

# CAMERA DEI DEPUTATI N. 3828

## PROPOSTA DI LEGGE

D'INIZIATIVA DEI DEPUTATI

**PEDOTO, BOCCUZZI, BUCCHINO, CASTAGNETTI, CENNI, CODURELLI, COLANINNO, DE PASQUALE, DE TORRE, DUILIO, ESPOSITO, FIANO, FONTANELLI, FRONER, GHIZZONI, GINOBLE, GRASSI, LAGANÀ FORTUGNO, MADIA, MARAN, MARCHI, MARTELLA, MATTESINI, MOGHERINI REBESANI, MOTTA, MARIO PEPE (PD), PICIERNO, RIGONI, ROSATO, RUBINATO, SCHIRRU, SERVODIO, SIRAGUSA, STRIZZOLO, TULLO, VACCARO, VELO, VENTURA, VERINI, VIOLA**

Incentivi per la ricerca e disposizioni per favorire l'accesso alle terapie nel settore delle malattie rare, ai sensi dell'articolo 9 del regolamento (CE) n. 141/2000, del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999

*Presentata il 3 novembre 2010*

ONOREVOLI COLLEGHI! — In Italia manca una legge sulle malattie rare. Le malattie rare (definite tali perché colpiscono «solo» tra il 6 e l'8 per cento della popolazione nel corso della vita, che in Europa significa circa 30 milioni di persone) costituiscono una minaccia per la salute dei cittadini europei in quanto pa-

tologie potenzialmente letali o cronicamente debilitanti. Esse si concentrano nell'area delle malattie dismetaboliche, delle neuropatie o delle anemie congenite. Si tratta di malattie caratterizzate da bassa prevalenza (il Parlamento europeo ha definito un limite di prevalenza non superiore ai 5 casi per ogni 10.000 abitanti nella po-

polazione europea) e da un elevato grado di complessità; richiedono pertanto un approccio globale, basato su interventi specifici e combinati volti a prevenire un'elevata morbilità o a migliorare la qualità di vita e il potenziale socio-economico delle persone colpite, che sono una minoranza, ma sono quegli individui e quella collettività richiamati dall'articolo 32 della Costituzione per i quali è fondamentale il diritto alla tutela della salute e la garanzia delle cure.

La definizione di « rara » non ha agevolato il processo di ricerca e di attenzione sulle cause delle malattie rare, 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'insorgere della patologia e la diagnosi che incidono negativamente sulla prognosi del paziente.

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.

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.

Il ricorso a una casistica multicentrica può, inoltre, diminuire la qualità dello studio, in quanto i criteri di reclutamento e di trattamento dei pazienti da sottoporre a *trial* clinici possono essere disomogenei.

La rarità della malattia determina anche un'altra conseguenza per la stessa, ovvero l'essere « orfana », in quanto non riceve le attenzioni e il sostegno economico-sociale adeguati.

L'incapacità dello Stato a sopperire alle esigenze dei cittadini esige un'appropriate risposta legislativa in grado di salvaguardare il malato e di sostenerlo durante l'evolversi della malattia.

La presente proposta di legge ha l'obiettivo di tutelare i malati e le loro famiglie per rendere meno gravoso il decorso della malattia, potenziare la ricerca e facilitare per i cittadini portatori di malattie rare l'accesso ai farmaci e alle terapie senza percorsi burocratici e vessatori. Dopo aver definito che cosa si intende per malattia rara, sulla base di quanto previsto dal regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, (articolo 1) si definisce l'ambito di applicazione della legge che si intende estesa anche ai farmaci orfani (articolo 2) e si prevede l'esenzione alla partecipazione alla spesa per tutte le prestazioni sanitarie, incluse nei livelli essenziali di assistenza (LEA), efficaci ed appropriate a prevenire, alleviare e curare la malattia definita rara (articolo 3).

Al fine di una reale presa in carica del paziente è previsto (articolo 4) che i presidi regionali per le malattie rare, istituiti ai sensi del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità n. 279 del 2001, siano parte integrante della rete nazionale e formulino al momento della diagnosi della malattia rara un piano assistenziale personalizzato.

All'articolo 5 è prevista l'istituzione del Fondo nazionale per la ricerca sulle malattie rare.

