

Le tre mozioni sulle malattie rare discusse alla Camera il 17 gennaio 2012

La Camera,
premessi che:

l'articolo 3 della Costituzione afferma che tutti i cittadini, senza distinzione di alcun tipo, sono uguali davanti alla legge (uguaglianza formale, comma 1) e impegna lo Stato a rimuovere gli ostacoli che, di fatto, limitano l'uguaglianza dei cittadini per varie ragioni, comprese quelle che riguardano la loro salute (uguaglianza sostanziale, comma 2); in tal modo la Costituzione sancisce che «tutti i cittadini hanno pari dignità», intendendo la dignità umana come fondamento costituzionale di tutti i diritti collegati allo sviluppo della persona, principio cardine dell'ordinamento democratico, su cui si fonda il valore di ogni essere umano;

a tale riguardo è d'obbligo precisare che il bene «salute» è tutelato dall'articolo 32, primo comma, della Costituzione, non solo come diritto fondamentale dell'individuo, ma anche come interesse della collettività, per questo richiede piena ed esaustiva tutela in quanto diritto primario ed assoluto pienamente operante anche nei rapporti tra privati. Tale tutela è garantita attraverso il servizio sanitario (istituito e disciplinato dalla legge n. 833 del 1978 e dal decreto legislativo n. 502 del 1992 e successive modificazioni). La possibilità di accedere a cure sanitarie adeguate è uno degli elementi principali che contribuiscono alla realizzazione del diritto alla tutela della salute, riconosciuto a ciascun individuo;

al di là delle mere affermazioni di principio, appare evidente che occorre dare a tutti le stesse opportunità e rimuovere i fattori di disparità sociale, territoriale ed economica esistenti. Tale criticità appare maggiormente complessa se applicata al contesto delle malattie rare. Le «malattie rare» sono patologie debilitanti e fortemente invalidanti, potenzialmente letali, caratterizzate da bassa prevalenza ed elevato grado di complessità, in gran parte di origine genetica, circa nell'80 per cento dei casi, mentre per il restante 20 per cento dei casi sono acquisite e comprendono anche forme tumorali rare, malattie autoimmuni, patologie di origine infettiva o tossica;

ai sensi del regolamento (CE) n. 141/2000 e precedenti normative, sono considerate rare quelle patologie «la cui prevalenza non è superiore a 5 su 10.000 abitanti». In Italia si calcola una stima approssimativa di circa 2 milioni di malati, moltissimi dei quali in età pediatrica. Se si raffronta questo dato con quello dei 27 Stati membri dell'Unione europea si nota che per ciascuna popolazione ci sono 246.000 malati. Oggi, nell'Unione europea, le 5.000-8.000 malattie rare esistenti colpiscono complessivamente il 6-8 per cento della popolazione, ossia da 27 a 36 milioni di persone; l'arbitraria definizione di «rara» non ha favorito il processo di ricerca e di attenzione sulle cause di tali patologie, frenando gli investimenti sia in campo diagnostico che terapeutico, per cui se da un lato sono pochi i centri in cui è possibile ottenere in tempi contenuti una diagnosi esatta, è complessivamente scarsa anche la ricerca per la produzione di nuove molecole, con conseguenti ritardi nella diagnosi e nelle cure;

il decreto del Ministro della sanità del 18 maggio 2001, n. 279 (recante «Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie») reca, all'allegato 1, l'elenco delle malattie riconosciute come rare dal Servizio sanitario nazionale;

l'articolo 8 del decreto ministeriale n. 279 del 2001 prevede testualmente che «i contenuti del presente regolamento sono aggiornati, con cadenza almeno triennale, con riferimento all'evoluzione delle conoscenze scientifiche e tecnologiche, ai dati epidemiologici relativi alle malattie rare e allo sviluppo dei percorsi diagnostici e terapeutici di cui all'articolo 1, comma 28, della legge 23 dicembre 1996, n. 662, e successive modificazioni e integrazioni»;

