



## *Presidenza del Consiglio dei Ministri*

DIPARTIMENTO PER GLI AFFARI REGIONALI E LE AUTONOMIE

*Ufficio III - Coordinamento delle attività della segreteria della  
Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le  
Province autonome di Trento e Bolzano*

Servizio "Sanità, lavoro e politiche sociali"

Codice sito: 4.10/2023/14/CSR

Presidenza del Consiglio dei Ministri

DAR 0007653 P-4.37.2.10

del 17/03/2023



45222057

Al Ministero della salute

- Gabinetto

[gab@postacert.sanita.it](mailto:gab@postacert.sanita.it)

- Direzione generale della programmazione  
sanitari

[dgprog@postacert.sanita.it](mailto:dgprog@postacert.sanita.it)

Al Ministero dell'economia e delle finanze

- Gabinetto

[ufficiodigabinetto@pec.mef.gov.it](mailto:ufficiodigabinetto@pec.mef.gov.it)

- Dipartimento della Ragioneria Generale dello  
Stato

[rgs.ragionieregenerale.coordinationo@pec.mef.gov.it](mailto:rgs.ragionieregenerale.coordinationo@pec.mef.gov.it)

Al Presidente della Conferenza delle Regioni e  
delle Province autonome

C/o CINSEDO

[conferenza@pec.regioni.it](mailto:conferenza@pec.regioni.it)

Ai Presidenti delle Regioni e delle Province  
autonome di Trento e Bolzano  
(CSR PEC LISTA 3)

e, p.c. All'Assessore della Regione Emilia-Romagna  
Coordinatore Commissione salute  
[sanita@postacert.regione.emilia-romagna.it](mailto:sanita@postacert.regione.emilia-romagna.it)

All'Assessore della Regione Piemonte  
Coordinatore Vicario Commissione salute  
[commissione.salute@cert.regione.piemonte.it](mailto:commissione.salute@cert.regione.piemonte.it)

All'Assessore della Regione Lombardia  
Vice-Coordinatore Commissione salute  
[welfare@pec.regione.lombardia.it](mailto:welfare@pec.regione.lombardia.it)



*Presidenza del Consiglio dei Ministri*

DIPARTIMENTO PER GLI AFFARI REGIONALI E LE AUTONOMIE

*Ufficio III - Coordinamento delle attività della segreteria della  
Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le  
Province autonome di Trento e Bolzano*

Oggetto: Parere, ai sensi dell'articolo 2 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, sullo Schema di decreto del Ministro della salute recante l'istituzione della Rete Nazionale delle Talassemie e delle emoglobinopatie. ID MONITOR 2968

La presente, così come richiesto dalla Commissione salute, sostituisce la documentazione trasmessa con prot. DAR n.7521 del 15 marzo 2023.

La suddetta documentazione è resa disponibile anche sul sito [www.statoregioni.it](http://www.statoregioni.it) con il codice 4.10/2023/14.

Il Direttore dell'Ufficio  
Cons. Saverio Lo Russo

**Melis Monia**

---

**Da:** CommissioneSalute <CommissioneSalute@regione.emilia-romagna.it>  
**Inviato:** giovedì 16 marzo 2023 13:44  
**A:** Catini Antonella; Catini Antonella; Melis Monia; Merendino Marta  
**Cc:** anselmo.campagna; sandra.montanari@ior.it; Direzione CRS Abruzzo; pasquale.colamartino@regione.abruzzo.it; Paola Facchin; palmacci@regioni.it; Emanuela Lista; Codazzo Alessandra  
**Oggetto:** DAR 7521 Parere sullo schema di decreto Rete Nazionale delle Talassemie e delle emoglobinopatie. ID MONITOR 2968  
**Allegati:** DAR 7521 Rete Nazionale Talassemie e delle emoglobinopatie .pdf; TRASFUSIONALE osservazioni Rete nazi. Talassemie.pdf; MALATTIE RARE osservazioni Rete naz.Talassemie.docx; MALATTIE RARE proposta revisione schema DM Rete naz.Talassemie.docx

**Priorità:** Alta  
**Contr. completamento:** Completare  
**Stato contrassegno:** Contrassegnato

Presidenza del Consiglio dei Ministri  
**DAR 0007652 A-4.37.2.10**  
**del 17/03/2023**

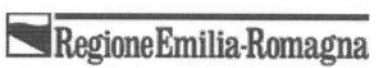


Gentilissime,

si segnala che rispetto ai documenti trasmessi con mail del 15 marzo, nel DAR 7521 lo schema di DM riformulato dalla Sub Area Malattie Rare risulta mancante dei commi che compongono l'articolo 1.

Si ri-allegano i documenti dell'Area Servizi Trasfusionali e della Sub Area Malattie Rare trasmessi con mail del 15 marzo.

Cordiali saluti.



Il Coordinamento Tecnico  
della Commissione Salute  
Regione Emilia-Romagna

## **Coordinamento dell'Area Malattie Rare - Osservazioni sul testo Decreto talassemie nella versione inviata alla Conferenza delle Regioni al Ministero in data 4 febbraio 2023**

### **1. Descrizione del quadro normativo.**

Di seguito l'elenco delle norme mancanti da introdurre nella descrizione preliminare del quadro normativo