L'articolo 6 disciplina, in mancanza di una valida alternativa terapeutica con farmaci regolarmente autorizzati alla commercializzazione sul territorio nazionale, l'utilizzo temporaneo di farmaci orfani prima che abbiano ottenuto l'autorizzazione all'immissione in commercio sempre che gli stessi siano in fase di sviluppo clinico.

L'articolo 7 prevede l'istituzione di un Comitato nazionale delle malattie rare con il compito, tra gli altri, di definire gli indirizzi generali sulle priorità di intervento finalizzate alla predisposizione del Piano nazionale sulle malattie rare, le linee prioritarie della ricerca scientifica in materia di malattie rare nonché i criteri e le priorità di utilizzo del Fondo nazionale per la ricerca in questo settore. Con il

Comitato nazionale per le malattie rare collabora il Centro nazionale per le malattie rare, istituito presso l'Istituto superiore di sanità (articolo 8). Il Comitato elabora un Piano nazionale per le malattie rare di durata triennale. Il Piano indica le aree prioritarie d'intervento e le azioni necessarie per l'osservazione delle malattie rare per la diffusione dell'informazione e

per la formazione dei medici e delle figure professionali interessate a tale materia.

In un'ottica di prevenzione, all'articolo 10 si prevede l'ampliamento degli *screening* neonatali su tutti i nati indipendentemente se il parto sia avvenuto in strutture ospedaliere o a domicilio, al fine di garantire una diagnosi precoce delle malattie metaboliche di origine genetica.

## PROPOSTA DI LEGGE

## ART. 1.

*(Definizione di malattie rare).*

1. Ai sensi del regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, sono considerate rare le malattie la cui incidenza è uguale o inferiore a cinque casi ogni 10.000 persone all'interno dell'Unione europea.

2. Il Servizio sanitario nazionale garantisce i benefici e le speciali tutele di cui alla presente legge ai soggetti affetti dalle malattie rare inserite nell'elenco di cui allegato 1 annesso al regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, e successive modificazioni.

## ART. 2.

*(Ambito di applicazione).*

1. La presente legge si applica ai farmaci orfani, inclusi i farmaci destinati all'uso pediatrico, come definiti dal regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, il cui impiego è finalizzato alla cura e alla guarigione delle malattie rare, nonché alle azioni finalizzate alla prevenzione, alla diagnosi e al trattamento delle malattie rare.

2. La designazione di farmaco orfano è attribuita dal comitato per i medicinali orfani, istituito presso l'Agenzia europea per i medicinali (EMA) dall'articolo 4 del regolamento (CE) n. 141/2000.

## ART. 3.

*(Livelli essenziali di assistenza per le malattie rare).*

1. Le persone affette da malattie rare hanno diritto all'esenzione dalla parteci-

pazione alla spesa per le prestazioni sanitarie, incluse nei livelli essenziali di assistenza (LEA), efficaci ed appropriate per la diagnosi, per il trattamento e per il monitoraggio dell'evoluzione della malattia nonché per la prevenzione delle complicazioni, comprese le prestazioni riabilitative e di assistenza protesica, di integrazione alimentare e di supporto psicologico, prescritte dai presidi individuati dalle regioni ai sensi dell'articolo 2 del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, di seguito denominati « presidi regionali ».

2. Entro tre mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, l'Agenzia italiana del farmaco (AIFA) definisce l'elenco dei farmaci classificati nella classe di cui all'articolo 8, comma 10, lettera c), della legge 24 dicembre 1993, n. 537, e successive modificazioni, erogabili ai soggetti affetti da malattie rare anche con finalità sintomatiche e di sollievo.

3. Con la procedura prevista dall'articolo 1, comma 169, della legge 30 dicembre 2004, n. 311, anche al fine di garantire che le modalità di erogazione delle prestazioni sanitarie in favore delle persone affette da malattie rare siano uniformi sul territorio nazionale, coerentemente con le risorse programmate per il Servizio sanitario nazionale, entro tre mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, sono fissati gli *standard* qualitativi e quantitativi dei LEA relativi alle malattie rare.

#### ART. 4.

*(Piano assistenziale personalizzato).*

1. I presidi regionali sono parte integrante della rete nazionale delle malattie rare e formulano, all'atto della diagnosi di malattia rara, un piano assistenziale personalizzato.

2. Il piano assistenziale personalizzato, previo consenso del paziente, è trasmesso all'azienda sanitaria locale (ASL) di residenza, che ne garantisce l'attuazione assicurando l'integrazione tra i soggetti coinvolti e provvedendo, ove necessario, ad

attivare le procedure per il riconoscimento della disabilità ai sensi della legge 5 febbraio 1992, n. 104.

