centri somministratori e almeno una volta all'anno nei PRN/Nodi.
- Visita oculistica e densitometria ossea computerizzata prima e durante la terapia steroidea (una volta all'anno in assenza di sintomi).
- Esame elettromiografico: 1-3 mesi dopo ogni nuova terapia e successivamente ogni 6-12 mesi in base al quadro clinico.
- Emocromo con formula, esami ematochimici di funzionalità epatica e renale, glicemia ed elettroliti: prima e durante la terapia (frequenza in base alla terapia utilizzata). Ulteriori particolari esami saranno richiesti in base alla terapia in corso ed alle condizioni cliniche del paziente.

- f) Eventuali visite specialistiche saranno eseguite in relazione al coinvolgimento d'organo legato alla patologia o alla terapia.
- g) Rivalutazione Fisiatrica in caso di limitazione funzionale con indicazione al trattamento riabilitativo idoneo o rimodulazione del PRI

INDICATORI

| INDICATORE | VALORE |
|---|--------|
| | % |
| I ₁ = Inserimento di certificati di diagnosi e Piani terapeutici nei registri (SiMaRRP) entro massimo 15 giorni dalla diagnosi | % |
| I ₂ = Aumento della percentuale di pazienti residenti in Puglia e diagnosticati in Regione sul totale delle diagnosi. | % |
| N° di pazienti avviati a setting riabilitativi idonei che usufruiscono del servizio | |
| Fornitura puntuale del farmaco al paziente | |

Valutazione del percorso

Le criticità e i miglioramenti da adottare nel percorso assistenziale integrato alle persone con Neuropatie Demielinizzanti devono essere indagati attraverso **audit clinico-organizzativi** effettuati su indicazione della Dipartimento Salute e Politiche Sociali che potranno essere motivati da criticità peculiari emergenti dalla lettura dei dati acquisiti da ogni Azienda.

Le Associazioni dei malati offriranno il proprio contributo di facilitatori alla conoscenza delle criticità e al superamento delle stesse partecipando attivamente all'analisi e alla scelta delle proposte.

Il gruppo di lavoro rimane in carica e si riunisce annualmente per verificare l'implementazione ed il monitoraggio dell'applicazione del PDTA e per garantire gli aggiornamenti e le integrazioni derivanti dalla reale applicazione dello stesso su tutto il territorio regionale. Tale azione verrà implementata col supporto tecnico scientifico del Coordinamento Regionale Malattie Rare.

La soddisfazione dell'utente e la sua percezione della qualità dell'assistenza saranno valutate attraverso la somministrazione di un questionario che sarà reso disponibile sul sito Malattie Rare della Regione Puglia.

ALLEGATI AL DOCUMENTO

Allegato 1: CRITERI NEUROFISIOLOGICI

Allegato 2: SCALE VALUTAZIONE ONLS

Revisione del PDTA dopo 1 anno

Firmato digitalmente da:
 MAURO NICASTRO
 Regione Puglia
 Firmato il: 06-07-2022 10:55:05
 Seriale certificato: 644715
 Valido dal 03-04-2020 al 03-04-2023