



## **Reti di Riferimento Europee (ERN)**

### **Guida per i rappresentanti dei pazienti**

1. **[Reti di Riferimento Europee](#)** (page 1-3)
  - a. Cosa sono le ERN?
  - b. Chi sono i membri di un'ERN?
  - c. Centri associati/centri di collaborazione
  - d. La piattaforma IT
  - e. Raggruppamenti ERN in base all'area terapeutica
2. **[Modalità e tempi](#)** (page 4)
3. **[Coinvolgimento dei pazienti nelle ERN – Gruppi europei di rappresentanza dei pazienti](#)** (page 4-6)
4. **[Finanziamenti](#)** (page 7)
5. **[Livello di competenza](#)** (page 7)
6. **[L'impatto delle ERN](#)** (page 8)
7. **[Vantaggi per i medici](#)** (page 8)
8. **[Quadro giuridico e documentazione](#)** (page 8-9)

Per maggiori informazioni:

**Sezione del sito di EURORDIS dedicata alle ERN:**

**<http://www.eurordis.org/it/european-reference-networks>**

**Pagina web della Commissione Europea:**

**[http://ec.europa.eu/health/ern/implementation/faq\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/ern/implementation/faq_en.htm)**

# 1. Reti di Riferimento Europee

## a) Cosa sono le ERN?

Offrire un trattamento altamente specializzato o un'assistenza di elevata qualità ai pazienti affetti da malattie complesse può rappresentare una grande sfida. Ciò è in particolar modo vero quando la prevalenza di tali patologie è bassa, come nel caso delle malattie rare. Questa sfida è dovuta sia alla mancanza di risorse e competenze, che alla dispersione delle piccole popolazioni di pazienti in tutta l'Unione Europea (UE), a volte in luoghi isolati, dove non esistono o non sono accessibili le competenze adeguate.

Dal 2017 le Reti di Riferimento Europee (ERN) sono riconosciute come entità legali dall'Unione Europea a seguito di [un'approvazione formale](#) da parte del Comitato di Stati Membri per le ERN. Queste reti, per la prima volta, offriranno ai medici l'opportunità unica di esercitare la propria professione a livello transfrontaliero in Europa ed affrontare adeguatamente questa sfida.

Le ERN sono reti di centri di expertise e di prestatori di assistenza sanitaria organizzate a livello transfrontaliero con lo scopo di aiutare medici e ricercatori di tutta l'UE a condividere esperienze, conoscenze e risorse. Queste reti creano una chiara struttura di gestione per la condivisione delle competenze e il coordinamento delle cure sanitarie in tutta l'UE con l'obiettivo di migliorare l'accesso alla diagnosi e ai trattamenti e la prestazione di assistenza sanitaria di alta qualità.

**A causa della bassa prevalenza e della complessità delle malattie rare, del fatto che i pazienti sono pochi e disseminati su una vasta area, il sistema delle ERN può portare un reale valore aggiunto a tutte le persone colpite da queste patologie. Tali reti consentiranno ai medici di avere accesso alle competenze più esperte e più recenti, permettendo loro di prendere decisioni informate in merito al trattamento e alla cura dei propri pazienti. Tutto ciò a sua volta contribuirà al miglioramento dei risultati clinici e della qualità di vita dei malati rari.**

Le ERN sono un'iniziativa congiunta della Commissione Europea e degli Stati membri con il sostegno del Parlamento Europeo, che si propone di affrontare le sfide che accomunano i medici nel contesto della diagnosi e dell'assistenza sanitaria altamente specializzata ai pazienti affetti da malattie rare, complesse o a bassa prevalenza. Questo sistema non interferisce con le reti già esistenti. Le ERN rientrano nel quadro giuridico della Direttiva dell'UE, adottata nel 2011, sui diritti dei pazienti relativi all'assistenza sanitaria transfrontaliera..

I finanziamenti necessari per gestire queste reti saranno erogati dagli Stati Membri e dalla Commissione Europea. EURORDIS si impegna a garantire il [coinvolgimento dei pazienti](#) nelle ERN e nella loro gestione, decisione adottata anche dal Gruppo di esperti della Commissione Europea sulle malattie rare.