nonostante le previsioni di cui sopra, non si è proceduto ad alcun aggiornamento, sebbene il decreto del Presidente del Consiglio dei ministri del 21 marzo 2008, mai entrato in vigore, recasse, all'allegato 7, un aggiornamento delle malattie riconosciute come rare, integrando e sostituendo l'allegato 1 del decreto ministeriale n. 279 del 2001; l'allegato 7 al decreto rappresenterebbe, dunque, l'unico documento ufficiale, con i limiti evidenti conseguenti dall'emergere, nel tempo, di nuove patologie, prima sconosciute. Esso, a titolo esemplificativo e non esaustivo, indicherebbe in 109 le patologie da includere ai fini del riconoscimento dello *status* di malattie rare; queste 109 patologie però non sono mai state realmente incluse negli elenchi ufficiali e i pazienti che ne sono affetti non godono di nessuno dei benefici previsti;

contemporaneamente all'azione mirata dell'Unione europea, anche l'Italia, a partire dal 1999, ha identificato nelle malattie rare un'area di priorità in sanità pubblica, ha esplicitato priorità ed obiettivi da raggiungere ed è intervenuta con un provvedimento specifico, il decreto ministeriale n. n. 279 del 2001. Le regioni italiane, trasferita loro la competenza in tema di programmazione ed organizzazione sanitaria, hanno preso in carico l'applicazione della normativa nazionale. Nell'attuale negativa congiuntura economica, occorre tener conto anche del cambiamento radicale del Sistema sanitario nazionale, provocato dal passaggio di competenze in materia sanitaria dallo Stato alle regioni, dovuto alla modifica del titolo V, parte seconda, della Costituzione. Di fatto, si sono creati 21 sistemi sanitari regionali, molto diversi tra di loro per quanto riguarda sia le politiche fiscali che la disponibilità di bilancio, pur rimanendo identica la *ratio* che li ha generati. La diversa disponibilità e, quindi, la diversa accessibilità ai fondi regionali, si tramuta, inevitabilmente, in difformità nell'accesso alle opportunità di cura e in disparità di trattamento per i pazienti, sulla base della semplice appartenenza regionale sul territorio nazionale;

è necessario che il sistema mantenga un corretto equilibrio tra le autonomie locali ed il livello centrale. L'obiettivo dell'uniformità qualitativa e quantitativa dell'assistenza sanitaria e sociosanitaria necessita della previsione di linee guida e direttive in tale ambito, che siano sufficientemente omogenee e capaci di coniugare il rispetto delle specificità locali e le esigenze di razionalizzazione del sistema sanitario con il diritto di accesso alle cure;

ad oggi in Italia, nonostante un accordo Stato-regioni datato 8 luglio 2010, che prevede una quota vincolata di 20.000.000 di euro per progetti relativi alle malattie rare e ripartita in base alla popolazione di riferimento, non esiste una normativa adeguata a sostegno dei malati e delle loro famiglie, che incontrano enormi difficoltà di carattere economico-assistenziale, avuto particolare riguardo a ciò che concerne la terapia domiciliare; a ciò va a sommarsi la grave carenza di strutture e farmaci adeguati alla cura di tali patologie;

tutte le associazioni di pazienti affetti da malattie rare sostengono con energia come il nostro Paese debba allinearsi il più rapidamente possibile alle procedure che negli altri Paesi garantiscono ai cittadini, affetti da malattie rare, un accesso tempestivo alle terapie innovative;

in Francia, in particolare, è stato adottato da tempo un piano nazionale per le malattie rare e già dal 1994 è in vigore l'autorizzazione temporanea di utilizzo dei farmaci (atu), con lo scopo di garantire l'accesso alle cure da parte dei pazienti e l'utilizzo di un farmaco orfano e/o destinato alla cura di malattie rare o gravi, prima ancora che lo stesso abbia ottenuto l'autorizzazione all'immissione in commercio, purché il farmaco sia in fase di sviluppo avanzato e non vi sia una valida alternativa terapeutica con un farmaco regolarmente autorizzato (ad esempio, prodotti che abbiano profili di sicurezza già accertati o un documento di autorizzazione di immissione sul mercato in fase di stesura o in corso di registrazione); lo schema dell'autorizzazione temporanea di utilizzo dei farmaci, applicato alle medicine destinate alla cura di malattie rare o orfane o gravi, consentirebbe ai pazienti di avere a disposizione tali farmaci con largo anticipo rispetto ai tempi necessari alla conclusione degli studi clinici ed all'ottenimento dell'autorizzazione alla commercializzazione;