3. L'ASL, in attuazione del piano assistenziale personalizzato, garantisce le necessarie prestazioni ambulatoriali, semiresidenziali, residenziali e domiciliari di cura e di riabilitazione nonché l'integrazione socio-sanitaria.

4. La regione, con un proprio atto, disciplina le modalità per l'individuazione del responsabile dell'attuazione del piano assistenziale personalizzato.

#### ART. 5.

*(Fondo nazionale per la ricerca sulle malattie rare).*

1. È istituito, presso il Ministero della salute, il Fondo nazionale per la ricerca sulle malattie rare, di seguito denominato « Fondo ».

2. Il Fondo ha una dotazione pari a 500 milioni di euro per ciascuno degli anni 2011, 2012 e 2013.

3. Su parere del Comitato nazionale per le malattie rare di cui all'articolo 7, il Fondo è prioritariamente destinato alle seguenti finalità:

a) assicurare il diritto di accesso ai farmaci orfani, che hanno ottenuto tale designazione da parte del comitato per i medicinali orfani istituito presso l'EMA, su tutto il territorio nazionale e in ogni periodo dell'anno;

b) studi collaborativi nazionali e transnazionali per ricerche cliniche;

c) ricerca di base nell'ambito della genetica e della fisiopatologia delle malattie rare;

d) sviluppo di sistemi innovativi di diagnosi, prognosi e terapia delle malattie rare;

e) ricerca e sviluppo nell'ambito di sistemi sanitari dedicati e di economia sanitaria;

f) studi preclinici e clinici promossi nel settore relativo alle malattie rare e allo sviluppo di farmaci orfani, d'intesa con i programmi per la ricerca indipendente gestiti dall'AIFA;

g) studi osservazionali e raccolta di dati sui farmaci utilizzati a scopo compassionevole non ancora commercializzati in Italia;

h) programmi di somministrazione controllata di farmaci non compresi nelle classi A ed H dei prontuari terapeutici nazionale e regionali e dispositivi per il monitoraggio domiciliare delle terapie;

i) programmi di informazione per i pazienti affetti da malattie rare e programmi di formazione sulle malattie rare;

l) programmi di indagini diagnostiche neonatali sui nuovi nati nel territorio nazionale, con particolare riguardo alle malattie rare di origine genetica per le quali è disponibile un trattamento di riconosciuta efficacia.

4. Con decreto del Ministro della salute, di concerto con il Ministro dell'economia e delle finanze e d'intesa con la Conferenza per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le provincie autonome di Trento e di Bolzano, da adottare entro tre mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, sono stabilite le modalità e i criteri di funzionamento del Fondo.

5. Per la finalità di cui al comma 1, lettera a), il Fondo, integrativo rispetto alle risorse distribuite alle regioni per l'assistenza sanitaria, è utilizzato solo in situazioni di comprovata difficoltà o di eventi straordinari rispetto al fabbisogno specifico per le malattie rare da trattare.

#### ART. 6.

*(Utilizzo temporaneo dei farmaci).*

1. È consentito l'utilizzo temporaneo di un farmaco orfano o di un farmaco de-

stinato al trattamento di malattie rare o gravi prima che lo stesso abbia ottenuto l'autorizzazione all'immissione in commercio, purché il farmaco sia in fase di sviluppo clinico.

2. Nei casi previsti dal comma 1, l'utilizzo del farmaco munito di autorizzazione temporanea di utilizzo (ATU) è consentito esclusivamente in assenza di una valida alternativa terapeutica con farmaci regolarmente autorizzati alla commercializzazione nel territorio nazionale e quando è possibile ritenere che il paziente trae beneficio dall'utilizzo del farmaco. L'utilizzo di farmaci emoderivati muniti di ATU è consentito solo qualora gli stessi provengano da plasma nazionale.

3. Nei casi previsti dai commi 1 e 2, l'utilizzo temporaneo di un farmaco è autorizzato dall'AIFA a seguito di domanda presentata da un medico specialista del Servizio sanitario nazionale, operante presso un'azienda ospedaliera, che ne è il titolare. La domanda è sottoscritta anche dal farmacista ospedaliero della struttura presso la quale è somministrato il prodotto il quale provvede materialmente al suo inoltro all'AIFA a mezzo di fax.