I servizi offerti dai membri delle ERN (prestatori di assistenza sanitaria<sup>1</sup>) comprenderanno la consulenza specialistica sulla diagnosi, sulla cura e sul trattamento di casi rari e complessi. Tale consulenza specialistica si baserà sull'esperienza collettiva, sulle conoscenze e sulle competenze generate nell'ambito dell'intera rete. Altri servizi comprenderanno lo sviluppo e l'attuazione di orientamenti clinici e percorsi transfrontalieri dei pazienti per i casi complessi, lo studio dei casi da parte di equipe sanitarie pluridisciplinari, procedure e interventi chirurgici altamente specializzati e pianificazione del trattamento, del follow-up e della dimissione del paziente.

**Le ERN faciliteranno la condivisione di conoscenze, esperienze, ricerca medica, didattica, formazione e risorse, mediante l'utilizzo di importanti strumenti di comunicazione e di eHealth che consentono la**

<sup>1</sup> I termini "prestatori di assistenza sanitaria" e "centri di expertise" sono utilizzati in modo intercambiabile in questa guida

**mobilità transfrontaliera delle competenze, piuttosto che quella dei pazienti costretti a spostarsi per accedere alle cure non disponibili nel proprio paese.** L'obiettivo delle ERN è altresì quello di ridurre le disuguaglianze di trattamento tra malattie e paesi diversi in Europa. Oltre a superare i problemi specifici riguardanti ciascuna malattia, le ERN contribuiranno a realizzare le economie di scala e l'uso efficiente delle risorse per la prestazione di assistenza sanitaria in tutta l'UE.

Le cure erogate da un'ERN sono sempre fornite da uno dei prestatori di assistenza sanitaria membro ERN in base alla legge in vigore nel proprio Stato membro. Il processo decisionale riguardante il trattamento del paziente è sempre gestito dal medico curante, ma è supportato dalle conoscenze e dalle competenze della rete.

### ***b) Chi sono i membri di un'ERN?***

Le ERN sono reti di centri di expertise per le malattie rare, approvati a livello nazionale dal proprio paese di appartenenza.

Ciascuna rete deve essere costituita da almeno 10 prestatori di assistenza sanitaria provenienti da almeno 8 diversi Stati Membri dell'UE. Per i medici che hanno già esperienza di lavoro in rete, le ERN rappresenteranno la formalizzazione delle loro strutture di collegamento in rete/pratiche di assistenza sanitaria altamente specializzata. Per coloro che invece non aderiscono a reti specialistiche, le ERN avranno il compito di promuovere lo scambio di competenze e rendere più fruibili ai pazienti la prestazione di servizi sanitari locali, regionali e nazionali.

È opportuno che ciascuna ERN designi uno dei propri membri quale centro coordinatore della rete. I membri della rete dovrebbero essere singole istituzioni e non una rete già esistente. Solo i prestatori di assistenza sanitaria che sono stati identificati come esperti, secondo la legislazione vigente nel proprio Stato membro, possono diventare membri di un'ERN, far parte del consiglio di amministrazione della rete ed essere valutati nel processo di candidatura secondo il quadro giuridico della Commissione Europea.

Per diventare membro di un'ERN un centro di expertise deve:

- a) essere situato in un paese che è membro ufficiale dell'UE
- b) essere approvato come centro di expertise dal rispettivo Stato membro
- c) aver completato una valutazione basata sulla prova documentale completa delle proprie attività. Tutti i prestatori di servizi sanitari saranno valutati secondo i seguenti criteri: assistenza centrata sul paziente, rafforzamento del ruolo del paziente, organizzazione, gestione e continuità operativa, capacità di ricerca e formazione, scambio di competenze, sistemi informativi e strumenti di e-Health e infine competenze, sicurezza dei pazienti, qualità e buone prassi.

Oltre ai 28 Stati membri dell'UE, sono ammissibili e hanno il diritto di partecipare al Comitato di Stati membri delle ERN anche i paesi dello spazio economico europeo. I membri ERN sono tenuti a collaborare con gli altri centri e reti nazionali o internazionali. I centri e le reti al di fuori dell'UE e del SEE non possono essere membri formali delle ERN e, pertanto, non possono essere formalmente valutati dalla Commissione Europea. Questi centri e reti sono vivamente incoraggiati a partecipare e contribuire alle attività delle ERN, ma questa partecipazione non può essere formalizzata.

### ***c) Centri associati/centri di collaborazione***

Al fine di garantire una copertura universale delle ERN in tutti gli Stati membri, le reti possono avere centri associati e centri di collaborazione.