in Italia, l'inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri e nei prontuari terapeutici ospedalieri regionali spesso ritarda ulteriormente l'accesso alla terapia da parte dei pazienti affetti da malattie rare. Le amministrazioni regionali non differenziano i farmaci orfani all'interno delle loro delibere attuative e di indirizzo, creando così ulteriori difficoltà (quali limitazioni nella dispensazione del medicinale e non solo della prescrizione) ai pochi, talvolta addirittura unici, centri di riferimento regionali;

il regolamento (CE) n. 141/2000 stabilisce i criteri per l'assegnazione della qualifica di medicinali orfani nell'Unione europea e prevede incentivi per stimolare la ricerca, lo sviluppo e la commercializzazione di farmaci per la profilassi, la diagnosi o la terapia delle malattie rare; con determinazione del 20 marzo 2008, l'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) ha stabilito le «Linee guida per la classificazione e conduzione degli studi osservazionali sui farmaci»;

l'associazione culturale «Giuseppe Dossetti: I Valori-Sviluppo e Tutela dei Diritti» da oltre dieci anni si batte per ottenere una legislazione adeguata, che dia, a tutti i pazienti, le stesse possibilità di diagnosi, cura, assistenza e che incentivi la ricerca e la produzione di farmaci. L'associazione, che esplica la sua attività anche attraverso l'Osservatorio di tutela civica dei diritti, chiede da tempo che vengano adottate le misure legislative necessarie per incentivare e promuovere la

ricerca, lo sviluppo e l'immissione in commercio dei medicinali cosiddetti «orfani», ossia di tutti quei medicinali destinati alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di una malattia considerata, in base ai dettami dell'Unione europea «rara»,

impegna il Governo:

a verificare in che modo e fino a che punto i bisogni di salute di questi pazienti vengano attualmente soddisfatti, tenendo conto che, in questo particolare momento di risanamento economico del Paese, esiste una categoria di cittadini già gravemente penalizzata, sulla quale si chiede di non incidere ulteriormente;

a istituire a livello nazionale e a promuovere l'istituzione in ambito regionale dei registri delle patologie di rilevante interesse sanitario, in modo da fare chiarezza sulle cifre reali dei pazienti che ne sono affetti, consentendo l'utilizzo mirato delle risorse pubbliche;

a dare una definizione tempestiva delle «malattie rare» da includere nell'elenco delle patologie da sottoporre a *screening* neonatale obbligatorio, posto che la diagnosi neonatale consentirebbe, infatti, di tutelare la vita dei bambini affetti da queste patologie, consentendo di iniziare precocemente la terapia opportuna, prima che i danni diventino irrimediabili;

a istituire il Comitato nazionale delle malattie rare, presso il Ministero della salute, tenendo conto nella composizione dei rappresentanti delle regioni, dell'Istituto superiore di sanità e delle associazioni di tutela dei malati, nonché dei rappresentanti dei Ministeri competenti in merito (Ministero della salute, Ministero dell'istruzione, dell'università e della ricerca, Ministero del lavoro e delle politiche sociali);

a emanare urgentemente un provvedimento di aggiornamento dell'elenco delle malattie rare attraverso l'inserimento nei livelli essenziali di assistenza delle 109 patologie rare indicate nell'allegato 7 del decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 21 marzo 2008, mai entrato in vigore;

ad assumere iniziative dirette ad ampliare la copertura finanziaria della legge n. 648 del 1996 al fine di permettere un più ampio e veloce accesso a cure innovative, non ancora approvate in Italia;

ad attuare ogni disposizione normativa atta a rendere vincolante la valutazione dell'Ema, (European Medicines Agency), in tutti gli Stati europei, in quanto la *ratio* della norma prevede, nello specifico, che il farmaco, che ha già ricevuto dall'Ema la qualifica di «medicinale orfano», possa automaticamente beneficiare di una procedura accelerata di autorizzazione sulla base della valutazione dei soli dati a supporto della sicurezza del principio attivo, prescindendo dalle complesse valutazioni dell'efficacia, che non si conciliano con le particolarità delle malattie orfane e nel rispetto della speranza/diritto del paziente a beneficiare di un trattamento senza dover aspettare la conclusione dei normali procedimenti autorizzativi, prescindendo cioè dalla valutazione discrezionale circa l'esistenza di un *major public health need*,

ad assumere iniziative normative che consentano di assicurare ai farmaci orfani, sul modello vigente negli Usa:

l'esenzione dei diritti da versare per l'immissione in commercio; una procedura di registrazione accelerata; un credito di imposta pari al 50 per cento delle spese sostenute per la sperimentazione clinica; un periodo di esclusività di mercato di sette anni;

ad istituire un tavolo di lavoro e concertazione permanente con tutti gli *stakeholder*, che verrà consultato con cadenza bimestrale, al fine di intraprendere le azioni necessarie a colmare le carenze legislative ancora riscontrabili in tema di malattie rare e monitorare le azioni intraprese in tale ambito.