1. Direttiva 2011/24/UE Parlamento Europeo e Consiglio Europeo 9 marzo 2011 concernente l'applicazione dei diritti dei pazienti relativi all'assistenza sanitaria transfrontaliera, con la quale negli artt. 12 e 13 si stabilisce l'attivazione delle reti di riferimento europee (ERN);
2. Decreto Legislativo 4 marzo 2014, n. 38 "Attuazione della direttiva 2011/24/UE concernente l'applicazione dei diritti dei pazienti relativi all'assistenza sanitaria transfrontaliera, nonché della direttiva 2012/52/UE, comportante misure destinate ad agevolare il riconoscimento delle ricette mediche emesse in un altro stato membro";
3. Decisione di esecuzione della Commissione del 10 marzo 2014 che stabilisce criteri per l'istituzione e la valutazione delle reti di riferimento europee e dei loro membri e per agevolare lo scambio di informazioni e competenze in relazione all'istituzione e alla valutazione di tali reti (2014/287/UE);
4. Decisione delegata della Commissione del 10 marzo 2014 relativa ai criteri e alle condizioni che devono soddisfare le reti di riferimento europee e i prestatori di assistenza sanitaria che desiderano aderire a una rete di riferimento europea (2014/286/UE);
5. Decisione del Board of Member States del 15 dicembre 2016 che approva l'attivazione del sistema di riferimento europeo per le malattie rare, organizzato per aree tematiche raggruppate in 24 ERN, tra cui la rete Blood-Net dedicata alle malattie del sangue comprendente patologie emato-oncologiche, anemie rare ed emoglobinopatie e difetti della coagulazione. Tale rete comprende anche i Centri selezionati a livello europeo dedicati alle emoglobinopatie tra cui le talassemie;
6. la legge 27 dicembre 2017, n. 205 "Bilancio di previsione dello Stato per l'anno finanziario 2018 e bilancio pluriennale per il triennio 2018-2020" che, all'art. 1 comma 437, prevede che "Il Ministro della salute, con proprio decreto da adottare entro novanta giorni dalla data di entrata in vigore della legge, istituisce la Rete nazionale della talassemia e delle emoglobinopatie, di cui fanno parte i centri di cura e le reti regionali già esistenti, ed adotta linee guida specifiche per la corretta applicazione dei protocolli terapeutici e dei percorsi di assistenza" e all'art. 1 comma 438, prevede che "Per le finalità di cui al comma 437 è autorizzata la spesa di 100.000 euro annui per ciascuno degli anni 2018, 2019 e 2020";
7. Decisione di esecuzione (UE) 2019/1269 della Commissione, del 26 luglio 2019, che modifica la decisione di esecuzione 2014/287/UE della Commissione che stabilisce criteri per l'istituzione e la valutazione delle reti di riferimento europee e dei loro membri e per agevolare lo scambio di informazioni e competenze in relazione all'istituzione e alla valutazione di tali reti;
8. Legge n. 175 del 10 novembre 2021 "Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani", che indica che le reti regionali e interregionali costituiscono la rete nazionale per le malattie rare e che i Centri di coordinamento regionali, i Centri di riferimento e i Centri di eccellenza, in quanto inseriti nelle ERN, sono gli elementi essenziali di tali reti;
9. Decreto del 20 dicembre 2022 della Direzione Generale della Programmazione Sanitaria del Ministero della Salute recante l'istituzione del Comitato nazionale per le malattie rare;
10. Considerato che nella seduta del 21 febbraio 2022 è stato definitivamente approvato dal Comitato nazionale malattie rare la proposta del nuovo Piano Nazionale delle malattie rare e l'allegato documento del riordino della rete nazionale per le malattie rare.

## **2. Aspetti contenuti nell'articolato del Decreto che confliggono con la normativa vigente**

### Art. 1 Rete nazionale

#### Comma 1

- Si afferma che nel DM 70 del 2015 è identificata la rete nazionale delle talassemie ed emoglobinopatie: questa rete non è indicata ma è indicata solo la rete nazionale delle malattie rare;
- Si definisce che la rete delle talassemie è costituita da Centri hub e di coordinamento, e Centri spoke. I Centri spoke sarebbero strutture operanti in ambito sia territoriale che ospedaliero, mentre i Centri hub sono ospedalieri con criteri e caratteristiche che saranno definiti successivamente dal Tavolo di lavoro permanente appositamente istituito presso il Ministero della Salute. In realtà, la composizione della rete per le malattie rare e quindi anche della sottorete delle talassemie in essa contenuta è costituita (Legge 175/2021) da Centri di riferimento definiti dalle Regioni in base ai criteri indicati nel Decreto di riordino della rete previsto dalla Legge 175/2021 e definitivamente approvato il 21 febbraio 2023, e da Centri di eccellenza costituiti da una selezione dei Centri di riferimento in base alla loro completa adesione ai criteri europei delle ERN e che sono stati selezionati per partecipare come full member a tali reti, nello specifico EuroBloodNet. Il terzo elemento della rete è dato dai Centri regionali di coordinamento. I tre elementi sono esplicitamente indicati e descritti nella Legge 175/2021, nel nuovo Piano Nazionale Malattie Rare (PNMR) e nel Decreto già citato di riordino della rete previsti dalla stessa norma 175/2021. Le reti di eccellenza in quanto Centri partecipanti alle ERN sono definite dalla Direttiva 24/2011 del Parlamento Europeo e dal Decreto legislativo 38/2014 che ne costituisce l'attuazione, oltre che dalla Decisione di esecuzione della Commissione del marzo 2014 e dalla decisione del Board of Member States del dicembre 2016. I criteri per l'ammissione come Centro di eccellenza nelle reti europee sono anche indicati nella Decisione di esecuzione 1269/2019 della Commissione europea. In altre parole, questa descrizione della rete confligge sia con la normativa nazionale esistente che con quella europea. Bisogna adeguare il testo alla situazione normativa riportandola integralmente.

#### Comma 2

- Si prevede che in prima applicazione la rete per le talassemie comprenda i Centri già esistenti e individuati dalle Regioni come Centri di riferimento e come Centri di eccellenza e successivamente dovrebbero essere rivisti in base a criteri indicati dal Tavolo di lavoro permanente e ripresi dalle Regioni. Questo confligge con quanto predisposto a livello europeo in cui i criteri per essere Centri di eccellenza ed entrare nelle reti europee sono definite dalla Commissione europea e a livello nazionale in cui i criteri sono definiti dal già citato Decreto di riordino delle reti conseguente alla Legge 175/2021. Il testo va riscritto tenendo conto delle normative attuali.

### Art. 2 Tavolo di lavoro permanente a supporto della rete nazionale

- Si prevede l'istituzione presso il Ministero della Salute di un Tavolo di lavoro permanente in cui siano presenti rappresentanti del Ministero della Salute, dell'ISS, dell'Agenas, di AIFA, delle Regioni e PP.AA., delle società scientifiche e delle associazioni d'utenza dedicato alle talassemie ed emoglobinopatie. Questo confligge con quanto previsto dal Decreto del 20 dicembre 2022 di istituzione del Comitato nazionale malattie rare e dal successivo Regolamento che prevede esista un solo Comitato nazionale presso il Ministero, disattivando gli eventuali altri tavoli o Gruppi di Lavoro istituiti presso il Ministero per avere un coordinamento unico della materia. Il Tavolo può attivare dei gruppi di lavoro interni prevedendo anche l'eventuale partecipazione di soggetti non membri permanenti del Tavolo nazionale malattie rare ma esperti della materia. Si ritiene pertanto necessario sostituire l'istituzione di un tavolo separato con quello di un Gruppo di Lavoro dedicato all'interno delle attività del Comitato nazionale malattie rare che, in base alla Legge 175/2021, è l'unico ad avere una composizione articolata di tutti gli stakeholder, e ad avere compiti di indirizzo e coordinamento e dover fornire pareri prima di decretare nella materia;

- Le attività previste dal Gruppo di Lavoro devono tenere conto delle incongruenze rispetto alla normativa già definite per l'art. 1, commi 1 e 2.