Questi prestatori di assistenza sanitaria potrebbero, dunque, essere designati come centri nazionali associati dedicati all'erogazione di assistenza sanitaria o come centri nazionali di collaborazione dedicati all'elaborazione di conoscenze e di strumenti intesi a migliorare la qualità delle cure. I centri associati e i centri di collaborazione possono aderire a un'ERN, anche se non sono ufficialmente approvati come prestatori di assistenza sanitaria membri ERN dal rispettivo Stato membro.

Attualmente, negli atti delegati della Commissione Europea relativi alle ERN non esiste una definizione per i centri associati e questi non sono valutati nell'ambito del processo di adesione a un'ERN. Gli Stati membri hanno la responsabilità di individuare, approvare e definire il ruolo e la funzione dei centri di collaborazione e dei centri associati a un'ERN. Questo sarà applicabile dal 2017 solo per i centri associati alle ERN valutate positivamente.

#### ***d) La piattaforma IT***

L'erogazione di servizi clinici in un ambiente virtuale è al centro delle attività delle ERN. Tali servizi contribuiranno a garantire un approccio comune sulle modalità di registrazione dei pazienti, sugli standard di raccolta dei dati e sull'interoperabilità. La Commissione Europea fornirà alle ERN una piattaforma IT comune che prevede strumenti di comunicazione e di networking che aiuteranno le reti ad adempiere il proprio ruolo, come le equipe di assistenza pluridisciplinare virtuale.

Le ERN utilizzeranno un sistema virtuale di presa in carico clinica del paziente che supporterà le reti nella diagnosi e nel trattamento delle malattie o condizioni complesse, a bassa prevalenza o rare, oltre i confini nazionali e tra le varie ERN per quanto riguarda le malattie multisistemiche. Attraverso questo sistema, i prestatori di assistenza sanitaria di diversi Stati membri dell'UE saranno in grado di connettersi per condividere le proprie competenze, conoscenze e le esperienze di specifici casi di malattia.

#### ***e) Raggruppamenti ERN in base all'area terapeutica***

Poiché creare un'ERN distinta per ciascuna delle oltre 6000 malattie rare esistenti è pressoché impossibile, le reti sono state organizzate secondo raggruppamenti di malattie che non precludono ai pazienti la possibilità di recarsi presso un centro di riferimento specifico per una malattia rara.

L'elenco delle [ERN approvate](#) dal Comitato di Stati Membri è riportato qui di seguito:

##### **1. ERN BOND**

- Rete di riferimento europea per le malattie ossee rare

##### **2. ERN CRANIO**

- Rete di riferimento europea per le anomalie craniofacciali e malattie otorinolaringoiatriche rare

##### **3. Endo-ERN**

- Rete di riferimento europea per le malattie endocrine rare

##### **4. ERN EpiCARE**

- Rete di riferimento europea per le epilessie rare e complesse

##### **5. ERKNet**

- Rete di riferimento europea per le malattie renali rare

## **6. ERN RND**

- Rete di riferimento europea per le malattie neurologiche rare

## **7. ERNICA**

- Rete di riferimento europea per le malformazioni ereditarie e anomalie congenite

## **8. ERN LUNG**

- Rete di riferimento europea per le malattie polmonari rare

## **9. ERN Skin**

- Rete di riferimento europea per le malattie rare e non diagnosticate della cute

## **10. ERN EURACAN**

- Rete di riferimento europea per i tumori rari dell'adulto (tumori solidi)

## **11. ERN EuroBloodNet**

- Rete di riferimento europea per le malattie ematologiche rare

## **12. ERN EURO-NMD**

- Rete di riferimento europea per le malattie neuromuscolari rare

## **13. ERN EYE**

- Rete di riferimento europea per le malattie oculari rare

## **14. ERN GENTURIS**

- Rete di riferimento europea per le sindromi genetiche di predisposizione ai tumori

## **15. ERN GUARD-HEART**

- Rete di riferimento europea per le malattie cardiache rare e non comuni

## **16. ERN ITHACA**

- Rete di riferimento europea per le malformazioni congenite e le disabilità cognitive rare

## **17. MetabERN**

- Rete di riferimento europea per le malattie metaboliche ereditarie rare

## **18. ERN PaedCan**

- Rete di riferimento europea per i tumori pediatrici (oncoematologia)

## **19. ERN RARE-LIVER**

- Rete di riferimento europea per le malattie epatiche rare

## **20. ERN ReCONNET**

- Rete di riferimento europea per le malattie rare del tessuto connettivo e muscoloscheletrico

## **21. ERN RITA**

- Rete di riferimento europea per le immunodeficienze rare e le malattie autoinfiammatorie e autoimmuni rare

## **22. ERN TRANSPLANT-CHILD**

- Rete di riferimento europea per il trapianto in età pediatrica

## **23. VASCERN**

- Rete di riferimento europea per le malattie vascolari multi-sistemiche rare

Si prevede che le malattie rare multi-sistemiche siano supportate da un certo numero di ERN e che queste reti collaborino per soddisfare le esigenze dei pazienti affetti da queste patologie. È importante garantire che, lavorando con le reti candidate, l'ambito di applicazione delle proposte di ERN includa anche queste malattie.