(1-00780)

«Binetti, Nunzio Francesco Testa, Calgaro, De Poli, Delfino, Adornato, Enzo Carra, Pezzotta, Ria, Mereu, D'Ippolito Vitale, Rao, Mondello, Mosella, Bossa, Zinzi, Poli, Porcu, Iannuzzi, Zazzera, Palomba, Sbrollini, Verini, Di Biagio, De Nichilo Rizzoli, Di Virgilio, Vella, Barani, Di Caterina, Mario Pepe (PD), Compagnon, Garofalo, Torrisi, Scapagnini, Pelino, Palagiano».

La Camera,

premessi che:

l'articolo 3 della Costituzione sancisce che tutti i cittadini hanno pari dignità sociale e sono eguali davanti alla legge;

l'articolo 32 della Costituzione sancisce che la Repubblica tutela la salute come fondamentale diritto dell'individuo e interesse della collettività, e garantisce cure gratuite agli indigenti;

l'Organizzazione mondiale della sanità riconosce la salute quale diritto fondamentale dell'uomo e il godimento del miglior stato di salute raggiungibile come uno dei diritti fondamentali di ogni essere umano;

in data 11 novembre 2008 la Commissione europea ha adottato la comunicazione della Commissione al Parlamento europeo, al Consiglio, al Comitato economico e sociale europeo e al Comitato delle regioni «malattie rare: una sfida per l'Europa» (COM 2008/679), al fine di stabilire una strategia comune per affrontare le malattie rare sulle basi delle migliori pratiche esistenti;

il regolamento (CE) n. 141/2000 considera «malattie rare» quelle patologie che colpiscono cinque soggetti su diecimila;

in Europa i soggetti colpiti da malattie rare sono circa 24 milioni e in Italia oltre 2 milioni, soprattutto in età infantile;

trattasi per l'80 per cento di malattie di origine genetica e per il restante 20 per cento di malattie acquisite;

le malattie rare sono anche definite «malattie orfane», in quanto prive di adeguate attività di ricerca e di interesse da parte del mercato e delle politiche di sanità pubblica; di conseguenza, si considerano «orfani», ai sensi del regolamento (CE) n. 141/2000, i farmaci innovativi per contrastare le malattie rare, ancora scarsamente commercializzati a causa dei costi eccessivi;

il decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279 (recante «Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie»), contiene, all'allegato 1, l'elenco delle malattie riconosciute come rare dal servizio sanitario nazionale (per le quali è prevista l'esenzione dai costi delle relative prestazioni sanitarie) e prevede che tale elenco sia aggiornato almeno ogni tre anni;

non è stato ancora approntato alcun aggiornamento dell'elenco sopra menzionato, nonostante l'emersione di nuove patologie (risultano ad oggi individuate circa 109 patologie da includere ai fini del riconoscimento dello *status* di malattie rare, di fatto mai incluse negli elenchi ufficiali);

sino ad oggi sono stati depositati in Parlamento 31 disegni e progetti di legge in materia, per nessuno dei quali è stato sino ad oggi concluso l'esame parlamentare;

le malattie rare costituiscono un grave problema sociale ed assistenziale, poiché sono caratterizzate da difficoltà diagnostiche e necessitano della sperimentazione di nuovi farmaci attraverso l'impiego di metodologie avanzate; esse sono, inoltre, malattie per la gran parte genetiche, croniche e invalidanti;

gli alti costi per la ricerca, la sperimentazione e la commercializzazione dei «farmaci orfani», non sono sopportabili dalle industrie farmaceutiche e la scarsità di investimenti pubblici nella ricerca e nella sperimentazione non favorisce l'azione di contrasto alle suddette patologie, determinando, di conseguenza, alti costi sanitari e socio-assistenziali;