#### Art. 3 Linee guida

- È indicato che dovranno tenere conto di quanto elaborato dal Tavolo di lavoro dell'art. 2 che va sostituito con una Deliberazione del Comitato nazionale malattie rare, Gruppo di Lavoro per le talassemie ed emoglobinopatie.

#### Art. 4 Registro nazionale talassemie ed emoglobinopatie

- Si prevede che i Centri hub e spoke (riferimento ed eccellenza) della rete nazionale inviino sistematicamente e direttamente dati al Registro nazionale delle talassemie presso il Centro Nazionale Sangue. Questa previsione confligge con quanto indicato nello stesso Decreto, comma 4, art. 1, in cui si prevede che siano i Coordinamenti regionali per le malattie rare a monitorare i percorsi e le attività dei Centri di riferimento, a raccogliere le informazioni legate alla presa in carico dei pazienti e ad alimentare i flussi informativi. Inoltre, lo stesso flusso dai Centri alle Regioni, Coordinamento regionale, e dalle Regioni all'ISS e al Ministero, sono esplicitamente definiti dalla Legge 175/2021 per ogni raccolta informativa, oltre che nel modulo dedicato ai monitoraggi e flussi informativi del nuovo PNMR. La stessa previsione confligge con i compiti dei Coordinamenti regionali malattie rare, analiticamente descritti nel decreto di riordino della rete. È necessario quindi adeguare la previsione dei compiti e dei flussi informativi secondo la normativa vigente indicando che i Centri per talassemie ed emoglobinopatie devono dare le informazioni al Coordinamento, sede dei sistemi informativi per malattie rare, e i Coordinamenti alimentare secondo un dataset condiviso il Registro nazionale malattie rare e il Registro nazionale talassemie ed emoglobinopatie presso l'ISS, oltre che il Ministero per quanto concerne gli adempimenti LEA, così come previsto dalla normativa corrente.

## IL MINISTRO DELLA SALUTE

**VISTO** il decreto ministeriale 18 maggio 2001, n. 279, e successive modificazioni, recante “*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*”;

**VISTI** in particolare gli articoli 2, 3 e 4 del succitato decreto relativi, rispettivamente, all’istituzione della Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare, all’istituzione del Registro nazionale, dei Registri interregionali, regionali e territoriali delle malattie rare e all’individuazione delle malattie rare che danno diritto a specifica tutela, tra le quali sono incluse la talassemia e le emoglobinopatie;

**VISTO** l’Accordo sancito in sede di Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano del 10 maggio 2007, Rep. 103, relativo al “*Riconoscimento dei Centri di coordinamento regionali e/o interregionali, di presidi assistenziali sovraregionali a bassa prevalenza e sull’attivazione dei Registri regionali e interregionali delle malattie rare*”, che definisce il ruolo e i compiti dei Centri di coordinamento regionali per le malattie rare, tra cui quelli di garantire il funzionamento delle reti di assistenza per i malati rari e costituire il punto di raccolta delle informazioni provenienti dai Centri di riferimento per malattie rare per supportare l’assistenza al malato e gli atti di programmazione regionale. Con lo stesso Accordo si definiscono i contenuti del flusso informativo che a partire dai Registri regionali va ad alimentare il Registro nazionale malattie rare;

**VISTO** il decreto del Ministro della salute del 15 aprile 2008 “*Individuazione dei Centri interregionali per le malattie rare a bassa prevalenza*”;

**VISTA** la Direttiva 2011/24/UE del Parlamento Europeo e del Consiglio del 9 marzo 2011 concernente l’applicazione dei diritti dei pazienti relativi all’assistenza sanitaria transfrontaliera, con la quale negli artt. 12 e 13 si stabilisce l’attivazione di reti di riferimento europee (ERN) per malattie rare;

**VISTO** il Decreto Legislativo 4 marzo 2014, n. 38 "Attuazione della direttiva 2011/24/UE concernente l'applicazione dei diritti dei pazienti relativi all'assistenza sanitaria transfrontaliera, nonché della direttiva 2012/52/UE, comportante misure destinate ad agevolare il riconoscimento delle ricette mediche emesse in un altro stato membro";

**VISTA** la Decisione di esecuzione della Commissione del 10 marzo 2014 che stabilisce criteri per l'istituzione e la valutazione delle reti di riferimento europee e dei loro membri e per agevolare lo scambio di informazioni e competenze in relazione all'istituzione e alla valutazione di tali reti (2014/287/UE);

**VISTA** la Decisione delegata della Commissione del 10 marzo 2014 relativa ai criteri e alle condizioni che devono soddisfare le reti di riferimento europee e i prestatori di assistenza sanitaria che desiderano aderire a una rete di riferimento europea (2014/286/UE);

**VISTA** la Decisione del Board of Member States del 15 dicembre 2016 che approva l'attivazione del sistema di riferimento europeo per le malattie rare, organizzato per aree tematiche raggruppate in 24 ERN, tra cui la rete Blood-Net dedicata alle malattie del sangue comprendente patologie emato-oncologiche, anemie rare ed emoglobinopatie e difetti della coagulazione. Tale rete comprende anche i Centri selezionati a livello europeo dedicati alle emoglobinopatie tra cui le talassemie;**VISTO** l'Accordo sancito in sede di Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano in data 16 ottobre 2014 sul documento "*Piano Nazionale per le Malattie Rare (PNMR)*" (Rep. Atti n. 140/CSR);

**VISTO** il decreto ministeriale 2 aprile 2015, n. 70, "*Regolamento recante definizione degli standard qualitativi, strutturali, tecnologici e quantitativi relativi all'assistenza ospedaliera*" che al paragrafo 8.1.1 dell'allegato 1 riporta, tra le reti ospedaliere per patologia, la rete per le malattie rare e dispone che "*Per la definizione delle reti le regioni adottano 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. Relativamente alle reti sopra elencate, per le quali non siano disponibili linee guida e raccomandazioni, è istituito uno specifico tavolo tecnico presso Age.nas composto da rappresentanti del Ministero della salute, di Age.nas, regioni e province autonome, con il compito di definire entro un anno dalla data di approvazione del presente decreto le relative linee guida e raccomandazioni, nonché di aggiornare quelle già esistenti, da sancire tramite Accordi in sede di Conferenza Stato-regioni*";

**VISTO** il decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri 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*" che ridefinisce e aggiorna gli elenchi delle malattie rare, e introduce tra gli adempimenti LEA sottoposti a monitoraggio il flusso informativo, i cui contenuti sono analiticamente descritti nel già citato Accordo del 10 maggio 2007, tra Registri regionali e Registro Nazionale malattie rare presso l'ISS;