Questo schema è raccomandato come modello per il raggruppamento delle malattie rare in base all'area tematica ed è il risultato di un'ampia collaborazione dei soggetti interessati esperti, tra cui: EUCERD (Comitato europeo di esperti sulle malattie rare), lo studio esplorativo del segretariato scientifico, le Raccomandazioni EUCERD sulle ERN per le malattie rare, le riunioni del Gruppo di esperti della Commissione Europea sulle malattie rare, un workshop dedicato nel mese di ottobre 2014 e le revisioni e i riesami a cura del Gruppo di esperti.

## **2. Modalità e tempi**

Il 16 marzo 2016, la Commissione Europea ha pubblicato [il primo invito pubblico per presentare proposte di reti](#). Le prime reti che otterranno il riconoscimento di ERN saranno rese note all'inizio del 2017. È prevista anche la pubblicazione di ulteriori bandi per la presentazione di nuove proposte di reti. Previa consultazione con gli Stati membri, la Commissione deciderà riguardo i tempi per la pubblicazione dei nuovi inviti a manifestare interesse.

Le ERN candidate devono superare tre fasi:

1. il controllo dell'ammissibilità da parte della Commissione e di un organismo di valutazione indipendente
2. l'analisi tecnica a cura di un organismo di valutazione indipendente
3. l'approvazione accordata dal Comitato di Stati membri.

L'aggiunta dei centri associati e il relativo processo avranno luogo solo dopo l'approvazione delle ERN e successivamente alla designazione formale di ciascuno dei partner associati dalle proprie autorità nazionali.



### ***3. Coinvolgimento dei pazienti nelle ERN – Gruppi europei di rappresentanza dei pazienti***

Secondo quanto stabilito dalla [Decisione delegata](#) della Commissione Europea, le ERN sono tenute a dimostrare la centralità e l’empowerment del paziente. I pazienti e le associazioni che li rappresentano, in quanto esperti della propria malattia rara, svolgono un ruolo attivo e strumentale nello sviluppo delle ERN. A tal proposito, anche l’[Addendum alle Raccomandazioni EUCERD a cura del Gruppo di esperti della Commissione Europea sulle malattie rare](#) dà un chiaro messaggio riguardo il coinvolgimento strategico dei rappresentanti dei pazienti nella struttura di gestione delle ERN.

Attualmente, attraverso i [Gruppi europei di rappresentanza dei pazienti](#) (European Patient Advocacy Groups - ePAG), creati da EURORDIS, i pazienti sono pienamente rappresentanti e sono partecipanti attivi nelle ERN. L’adesione agli ePAG è aperta a TUTTE le associazioni di pazienti, membri di EURORDIS e non. EURORDIS ha fortemente raccomandato un approccio ePAG strutturato e democratico per ciascuno dei 24 [raggruppamenti ERN](#) per rafforzare il ruolo dei pazienti in ciascuna ERN e far sì che questi possano partecipare ai processi e alle attività decisionali riguardanti le reti. **Per manifestare l’interesse di un’associazione di pazienti a diventare membro ePAG è necessario compilare [questo modulo](#) indicando il nome della ERN alla quale si desidera essere affiliati. Chiunque sia interessato a diventare un rappresentante negli ePAG può contattare [lenja.wiehe@eurordis.org](mailto:lenja.wiehe@eurordis.org).**

EURORDIS sta anche sviluppando un programma di rafforzamento delle capacità volto all’empowerment dei rappresentanti dei pazienti negli ePAG, al fine di acquisire le conoscenze e le competenze necessarie per partecipare alle attività delle ERN.