attualmente, in Italia, il servizio sanitario nazionale riconosce l'esenzione per l'acquisto solo di determinati farmaci, vista la difficoltà riscontrata nella classificazione di queste malattie, con conseguente aggravio per le famiglie dei pazienti, che spesso non possiedono le necessarie risorse finanziarie e nemmeno possono usufruire di specifiche strutture sanitarie,

impegna il Governo:

ad adottare ogni adempimento di competenza al fine di favorire il rapido svolgimento dell'esame parlamentare del testo unificato in materia di malattie rare;

a modificare il regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità n. 279 del 2001, prevedendo l'aggiornamento annuale dell'allegato n. 1, contenente l'elenco delle malattie rare esentate dalla partecipazione al costo sanitario, con l'inserimento in esso di tutte le patologie fino ad ora escluse e, in particolare, delle 109 malattie rare previste dal decreto del Presidente del Consiglio dei ministri del 23 aprile 2008;

a tenere conto, nell'aggiornamento del predetto elenco, del fatto che le esenzioni e l'introduzione nei livelli essenziali di assistenza delle patologie emergenti debbano essere valutate anche in relazione alla gravità ed alla permanenza nel tempo delle eventuali invalidità derivanti da tali malattie e non solo in relazione all'attuale raggruppamento in base agli apparati e/o sistemi metabolici colpiti;

ad istituire a livello nazionale e a promuovere l'istituzione a livello regionale dei registri delle patologie di rilevante interesse sanitario, in modo da garantire il monitoraggio dei pazienti che ne sono affetti, consentendo un utilizzo mirato delle risorse pubbliche;

ad adottare, d'intesa con le regioni, un piano strategico per le malattie rare, finalizzato ad assicurare un equo accesso ai servizi socio-sanitari presenti sul territorio nazionale ed improntato alla prevenzione, diagnosi tempestiva, monitoraggio, trattamento, assistenza, riabilitazione e assistenza protesica a tutti i pazienti affetti da tali patologie, nonché la necessaria assistenza alle famiglie in cui sono presenti uno o più malati rari, migliorando la qualità della vita delle persone affette da tali patologie e delle loro famiglie;

ad assumere iniziative per permettere un più ampio e veloce accesso alle cure innovative, non ancora introdotte in Italia, attraverso una normativa che preveda l'autorizzazione temporanea di utilizzo per favorire l'accesso ai farmaci orfani, sul modello francese;

ad assumere iniziative volte a prevedere, in materia di prescrizioni farmaceutiche relative ad una malattia rara, che il numero di pezzi prescrivibili per ricetta possa essere superiore a tre e la distribuzione sia riservata ai centri e/o ospedali individuati in apposito elenco o previo accordo per la distribuzione con le farmacie di supporto;

a favorire lo sviluppo di nuovi farmaci e terapie, in particolare attraverso la predisposizione di un piano organico per la ricerca clinica attraverso un apposito piano di incentivi alla ricerca;

ad adottare iniziative per recepire le raccomandazioni del Consiglio dell'Unione europea in forma tempestiva, partendo dall'istituzione di un fondo *ad hoc* per garantire che i farmaci «orfani», nonché i parafarmaci ed i farmaci di fascia «C» indispensabili per la cura delle patologie rare, siano posti a carico del servizio sanitario nazionale con una gestione trasparente, tramite l'inserimento, in modo omogeneo in tutti i prontuari regionali, in tempi prestabiliti, una volta ottenuta l'autorizzazione alla commercializzazione;

a promuovere una revisione delle disposizioni riguardanti i farmaci previste dall'articolo 17, comma 1, lettera *b*), del decreto-legge 6 luglio 2011, n. 98, convertito, con modificazioni, dalla legge n. 111 del 2011, recante «Disposizioni urgenti per la stabilizzazione finanziaria», al fine di prevedere, nell'ambito del regolamento ivi richiamato, un regime applicativo particolare per i farmaci orfani;

ad individuare, d'intesa con la Conferenza unificata, per ogni malattia rara almeno un centro di riferimento nazionale a cui indirizzare la maggior parte dei finanziamenti destinati allo studio, alla diagnosi ed alla terapia di tale patologia, al fine di ottimizzare al massimo la possibilità di ottenere risultati sia da un punto di vista terapeutico che della ricerca.

(1-00808)

«Laura Molteni, Martini, Rondini, Fava, Fabi, Fugatti, Torazzi, Fedriga, Desiderati, Maggioni».