4. La domanda di cui al comma 3, da redigere per iscritto, contiene i dati identificativi del paziente, l'indicazione dei motivi che giustificano l'utilizzo del farmaco sprovvisto di autorizzazione all'immissione in commercio, nonché la descrizione del trattamento previsto con dose, via di somministrazione e durata. Nella domanda è altresì descritta la procedura seguita dal medico richiedente per informare il paziente o il suo legale rappresentante sull'assenza di alternative terapeutiche, sugli eventuali rischi e sui benefici della terapia proposta.

5. La domanda di cui al comma 3 è corredata di un dossier predisposto a cura dell'azienda farmaceutica produttrice del farmaco, contenente:

a) ogni informazione disponibile sulla qualità farmaceutica del farmaco, nonché le sue sicurezza ed efficacia. Per tale finalità sono riportate le sospette reazioni avverse, gravi e non gravi, di cui l'impresa



farmaceutica è venuta a conoscenza; se applicabili, possono essere riportati dati sulla ricerca clinica e non clinica e la letteratura scientifica in materia;

b) l'elenco degli studi clinici già avviati o programmati, in Italia e all'estero, relativi al farmaco.

6. L'AIFA si pronuncia sulla domanda di ATU del farmaco entro sessanta giorni dalla sua presentazione.

7. In caso di rilascio di ATU del farmaco, la durata dell'autorizzazione è indicata dall'AIFA e, in ogni caso, non può essere superiore a tre anni. L'ATU del farmaco viene rilasciata in favore del medico titolare della domanda. La stessa contiene altresì espressa autorizzazione in favore dell'azienda produttrice a fornire il farmaco, nelle indicazioni e per le finalità temporaneamente autorizzate. L'AIFA provvede a trasmettere l'autorizzazione a mezzo di fax al farmacista ospedaliero della struttura presso la quale il farmaco deve essere somministrato, il quale a sua volta provvede a informarne il medico specialista titolare della domanda e l'impresa farmaceutica produttrice.

8. Qualora si ravveda la necessità di prolungare il trattamento, può essere presentata all'AIFA domanda di rinnovo dell'ATU da parte del titolare dell'autorizzazione stessa ovvero di altro medico specialista del Servizio sanitario nazionale. La domanda di rinnovo contiene l'indicazione delle ragioni che giustificano la continuazione del trattamento e fornisce informazioni circa la sua efficacia e la sua sicurezza nel caso specifico.

9. L'AIFA emana un provvedimento di diniego dell'ATU qualora non sussistano le condizioni richieste dal presente articolo per il rilascio. Il provvedimento di diniego dell'AIFA è opportunamente motivato.

10. L'ATU del farmaco può essere sospesa per un periodo non superiore a tre mesi o definitivamente revocata, per ragioni di salute pubblica ovvero quando vengano meno le condizioni in base alle quali era stata rilasciata.

11. L'ATU del farmaco cessa in ogni caso di essere applicabile nel caso in cui il farmaco ottiene l'autorizzazione all'immissione in commercio. Al fine di assicurare ai pazienti continuità nel trattamento, il provvedimento di rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio indica la data alla quale l'ATU cessa di avere effetto, tenendo in considerazione i tempi necessari ad assicurare la disponibilità del farmaco conforme all'autorizzazione all'immissione in commercio.

12. I farmaci per i quali è stata rilasciata l'ATU possono essere utilizzati esclusivamente in ambiente ospedaliero e sono forniti gratuitamente ai pazienti, con oneri a carico del Servizio sanitario nazionale. Per i farmaci emoderivati, i relativi oneri sono posti a carico delle regioni, nell'ambito delle convenzioni stipulate con le imprese farmaceutiche produttrici ai sensi della legge 21 ottobre 2005, n. 219.

#### ART. 7.

*(Comitato nazionale per le malattie rare).*

1. Con decreto del Presidente del Consiglio dei ministri, presso il Ministero della salute è istituito il Comitato nazionale per le malattie rare, di seguito denominato « Comitato ».

