

DDL MALATTIE RARE

Titolo	Incentivi alla ricerca e accesso alle terapie nel settore delle malattie rare. Applicazione dell'articolo 9 del regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999 (AS. 164).
Iniziativa	Parlamentare (presentato il 15 marzo 2013 da Laura Bianconi – Gal).

CAPO I DEFINIZIONI E AMBITO DI APPLICAZIONE

L'**articolo 1** (*Definizione di malattia rara*) dà una definizione di malattia rara, che è conforme a quanto stabilito dal regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999.

L'**articolo 2** (*Ambito di applicazione*) stabilisce che la presente legge venga applicata ai farmaci orfani, inclusi i farmaci destinati all'uso pediatrico, come definiti dal regolamento (CE) n. 141/2000, il cui impiego sia finalizzato alla cura ed alla guarigione delle malattie rare.

L'**articolo 3** (*Livelli essenziali di assistenza per le malattie rare*) prevede che le persone affette da malattie rare abbiano 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 e la prevenzione degli aggravamenti, incluse le prestazioni riabilitative e di assistenza protesica.

L'**articolo 4** (*Protocollo personalizzato*) prevede che i presidi della rete regionale per le malattie rare siano parte integrante della rete nazionale e formulino, dal momento della diagnosi della malattia rara, un piano assistenziale personalizzato.

CAPO II INCENTIVI PER LA RICERCA

L'**articolo 5** (*Istituzione del Fondo nazionale per la ricerca nel settore delle malattie rare e per lo sviluppo e l'accesso ai medicinali orfani*) prevede l'istituzione, presso il Ministero della salute, di un Fondo nazionale per la ricerca nel settore delle malattie rare e per la ricerca, lo sviluppo e l'accesso dei pazienti ai medicinali orfani. Tra le attività del Fondo ci sono: studi osservazionali e raccolta dei dati relativi ai farmaci utilizzati a scopo compassionevole non ancora commercializzati in Italia; programmi di somministrazione controllata di farmaci non compresi nelle classi A ed H dei prontuari terapeutici nazionale e regionali e relativi dispositivi per il monitoraggio domiciliare delle terapie.

L'**articolo 6** (*Fondo nazionale per l'impiego dei farmaci orfani*) prevede l'istituzione, presso il Ministero della salute, di un Fondo nazionale per l'impiego dei farmaci orfani.

L'**articolo 7** (*Consorzi regionali per la ricerca clinica nel settore delle malattie rare*) prevede la costituzione di Consorzi regionali o interregionali per la ricerca clinica nel settore delle malattie rare in cui confluiscono competenze dell'Università, dei Centri clinici di ricerca, delle aziende farmaceutiche, della regione, delle Aziende sanitarie locali (ASL) e delle associazioni di pazienti.

L'**articolo 8** (*Istituzione del Comitato nazionale per le malattie rare*) prevede l'istituzione, presso il Ministero della salute, di un Comitato nazionale per le malattie rare, che si

articola nel Consiglio strategico e nel Consiglio tecnico-scientifico per le malattie rare. Il Comitato nazionale ha compiti di indirizzo programmatico nei settori sanitario e sociale di specifica rilevanza per i pazienti affetti da malattie rare e le loro famiglie.

L'**articolo 9** (*Centro nazionale delle malattie rare*) prevede l'istituzione, presso l'Istituto superiore di sanità (ISS), di un Centro nazionale delle malattie rare, il quale svolge attività di ricerca, sorveglianza, consulenza e documentazione, finalizzate alla prevenzione, alla diagnosi, al trattamento, alla valutazione e al controllo nel settore delle malattie rare e dei farmaci orfani.

L'**articolo 10** (*Piano nazionale per le malattie rare*) prevede l'adozione da parte del Governo, su proposta del Ministro della salute, di un Piano nazionale per le malattie rare.

L'**articolo 11** (*Incentivi per le imprese*) prevede incentivi per le imprese farmaceutiche che intendano svolgere studi finalizzati alla scoperta e produzione di farmaci orfani.

L'**articolo 12** (*Gratuità dei farmaci orfani e prontuari terapeutici*) prevede che i farmaci commercializzati in Italia che hanno ottenuto dall'EMA il riconoscimento di farmaco orfano siano forniti gratuitamente ai soggetti portatori di malattie rare. Si prevede, inoltre, che le Regioni assicurino nei prontuari terapeutici territoriali e ospedalieri la disponibilità e la gratuità di farmaci, di alimenti, di dispositivi medici e di altre sostanze attive, utili per la cura sintomatica e di supporto esclusivamente dei soggetti portatori di malattie rare.

L'**articolo 13** (*Copertura finanziaria*) prevede che il Cipe vincoli, per un importo non inferiore a 40 milioni di euro annui, una quota del Fondo sanitario nazionale per la realizzazione delle finalità di cui alla presente legge.

Lo scorso 25 marzo Lucio Barani (Gal) ha presentato un disegno di legge recante **disposizioni in favore della ricerca sulle malattie rare e della loro cura** (AS. 294).

Molti i punti in comune con il ddl Bianconi:

- istituzione di un Fondo nazionale per la ricerca, lo sviluppo e l'accesso ai medicinali orfani;
- azioni di supporto alla ricerca, alla produzione e alla messa in commercio di nuovi farmaci orfani;
- consorzi per la ricerca nel settore delle malattie rare;
- istituzione del Comitato nazionale per le malattie rare;
- istituzione del Piano nazionale delle malattie rare;

Mancano, invece, nel ddl Barani sia l'istituzione di un Fondo nazionale per l'impiego dei farmaci orfani che l'istituzione di un Centro nazionale delle malattie rare.