(16 gennaio 2012)

(Mozione non iscritta all'ordine del giorno ma vertente su materia analoga).

La Camera,

premesse che:

nonostante nel corso degli ultimi venti anni la ricerca scientifica abbia compiuto notevoli progressi, vi sono ancora moltissimi stati patologici non adeguatamente conosciuti e non ancora classificati, moltissime malattie per le quali non sono possibili né sussidi diagnostici, né adeguate forme di prevenzione, né terapie, ed altre ancora che colpiscono un numero relativamente basso di persone, le cosiddette malattie rare;

il numero delle malattie rare è stimato dall'Organizzazione mondiale della sanità intorno a 5.000, l'80 per cento delle quali di origine genetica, anche se il manifestarsi delle patologie e la loro concentrazione cambiano a seconda dei Paesi

interessati e il Parlamento europeo ha definito un limite di prevalenza non superiore a cinque casi per ogni 10.000 abitanti degli Stati membri dell'Unione europea;

le malattie rare talvolta sono fortemente invalidanti e chi ne è colpito spesso non riesce a sopravvivere; la definizione di «rara» non ha agevolato il processo di ricerca e di attenzione sulle cause delle malattie rare, se non da parte di centri privati, con la conseguenza non solo di non offrire al paziente cure adeguate e una diagnosi tempestiva, ma soprattutto di lasciarlo isolato nell'affrontare la propria malattia insieme alla sua famiglia;

la scarsa disponibilità di conoscenze scientifiche, che scaturisce proprio dalla rarità, determina spesso lunghi tempi di latenza tra l'esordio della patologia e la diagnosi, cosa che incide negativamente sulla prognosi del paziente, ed inoltre le industrie farmaceutiche, a causa della limitatezza del mercato di riferimento, hanno scarso interesse a sviluppare la ricerca e la produzione dei cosiddetti «farmaci orfani», potenzialmente utili per tali patologie;

se la rarità incide anche sulle possibilità della ricerca clinica, in quanto la valutazione di nuove terapie è spesso resa difficoltosa dall'esiguo numero di pazienti arruolabili nei *trial*/clinici, dall'altra parte il ricorso a una casistica multicentrica può diminuire la qualità dello studio, in quanto i criteri di reclutamento e di trattamento dei pazienti da sottoporre a *trial*/clinici possono essere disomogenei;

infine, la rarità della malattia fa scaturire un'altra conseguenza per la stessa, ovvero l'essere «orfana», in quanto non riceve le attenzioni e il sostegno economico-sociale adeguati;

negli ultimi anni, anche grazie alla continua attività di sensibilizzazione portata avanti dalle associazioni dei pazienti, sono stati raggiunti importanti risultati per sopperire alle esigenze di coloro che sono affetti da patologie rare; con la decisione n. 1295/1999/CE del Parlamento e del Consiglio europeo è stato adottato un programma d'azione comunitaria sulle malattie rare nel quadro dell'azione della sanità pubblica per il quadriennio 1999-2003. Sempre a livello europeo, nel 2000 è stato pubblicato il regolamento (CE) n. 141/2000 concernente i medicinali orfani con l'istituzione della procedura comunitaria per l'assegnazione della qualifica di medicinale orfano. Per svolgere questa attività è stato istituito, nell'ambito dell'*European medicines agency (Ema)*, il *Committee for orphan medicinal products (Comp)*; diversi Stati membri hanno recepito le indicazioni dell'Unione europea, ponendo in essere una crescente attenzione e sensibilità verso tali patologie: in Francia; in particolare, da tempo è stato adottato un piano nazionale per le malattie rare ed è stata innovata la normativa riguardante l'approvvigionamento dei farmaci; in Spagna, Belgio e Romania sono state assunte iniziative in tal senso;

l'Italia è sempre stata sensibile su questo tema, non solo inserendolo tra i punti fondamentali del piano sanitario nazionale già nel triennio 1998-2000, ma anche predisponendo il regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, con cui si stabiliva l'esenzione dai costi sanitari per circa 350 patologie, ed istituendo il registro nazionale delle malattie rare presso l'Istituto superiore di sanità, il quale raccoglie i dati epidemiologici forniti dai vari centri regionali, al fine di avere una visione organica delle malattie rare e di favorire, conseguentemente, la ricerca su di esse;