2. Il Comitato è presieduto dal Ministro della salute ovvero dal Sottosegretario di Stato delegato.

3. Il Comitato è composto da:

a) il coordinatore degli assessori regionali competenti per la salute con funzioni di vicepresidente;

b) tre assessori regionali nominati dalla Conferenza dei presidenti delle regioni e delle province autonome;

c) il presidente dell'Istituto superiore di sanità;

d) il presidente del Consiglio superiore di sanità;

e) almeno otto esperti del settore, di cui tre nominati dal Ministro della salute,

due designati dalla Conferenza dei presidenti delle regioni e delle province autonome, due indicati dalle aggregazioni nazionali delle associazioni di soggetti affetti da malattie rare, uno designato dall'AIFA;

*f)* il direttore dell'AIFA;

*g)* il direttore del Centro nazionale per le malattie rare di cui all'articolo 8.

4. Possono essere invitati a partecipare alle riunioni del Comitato gli esperti che di volta in volta si rendono necessari.

5. Il Comitato svolge le seguenti funzioni, avvalendosi di specifici gruppi di lavoro:

*a)* approva la relazione sull'attività svolta;

*b)* approva le linee prioritarie della ricerca scientifica in materia di malattie rare;

*c)* definisce gli obiettivi del Piano nazionale per le malattie rare, le azioni prioritarie, il sistema di monitoraggio e di valutazione;

*d)* determina i criteri e le priorità di utilizzo del Fondo;

*e)* promuove attività di prevenzione, di diagnosi precoce e di *screening* delle malattie rare e definisce parametri e criteri per valutare le priorità e gli obiettivi delle attività, anche in collaborazione con organismi nazionali e internazionali;

*f)* promuove l'elaborazione e la diffusione di linee guida;

*g)* propone con cadenza annuale, l'aggiornamento dell'elenco delle malattie rare di cui all'allegato 1 annesso al regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, in accordo con il Centro nazionale per le malattie rare di cui all'articolo 8;

*h)* realizza il raccordo tra la rete nazionale delle malattie rare e quella esistente nell'ambito dell'Unione europea, collaborando con la Commissione europea e altre strutture internazionali a fini di

ricerca e sanità pubblica e per tutte le azioni di cooperazione che si rendono necessarie;

*i)* promuove a livello nazionale e internazionale i rapporti con le associazioni dei soggetti affetti da malattie rare, al fine di promuovere la consapevolezza dei medesimi soggetti riguardo alla tutela della loro salute e della loro qualità di vita;

*l)* verifica, in collaborazione con il Centro nazionale per le malattie rare di cui all'articolo 8, nell'ambito delle singole regioni, l'organizzazione e il funzionamento delle Reti regionali per le malattie rare e dei loro presìdi, nonché la qualità dell'assistenza prestata sia in termini di diagnosi precoce sia in termini di terapia in fase acuta e in fase cronico-riabilitativa. A tal fine si avvale degli strumenti di verifica e controllo del Ministero della salute;

*m)* promuove la costituzione di consorzi regionali, senza scopi di lucro, tra le regioni, le università, i centri di ricerca, i presìdi regionali, le ASL e altri soggetti, pubblici e privati, operanti nel settore della ricerca sulle malattie rare;

*n)* collabora con analoghi organismi nazionali e internazionali operanti nel campo della ricerca e della prevenzione delle malattie rare.

6. Il Comitato elabora il Piano nazionale per le malattie rare, di seguito denominato « Piano », con i seguenti obiettivi:

*a)* assicurare la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi tempestiva, il trattamento e la riabilitazione ai soggetti affetti da malattie rare;

*b)* garantire equo accesso ai servizi socio-sanitari a tutti i soggetti affetti da malattie rare sul territorio nazionale;

*c)* migliorare la qualità di vita dei soggetti affetti da malattie rare e dei loro familiari.

7. Il Piano indica:

a) le aree prioritarie di intervento e le azioni necessarie per l'osservazione circa l'andamento e la diffusione delle malattie rare per la diffusione dell'informazione sulle malattie rare diretta alla popolazione e agli operatori socio-sanitari, per la formazione di medici e di altre figure professionali coinvolte nell'assistenza, per l'accesso al trattamento inclusi i farmaci, per la prevenzione e per l'accesso a una diagnosi tempestiva, per il supporto alla ricerca di base clinica, sociale e di sanità pubblica sulle malattie rare;

b) le istituzioni responsabili delle specifiche azioni di cui alla lettera a);

c) il sistema di monitoraggio e di valutazione annuale del medesimo Piano.

8. Il Piano è adottato, su proposta del Ministro della salute, dal Governo ed è allegato al Piano sanitario nazionale, con le procedure di cui all'articolo 1, comma 5, del decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502, e successive modificazioni. Il Piano ha durata triennale e può essere modificato prima della sua scadenza con la medesima procedura di cui al periodo precedente.