**VISTO** il decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri 3 marzo 2017 "*Identificazione dei sistemi di sorveglianza e dei registri di mortalità, di tumori e di altre patologie*" che nell'elenco A2) Registri di patologia di rilevanza nazionale e regionale prevede l'istituzione del Registro Nazionale della talassemia e delle altre emoglobinopatie presso il Centro nazionale sangue e dei relativi Registri regionali presso i Centri di coordinamento regionali;

**VISTO** l'art. 5, commi 1 e 3, della legge 8 marzo 2017, n. 24 sulla predisposizione e l'aggiornamento delle linee guida;

**VISTO** il decreto ministeriale 27 febbraio 2018, recante "*Istituzione del Sistema Nazionale Linee Guida (SNLG)*", pubblicato nella Gazzetta Ufficiale Serie Generale n. 66 del 20 marzo 2018;



**VISTA** la Decisione di esecuzione (UE) 2019/1269 della Commissione, del 26 luglio 2019, che modifica la decisione di esecuzione 2014/287/UE della Commissione che stabilisce criteri per l'istituzione e la valutazione delle reti di riferimento europee e dei loro membri e per agevolare lo scambio di informazioni e competenze in relazione all'istituzione e alla valutazione di tali reti;

**VISTA** la Legge n. 175 del 10 novembre 2021 "Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani", che indica che le reti regionali e interregionali costituiscono la rete nazionale per le malattie rare e che i Centri di coordinamento regionali, i Centri di riferimento e i Centri di eccellenza, in quanto inseriti nelle ERN, sono gli elementi essenziali di tali reti;

**VISTO** il Decreto del 20 dicembre 2022 della Direzione Generale della Programmazione Sanitaria del Ministero della Salute recante l'istituzione del Comitato nazionale per le malattie rare;

**CONSIDERATO** che nella seduta del 21 febbraio 2022 è stata approvata dal ..... la proposta del Nuovo Piano Nazionale delle Malattie Rare e l'allegato documento del riordino della rete nazionale delle Malattie rare

**CONSIDERATO** che il trattamento della talassemia e delle emoglobinopatie richiede un approccio multidisciplinare e la definizione di linee guida specifiche e condivise, che offrano il contenuto culturale su cui disegnare i percorsi di presa in carico del malato e orientare e facilitare le decisioni dei professionisti che si occupano della presa in carico della persona con talassemia ed emoglobinopatie;

**RITENUTO** necessario garantire accessibilità e affidabilità dei servizi dedicati ai malati di talassemia ed emoglobinopatie a cui le persone con talassemia ed emoglobinopatie possano comunque rivolgersi per specifiche problematiche e in particolari fasi della loro storia di malattia e di persona;

**RITENUTO** di dover assicurare l'implementazione e la sistematica alimentazione del Registro Nazionale della talassemia e delle altre emoglobinopatie previsto presso il Centro nazionale sangue con decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri 3 marzo 2017 recante "Identificazione dei sistemi di sorveglianza e dei registri di mortalità, di tumori e di altre patologie" nell'elenco A2) Registri di patologia di rilevanza nazionale e regionale;

**ACQUISITO** il parere favorevole della Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano in data ... (Rep. Atti n. .../CSR);

## **DECRETA**

### **Art. 1 (Rete nazionale)**

1. Nell'ambito delle Reti previste dal decreto ministeriale del 2 Aprile 2015 n. 70, è identificata la Rete Nazionale per le Malattie rare all'interno della quale si articola la rete nazionale della Talassemia e delle Emoglobinopatie, come rete specifica di patologia nell'ambito della più ampia Rete Nazionale delle Malattie Rare. I Centri di riferimento per emoglobinopatie e talassemie sono selezionati secondo criteri oggettivi e trasparenti di esperienza e competenza specifica tra le strutture ospedaliere che si dedicano alla diagnosi e al trattamento di questi pazienti. Essi sono unità funzionali costituite da più UU.OO., che assicurino le competenze necessarie per definire l'intero percorso diagnostico e la presa in carico della persona con talassemia ed emoglobinopatie. Una selezione di questi Centri, con maggiore competenza, esperienza, disponibilità di *facilities* diagnostiche e terapeutiche, e capacità di innovazione e ricerca, corrispondenti ai criteri definiti dalla Commissione Europea al riguardo, sono stati ammessi come Health Care Provider all'interno della ERN Blood-Net e quindi assumono il ruolo di centri di eccellenza per la talassemia e per le emoglobinopatie, come previsto dalla Legge n. 175/2021. Tale rete di Centri di riferimento e di eccellenza, essendo all'interno della rete per le malattie rare, si integrerà con le altre reti specifiche operanti nello stesso macro-ambito territoriale (ad es. reti per la riabilitazione, i trapianti, le malattie endocrine, le cardiologiche e respiratorie, urgenza-emergenza, etc.). L'organizzazione delle reti per talassemie ed emoglobinopatie comprende quindi al proprio interno diversi setting assistenziali e diverse competenze specialistiche, in modo da essere capace di affrontare le problematiche connesse con la patologia nelle varie fasi di vita e nei vari contesti in cui la persona viene a interagire (famiglia, pari, strutture educative, lavoro, etc.).
2. Le regioni e le Province autonome comunicano al Ministero della Salute entro 60 giorni dall'entrata in vigore del presente decreto l'elenco dei centri di riferimento e degli eventuali centri di eccellenza per la cura dei pazienti affetti da talassemia ed emoglobinopatie nonché l'organizzazione della rete regionale o interregionale già esistente.
3. Esse garantiscono inoltre, attraverso l'attività dei Centri di coordinamento regionale per malattie rare, il monitoraggio costante dell'attività svolta e l'eventuale aggiornamento nella selezione e composizione dei Centri di riferimento e degli eventuali centri di eccellenza presenti nel loro territorio.
4. Le Regioni e le Province Autonome di Trento e di Bolzano individuano altresì nel Coordinamento regionale/interregionale o provinciale delle malattie rare la struttura deputata a promuovere, garantire e monitorare i percorsi assistenziali per le persone con talassemia ed emoglobinopatie nei diversi setting assistenziali (Centri di riferimento e/o di eccellenza, ospedali e servizi territoriali prossimi al luogo di vita della persona con talassemia, eventuale assistenza domiciliare). All'interno di questi percorsi organizzativi, ciascun paziente emoglobinopatico e talassemico sarà seguito nei luoghi e nei servizi appropriati per rispondere ai suoi bisogni assistenziali, variabili da paziente a paziente e soggetti a evoluzione nel tempo nello stesso paziente. A tal fine esse potranno avvalersi del monitoraggio definito all'interno dei sistemi informativi o registri regionali per le malattie rare.