Questa iniziativa è nata durante l’Assemblea Generale 2015 di EURORDIS a Madrid ed è stata ulteriormente sviluppata dal Consiglio di EURORDIS delle Federazioni europee a ottobre e in seguito approvata dal Consiglio di Amministrazione di EURORDIS nel novembre del 2015. Tutti i membri di EURORDIS sono stati consultati durante il primo trimestre del 2015 per discutere il proprio raggruppamento ERN di appartenenza e le elezioni dei rappresentanti negli ePAG si sono svolte a maggio 2016. Questi rappresentanti sono stati attivamente impegnati nella preparazione delle candidature alle reti e nella definizione del ruolo dei pazienti nelle future ERN.

Attraverso gli ePAG, i rappresentanti dei pazienti contribuiranno all’organizzazione e allo scambio di informazioni, ai processi decisionali all’interno delle ERN, raccoglieranno i feedback dalle associazioni dei

pazienti a livello nazionale e direttamente dai malati e dalle famiglie e infine prenderanno parte alla creazione o al mantenimento dei registri e delle linee guida sulle buone pratiche. Ad oggi, sono stati eletti 85 rappresentanti dei pazienti in questi gruppi per offrire supporto ai medici:

- nella preparazione della loro candidatura alle ERN e nella definizione dell'ambito di applicazione della rete,
- nella descrizione dei servizi potenziali forniti dalle ERN,
- nel garantire la rappresentanza del paziente nei potenziali consigli di amministrazione e comitati sub-clinici delle ERN.

In particolare, gli ePAG e i rappresentanti ePAG:

- partecipano ai consigli di amministrazione delle ERN per rappresentare il punto di vista dei pazienti su tutti gli aspetti rilevanti della strategia ERN, della politica e dei processi organizzativi,
- sostengono il modello di cura centrata sul paziente e rispettosa dei diritti e della scelta dei malati,
- si assicurano che tutte le questioni etiche e le preoccupazioni dei pazienti siano affrontate nel modo giusto, bilanciando adeguatamente i bisogni dei pazienti e le esigenze cliniche,
- consigliano in merito alla trasparenza della qualità delle cure, degli standard di sicurezza, dei risultati clinici e delle opzioni di trattamento,
- consigliano sulla pianificazione generale, sull'esame e sulla valutazione delle attività e delle iniziative delle ERN,
- sviluppano un sistema di feedback ePAG e un quadro di valutazione per tutte le ERN con lo scopo di fornire un riscontro sull'esperienza del paziente in merito alle ERN e alle attività dei prestatori di assistenza sanitaria,
- contribuiscono allo sviluppo e alla diffusione delle informazioni sul paziente, della politica, delle buone pratiche, dei percorsi di cura e delle linee guida,
- contribuiscono alla ricerca, ad esempio definendo le aree di ricerca importanti per i pazienti e le loro famiglie e diffondendo le informazioni connesse alla ricerca,
- identificano i centri esperti che potrebbero aderire alle ERN come membri a pieno titolo o come centri associati.

**EURORDIS sta lavorando per garantire che ogni persona affetta da una malattia rara possa trovare il proprio punto di riferimento all'interno del sistema ERN. Quale partner fondamentale della [Joint Action europea sulle malattie rare](#), EURORDIS collabora con il Gruppo di esperti della Commissione Europea sulle malattie rare, con i più importanti clinici e con i rappresentanti dei pazienti per contribuire alla creazione delle ERN per le malattie rare e alla definizione dei potenziali servizi forniti da queste reti, e per garantire la rappresentanza dei pazienti nei potenziali consigli di amministrazione delle ERN e nei comitati sub-clinici.**

EURORDIS svolge un ruolo importante nel garantire la partecipazione dei rappresentanti dei pazienti nella creazione delle ERN attraverso le seguenti attività:

#### **1. Azioni per identificare i bisogni e le aspettative di pazienti e famiglie**

- EURORDIS ha creato un [Gruppo europeo di sostegno](#) (ePAG) distinto per ciascuno dei raggruppamenti di malattie delle ERN. Le associazioni dei pazienti possono diventare associazioni membri ePAG e i pazienti possono diventare rappresentanti ePAG (dal 2016 in poi). EURORDIS sta anche sviluppando un programma di rafforzamento delle capacità volto all'empowerment dei rappresentanti dei pazienti negli ePAG al fine di acquisire le conoscenze e le competenze necessarie per partecipare alle attività delle ERN;
- Consultazione dei membri di EURORDIS sulle proposte di raggruppamenti ERN (2015);

- Partecipazione al workshop 4 del primo giorno della 2a Conferenza della Commissione Europea sulle ERN: [Come costruire reti tematiche centrate sul paziente](#) (ottobre 2015) e alla presentazione del ["Il Punto di vista del paziente"](#) durante la stessa conferenza;
- Consultazione dei membri durante l'assemblea annuale dei membri di EURORDIS (maggio 2015 & 2016) e discussione sulle ERN durante la Conferenza Europea sulle Malattie Rare e i Farmaci Orfani;
- Le assemblee annuali dei membri di EURORDIS 2006 e 2008 sono state dedicate ai centri di expertise e al networking europeo.