con il decreto ministeriale n. 279 del 2001, «Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie, ai sensi dell'articolo 5, comma 1, lettera *b*), del decreto legislativo 29 aprile 1998, n. 124», pubblicato nella *Gazzetta ufficiale* n. 160 del 12 luglio 2001 - supplemento ordinario n.180/L, si prevede l'esenzione per le prestazioni sanitarie correlate alla malattia, selezionate dal medico curante tra quelle incluse nei livelli essenziali di assistenza secondo criteri di appropriatezza ed efficacia rispetto alle condizioni cliniche individuali e, per quanto possibile, sulla base di protocolli clinici concordati con il presidio di riferimento competente. Ai fini dell'esenzione il regolamento individua 284 malattie e 47 gruppi di malattie rare;

il diritto all'esenzione è previsto anche per le prestazioni diagnostiche necessarie a confermare o escludere il sospetto diagnostico di una delle malattie rare incluse, formulato da uno specialista del servizio sanitario nazionale;

a tale proposito è opportuno segnalare che la revisione dei livelli essenziali di assistenza è ferma all'ormai lontano 2001, visto che il nuovo decreto emesso dall'allora Governo Prodi nel 2008 fu invece revocato dal successivo Governo Berlusconi, in considerazione di un rilievo mosso dalla Corte dei conti, la quale ritenne che i nuovi livelli essenziali di

assistenza sarebbero costati circa 800 milioni di euro in più su base annua e tale copertura non sarebbe prevista; la mancata revisione dei livelli essenziali di assistenza e dell'elenco delle malattie rare esentate dal pagamento del ticket, fermo a livello nazionale al 2004, comporta un grave nocumento per tutte quelle persone affette da tali malattie e costrette a pagare il ticket per potersi curare;

a partire dal 2001 le regioni hanno iniziato a individuare i presidi per l'assistenza ai pazienti affetti da malattie rare e attualmente le reti regionali sono indicate su quasi tutto il territorio nazionale;

dal luglio 2002 è stato istituito nell'ambito della Conferenza Stato-regioni un gruppo tecnico interregionale permanente, al quale partecipano il Ministero della salute e l'Istituto superiore di sanità, il cui obiettivo è rappresentato dall'ottimizzazione del funzionamento delle reti regionali e dalla salvaguardia del principio di equità dell'assistenza per tutti i cittadini;

dal 10 maggio 2007 è stato siglato il secondo accordo tra il Governo, le regioni e le province autonome di Trento e Bolzano sul riconoscimento di centri coordinamento regionali e/o interregionali, di presidi assistenziali sovraregionali per le patologie a bassa prevalenza e sull'attivazione dei registri regionali ed interregionali delle malattie rare;

si tratta certamente di primi passi significativi ma non ancora adeguati, però, a dare soluzioni concrete e definitive a problemi così rilevanti, primo fra tutti il problema che, sia a livello nazionale sia a livello regionale, i cittadini affetti da malattie rare non usufruiscono dello stesso livello di prestazioni diagnostiche, terapeutiche ed assistenziali previste da parte del servizio sanitario nazionale per tutti gli altri pazienti ed ancora la questione della disparità di trattamento che avviene anche fra le varie regioni e persino all'interno delle medesime regioni e, addirittura, all'interno delle stesse città, nonostante sia ovvio e doveroso che tutti i cittadini debbano godere dello stesso livello di prestazioni da parte del servizio sanitario nazionale,

impegna il Governo:

a porre in essere tutte le iniziative necessarie per garantire la presa in carico dei malati affetti da malattie rare e delle loro famiglie, in particolare attraverso l'accesso alle cure e all'assistenza materiale, economica e psicologica, in modo da ottemperare alle indicazioni dell'Unione europea;

a prevedere per le persone affette da malattie rare il diritto all'esenzione dalla partecipazione alla spesa per tutte le prestazioni sanitarie, incluse nei livelli essenziali di assistenza, efficaci ed appropriate per la diagnosi, il trattamento, il monitoraggio dell'evoluzione della malattia rara e la prevenzione degli aggravamenti, comprese le prestazioni riabilitative e di assistenza protesica, nonché l'acquisto dei farmaci di fascia C necessari per il trattamento delle malattie rare e dei trattamenti considerati non farmacologici, quali alimenti, integratori alimentari, dispositivi medici e presidi sanitari;