## **Art. 2**

### **(Attività del Comitato nazionale malattie rare a supporto della rete di assistenza per le persone con talassemia ed emoglobinopatia)**

1. All'interno delle attività di indirizzo e coordinamento del Comitato nazionale per le malattie rare è prevista l'attivazione di gruppi di lavoro dedicati a singole problematiche comuni a tutte le persone con malattie rare o a esigenze specifiche derivanti da gruppi di malati rari portatori di bisogni speciali. Si prevede la costituzione di un gruppo di lavoro per le talassemie e le emoglobinopatie ai cui lavori potranno partecipare anche selezionati rappresentanti delle più importanti società scientifiche e associazioni di pazienti attive nel tema.
2. Il gruppo di lavoro tratterà tematiche specifiche emergenti secondo le indicazioni date dal Comitato nazionale malattie rare e svolgerà attività di istruttoria tecnica, se richiesta, al fine di definire orientamenti nazionali per l'attività di presa in carico dei malati talassemici ed emoglobinopatici ed orientamento per la diffusione di informazione appropriata.

## **Art. 3**

### **(Linee guida)**

1. Le linee guida di cui all'art. 1, comma 437, della legge 27 dicembre 2017, n. 205 saranno adottate con Decreto del Ministero della salute entro un anno dall'entrata in vigore del presente provvedimento, tenendo conto delle indicazioni e suggerimenti emersi dai lavori del Gruppo di Lavoro di cui all'art.2.

## **Art. 4**

### **(Sistema di monitoraggio delle talassemie ed emoglobinopatie)**

1. I Centri di coordinamento regionale per le malattie rare hanno il compito di implementare e gestire i sistemi informativi, detti Registri, per il monitoraggio dei malati rari e delle relative attività di assistenza. All'interno di questa attività essi svolgeranno anche azioni per il monitoraggio dei Centri di riferimento e di eccellenza per talassemie ed emoglobinopatie e dei relativi percorsi assistenziali. Una condivisa selezione di tali informazioni sarà inviata a livello nazionale presso l'ISS al fine di alimentare il Registro nazionale malattie rare presso il Centro nazionale malattie rare e il Registro talassemie ed emoglobinopatie presso il Centro Nazionale Sangue attivo nella stessa Istituzione.

## **Art. 5**

### **(Oneri finanziari)**

1. Nell'ambito del sistema informativo sanitario nazionale, il Ministero della salute assicura il supporto tecnologico per la condivisione delle informazioni relative al presente decreto.

*Il presente decreto è trasmesso al competente organo di controllo e pubblicato nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana.*

IL MINISTRO



**Commissione Salute**

*Area Assistenza Ospedaliera*

Coordinamento Sub Area Servizi Trasfusionali

Regione Abruzzo

# Schema di DM recante «Istituzione Rete nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie

Esito riunione Sub Area Servizi Trasfusionali

06/03/2023

**Pasquale Colamartino**

**Coordinatore Tecnico Sub Area**

**Servizi Trasfusionali**

# Istituzione Rete nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie

## Normativa di riferimento

LEGGE 27 dicembre 2017 , n. 205 .  
Bilancio di previsione dello Stato per  
l'anno finanziario 2018 e bilancio  
pluriennale per il triennio 2018-2020.  
Articoli 437 e 438

Comma 437 - Il Ministro della salute, con proprio decreto da adottare entro novanta giorni dalla data di entrata in vigore della presente legge, istituisce la Rete nazionale della talassemia e delle emoglobinopatie

di cui fanno parte i centri di cura e le reti regionali già esistenti,

ed adotta linee guida specifiche per la corretta applicazione dei protocolli terapeutici e dei percorsi di assistenza.

Comma 438 - Per le finalità di cui al comma 437 è autorizzata la spesa di 100.000 euro annui, per ciascuno degli anni 2018, 2019 e 2020.

# Istituzione del Registro Nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie

## Normativa di riferimento

LEGGE 17 dicembre 2012, n. 221 Conversione in legge, con modificazioni, del decreto-legge 18 ottobre 2012, n. 179, recante ulteriori misure urgenti per la crescita del Paese.  
Articolo 12, commi 10 e 11

DECRETO DEL PRESIDENTE DEL CONSIGLIO DEI MINISTRI 3 marzo 2017  
Identificazione dei sistemi di sorveglianza e dei registri di mortalità, di tumori e di altre patologie.

Art. 1, comma 1 - Il presente decreto,.... identifica i sistemi di sorveglianza e i registri di mortalità, di tumori e di altre patologie, di trattamenti costituiti da trapianti di cellule tessuti e trattamenti a base di medicinali per terapie avanzate e di impianti protesici.

I sistemi di sorveglianza e i registri (di patologia) di rilevanza nazionale e regionale sono riportati nell'allegato A, parte integrante del presente decreto;

Art. 1, comma 3 - I sistemi di sorveglianza e i registri, di cui all'allegato A sono articolati in un livello regionale, che tratta i dati provenienti dagli organismi sanitari e dai servizi socio sanitari operanti nel proprio territorio, e in un livello nazionale, che tratta i dati provenienti dal livello regionale.

# Registri di patologia di rilevanza nazionale e regionale

*Elenco A2) Registri di patologia di rilevanza nazionale e regionale*

Denominazione		Ente di livello nazionale presso il quale è istituito	Ente di livello regionale presso il quale è istituito
A2.1	Registro insufficienza renale cronica e trattamento sostitutivo (dialisi)	Centro Nazionale Trapianti	Centro di riferimento regionale
A2.2	Registro tumori	Ministero della salute	Centro di riferimento regionale
A2.3	Registro vaccinati	Ministero della salute	Centro di riferimento regionale
A2.4	Registro delle protesi impiantabili	Istituto Superiore di Sanità	Centro di riferimento regionale
A2.5	Registro insufficienza cardiaca terminale e assistenza ventricolare	Centro Nazionale Trapianti	Centro di riferimento regionale
A2.6	Registro insufficienza epatica terminale e trapianto di fegato	Centro Nazionale Trapianti	Centro di riferimento regionale
A2.7	Registro trapianti sperimentali di organi, tessuti e cellule	Centro Nazionale Trapianti	Centro di riferimento regionale
A2.8	Registro degli eventi coronarici e cerebrovascolari	Ministero della salute	Centro di riferimento regionale
A2.9	Registro diabete	Ministero della salute	Centro di riferimento regionale
A2.10	Registro endometriosi	Ministero della salute	Centro di riferimento regionale
A2.11	Registro trapianti di cellule staminali emopoietiche	Centro Nazionale Trapianti	Centro di riferimento regionale
A2.12	Registro delle lesioni midollari di origine traumatica e non traumatica	Ministero della salute	Centro di riferimento regionale
A2.13	Registro Nazionale Coagulopatie Congenite	Istituto Superiore di Sanità	Centro di riferimento regionale
A2.14	Registro Nazionale Ipotiroidei Congeniti	Istituto Superiore di Sanità	Centro di riferimento regionale
A2.15	Registro Nazionale della talassemia e delle altre emoglobinopatie	Centro nazionale sangue	Centro di riferimento regionale