ART. 8.

*(Centro nazionale per le malattie rare).*

1. Il Centro nazionale per malattie rare, di seguito denominato « Centro nazionale », istituito presso l'Istituto superiore di sanità (ISS), svolge attività di ricerca, di sorveglianza, di consulenza e documentazione, finalizzate alla prevenzione, alla diagnosi, al trattamento, alla valutazione e al controllo delle malattie rare e dei farmaci orfani, in collaborazione con il Comitato.

2. Il Centro nazionale svolge le seguenti funzioni:

a) cura le attività di ricerca sulle malattie rare e sui farmaci orfani, sia

direttamente sia coordinando le attività di altri enti;

*b)* collabora con la Rete nazionale delle malattie rare a fini di ricerca e di sanità pubblica;

*c)* cura il mantenimento e l'aggiornamento del Registro nazionale delle malattie rare, istituito ai sensi dell'articolo 3 del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279; a tale fine i dati epidemiologici devono pervenire ogni sei mesi dalle regioni al Registro nazionale;

*d)* cura il mantenimento e l'aggiornamento del Registro nazionale dei farmaci orfani assicurando il collegamento con l'AIFA e con l'EMEA;

*e)* organizza programmi per il controllo esterno di qualità sulla diagnostica di laboratorio delle malattie rare;

*f)* elabora e diffonde linee guida in materia di malattie rare in collaborazione con il Comitato, con la Rete nazionale delle malattie rare e con altri organismi nazionali e internazionali;

*g)* raccoglie e fornisce informazioni aggiornate sulle malattie rare e sui farmaci orfani, nonché sui modelli di assistenza socio-sanitaria, anche in collaborazione con la Rete nazionale delle malattie rare;

*h)* definisce i parametri e i criteri per l'elaborazione di linee guida, protocolli diagnostici e terapeutici, promuovendone la diffusione e assicurandone l'elaborazione per singole malattie rare o per gruppi di malattie, nonché i parametri e i criteri per garantire e verificare la qualità delle attività diagnostiche delle malattie rare;

*i)* promuove e realizza attività di formazione per medici e per operatori socio-sanitari per la prevenzione, la diagnosi, il trattamento e l'assistenza socio-sanitaria delle malattie rare;

l) promuove e realizza attività di comunicazione e di informazione rivolte ai cittadini e agli operatori socio-sanitari.

ART. 9.

*(Gratuità delle prestazioni  
e prontuari terapeutici).*

1. I farmaci commercializzati in Italia che hanno ottenuto il riconoscimento di farmaco orfano dall'EMEA sono inseriti dall'AIFA nella classe di cui all'articolo 8, comma 10, lettera a), della legge 24 dicembre 1993, n. 537, e sono forniti gratuitamente ai soggetti portatori delle malattie a cui la registrazione fa riferimento.

2. Le regioni assicurano nei prontuari terapeutici territoriali e ospedalieri la disponibilità e la gratuità di farmaci, di alimenti, di dispositivi medici e di altre sostanze attive inseriti dall'AIFA nella classe di cui all'articolo 8, comma 10, lettera a), della legge 24 dicembre 1993, n. 537, e di quelli di cui all'articolo 3, comma 2, della presente legge, utili per la cura sintomatica e di supporto esclusivamente dei soggetti affetti da malattie rare, come previsto dai protocolli e dalle linee guida stabiliti a livello nazionale e regionale.

3. Con accordo sancito dalla Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano sono definite le modalità di accesso dei soggetti affetti da malattie rare ai farmaci inseriti nell'elenco di cui all'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648, e ai farmaci registrati all'estero o inseriti in protocolli clinici di sperimentazione di cui sia documentata l'efficacia terapeutica per specifiche malattie rare.

4. In deroga alle disposizioni vigenti in materia di prescrizioni farmaceutiche, per le prescrizioni relative a una malattia rara il numero di confezioni prescrivibili per ricetta può essere pari a sei.

5. I farmaci necessari per la conduzione di protocolli clinici non sperimentali

prescritti dai presìdi regionali sono forniti direttamente dai medesimi presìdi, anche tramite le farmacie territoriali.

ART. 10.