ad assumere iniziative dirette ad aggiornare l'allegato n. 1 del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità n. 279 del 2001, contenente l'elenco delle malattie rare esentate dalla partecipazione al costo, con cadenza annuale e non più triennale, prevedendo l'inserimento nello stesso di altre malattie rare finora escluse e, in particolare, delle 109 malattie rare inserite nel suddetto elenco dal decreto del Presidente del Consiglio dei ministri del 23 aprile 2008, approvato dal Governo Prodi e successivamente ritirato per mancanza di copertura finanziaria dal Governo Berlusconi;

ad adottare iniziative che consentano l'accesso universale allo *screening* neonatale che sarebbe in grado di individuare precocemente nei neonati decine di malattie metaboliche ereditarie, evitando così gravissimi stati di invalidità;

ad adottare le iniziative necessarie affinché le diagnosi di malattia rara siano effettuate dai presidi della rete di cui all'articolo 2 del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, sulla base di appositi protocolli diagnostici e affinché gli stessi presidi della rete provvedano all'emissione della relativa certificazione di malattia rara con validità illimitata nel tempo e su tutto il territorio nazionale, al fine di assicurare l'erogazione a totale carico del servizio sanitario nazionale di tutte le prestazioni incluse nei livelli essenziali di assistenza;

ad adottare le iniziative necessarie per assicurare l'immediata disponibilità e gratuità delle prestazioni e l'aggiornamento dei prontuari terapeutici, prevedendo che i farmaci commercializzati in Italia che abbiano ottenuto riconoscimento di farmaco orfano dall'Agenzia europea per la valutazione dei medicinali (Emea) siano forniti gratuitamente ai soggetti

portatori delle patologie, a cui la registrazione fa riferimento e che, pertanto, possano essere inseriti nel prontuario nazionale dei farmaci nelle fasce esenti da compartecipazione alla spesa;

ad adottare un piano nazionale per le malattie rare, con durata triennale, finalizzato ad assicurare prevenzione, sorveglianza, diagnosi tempestiva, trattamento e riabilitazione ai pazienti con malattie rare, a garantire equo accesso ai servizi socio-sanitari a tutti i pazienti con malattie rare sul territorio nazionale, a migliorare la qualità della vita delle persone con malattie rare e dei loro familiari, disciplinando le aree prioritarie di intervento e le azioni necessarie per la sorveglianza delle malattie rare, la diffusione dell'informazione sulle malattie rare diretta alla popolazione generale ed agli operatori socio-sanitari, la formazione di medici e figure professionali coinvolti nell'assistenza, l'accesso al trattamento inclusi i farmaci, la prevenzione e l'accesso ad una diagnosi tempestiva, il supporto alla ricerca di base clinica, sociale e di sanità pubblica sulle malattie rare, le istituzioni responsabili delle specifiche azioni, nonché il sistema di monitoraggio e valutazione annuale del piano nazionale;

a rafforzare le funzioni del Centro nazionale malattie rare presso l'Istituto superiore di sanità, al fine di perfezionare il monitoraggio delle patologie e del funzionamento dei servizi, affinché sia reso omogeneo su tutto il territorio nazionale l'accesso e l'assistenza ai pazienti affetti da tali patologie;

ad assumere iniziative dirette a prevedere, in deroga alle disposizioni in materia di prescrizioni farmaceutiche per le prescrizioni relative ad una malattia rara, che il numero di pezzi prescrivibili per ricetta possa essere superiore a quelli attualmente previsti;

ad adottare le iniziative necessarie per favorire la ricerca clinica e preclinica finalizzata alla produzione dei farmaci orfani, prevedendo che ai soggetti pubblici e privati che svolgono tali attività di ricerca o che investono in progetti di ricerca sulle malattie rare o sui farmaci orfani svolti da enti di ricerca pubblici o privati si applichi un sistema di incentivi e di agevolazioni fiscali per le spese sostenute per l'avvio e la realizzazione di progetti di ricerca.

(1-00809)

«Miotto, Lenzi, Livia Turco, Argentin, Bossa, Bucchino, Burtone, D'Incecco, Farina Coscioni, Grassi, Murer, Pedoto, Sarubbi, Sbröllini».

(16 gennaio 2012)

(Mozione non iscritta all'ordine del giorno ma vertente su materia analoga).