## **Art. 1**

### ***(Rete nazionale)***

1. Nell'ambito delle Reti previste dal decreto ministeriale 2 aprile 2015, n. 70 è identificata la Rete Nazionale della Talassemia e delle Emoglobinopatie, come rete specifica di patologia nell'ambito della più ampia Rete Nazionale delle Malattie Rare.

il decreto ministeriale 2 aprile 2015, n. 70, *“Regolamento recante definizione degli standard qualitativi, strutturali, tecnologici e quantitativi relativi all'assistenza ospedaliera”* al paragrafo 8.1.1 dell'allegato 1 riporta, tra le reti ospedaliere per patologia, la rete per le malattie rare e dispone che *“Per la definizione delle reti le regioni adottano 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.*

*Relativamente alle reti sopra elencate, per le quali non siano disponibili linee guida e raccomandazioni, è istituito uno specifico tavolo tecnico presso Age.nas composto da rappresentanti del Ministero della salute, di Age.nas, regioni e province autonome, con il compito di definire entro un anno dalla data di approvazione del presente decreto le relative linee guida e raccomandazioni, nonché di aggiornare quelle già esistenti, da sancire tramite Accordi in sede di Conferenza Stato-regioni”;*

## Art. 1 (Rete nazionale)

Essa sarà articolata secondo due tipologie di nodi:

la prima tipologia costituita dai centri di riferimento per le talassemie ed emoglobinopatie, selezionati per maggiore competenza ed esperienza e disponibilità di *facilities* diagnostiche e terapeutiche di maggiore innovazione e specializzazione che assumono il ruolo di centri *hub* e di coordinamento delle reti regionali della Talassemia e delle Emoglobinopatie, i quali, ove non già identificati come tali, saranno integrati tra i Centri di riferimento per la specifiche patologie delle malattie rare,

una seconda tipologia costituita da strutture operanti in ambito sia territoriale che ospedaliero (*spoke*) che hanno il compito di collaborare con i centri di riferimento nella presa in carico e nella gestione diagnostico-terapeutica della persona con talassemia ed emoglobinopatia.

**Art. 1**  
***(Rete nazionale)***

L'organizzazione delle reti per talassemie ed emoglobinopatie comprende quindi al proprio interno diversi setting assistenziali, diverse competenze specialistiche in modo da essere capace di affrontare le problematiche connesse con la patologia nelle varie fasi di vita e nei vari contesti in cui la persona viene a interagire (famiglia, pari, strutture educative, lavoro, etc.).

L'identificazione dei centri *hub* deve corrispondere alla evidenza di specifici livelli di attività e oggettive caratteristiche strutturali e di funzionamento in conformità ai criteri definiti con successivo accordo di cui al comma 3 del presente articolo. I percorsi che collegano i centri *hub* e centri *spoke* devono essere chiaramente definiti e contestualizzati in base alle differenti organizzazioni socio-sanitarie attive nelle diverse regioni.

## **Art. 1**

### ***(Rete nazionale)***

2. In fase di prima applicazione la rete nazionale delle talassemie e delle emoglobinopatie è costituita dai centri di cura per le anemie ereditarie e dalle reti regionali già esistenti. Le regioni e le Province autonome comunicano al Ministero della salute entro 60 giorni dall'entrata in vigore del presente decreto l'elenco dei centri di riferimento per la cura dei pazienti affetti da talassemia ed emoglobinopatie e l'organizzazione delle reti regionali
3. Le Regioni e le Province autonome provvedono all'aggiornamento dell'elenco dei Centri di riferimento di cui al comma 2 del presente articolo tenendo conto di criteri definiti con apposito accordo sanciti in sede di Conferenza Stato – Regioni. I centri così aggiornati e rispondenti ai criteri condivisi faranno parte integrante delle reti per le malattie rare.
4. Le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano individuano altresì nel Coordinamento regionale/interregionale o provinciale delle malattie rare la struttura deputata a promuovere, garantire e monitorare i percorsi delle persone con talassemia ed emoglobinopatie tramite i collegamenti tra centri di riferimento *hub* e le strutture e territoriali ospedaliere (*spoke*) coinvolte nella presa in carico dei pazienti, al fine di garantire la continuità assistenziale.

## **Art. 2**

### ***(Tavolo di lavoro permanente a supporto della Rete nazionale)***

1. È istituito presso il Ministero della salute un Tavolo di lavoro permanente, costituito da rappresentanti del Ministero della salute, Istituto Superiore di Sanità (Centro Nazionale Malattie Rare), Centro nazionale sangue, AGENAS, AIFA, i delegati di ciascuna regione e PP.AA., rappresentanti delle principali Società Scientifiche competenti in materia e di Associazioni d'utenza nazionali attive nel campo delle emoglobinopatie e talassemie.
2. Il Tavolo di lavoro di cui al comma precedente curerà l'aggiornamento della mappatura dei centri di riferimento, il monitoraggio delle attività svolte e della qualità e appropriatezza dell'assistenza erogata, anche al fine di effettuare proposte per la definizione e l'aggiornamento di indicazioni nazionali, formulate in base alle evidenze desumibili dalla letteratura scientifica e alle caratteristiche organizzative e risorse presenti nel Paese e promuovendo iniziative di diffusione delle stesse e delle informazioni raccolte.

**Art. 3**  
***(Linee guida)***

1. Le linee guida di cui all'art. 1, comma 437, della legge 27 dicembre 2017 n. 205 saranno adottate con Decreto del Ministero della salute entro un anno dall'entrata in vigore del presente provvedimento, tenendo conto delle indicazioni e suggerimenti emersi dai lavori del Tavolo di cui all'art. 2.