*(Ampliamento degli screening neonatali obbligatori).*

1. Allo scopo di garantire una diagnosi precoce delle malattie metaboliche di origine genetica, per la cui terapia esistono evidenze scientifiche di efficacia terapeutica, le indagini diagnostiche neonatali allargate obbligatorie per legge sono estese alle malattie metaboliche ereditarie.

2. Gli accertamenti diagnostici di cui al comma 1 si effettuano su tutti i neonati, nati sia da parti avvenuti presso le strutture ospedaliere sia da parti domiciliari.

3. Il Comitato definisce l'elenco delle patologie da inserire nel programma di *screening* allargato, la metodologia tecnica da applicare nonché il numero e la localizzazione dei centri dove convogliare le attività di diagnostica precoce.

4. Le regioni, conformemente alle competenze e alle attribuzioni previste dal testo unico delle leggi sull'ordinamento degli enti locali, di cui al decreto legislativo 18 agosto 2000, n. 267, e dalla legge 23 dicembre 1978, n. 833, provvedono, entro sei mesi dalla data di pubblicazione delle indicazioni di cui al comma 3 del presente articolo, ad attuare quanto ivi disposto.

5. Il Comitato aggiorna con cadenza annuale l'elenco delle malattie rare da sottoporre a *screening* neonatale obbligatorio sulla base delle evidenze scientifiche emergenti e delle risorse disponibili.

ART. 11.

*(Credito d'imposta per la ricerca sui farmaci orfani).*

1. A decorrere dal periodo d'imposta successivo a quello in corso alla data di



entrata in vigore della presente legge e fino alla chiusura del periodo d'imposta relativo al terzo anno successivo, alle imprese farmaceutiche che intendono svolgere studi e ricerche finalizzati alla scoperta o alla registrazione e alla produzione di farmaci orfani è attribuito un credito d'imposta nella misura del 10 per cento dei relativi costi sostenuti, in conformità alla disciplina dell'Unione europea degli aiuti di Stato in materia, secondo le modalità di cui al presente articolo. La misura del 10 per cento è elevata al 40 per cento qualora i costi di ricerca e di sviluppo siano riferiti a contratti stipulati con università e con enti pubblici di ricerca.

2. Ai fini della determinazione del credito d'imposta i costi non possono, in ogni caso, superare l'importo di 5 milioni di euro per ciascun periodo d'imposta.

3. Il credito d'imposta deve essere indicato nella relativa dichiarazione dei redditi. Esso non concorre alla formazione del reddito né della base imponibile dell'imposta regionale sulle attività produttive, non rileva ai fini del rapporto di cui agli articoli 96 e 109, comma 5, del testo unico delle imposte sui redditi, di cui al decreto del Presidente della Repubblica 22 dicembre 1986, n. 917, e successive modificazioni, ed è utilizzabile ai fini dei versamenti delle imposte sui redditi e dell'imposta regionale sulle attività produttive dovute per il periodo d'imposta in cui le spese di cui al comma 1 del presente articolo sono state sostenute; l'eventuale eccedenza è utilizzabile in compensazione ai sensi dell'articolo 17 del decreto legislativo 9 luglio 1997, n. 241, e successive modificazioni, a decorrere dal mese successivo al termine per la presentazione della dichiarazione dei redditi relativa al periodo d'imposta con riferimento al quale il credito è concesso.

4. Con decreto del Ministro dell'economia e delle finanze, di concerto con il Ministro della salute, da adottare entro tre mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, sono individuati gli obblighi di comunicazione a carico delle imprese per quanto attiene alla definizione delle

attività di studio e di ricerca agevolabili e le modalità di verifica e di accertamento dell'effettività delle spese sostenute e della coerenza delle stesse con la disciplina dell'Unione europea di cui al comma 1.

ART. 12.

*(Copertura finanziaria).*

1. Agli oneri derivanti dall'attuazione della presente legge si provvede, per gli anni 2011, 2012 e 2013, mediante corrispondente riduzione dello stanziamento iscritto, ai fini del bilancio triennale 2011-2013, nell'ambito del fondo speciale di parte corrente dello stato di previsione del Ministero dell'economia e delle finanze per l'anno 2011, allo scopo parzialmente utilizzando l'accantonamento relativo al Ministero della salute.

2. Il Ministro dell'economia e delle finanze è autorizzato ad apportare, con propri decreti, le occorrenti variazioni di bilancio.

PAGINA BIANCA

€ 2,00



\*16PDL0046230\*