## **2. Azioni di advocacy per lo sviluppo delle ERN**

- Incontri e attività del Consiglio delle Federazioni Europee, Consiglio delle Federazioni Nazionali, Consiglio direttivo di EURORDIS e Comitato per gli affari pubblici di EURORDIS (ottobre 2014/2015),
- contributo alle [Raccomandazioni EUCERD \(Comitato di esperti dell'UE sulle malattie rare\) sulle Reti di Riferimento Europee per le malattie rare](#) (gennaio 2013),
- pubblicazione di un [position paper sulle ERN](#) (maggio 2012),
- nel 2006 EURORDIS ha avviato il suo lavoro sui centri di expertise e sulle ERN attraverso le indagini EURORDIS Care, i cui risultati sono riportati nella pubblicazione la [Voce di 12.000 Pazienti](#). Queste indagini hanno valutato le esperienze e le aspettative dei pazienti riguardo l'accesso alla diagnosi e ai servizi sanitari,
- partecipazione, a partire dal 2006, al Gruppo ad alto livello della Commissione Europea sull'assistenza medica e sui servizi sanitari.

## **3. Ruolo tecnico nello sviluppo delle ERN**

- EURORDIS ha guidato il consorzio [PACE-ERN](#) (Conorzio per la valutazione dell'eccellenza clinica delle Reti di Riferimento Europee) per sviluppare un programma clinico, centrato sul paziente, per la valutazione delle potenziali ERN (2015 – 2016);
- EURORDIS ha attivamente partecipato all'elaborazione del concetto di ERN in termini di servizi clinici per la popolazione di pazienti e di modello di calcolo dei costi per questi servizi nell'ambito del progetto europeo "Potenziali servizi per il futuro delle ERN",
- EURORDIS e i rappresentanti ePAG hanno collaborato con i centri coordinatori delle candidature ERN per definire il campo d'azione delle proposte di reti che sono state inviate alla Commissione Europea in risposta al bando del 21 giugno 2016, al fine di garantire che le future ERN possano rispondere ai bisogni, alle aspettative e alle ambizioni della comunità dei malati rari.

## **4. Finanziamenti**

Il primo invito a presentare proposte di ERN con possibilità di finanziamento è stato pubblicato il 16 marzo 2016 con scadenza il 21 giugno 2016. Il finanziamento disponibile è di € 2.500.000 all'anno per i primi 5 anni per coprire tutte le reti approvate.

In aggiunta, la Commissione ritiene che le ERN si troveranno nella condizione di poter garantire finanziamenti alla ricerca e altri fondi per il fatto stesso di aver ricevuto lo status di ERN dalla Commissione Europea a seguito di un processo di valutazione formale.

## **5. Livello di competenza**

Garantire il livello di competenza dei centri di expertise ha un quadruplice obiettivo:

1. Ciascuno Stato membro è invitato a nominare un proprio rappresentante in seno al [Comitato di Stati Membri](#) incaricato di decidere in merito all'approvazione delle reti proposte e dei rispettivi membri. Questi rappresentanti lavoreranno con i loro rispettivi Stati membri per garantire che le domande presentate dai prestatori di assistenza sanitaria del proprio paese siano formulate in linea con l'invito a manifestare interesse. È altresì responsabilità di ciascuno Stato membro valutare il livello di competenza dei propri centri di expertise e incoraggiarli ad aderire ad una proposta di rete, nel rispetto delle rispettive legislazioni nazionali.
2. Durante il processo di candidatura, l'ERN definirà la soglia o il livello di esperienza o competenza specifica richiesta per la malattia che i prestatori di assistenza sanitaria dovranno soddisfare per diventare membri ERN. Ciascun prestatore di assistenza sanitaria candidato viene valutato inter pares da esperti della stessa area di competenza in base ai criteri di competenza specifici stabiliti per le ERN. Inoltre, ciascun prestatore di assistenza sanitaria è tenuto a documentare la propria competenza, esperienza ed attività, fornendo prova di corretta azione clinica e dei risultati in base alle norme, agli indicatori e alle conoscenze disponibili. I centri di expertise devono altresì dimostrare che le terapie prestate sono riconosciute dalla scienza medica internazionale in termini di sicurezza, valore e potenziale risultato clinico positivo.
3. Nell'ambito del processo di valutazione delle proposte di ERN, la Commissione Europea valuterà la competenza di ciascun centro di expertise e prestatore di assistenza sanitaria a fronte dei criteri generali operativi e specifici stabiliti dalla [Decisione delegata](#). Questo farà sì che i centri di expertise e i prestatori di assistenza sanitaria che partecipano al bando soddisfino in maniera chiara i criteri di qualità sia a livello nazionale che europeo. Una valutazione tecnica da parte di [Organismi di valutazione indipendenti](#) precisa in quale misura siano stati soddisfatti i criteri e le condizioni stabiliti dalla decisione delegata.
4. Le ERN hanno l'obbligo di monitorare continuamente l'attività dei partecipanti alla rete per verificare che ogni centro, durante il periodo di 5 anni dall'istituzione della rete, continui a soddisfare i requisiti di competenza richiesti in termini di risultati clinici e di misure di qualità e sicurezza. Se uno o più centri di competenza o prestatori di assistenza sanitaria, in qualsiasi momento nel corso dei cinque anni, cessano di rispettare le condizioni e i criteri previsti dalla Decisione delegata, essi sono tenuti, ai sensi della normativa, a evidenziarlo al consiglio di amministrazione della rete, i cui membri dovrebbero quindi riportarlo al [Comitato di Stati Membri](#). Allo stesso modo, le ERN candidate dovranno dimostrare il rispetto delle condizioni e dei criteri stabiliti dalla [Decisione delegata](#). Se una proposta di rete non soddisfa alcune di queste condizioni e criteri, dovrà predisporre un piano d'azione per ottenere la conformità nei primi cinque anni. Tali interventi saranno monitorati dal Consiglio di amministrazione della rete. Alla fine dei cinque anni, queste reti saranno valutate dalla Commissione Europea per il rinnovo del loro status di ERN.

## **6. L'impatto delle ERN**

Le ERN creano una chiara struttura di gestione per la condivisione delle conoscenze e il coordinamento delle cure sanitarie attraverso l'Unione Europea. Si tratta di centri di expertise e prestatori di cure sanitarie organizzati a livello transfrontaliero.

I pazienti continueranno a recarsi presso il proprio ospedale locale e non assisteranno a cambiamenti nella prestazione delle cure, ma vedranno un miglioramento dell'esito del proprio trattamento poiché, grazie alle ERN, i medici saranno in grado di entrare in contatto con una rete clinica più ampia che attraversa

l'Europa e che mette in collegamento gli esperti di malattie rare specifiche, per ottenere pareri o condividere le proprie esperienze su casi complessi e rari che, in ultima analisi, miglioreranno l'esito delle cure fornite ai propri pazienti.

I pazienti hanno il diritto di scegliere dove essere assistiti e curati e hanno bisogno di mantenere contatto con il proprio sistema sanitario nazionale per operare una scelta consapevole. Le ERN sostengono la prestazione di cure al paziente a livello locale, ove possibile, e incoraggiano gli esperti a condividere con i sistemi sanitari nazionali, regionali e locali la propria esperienza e conoscenza. **Le ERN promuovono la condivisione e la mobilità delle competenze, piuttosto che lo spostamento dei pazienti stessi attraverso le frontiere.**

## ***7. Vantaggi per i medici***

Le candidature come ERN richiedono una forte cooperazione tra i medici per creare reti funzionali ed operative.

Ci sono importanti vantaggi e opportunità per i medici che scaturiscono dalla creazione di un'ERN, tra i quali:

- collegare le competenze sparse per migliorare la comprensione delle malattie rare, della loro storia naturale e migliorare la diagnosi e i risultati dei trattamenti,
- aumentare la massa critica per la ricerca e la capacità di garantire finanziamenti alla ricerca,
- migliorare l'accesso alla diagnosi e all'assistenza sanitaria di alta qualità e ridurre le disuguaglianze nell'accesso alle cure,
- contribuire allo sviluppo della pratica basata sulle evidenze, degli standard e dei protocolli clinici e utilizzare le migliori pratiche UE per sostenere i clinici a perseguire il miglioramento e il progresso dei trattamenti disponibili all'interno dei rispettivi Stati membri,
- condividere l'utilizzo di piattaforme di e-learning/eHealth,
- ridurre l'inefficacia dei trattamenti e l'utilizzo inadeguato delle risorse limitate,
- massimizzare l'integrazione e l'interoperabilità di progetti strategici nazionali ed europei,
- fornire una chiara interfaccia per l'industria, attirando le opportunità di investimento e di crescita economica.