## **Art. 4**

### ***(Registro Nazionale Talassemia e delle altre Emoglobinopatie)***

1. I centri di cui all'articolo 1 comma 3 assicurano, secondo le modalità che saranno disciplinate da apposito decreto ministeriale, la sistematica e completa alimentazione del Registro Nazionale della talassemia e delle altre emoglobinopatie previsto presso il Centro nazionale sangue dal decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri 3 marzo 2017 recante "Identificazione dei sistemi di sorveglianza e dei registri di mortalità, di tumori e di altre patologie" nell'elenco A2) Registri di patologia di rilevanza nazionale e regionale.

**Art. 5**  
***(Supporto informatico)***

1. Nell'ambito del sistema informativo sanitario nazionale, il Ministero della salute assicura il supporto tecnologico per la condivisione delle informazioni relative alle attività di cui al presente decreto.



**Legge 10 novembre 2021 , n. 175**  
**Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della  
ricerca e della produzione dei farmaci orfani.**

# Articolo 1 - Finalità

1. La presente legge ha la finalità di tutelare il diritto alla salute delle persone affette da malattie rare, attraverso misure volte a garantire:
  - a) l'uniformità dell'erogazione nel territorio nazionale delle prestazioni e dei medicinali, compresi quelli orfani;
  - b) il coordinamento e l'aggiornamento periodico dei livelli essenziali di assistenza (LEA) e dell'elenco delle malattie rare;
  - c) il coordinamento, il riordino e il potenziamento della Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare, istituita dall'articolo 2 del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, di seguito denominata «Rete nazionale per le malattie rare», comprendente i centri che fanno parte delle Reti di riferimento europee «ERN», per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare;
  - d) il sostegno della ricerca.

## Art. 2 Definizione di malattie rare

1. Sono definite rare le malattie, comprese quelle di origine genetica, che presentano una bassa prevalenza.
2. Ai fini della presente legge, per bassa prevalenza delle malattie rare si intende una prevalenza inferiore a cinque individui su diecimila. Nell'ambito delle malattie rare sono comprese anche le malattie ultra rare, caratterizzate, ai sensi di quanto previsto dal regolamento (UE) n. 536/2014 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 aprile 2014, da una prevalenza inferiore a un individuo su cinquantamila.
3. I tumori rari, la cui identificazione deriva dal criterio d'incidenza, in conformità ai criteri internazionali e concordati a livello europeo nonché all'intesa 21 settembre 2017, n. 158/CSR, tra il Governo, le regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano per la realizzazione della Rete nazionale dei tumori rari, rientrano tra le malattie rare disciplinate dalla presente legge.

## Art. 7 Centro nazionale per le malattie rare

- 1. Il Centro nazionale per le malattie rare, istituito ai sensi del regolamento di cui al decreto del Ministro della salute del 2 marzo 2016, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana n. 88 del 15 aprile 2016, svolge attività di ricerca, consulenza e documentazione sulle malattie rare e sui farmaci orfani finalizzate alla prevenzione, al trattamento e alla sorveglianza degli stessi.
- 2. Il Centro nazionale per le malattie rare cura la tenuta e la gestione del Registro nazionale delle malattie rare.

## **Art. 8 Istituzione del Comitato nazionale per le malattie rare**

1. Entro sessanta giorni dalla data di entrata in vigore della presente legge, il Ministro della salute, con proprio decreto, istituisce presso il Ministero della salute il Comitato nazionale per le malattie rare, di seguito denominato «Comitato», e ne disciplina le modalità di funzionamento, prevedendo, in particolare, che le riunioni dello stesso si svolgano preferibilmente mediante videoconferenza.
3. Il Comitato svolge funzioni di indirizzo e di coordinamento, definendo le linee strategiche delle politiche nazionali e regionali in materia di malattie rare.

# Art. 9 Piano nazionale per le malattie rare e riordino della Rete nazionale per le malattie rare

1. Con accordo da stipulare in sede di Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano, sentiti il Comitato e il Centro nazionale per le malattie rare, è approvato ogni tre anni il Piano nazionale per le malattie rare, con il quale sono definiti gli obiettivi e gli interventi pertinenti nel settore delle malattie rare.
2. In sede di prima attuazione della presente legge, il Piano nazionale per le malattie rare è adottato entro tre mesi dalla data di entrata in vigore della medesima legge, con la procedura di cui al comma 1.
3. Con l'accordo di cui al comma 1 è disciplinato, altresì, il riordino della Rete nazionale per le malattie rare, articolata nelle reti regionali e interregionali, **con l'individuazione dei compiti e delle funzioni dei centri di coordinamento, dei centri di riferimento e dei centri di eccellenza che partecipano allo sviluppo delle Reti di riferimento europee «ERN», ai sensi dell'articolo 13 del decreto legislativo 4 marzo 2014, n. 38.**

## **Art. 10 Flussi informativi delle reti per le malattie rare**

1. Le regioni assicurano, attraverso i centri regionali e interregionali di coordinamento, il flusso informativo delle reti per le malattie rare al Centro nazionale per le malattie rare di cui all'articolo 7 al fine di produrre nuove conoscenze sulle malattie rare, di monitorare l'attività e l'uso delle risorse nonché di valutare la qualità complessiva della presa in carico dei pazienti e di attuare un monitoraggio epidemiologico, anche allo scopo di orientare e di supportare la programmazione nazionale in materia di malattie rare e le azioni di controllo e di verifica.
2. Dall'attuazione del presente articolo non devono derivare nuovi o maggiori oneri a carico della finanza pubblica. Le amministrazioni interessate vi provvedono nell'ambito delle risorse umane, strumentali e finanziarie disponibili a legislazione vigente.

## Osservazioni della Sub Area Malattie rare

La Sub Area Malattie Rare ritiene in estrema sintesi che la base giuridica a cui il Ministero della Salute fa riferimento nello Schema di DM per l'istituzione della Rete nazionale e del Registro nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie sia stata «implicitamente superata» dalla Legge n. 175 del 2021 che disciplina tutta la materia delle Malattie Rare e che pertanto le disposizioni contenute nello Schema di DM si pongano in contrasto con quanto previsto dalla citata Legge n. 175 del 2021. La Sub Area Malattie Rare fa riferimento in particolare a:

- **Legge 27 dicembre 2017, n. 205** che all'art. 437 prevede l'istituzione con apposito Decreto Ministeriale della Rete nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie;
- **DPCM 3 marzo 2017** che all'allegato A) prevede l'istituzione del Registro nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie, quale registro di patologia di rilevanza nazionale e regionale e che individua il Centro Nazionale Sangue quale Ente di livello nazionale a cui è affidata la gestione del Registro stesso.
- **DM 2 aprile 2015, n. 70** «Regolamento recante definizione degli standard qualitativi, strutturali, tecnologici e quantitativi relativi all'assistenza ospedaliera», che al paragrafo 8.1.1. individua le malattie rare (e quindi anche la Rete Nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie) tra le reti per patologia che integrano l'attività ospedaliera per acuti e post acuti con l'attività territoriale, prevedendo tra l'altro che *«per le reti per le quali non siano disponibili linee guida e raccomandazioni, è istituito uno specifico tavolo tecnico presso Agenas composto da rappresentanti del Ministero della salute, di Agenas, regioni e province autonome, con il compito di definire entro un anno dalla data di approvazione del presente decreto le relative linee guida e raccomandazioni, nonché di aggiornare quelle già esistenti, da sancire tramite Accordi in sede di Conferenza Stato-regioni».*



# Osservazioni della Sub Area Malattie rare

## **In particolare ad avviso della Sub Area Malattie Rare:**

- L'istituzione della Rete Nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie dovrebbe essere disciplinata secondo le modalità stabilite dall'art. 9 della legge n. 175 del 2021, che prevede ogni tre anni l'emanazione del Piano nazionale per le malattie rare, con il quale sono definiti gli obiettivi e gli interventi pertinenti nel settore delle malattie rare e il riordino della Rete nazionale per le malattie rare.
- L'istituzione di un Tavolo di lavoro nazionale per le Talassemie istituito presso il Ministero della Salute e costituito da rappresentanti di Ministero, Regioni, ISS, AIFA, Agenas, società scientifiche e associazioni d'utenza si sovrappone alle funzioni assegnate al Comitato nazionale delle malattie rare, di cui all'art. 8 della legge n. 175 del 2021;
- L'istituzione del Registro Nazionale delle Talassemia e della altre emoglobinopatie si pone in contrasto con la istituzione del Registro Nazionale delle Malattie Rare, di cui all' art. 10 della legge n. 175 del 2021.

## **La Sub Area Malattie Rare evidenzia infine che, in attuazione della citata Legge n. 175 del 2021:**

- Con DM è già stato istituito e insediato il Comitato nazionale malattie rare che ha compiti di indirizzo e coordinamento, definendo le linee strategiche delle politiche nazionali e regionali in materia di malattie rare.
- E' stato recentemente approvato dal Ministero della Salute il testo del nuovo Piano Nazionale Malattie Rare 2023-25 con il quale è disciplinato, altresì, il riordino della Rete nazionale per le malattie rare. Come prevede la legge n. 175 del 2021, l'iter di approvazione del PNMR ora proseguirà con il passaggio in Conferenza Stato-Regioni per la definizione dell'Accordo.

## Le preoccupazioni delle Associazioni dei pazienti

- La principale preoccupazione delle Associazioni dei Pazienti è che lo schema di DM proposto dal Ministero della Salute non richiama la Legge 10 novembre 2021, n. 175, soprattutto nella parte che riguarda le disposizioni di cui al Capo II, ovvero le “Prestazioni e benefici per le persone affette da malattie rare”. In particolare:
- Art. 4 Piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato e livelli essenziali di assistenza per le malattie rare;
- Art. 5 Assistenza farmaceutica e disposizioni per assicurare l'immediata disponibilità dei farmaci orfani;
- Art. 6 Istituzione del Fondo di solidarietà per le persone affette da malattie rare.

# Posizione condivisa della Sub Area Servizi Trasfusionali

In data 7 febbraio 2023 il Dipartimento per gli Affari Regionali e le Autonomie ha trasmesso alla Conferenza Stato/Regioni lo schema di Decreto Ministeriale recante «Istituzione della Rete nazionale delle talassemie e delle emoglobinopatie», per l'acquisizione del parere.

Dalla disamina delle norme richiamate nel preambolo dello Schema di DM, si prende atto che la base giuridica a cui il Ministero della Salute fa riferimento per l'istituzione della Rete nazionale e del Registro nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie riguarda in particolare:

- **Legge 27 dicembre 2017, n. 205** che all'art. 437 prevede l'istituzione con apposito Decreto Ministeriale della Rete nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie (anche se, evidentemente per mero errore materiale, non esplicitamente richiamata nel preambolo);
- **DPCM 3 marzo 2017** che all'allegato A) prevede l'istituzione del Registro nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie, quale registro di patologia di rilevanza nazionale e regionale e che individua il Centro Nazionale Sangue quale Ente di livello nazionale a cui è affidata la gestione del Registro stesso.
- **DM 2 aprile DECRETO 2 aprile 2015, n. 70** «Regolamento recante definizione degli standard qualitativi, strutturali, tecnologici e quantitativi relativi all'assistenza ospedaliera», in attuazione del quale il Ministero della Salute nello schema di Decreto prevede l'istituzione della Rete Nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie, come rete specifica di patologia nell'ambito della più ampia Rete Nazionale delle Malattie Rare.

# Posizione condivisa della Sub Area Servizi Trasfusionali

Sulla base di quanto emerge da una attenta analisi degli atti che ci sono stati trasmessi e dello schema di DM, si può ragionevolmente dedurre che il Ministero della Salute, pur nella consapevolezza di quanto previsto dal Testo Unico delle Malattie Rare, non abbia ritenuto che le norme di settore che prevedono l'istituzione della Rete nazionale e del Registro nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie siano state «esplicitamente o implicitamente superate» dalla citata Legge n. 175 del 2021.

D'altronde la Legge 27 dicembre 2017, n. 205 che all'art. 437 prevede l'istituzione della Rete nazionale delle Talassemie e delle Emoglobinopatie è una Legge di primo livello, dunque di grado superiore al Decreto 18 maggio 2001, e non risulta né richiamata (*come nel caso dell'Intesa 21 settembre 2017, n. 158/CSR che disciplina la Rete Nazionale dei Tumori Rari*), né esplicitamente abrogata dal Testo Unico delle Malattie Rare.

# Posizione condivisa della Sub Area Servizi Trasfusionali

- **Pertanto la Sub Area Servizi Trasfusionali si riserva di esprimere parere definitivo in merito allo Schema di DM, attesa l'opportunità di approfondire e chiarire le problematiche di interpretazione delle fonti normative sollevate dalla Sub Area Malattie Rare e la necessità di armonizzare lo Schema di DM proposto dal MinSan con il Testo Unico delle Malattie Rare, soprattutto nella parte che riguarda il sistema di garanzie per i pazienti.**
- **Si rinvia pertanto agli approfondimenti che verranno effettuati nella riunione tecnica Ministero/Regioni già convocata per la disamina di questo provvedimento in data 23 marzo 2023.**