Per la comunità delle malattie rare, la condivisione di conoscenze ed esperienze e il collegamento tra la comunità dei clinici consentirà un livellamento delle conoscenze dei prestatori di assistenza sanitaria all'interno delle ERN e dei sistemi sanitari nazionali, regionali e locali, trasferendo queste competenze al paziente stesso. In questo modo si assisterà a un miglioramento dell'esito della diagnosi e dei trattamenti disponibili negli Stati membri.

## ***8. Quadro giuridico e documentazione***

Di seguito una sintesi delle politiche e dei documenti chiave che hanno determinato lo sviluppo e l'attuazione delle ERN:

- la pagina web della Commissione Europea su [la strategia politica alla base della creazione delle Reti di Riferimento Europee](#),
- la [Direttiva concernente l'applicazione dei diritti dei pazienti all'assistenza sanitaria transfrontaliera](#)

- l'Articolo 12 di questa direttiva stabilisce che la Commissione e gli Stati Membri sono responsabili dello sviluppo e della creazione delle ERN,
- il quadro giuridico della Commissione Europea comprende:
  - la [decisione delegata](#) relativa ai criteri e alle condizioni che devono soddisfare le reti di riferimento europee e i prestatori di assistenza sanitaria
  - la [decisione di esecuzione](#) che stabilisce i criteri per l'istituzione delle reti, che comprendono un minimo di 10 prestatori di assistenza sanitaria provenienti da almeno 8 Stati membri,
- [il Comitato di Stati Membri](#), che è l'organo ufficialmente incaricato di approvare le reti e i loro membri,
- [addendum alle Raccomandazioni EUCERD giugno 2015](#)
- [raccomandazioni EUCERD sulle Reti di Riferimento Europee per le malattie rare](#)
- [raccomandazioni EUCERD sui criteri di qualità per i Centri di expertise.](#)

Il primo [invito pubblico della Commissione Europea per presentare proposte di reti](#) è stato pubblicato il 16 marzo 2016 e si è concluso il 21 giugno 2016.

Il materiale necessario per prepararsi a questo bando è elencato di seguito:

- pagina dedicata al bando sul [sito della Commissione Europea](#), che riporta indicazioni sui finanziamenti,
- il manuale della Commissione Europea e il pacchetto di strumenti per la valutazione di tutte le proposte di rete. Questi due documenti si dividono in due parti:
  - [manuale di valutazione e pacchetto di strumenti per le reti candidate](#)
  - manuale di valutazione e pacchetto di strumenti per gli organismi di valutazione indipendenti che si occupano di valutare le proposte di reti,
- la [relazione](#) sullo stato dell'arte attuale dei sistemi nazionali di valutazione mostra che sebbene vi siano differenze nelle procedure seguite dagli Stati membri per valutare i rispettivi prestatori di assistenza sanitaria e i centri di expertise, i criteri secondo i quali vengono valutati questi centri sono in linea con le disposizioni della Decisione delegata della Commissione Europea,
- le [Domande frequenti \(FAQ\)](#),
- [processo di valutazione graduale delle proposte di reti](#)  
- Gli operatori sanitari che forniscono assistenza sanitaria altamente specializzata necessitano una certificazione scritta di approvazione da parte del proprio Stato membro per partecipare a una proposta di rete. Leggi la [consultazione scritta](#) della Commissione Europea sullo stato dell'arte delle pratiche nazionali di designazione e di valutazione dei prestatori di assistenza sanitaria altamente specializzata o i [rapporti nazionali sui centri di expertise](#),
- [workshop della Joint Action EURCERD su come prepararsi per le ERN](#),
- [informazioni della Commissione Europea sullo sviluppo delle ERN](#),
  - comprendono i [requisiti per gli organismi di valutazione indipendenti](#) in grado di eseguire la valutazione tecnica delle proposte di reti. L'invito della Commissione Europea per la selezione degli organismi indipendenti si è concluso nel mese di novembre 2015. Gli incarichi sono stati conferiti nella primavera del 2016
- [FAQ e discussioni sulle ERN della RD-Action](#) (basate sul workshop "Come prepararsi per le Reti di Riferimento Europee per le Malattia Rare" (luglio 2015).